

글로벌 헬스케어 R&D BRIEF

(서울대학교병원 보스턴오피스 / 26.04.24.)

1.

선천성 유전성 난청 유전자치료제 'Otarmeni' FDA 승인
- 세계최초 / 미국내 무료제공

□ 배경 및 주요내용



The FDA approved Regeneron's Otarmeni for an inherited form of hearing loss on April 23, 2026.

Getty Images

- 26.04.23. FDA, Regeneron Pharmaceuticals의 Otarmeni(lunsotogene parvec-cwha)를 유전성 난청 유전자치료제로 승인함.(세계 최초)
 - * Regeneron Pharmaceuticals는 해당 치료제를 미국내 환자에게 무료 제공할 것이라고 선언함.
 - * 트럼프 대통령, Regeneron Pharmaceuticals CEO와 TrumpRx 약가 할인 협약 발표

• Otarmeni 핵심 정보

구 분	내 용
적응증	OTOF 유전자 변이로 인한 중증·고도 감각신경성 난청 (90dB HL 이상)
기 전	AAV1 벡터로 정상 OTOF 유전자를 달팽이관 내 유모세포에 단회 주입 → 오토페를린 단백질 생성 복원
임상결과	<ul style="list-style-type: none"> - 대상 : 10개월~16개월 / 20명 - 24주 시점 : 참가자 80%가 청력 70dB HL 이하(정상대화 가능 수준)로 개선 - 48주이상 추적관찰 : 참가자의 42%가 속삭임까지 들을 수 있음. - 안정성 : 중이염/구토/어지러움/수술로 인한 통증 외 중증 이상반응 없음.
투여방식	전신마취 하 달팽이관 내 단회 주입 (인공와우 수술과 유사)
FDA승인경로	FDA CNPV(Commissioner's National Priority Voucher) 프로그램 ✓ CNPV 프로그램 최초 승인 유전자치료제 ✓ BLA 제출 후 61일 만에 승인 (FDA 역사상 최단 승인 기록)
대상환자	미국 내 연간 약 50명 출생하는 초희귀질환
치료제가격	미국내에선 무료 (수술비 / 입원비는 별도)

□ 주요출처

FDA Approves First-Ever Gene Therapy for Treatment of Genetic Hearing Loss Under National Priority Voucher Program
(26.4.23. / FDA)

<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-ever-gene-therapy-treatment-genetic-hearing-loss-under-national-priority-voucher>

FDA approves Regeneron's hearing loss gene therapy
(26.4.23. / BIOPHARMA DIVE / By Jacob Bell)

<https://jamanetwork.com/journals/jamaoncology/article-abstract/2847524>

2.

MGB & 중국 복단대학교, OTOF 유전성 난청 유전자치료
국제공동연구 임상결과 발표 1)

□ 배경 및 주요내용

nature

Article | Published: 22 April 2026

Multicentre gene therapy for *OTOF*-related deafness followed up to 2.5 years

- 26.04.22. Mass Eye and Ear(HMS) / 중국 복단대학교 안이비인후과병원 공동연구팀, OTOF 유전자 변이에 의한 상염색체 열성 난청 9형

1) 상기 선천성 유전성 난청 유전자치료제 ‘Otarmani’ FDA 승인 - 세계최초 / 미국내 무료제공
와 별개연구임.

(DFNB9) 환자 42명을 대상으로 한 다기관·최장기 유전자치료 임상시험 결과를 Nature에 발표함.

※ OTOF / Otoferlin(오토페를린)

- 귀에서 뇌로 소리 신호를 전달하는 핵심 단백질
- 선천성 난청의 약50%는 유전적 원인인데 그 중 OTOF 변이가 2~8% 차지함
- 미국에선 매년 약 50명 신생아가 해당 변이로 태어나며 OTOF변이는 초희귀 질환에 해당됨.

- * 오토페를린(otoferlin) 단백질 결손 → 달팽이관 내 유모세포가 소리 신호를 뇌로 전달하지 못하게 됨. (태어날때부터 완전 전농상태)
- * 통상 치료 옵션은 인공와우 이식뿐이었으며, 자연 청력 복원은 불가능하다고 여겨져 왔음

• Otarmeni 핵심 정보

구 분	내 용
공동연구	Mass Eye and Ear (하버드 의대) 복단대 안이비인후과병원 (상하이) *임상시험을 중국내 8개 병원에서 42명 환자 나눠 임상진행
대상연령	0.8세~32.3세
투여방식	- AAV 벡터에 분할 OTOF 유전자 탑재, 달팽이관 내 단회 주입 - 한쪽 귀 투여 36명 / 양쪽귀 투여 6명
추적기간	2.5년 * 유전성 난청 유전자치료 임상 중 최장기 추적
임상결과	- 전체 42명 중 90%**에서 청력 개선 확인 - 연구 종료 시점(2.5년)에 참가자의 50%가 정상 청력 수준에 도달 - 18세 이하 소아·청소년에서 가장 큰 효과 관찰 - 성인 환자(최고 32세)에서도 청력 개선 확인되나 소아 대비 효과는 다소 작음 - 양쪽 귀 투여군이 한쪽 귀 투여군 대비 언어 및 말소리 인지 점수가 유의미하게 높음 - 안정성 : 2.5년 추적 기간 동안 중대한 치료 관련 이상반응 없음.

- 시사점

4.23. FDA가 승인한 Regeneron의 Otarmeni와는 독립된 별개의 연구로서, 동일한 OTOF표적·AAV 벡터 접근법을 사용하나, 연구진·임상 프로토콜·제조 벡터가 다른 별개 프로그램으로, 복수의 독립적 연구 그룹이 동시에 유사한 결과를 내면서 OTOF 유전자치료 접근법의 재현성과 강건성이 과학적으로 확립되는 계기

□ 주요출처

Multicentre gene therapy for OTOF-related deafness followed up to 2.5 years
(26.4.22. / Nature / By Luoying Jiang, Xiaoting Cheng, Jun Lv, Yuxin Chen, Xiaoyun Chen, Rongqun Zhai, Liqin Zhang, Lei Han, Yiling Zhang, Juhong Zhang, Di Deng, Zhicheng Huang, Qi Cao, Xin Zhang, Daqi Wang, Yizhe Wang, Liheng Chen, Sha Yu, Luo Guo, Bowen Zhang, Hui Wang, Yi Zhou, Liling Dai, Wei Wang, Longlong Zhang, Yanbo Yin, Guiqing Cheng, Ziyi Zhou, Wuqing Wang, Bing Chen, Wei Lu, Hongqun Jiang, Zhiqiang Gao, Dazhi Shi, Yuanping Xiong, Yu Zhao, Wei Yuan, Qin Wang, Guodong Feng, Huawei Li, Zheng-Yi Chen & Yilai Shu)

<https://www.nature.com/articles/s41586-026-10393-y>

Hearing Restoration From Gene Therapy for Inherited Deafness Lasts Years, New Trial Results Show
(26.4.22. / MGB)

<https://www.massgeneralbrigham.org/en/about/newsroom/press-releases/otof-deafness-gene-therapy-trial-update>

3.

NIH 신규 그랜트 지원액, 예년 동기 대비 약\$10억 미집행에 따른 수천건의 연구 프로젝트 지연

□ 배경 및 주요내용

- 26.04.23. 뉴욕타임스 단독 보도: NIH가 FY2026 회계연도(25.10월) 개시 이후 현재까지 신규·경쟁 그랜트 승인에 있어, 예년 대비 약\$10억 미집행된 것으로 확인됨.

- NIH GRANT 지연 현황 -

지 표	FY 2026	비 고
25.10월~26.3월 신규·경쟁 그랜트 승인 건수	약 1,900건	FY2021~2024 평균 대비 절반 이하
FY2026 그랜트 의무지출액 (3.20 기준)	\$58억	FY2024 동기 대비 34% 감소

- 지연 주요사유
 - OMB(백악관 예산관리국)의 예산 배정 지연으로, 의회 승인 예산임에도 NIH 집행 불가
 - 복수연도 그랜트를 일시 전액 지급(forward funding)하는 새정책으로 신규 과제 수 감소
- 시사점
 - 암·심장질환·알츠하이머 등 핵심 연구 프로젝트 수천 건이 지연중.
 - 회계연도 종료(9.30.) 때까지 집행하지 않을 경우 국고환수될 수 있음.

□ 주요출처

Drop in NIH Funding Delays Thousands of Studies
(26.4.23. / USNEWS / By HealthDay)

<https://www.usnews.com/news/health-news/articles/2026-04-23/drop-in-nih-funding-delays-thousands-of-studies>