

 식품의약품안전처	<h1>보도참고자료</h1>	배 포	2020. 4. 1.(수)
		담 당 과	의약품안전국 의약품정책과 (☎043-719-2620)
과 장		채규한 (☎043-719-2610)	
사 무 관		한연경 (☎043-719-2620)	

식약처, 항암제 2종 등 희귀의약품 지정 공고

희귀·난치질환 치료제 개발 지원 및 환자 치료기회 보장 위해

□ 식품의약품안전처(처장 이의경)는 ‘펙시다티닙 염산염’ 등 2종을 희귀의약품으로 신규 지정하고, 희귀의약품으로 지정된 ‘닌테다닙’ 등 2종에 대해서는 대상 질환을 추가하여 4월 1일 공고하였습니다.

※ **희귀의약품** : 희귀질환을 진단하거나 치료하기 위한 목적으로 사용되는 의약품, 대체 가능한 의약품이 없거나 대체 가능한 의약품보다 현저히 안전성 또는 유효성이 개선된 의약품으로 식약처장의 지정을 받은 의약품

○ 식약처는 희귀·난치질환 치료제의 개발을 지원하기 위해 희귀의약품에 대해 우선 허가하고 질환의 특성에 따라 허가 제출자료·기준 및 허가 조건 등을 따로 정할 수 있도록 ‘희귀의약품 지정 제도’를 운영하고 있습니다.

« 희귀의약품 지정 공고 (20.4.1.) »

신규	펙시다티닙 염산염 (경구제)	증상을 동반하고 수술로는 개선이 어려운 중증 이환상태이거나 기능적 제한이 있는 건활막거대세포종* 을 가지고 있는 성인 환자의 치료
	에포프로스테놀 (주사제)	WHO 기능분류 Ⅲ-Ⅳ단계에 해당하는 폐동맥고혈압 환자의 운동능력 개선
변경	닌테다닙 (경구제)	진행성 표현형을 나타내는 만성 섬유성 간질성 폐질환 치료
	나라파립 (경구제)	1차 백금기반요법에 반응(부분 또는 완전반응)한 난소암(난관암 또는 일차 복막암 포함) 성인환자의 단독 유지요법

* 건활막거대세포종(Tenosynovial Giant Cell Tumor, TGCT) : 활막, 윤활낭, 건조 등에 발생하는 종양

- 식약처는 이번 희귀의약품 지정으로 희귀·난치질환자를 위한 치료제 개발에 도움이 될 것으로 기대하며, 앞으로도 환자의 치료 기회를 보장하기 위한 정책을 지속적으로 마련해 나가겠습니다.
- 자세한 내용은 식약처 홈페이지(www.mfds.go.kr) → 알림 → 공고에서 확인할 수 있습니다.

< 첨부 > 희귀의약품 지정 세부사항

첨부

희귀의약품 지정 세부사항

○ 신규 지정(2종)

연번	성분(일반명)	대상질환
270	펙시다티닙 염산염(경구제)	증상을 동반하고 수술로는 개선이 어려운, 중증 이환 상태이거나 기능적 제한이 있는 건활막거대세포종(Tenosynovial Giant Cell Tumor, TGCT)을 가지고 있는 성인 환자의 치료
271	에포프로스테놀(주사제)	WHO 기능분류 III-IV 단계에 해당하는 폐동맥고혈압 환자의 운동능력 개선

○ 변경 지정(2종)

연번	성분(일반명)	대상질환
211	닌테다닙(경구제)	<ol style="list-style-type: none"> 1. 특발성폐섬유증의 치료 2. 전신경화증 연관 간질성폐질환의 치료 3. 진행성 표현형을 나타내는 만성 섬유성 간질성폐질환의 치료

연번	성분(일반명)	대상질환
233	니라파립(Niraparib)(경구제)	<ol style="list-style-type: none"> 1. 백금기반요법에 반응한 백금 민감성 재발성 난소암(난관암 또는 일차 복막암 포함) 성인 환자의 단독 유지요법 2. 이전에 3차 이상의 항암화학요법을 받은적이 있는 1) BRCA 변이 (백금 민감성 여부에 무관) 또는 2) 백금민감성 HRD 양성인 재발성 난소암(난관암 또는 일차복막암 포함) 성인 환자의 단독 치료 요법 3. 1차 백금기반요법에 반응(부분 또는 완전반응)한 난소암 (난관암 또는 일차 복막암 포함) 성인 환자의 단독 유지요법