

Integrated Evidence 성공 스토리 및 파트너십

성공을 결정짓는 핵심과제: 데이터 연결

Introduction

임상시험에서 가장 중요한 것은 데이터입니다.

임상시험팀은 리얼월드데이터(RWD)를 통해 임상시험 설계 관련 정보 획득, 원활한 시험대상자 모집, 나아가 의학적 참여를 이끌어낼 수 있는 근거를 생성할 수 있다는 걸 잘 알고 있습니다. 하지만 관련 데이터를 찾고 인사이트를 생성하는 데 많은 어려움이 따랐습니다.

Integrated Evidence가 등장하기 전까진 말이죠.

본 eBook에서 Integrated Evidence가 어떻게 임상시험 데이터의 가용성 문제를 해결하며, 데이터가 어떻게 관련 규제에 적합한 품질을 유지할 수 있도록 보장하는지 알아보실 수 있습니다.

Integrated Evidence

Integrated Evidence는 강력한 AI 플랫폼으로, 20,000건 이상의 임상시험, 6백만 명 이상의 시험대상자로부터 획득한 과거 데이터와 리얼월드데이터(RWD)를 연결함으로써 성공적인 시험을 위해 임상 개발 관련자들이 필요로 하는 강력한 인사이트와 근거를 제공합니다.

강력한
인사이트
제공

근거 기반
결정

성공 가능성
증대



데이터를 연결하여 강력한 임상연구 설계 모델 생성

- 20,000건 이상의 과거 임상시험
- 6백만명 이상의 시험대상자
- 94개국에 위치한 연구자들과 22,000곳 이상의 의료기관
- 1,400여 명 이상의 고객
- TOP 10의 모든 CRO
- TOP 20의 모든 바이오제약 및 의료기술 기업
- 300개 이상의 RWD 소스에서 사전 통합된 리얼월드 데이터

Trial Design

최상의 데이터 활용

대부분의 기업은 RWD와 자체 임상시험 데이터에만 의존합니다. Integrated Evidence는 산업 간 과거 임상시험 데이터, 20,000건 이상의 과거 임상시험에서 얻은 시험대상자-레벨 데이터 및 사전 통합된 리얼월드 데이터를 모두 포함한 유일한 데이터 세트입니다.

보다 개선된 시험 설계를 위한 근거 획득

규제기관 제출을 위한 'ground truth' 역할을 할 수 있는 데이터 포인트를 과거 임상시험에서 파악할 수 있습니다.

근거에 기반한 효율적인 의사 결정

시나리오 실행을 통해 적합한 데이터 포인트를 파악하고 시험 설계를 최적화할 수 있습니다. 불확실성을 줄이고, 일정을 앞당길 뿐만 아니라 go/no-go 결정을 보다 빠르게 내릴 수 있습니다.



입증된 Point!

가치 창출 5% 증가

비교편의 시뮬레이션 및 제2상에서 제3상으로의 성공 가능성 증대

비용 35% 감소

빠른 시험대상자 등록, 유지 비율 개선 및 신속한 엔드포인트 평가를 통한 시험 일정 단축

Synthetic Control Arm[®]

통계에 근거한 강력한 외부 대조군 활용

Acorn AI의 Synthetic Control Arm[®](SCA[®])은 산업 간 과거 임상시험 데이터로 생성되는 유일한 외부 대조군을 제공합니다. 합성 대조군 생성을 위해 시험군에서 얻은 시험대상자-레벨 데이터를 통계를 바탕으로 매칭합니다.

보다 개선 된 시험 관련 결정

강력한 외부 대조군을 활용해 추가 인사이트를 얻고 보다 개선 된 시험 관련 결정을 내림으로써 임상시험 성공 가능성을 높일 수 있습니다.

‘가속 승인’ 시험에서의 규제기관 승인을 위한 사용

단일군 임상시험을 개선함으로써 제2상에서의 우수한 규제적 근거를 획득할 수 있습니다. 또한 SCA[®]로 현재 진행 중인 제3상 시험의 무작위배정 대조군을 증강 또는 대체해 모집 및 등록 일정을 단축하고 비용을 절감할 수 있습니다.



입증된 Point!

모집 기간 18개월 단축

셀시온(Celsion)은 BTD를 위해 난소암 임상시험에 SCA[®]를 제출

대조군에서 2년 이상 중도탈락 환자의 데이터 대체

mCRPC 임상시험에서 상위 5대 제약사가 SCA[®] 제출

차트 검토 생략, 새로운 엔드포인트 대체

바이오텍 기업이 제출한 희귀 종양 적응증에 CT+RWD 자연 경과 연구



활용 사례 및 파트너십

소개

메디세나는 Medidata SCA®를 사용해 단일군 제2상 임상시험에서 유효성을 입증했으며, 그 결과를 바탕으로 제3상 SCA 기반 등록 시험을 설계하는 것이 목표입니다. FDA는 공격적 형태의 뇌암인 재발성 교모세포종 환자를 대상으로 한 메디세나의 제3상 등록 임상시험에서 SCA®를 사용하는 것을 승인했습니다. 이는 통상적으로 무작위배정 대조군을 사용하는 적응증을 대상으로 한 제3상 시험에서 혼합 외부 대조군(합성 대조군 시험대상자와 무작위배정 시험대상자를 결합)을 사용하는 것을 허용한 선례로 남게 되었습니다.

합성 대조군은 임상시험용 의약품을 복용한 시험대상자의 인구통계학적, 질병 관련 특성에 맞춰 과거 임상시험에서 신중하게 선정한 시험대상자로 구성됩니다.

“ 재발성 교모세포종 치료를 위한 외부 대조군과 MDNA55를 결합하는 등록 시험 설계에 대한 과학적으로 타당한 근거를 제시한 Acorn AI팀의 역량에 무척 감탄했다. **Acorn AI팀의 전문 지식과 각 분야 전문가들과의 적극적 협력은 등록 시험에서의 외부 대조군 사용에 대한 타당성을 FDA에 입증하는 데 중요한 역할을 했다.** ”

파하르 머천트(Fahar Merchant) 박사

메디세나 테라퓨틱스 회장

2020년 10월 15일

메디세나(MEDICENNA)

메디세나 테라퓨틱스의 재발성 교모세포종 대상 제3상 등록 시험에서의 메디데이터 Synthetic Control Arm® 사용과 관련해 미국 식품의약국(FDA)을 지원

- FDA는 재발성 교모세포종(rGBM)을 대상으로 한 제3상 시험 설계에서 혼합 Synthetic Control Arm®(SCA) 사용을 최초로 승인했습니다.
- SCA®는 IL4R 발현 수준이 높은 시험대상자 뿐만 아니라 모든 시험대상자에서 유효성 효과가 큰 것으로 입증되었습니다.
- 혼합 외부 대조군은 대조군에 배정해야 하는 시험대상자 수를 줄이는 동시에 엄격한 과학적 데이터를 제공했으며, 제품의 신속한 개발을 가능하게 했습니다.



셀시온(CELSION)

메디데이터의 Synthetic Control Arm[®]이 셀시온의 GEN-1 이용 난소암 대상 OVATION 1 시험에서 강력한 무진행 생존기간 치료 효과를 보였습니다.

- 예상되는 치료 효과에 대한 이해도를 개선하기 위해 SCA[®]를 활용하여 초기 단계 단일군 임상시험과 관련한 해석 능력을 향상
- 제1상 데이터에 대한 SCA[®] 분석으로 강력한 PFS 치료 효과 입증
- 분석을 통해 제2상 시험 수행에서의 표본 크기 20명 감소를 정당화
- 향상된 해석 능력으로 제2상 시험의 적절한 규모에 대한 정보를 제공하고, 이를 바탕으로 최대 1,500만 달러*의 적응증별 비용 절감

소개

FDA는 2019년 3월 셀시온과의 논의에서 제2상 OVATION 1 시험의 예비 결과는 흥미롭지만 의미있는 종양 반응, 수술 결과 및 PFS에 대한 GEN-1의 독립적인 영향을 평가할 대조군이 부족하다고 지적했습니다. 셀시온은 이런 한계를 극복하기 위해 메디데이터가 제공하는 환자 매칭 데이터를 이용하여 SCA[®]를 구성하기로 결정했습니다. 셀시온은 SCA[®]를 채택함으로써 무진행 생존기간(FDA가 인정한 OS의 대리 표지자)의 강력한 유효성 신호를 보여줄 수 있었으며, ITT(Intent-To-Treat)군에서의 위험비는 0.53이었습니다(Celsion, 2020).

합성 대조군은 특정 종양 적응증 및 무작위배정 대조군 이용이 비윤리적이거나 부적절한 기타 질병을 대상으로 한 임상시험을 혁신할 수 있는 가능성이 있습니다.

“ Medidata SCA[®]의 고품질 매칭 데이터에 깊은 인상을 받았다. 시험의 일부에 SCA[®]를 사용함으로써 비용을 절감할 수 있고, 환자가 위약이 아닌 GEN-1을 투여 받을 가능성이 높아지므로 등록률 역시 향상될 것이다. ”

마이클 타르두그노(Michael H. Tardugno)

셀시온의 회장, 사장 겸 CEO

2020년 3월 27일

*참고: 1,800여 개 적응증에 대한 320,000개 이상의 지불/계약 및 29,500개 이상의 시험계획서를 집대성한 PICAS 데이터베이스는 임상 벤치마크 및 협상 완료된 시험자 지불 비용에 대한 정보를 제공합니다.



프렌즈 오브 캔서 리서치 (FRIENDS OF CANCER RESEARCH)

비소세포 폐암(NSCLC) 대상 사례 연구

임상시험 결과에서 SCA®와 목표 무작위배정 대조군에서 관찰된 베이스라인 특성이 비슷한 균형 상태에 도달된 것으로 입증되었습니다. SCA®는 대조군에서 전체 생존(OS) 결과를 재현했습니다. SCA®와 대조군에서 OS의 카플란-마이어(Kaplan-Meier) 곡선은 시각적으로 중복되었습니다. 또한 로그 순위 검정($p=0.65$)과 위험비 1.04(95% CI:(0.88, 1.23))는 통계적으로 유의하지 않았습니다.

소개

가속 승인 임상시험에서 SCA®의 유효성 평가를 위해 SCA®가 NSCLC 시험의 목표 무작위배정 대조군에서 나타난 결과를 재현할 수 있는지를 조사했습니다. NSCLC SCA® 시험대상자는 목표 시험의 주요 적합성 기준을 충족해야 했으며, SCA®와 목표 무작위배정 대조군 베이스라인 특성의 균형을 맞추기 위해 성향 점수 기반 접근법을 바탕으로 추가로 선정되었습니다. 모든 환자 선정은 환자 결과에 대한 정보가 없는 상태에서 진행되었습니다.

요약:

이 시험에서 SCA®가 무작위배정 대조군 대신 사용되었다고 가정할 때 치료 효과에 대한 판단이 동일했을 것이라는 결론이 내려졌습니다. 모든 교란요인에 대해 균형을 맞출 수 없는 경우에는 이 결론이 유효하지 않을 수 있습니다. 하지만 데이터가 시사하는 바에 따르면 SCA®는 향후 일부 시험에서 무작위배정 대조군을 증강 또는 대체함으로써 치료 효과에 대한 이해도를 훼손하지 않고 시험대상자 모집, 유지, 교차 문제를 완화할 수 있습니다(Davi, 2019).



플랫바이오(PLATBIO)

‘가상임상시험’, ‘정밀의료’, ‘신약재창출(Drug Repositioning)’에 관한 연구개발 업무에 상호협력하기로 하고 업무제휴 협약을 체결했습니다.

파트너십 정보

메디데이터와 플랫바이오는 혁신 임상 IT 기술을 활용한 신약 개발 수요를 충족시키고 더 넓은 기회를 창출하기 위해 협력할 예정입니다. 특히 신약 개발에 실패 또는 중단했던 약물을 새로운 적응증 환자군 대상으로 다시 개발하거나 신약후보물질의 가능성을 향상시킬 수 있는 ‘합성대조군(Synthetic Control Arm; SCA)을 활용한 신약 재창출 연구’에 대한 기술적, 전략적 방향을 업계에 제시할 계획입니다.

이번 업무 협약 체결로 메디데이터는 자사의 생명과학 분야 특화 인공지능(AI) 솔루션인 '에이콘 AI'의 합성대조군 솔루션 및 빅데이터, 인공지능 기반 분석 솔루션을 플랫바이오에 지원합니다.

“신약개발이 갈수록 난제로 거듭나는 가운데, 메디데이터의 합성대조군은 기존의 고품질 임상 데이터를 활용하는 의미 있는 해결책”이라며 “본 협약으로 국내에서 합성대조군을 이용하여 임상 효율성을 올리하고자 하는 바이오 기업들에게 실질적인 혜택을 줄 수 있을 것이며, 특히 좋은 후보 물질을 가지고 있으나 당초 예상에 못 미치는 임상 결과치를 가지고 있어서, 신약 재창출을 하고자 하는 국내 바이오 기업들에게는 플랫바이오의 합성대조군 및 임상 컨설팅을 통하여 비용을 획기적으로 절감하고 훨씬 빠르게 임상을 진행할 수 있는 기회가 될 것입니다.

합성대조군은 대조군 환자 수급이 어려운 임상의 문제점과 환자 수급에 소요되는 비용과 시간을 획기적으로 해결한다는 점에서 국내를 비롯해 여러 아시아 제약사들이 많은 관심을 보여 왔으나, 이를 제대로 이해하고 활용할 수 있는 의료 통계 전문인력의 부재로 확산에 어려움을 겪어 왔다”라며 “오랜 파트너로 함께 해 온 메디데이터와 플랫바이오가 이번 업무 협약으로 가상임상시험, 정밀의료, 합성대조군 같은 R&D 옵션을 국내 제약 바이오 업계에 제시할 수 있을 것입니다.”

김선진

플랫바이오

회장

2020년 9월 21일



Acorn AI 소개

Acorn AI™는 메디데이터의 자회사로서, 향후 20년에 걸쳐 스마트 진료 기술 발전 및 모두의 건강 증진에 기여한다는 메디데이터의 새로운 사명을 상징한다. Acorn AI는 임상시험 전 단계에 걸쳐 데이터의 유동성을 보장하는 한편, R&D 및 상용화 과정에서 발생하는 중요 문제를 해결하도록 설계되었다. 또한, 2만여 건의 임상시험과 500만 명에 달하는 시험대상자 데이터를 보유한 메디데이터 플랫폼에 기반하여 업계에서 가장 규모가 크고 체계적인 동시에 리얼월드, 중개 및 기타 데이터 세트와 연계된 표준화된 임상시험 데이터 저장소를 제공한다.

자세한 정보:

www.medidata.com/acornai

contact-us@acornai.com

+1 866 515 6044