

# I. 임상시험용약품의 치료목적 사용

## ◆ 임상시험용의약품의 치료목적사용 안전관리 강화

☞ (의뢰자) 임상시험용의약품 제공기준 및 사용결과 관리 강화

- 임상시험용의약품의 안전성 및 유효성 평가 단계를 고려하여 치료목적사용 제공기준을 마련하고, 사용목록 및 안전성 정보 관리 의무화

☞ (전문의) 신청 시 제출서류는 간소화, 소견서의 상세 기재사항 규정화

\* (규정) 의약품 등의 안전에 관한 규칙” 제 28 조 (‘22.12.7 개정)

### <<개인별 치료목적 사용승인 신청 서류>>

변경 전
①전문의 자격증 ② 환자 진료기록 및 의학적 소견서 ③ <b>진단서</b> ④ <b>환자동의서(서명포함)</b> ⑤ 개발자의 임상약 제공의향서



변경 후
①전문의 자격증 ② 환자 진료기록 및 <b>*의학적 소견서*</b> ③ <b>삭제</b> ④ <b>환자동의서 서식</b> ⑤ 개발자의 임상약 제공의향서

- 소견서에 상세 진료기록(영상학적 소견, 검사기록, 사용약물[표준치료적용 이력 등] 환자의 질병경과 등) 포함되어 있는 경우, 의료기관에서 발행한 의무기록 제출 필요

## 치료목적 사용 신청 소견서 (예시)

신청인 (전문의를)	성명 : 000	진료과목: 00	병원명 : 000
대상환자	성명: 000 진단명 : 000	나이: 만 00세	성별: 남성/여성
승인받은 임상시험 정보	승인번호/계획서번호 : 12345 / ABC-10-6 ver3		승인일자 : YYYY.MM.DD,
	제 목 : 000 환자에 대한 000의 평가를 위한 제 3 상 임상시험		
	제품명(코드명) : 000	승인받은 대상질환 : 0000	
신청유형	승인받은 용법용량: 00mg/day 4주기 투여		
	승인받은 임상시험과 치료목적사용 대상질환 동일 [ Y / N ]		
	승인받은 임상시험과 치료목적사용 투여방법 동일 [ Y / N ]		
임상시험용의약품 비용청구 [ Y / N ]			
제출자료	의학적 근거	<ul style="list-style-type: none"> <li>• (예1-진행중인 임상, 동일 적응증) 승인받은 임상시험과 동일한 적응증으로 IB 참고 * 임상시험 참여 어려운 이유에 대해 간략 기술 : 모집마감으로 참여 불가</li> <li>• (예2)승인받은 임상시험의 적응증과 상이한 경우, 해당 의약품의 특징점·작용기전, 근거를 요약기술 * 논문외 경우, 논문전문 및 요약자료를 첨부</li> <li>• (예2-1) 00종양은 △△하는 질환으로, 진단 후 00년에는 00으로 진행되어 평균 생존기간은 00개월, 스테로이드 치료가 주요하나 대부분 스테로이드 저항성이며 예후가 나쁘고 5%의 관해만 보임. 해당환자는 00영상소견을 보이는 경우로, 유사 질환의 해당 약제 사용시 호전된 case report(000 et al. 2017.) 및 환자관해 결과가 보고된 RCT가 있음(△△△ et al. 2018.) 해당 임상약은 000억제 작용기전 상 대상 질환에 종양감소 효과가 이론적으로 예측되어, 상기 증강 결과보고서, 논문 등을 통한 임상모습 사례 등 의학적 근거가 있음</li> </ul>	
		투여 대상	<p>○ 대상환자 기준 (생명위협 질환, 대체수단 없음에 대한 구체적 기술)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• (예1) 00질환에 대한 진료지침(근거:대한00진료지침_19년)에 따라, 00병용요법 2주기 투여 및 절제를 실시하였으나 재발하여 현재 국내 다른 치료 옵션 없음.</li> <li>• (예2) 00에 내성을 보이고, 진행속도가 빠르게 기대어달이 3개월에 불과한 등 생명을 위협하는 심각한 질환에 해당</li> </ul> <p>* <u>주요 치료이력 및 임상데이터는 하단에 요약기재하고, 관련 진료기록은 첨부로 제출</u></p>
투여 방법	승인받은 용법용량과 다른 경우, 설정 근거 기술		
기타 의견	<ul style="list-style-type: none"> <li>• (예1) 가능한 치료수단이 없으며, 2상 임상시험의 결과 중 000사례의 유의미한 결과, 심각한 부작용은 없었던 점, 작용 기전, 65세이상의 치사율이 00%이상이고 심혈관계 기저질환 고려 시 현단계 사용이 이익이 위험을 상회한다고 판단</li> </ul>		
<b>관련 치료이력</b>			
(예)화학요법	(예1) 2019.1.1.~4.28. Capecitabine (Xeloda) + temozolomide (Temodal) #3 투여		

## 치료목적 사용결과 보고 (예시)

보고자 (제공자)	대표자 : 000		소재지 : 0000
	업체명 : ABC제약		
신청인 (전문의)	성명 : 000	진료과목: 신경외과	전화번호 : 000
	병원명 : 00병원		소재지 : 0000
대상환자	성명(이니셜) : PJK	나이: 만 00세	성별: 남성/여성
	진단명: △△△		
치료목적사용 승인일자 : YYYY.MM.DD.			
승인받은 임상시험 정보	임상시험계획 승인번호 : 12345		임상시험 승인일자 : YYYY.MM.DD.
	제 목 : 000 환자에 대한 000의 평가를 위한 제 3 상 임상시험		
	제품명 : 000	승인받은 대상질환 : 0000	
보고분류	중간보고 [ ] 최종보고 [ ]		

### 투여경과

구분	제품(기술)	투여시작일	투여종료일	용량 / 투여경로	투여종료사유
임상 시험약	△△△	20.5.22	20.6.19	00mg/day / 경구	1주기(28일) 후, 내약성으로 중단 필요
		20.6.20.	20.7.20.	00mg/day / 경구	15일째 약화 등으로 중단 필요 or 계획된 4주기 투여완료로 추가 투여 불필요
총 업체 제공량 3주기 ( )정 중, 사용결과 잔여 의약품 ( )정은 병원 내부절차에 따라 폐기 or 업체반품					
주요 별용약물 또는 시술	0000	20.3.20	20.6.18.	00mg iv q4hrs	N/A
	중양제거술	20.5.20			N/A
	방사선	20.6.17.			N/A
	안수치료	20.6.10.	20.6.18		N/A

### 종합 소견

치료목적사용 결과 종합소견 : (예) 00수치 감소/증가 하는 등 전반적으로 호전양상이나 병용치료/약물 등으로 해당 임상약 유효성 판단은 곤란. 다만 해당 약제로 인한 중대 부작용은 없었던 것으로 판단.

추후 000 분석, 2상임상 등이 추가된다면 유효성/안전성에 대한 추가적인 판단이 가능할 것으로 판단됨

향후 계획 : (예) 000은 투여 종료후 △△△으로 변경투여예정

기타 의견 :

### 관련 임상데이터

구분	임상약 투여 전	임상약 투여 후
중양크기		
Karnofsky performance score		
검사 (혈액/화학/노 등)		
기타 주관적 상태		
입/퇴원여부		

### 약물이상반응

약물이상반응명	①날짜		②의심되는 약물과의 관계	③약물에 대한 처치	④최종관찰결과	⑤약물이상반응의 결과 (중대성:Seriousness)
	시작일	종료일				

- 의약품 등의 안전에 관한 규칙 제28조(임상시험용의약품의 치료목적 사용승인 신청 등) 개정 '22. 12. 7.
- ③ 개인별 환자를 대상으로 치료목적 사용승인을 신청하려는 전문의는 제2항의 치료목적 사용승인 신청서에 다음 각 호의 서류 또는 자료를 모두 첨부하여 제출하여야 한다.
  1. 신청인이 전문의로서 해당 질환에 대하여 전문적 지식과 경험을 갖추고 있음을 증명할 수 있는 서류
  2. 대상 환자의 진료기록
  3. 대상 환자가 법 제34조제4항제1호 또는 제2호에 해당한다는 내용과 임상시험용의약품 사용으로 환자에게 위험보다는 이익이 될 수 있다는 임상적 평가내용을 포함한 의학적 소견에 대한 자료(관련 검사 결과 등 근거를 포함한다)
  4. 다음 각 목의 사항이 포함된 환자 동의서 서식
- ⑧ 제5항에 따라 치료목적 사용승인을 받은 임상시험용의약품을 제공한 자는 다음 각 호의 사항을 준수해야 한다.
  1. 해당 임상시험용의약품의 임상시험 단계 등을 고려하여 제공 기준을 마련하고 제공내역, 제출받은 안전성 정보 등을 보관·관리할 것
  2. 제7항에 따라 수집된 정보를 제출받은 날부터 20일 이내에 임상시험용의약품 사용 결과를 작성하여 식품의약품안전처장에게 보고하되, 예상하지 못한 중대한 약물이상반응이 발생한 경우에는 별표 4 제8호러목에 따라 식품의약품안전처장에게 보고할 것
- ⑨ 제8항제2호에도 불구하고 임상시험용의약품을 제공한 자가 해외에 소재하여 보고하기 어려운 경우 등 식품의약품안전처장이 정하는 경우에는 개인별 환자를 대상으로 제5항에 따라 치료목적 사용승인을 받은 자가 임상시험용의약품 사용 결과 및 중대한 약물이상반응을 식품의약품안전처장에게 보고할 수 있다.