

등록번호

안내서-1411-01

청결한 세상

**의약품 개발 시 첨단재생의료 임상연구
결과 활용을 위한 고려사항
[민원인 안내서]**

2024년 12월



식품의약품안전처

바이오생약국 첨단바이오의약품TF

지침서·안내서 제·개정 점검표

명칭

의약품 개발시 첨단재생의료 임상연구결과 활용을 위한 고려사항
[민원인 안내서]

아래에 해당하는 사항에 체크하여 주시기 바랍니다.

등록대상 여부	<input type="checkbox"/> 이미 등록된 지침서·안내서 중 동일·유사한 내용의 지침서·안내서가 있습니까?	<input type="checkbox"/> 예 <input checked="" type="checkbox"/> 아니오
	☞ 상기 질문에 '예'라고 답하신 경우 기존의 지침서·안내서의 개정을 우선적으로 고려하시기 바랍니다. 그럼에도 불구하고 동 지침서·안내서의 제정이 필요한 경우 그 사유를 아래에 기재해 주시기 바랍니다. (사유 : _____)	
	<input type="checkbox"/> 법령(법·시행령·시행규칙) 또는 행정규칙(고시·훈령·예규)의 내용을 단순 편집 또는 나열한 것입니까?	<input type="checkbox"/> 예 <input checked="" type="checkbox"/> 아니오
	<input type="checkbox"/> 단순한 사실을 대외적으로 알리는 공고의 내용입니까?	<input type="checkbox"/> 예 <input checked="" type="checkbox"/> 아니오
	<input type="checkbox"/> 일회성 지시·명령에 해당하는 내용입니까?	<input type="checkbox"/> 예 <input checked="" type="checkbox"/> 아니오
	<input type="checkbox"/> 외국 규정을 단순 번역하거나 설명하는 내용입니까?	<input type="checkbox"/> 예 <input checked="" type="checkbox"/> 아니오
	<input type="checkbox"/> 신규 직원 교육을 위해 법령 또는 행정규칙을 알기 쉽게 정리한 자료입니까?	<input type="checkbox"/> 예 <input checked="" type="checkbox"/> 아니오
☞ 상기 사항 중 어느 하나라도 '예'에 해당되는 경우에 지침서·안내서 등록 대상이 아닙니다. 지침서·안내서 제·개정 절차를 적용하실 필요는 없습니다.		
지침서·안내서 구분	<input type="checkbox"/> 행정사무의 통일을 기하기 위하여 내부적으로 행정사무의 세부 기준이나 절차를 제시하는 것입니까? (공무원용)	<input type="checkbox"/> 예(☞지침서) <input checked="" type="checkbox"/> 아니오
	<input type="checkbox"/> 민원인들의 이해를 돕기 위하여 법령 또는 행정규칙을 알기 쉽게 설명하거나 특정 민원업무에 대한 행정기관의 대외적인 입장을 기술하는 것입니까? (민원인용)	<input checked="" type="checkbox"/> 예(☞안내서) <input type="checkbox"/> 아니오
기타 확인 사항	<input type="checkbox"/> 상위 법령을 일탈하여 새로운 규제를 신설·강화하거나 민원인을 구속하는 내용이 있습니까?	<input type="checkbox"/> 예 <input checked="" type="checkbox"/> 아니오
	☞ 상기 질문에 '예'라고 답하신 경우 상위법령 일탈 내용을 삭제하시고 지침서·안내서 제·개정 절차를 진행하시기 바랍니다.	
상기 사항에 대하여 확인하였음. 2024년 12월 30일 <div style="display: flex; justify-content: space-between;"> 담당자 확 인(부서장) 손한솔 남주선 </div>		

이 안내서는 첨단바이오의약품 개발 시 첨단재생의료 임상연구 결과를 활용하기 위해 고려할 사항에 대하여 알기 쉽게 설명하거나 식품의약품안전처의 입장을 기술한 것입니다.

본 안내서는 대외적으로 법적 효력을 가지는 것이 아니므로 본문의 기술방식 ('~하여야 한다' 등)에도 불구하고 민원인 여러분께서 반드시 준수하셔야 하는 사항이 아님을 알려드립니다. 또한, 본 안내서는 2024년 12월 현재의 과학적·기술적 사실 및 유효한 법규를 토대로 작성되었으므로 이후 최신 개정 법규 내용 및 구체적인 사실관계 등에 따라 달리 적용될 수 있음을 알려드립니다.

※ "민원인 안내서"란 대내외적으로 법령 또는 고시·훈령·예규 등을 알기 쉽게 풀어서 설명하거나 특정한 사안에 대하여 식품의약품안전처의 입장을 기술하는 것 (식품의약품안전처 지침서등의 관리에 관한 규정 제2조)

※ 본 안내서에 대한 의견이나 문의사항이 있을 경우 식품의약품안전처 바이오생약국 첨단바이오의약품TF에 문의하시기 바랍니다.

전화번호: 043-719-3655

팩스번호: 043-719-3333

제 · 개정 이력

개정번호	등록번호	승인일자	주요내용
1	안내서-1411-01	2024.12.30	제정

목 차

1. 배경	1
2. 적용범위 및 원칙	2
3. 첨단재생의료 임상연구결과 활용을 위한 필요 요건	3
4. 기타 고려사항	7
5. 참고 문헌	9
[붙임] 첨단재생의료임상연구의 첨단바이오의약품 허가연계 개발 계획	10

첨단재생의료¹⁾는 손상된 조직과 장기를 치료, 대체 또는 재생시켜 인체 기능을 복원함으로써 희귀·난치질환자, 선천성 장기 결함환자 등 기존에 개발된 치료법으로 치료가 어려운 환자를 근본적으로 치료할 수 있는 미래기술로 주목받고 있으나, 인체세포등²⁾을 사용하는 기술의 특성상 동물실험을 하더라도 효과성이나 안전성을 입증에 한계가 있을 수 있어 기존의 평가 방법과는 달리 보아야 할 필요성이 있고, 첨단바이오의약품³⁾의 경우에도 종전의 의약품과는 다른 허가 및 안전관리 체계 또는 제도가 필요하다.

이에 첨단재생의료 임상연구(이하 ‘임상연구’)⁴⁾ 활성화로 환자의 치료 기회를 확대하고 첨단바이오의약품 제품화 지원으로 세계시장에서의 경쟁력을 확보하기 위해 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률」(약칭 ‘첨단재생바이오법’)이 제정(제정 '19. 8. 27., 시행 '20. 8. 28.)되었고, 이후 「첨단재생바이오법」을 개정(개정 '24. 2. 20., 시행 '25. 2. 21.)되어 임상연구 대상자 제한 폐지와 임상연구 결과에 따른 첨단재생의료 치료⁵⁾의 단계적 허용을 앞두고 있다.

그러나 임상연구와 첨단바이오의약품 임상시험의 개념, 목적, 주체, 요건 등의 차이로 인해 임상연구에서 신뢰할 수 있는 유의미한 결과가 도출되어도 이를 첨단바이오의약품 개발에 활용할 수 있는 관련 지침 등은 미흡한 상황이다.

이 민원인 안내서는 임상연구 결과를 첨단바이오의약품의 개발에 활용하기 위해 첨단재생의료 임상연구자가 고려해야 할 사항을 정함으로써 임상연구 결과를 토대로 효율적인 임상시험 설계가 가능토록 하여 국내 첨단바이오의약품의 신속한 제품화에 도움을 주고자 한다.

- 1) 첨단재생의료: 사람의 신체 구조 또는 기능을 재생, 회복 또는 형성하거나 질병을 치료 또는 예방하기 위하여 인체 세포등을 이용하여 실시하는 세포치료, 유전자치료, 조직공학치료 등 대통령령으로 정하는 것(다만, 세포·조직을 생물학적 특성이 유지되는 범위에서 단순분리, 세척, 냉동, 해동 등의 최소한의 조작을 통하여 시술하는 것으로서 대통령령으로 정하는 것은 제외)
- 2) 인체세포등: 인체에서 유래한 줄기세포·조혈모세포·체세포·면역세포, 이종세포 등 대통령령으로 정하는 세포, 조직 및 장기(다만, 「인체조직안전 및 관리 등에 관한 법률」제3조제1호에 따른 인체조직과 「장기등 이식에 관한 법률」제4조제1호에 따른 장기등은 제외)
- 3) 첨단바이오의약품: 「약사법」제2조제4호에 따른 의약품으로서 ①세포치료제, ②유전자치료제, ③조직공학제제, ④첨단 바이오융복합제제, ⑤그 밖에 세포나 조직 또는 유전물질 등을 함유하는 의약품으로서 총리령으로 정하는 의약품(이종이식제제, 이종이식융복합제제)
- 4) 첨단재생의료 임상연구: 환자의 삶의 질 향상 및 질병 치료 기회 확대를 목적으로 사람을 대상으로 첨단재생의료에 관하여 실시하는 연구로서 구분에 따라 대통령령으로 정하는 연구
- 5) 첨단재생의료 치료: 「의료법」제12조에 따른 의료행위가 이루어지는 과정에서 첨단재생医료를 이용하는 의학적 치료로서 대통령령으로 정하는 치료를 말한다.

가. 이 지침서는 임상연구를 통해 얻어진 의미있는 초기 안전성 결과를 첨단 바이오의약품 품목허가에 활용하고자 하는 경우에 적용된다.

[대상연구]

- ▶ 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률」 제2조 제3호 가목에 해당되는 첨단재생의료에 관한 연구
 - 사람의 생명 및 건강에 미치는 영향이 불확실하거나 그 위험도가 큰 임상 연구

나. 첨단바이오의약품 개발 시 품목허가를 위해 제출하는 모든 자료는 「첨단 바이오의약품의 품목허가·심사 규정」에 적합해야 한다.

- 첨단바이오의약품의 안전성 및 유효성 심사를 위해 제출되는 임상시험 자료는 「약사법」 제34조에 의거, 식약처장의 승인을 받은 임상시험계획에 따라 임상시험실시기관에서 수행해야 하고, 임상시험관리기준을 준수해야 한다.
- 따라서, 임상연구 결과를 임상시험으로 연계하여 첨단바이오의약품으로 개발하고자 하는 경우에는 본 가이드라인에서 제시한 기준이 적용되어야 한다.

1. 원칙

임상연구 결과를 첨단바이오의약품 허가심사 자료로 제출하고자 하는 경우 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률」 및 관련 하위법령에서 정하는 사항을 준수하여야 한다. 또한, 「첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정」에 적합한 또는 인정 가능한 자료이어야 한다.

2. 임상연구결과를 허가신청시 활용하기 위한 필요 요건

구분	기준
임상연구 수행	<ul style="list-style-type: none"> ◦ 의약품 임상시험 관리기준(GCP) 준수 * 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 [별표 4] ◦ 「첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정」 제18조(임상시험자료요건) 및 제19조(임상시험자료 심사기준) 적합
임상연구에 사용된 의약품 제조 및 품질관리	<ul style="list-style-type: none"> ◦ 임상시험용의약품 제조 및 품질관리기준 준수 * 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 [별표 4의2]
비임상시험	<ul style="list-style-type: none"> ◦ 「첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정」 제16조(비임상시험 자료 요건)에 적합한 자료
품질에관한자료	<ul style="list-style-type: none"> ◦ 「첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정」 제2절 기준 및 시험방법 심사 자료에 적합한 자료

2.1. 임상연구 수행

임상연구 결과를 임상시험과 연계하여 첨단바이오의약품의 허가심사자료로 활용하기 위해서는 임상시험실시기관에서 수행해야 하고, 임상시험관리기준을 준수해야 한다.

임상연구 결과를 첨단바이오의약품 개발에 활용하고자 하는 경우, 임상연구의 계획부터 완료단계까지 임상시험관리기준에 따라 임상연구가 수행될 수 있도록 철저히 관리해야 한다.

2.2. 임상시험용 의약품 제조 및 품질 관리

임상연구를 위한 인체세포등의 경우 첨단재생의료세포처리시설(이하 ‘세포처리 시설’)에서 공급받도록 하고 있으며, 세포처리시설의 장의 준수사항은 임상시험용 의약품 제조 및 품질관리기준(GMP) 준수사항과 다소 차이가 존재한다.

임상연구를 통해 얻은 유의미한 결과를 의약품 개발과 연계하고자 하는 경우, 임상연구에 사용한 인체세포등이 임상시험용의약품 제조 및 품질관리기준에 적합함을 입증하여야 한다.

일반적으로 임상시험계획 승인을 받으려는 자는 신청서와 함께 임상시험용 의약품이 제조 및 품질관리(GMP)에 맞게 제조되었음을 증명하는 자료를 제출하여, 식품의약품안전처(이하 ‘식약처’)의 평가를 받아야 한다.

다만, 임상연구 결과를 허가신청 또는 임상시험계획승인의 근거자료로 활용하고자 하는 경우, 해당 임상연구에 사용된 인체세포등에 대해 임상연구의약품의 제조 및 품질관리 기준의 준수 여부에 대하여 평가를 통해 연계가능 여부를 검토할 수 있다.

이외의 임상시험용의약품 제조 및 품질관리(GMP)에 대한 세부 사항은 「의약품 제조 및 품질관리에 관한 규정」 [별표11]을 참고할 수 있다.

2.3 비임상시험 및 품질자료 심사에 관한 사항

임상연구를 통해 얻은 결과를 임상시험과 연계하기 위해서는 「고위험 첨단재생 의료 연구계획 승인 절차 및 방법 등에 관한 규정」 제3조에 따른 비임상시험에 관한 결과 및 관련 자료와 인체세포등의 채취·검사·처리·보관 기준에 관한 근거 자료가 「의약품 임상시험 계획 승인에 관한 규정」 제5조에 따른 제출자료 요건을 충족하는지 여부도 함께 고려해야 한다.

2.3.1 비임상시험에 관한 자료

임상연구 결과를 토대로 임상시험을 수행하고자 하는 경우 비임상시험 결과 및 해당 임상연구 결과를 종합하여 임상시험 실시에 대한 위해성-유익성 분석이 이루어져야 한다. 그 결과 유익성이 위해성을 상회하지 못하는 경우에는 추가 시험이 요구될 수 있다. 다만, 고위험 임상연구 신청시 검토된 독성시험자료는 초기 임상 시험 수행을 위한 독성시험 자료로 활용할 수 있다.

이외의 비임상자료 관련 세부 사항은 「첨단바이오횰약품의 품목허가·심사 규정」 제11조(심사자료의 범위), 제16조(비임상자료요건) 및 첨단바이오횰약품 관련 비임상 시험 가이드라인을 참고할 수 있다.

2.3.2 품질에 관한 자료

임상연구 신청시 인체세포등의 채취·검사·처리·보관기준에 관한 자료는 「고위험 첨단재생의료연구계획 승인절차 및 방법 등에 관한 규정」 [별표2]에 따라 작성하여 제출하여야 한다.

임상연구 결과를 토대로 임상시험을 수행하고자 하는 경우, 인체세포등 관리업 및 임상시험용의약품 제조 및 품질관리 기준에 적합하도록 기증자로부터의 인체 세포등의 채취부터 최종 제품 제조까지 관리해야 한다. 또한, 인체세포등의 채취·처리에 사용되는 물질들에 대해서도 충분한 안전성을 확보해야 하며, 동종유래

인체세포등의 임상연구인 경우 세포은행을 구축하고 관리하는 것이 권고된다.

이와 더불어 임상연구시 투여한 인체세포등과 임상시험에 사용할 임상시험용 의약품과의 동등성 증명이 요구된다. 이를 감안하여 임상연구시 투여한 인체세포등에 대하여 생물학적 활성을 포함한 특성분석을 광범위하게 실시할 필요가 있다.

이외의 품질관리에 대한 세부 사항은 「첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정」 제11조(심사자료의 범위) 및 제2절(기준 및 시험방법 심사 자료)을 참고할 수 있다.

1. 임상연구 신청 시 고려사항

임상연구를 허가심사와 연계하고자 하는 경우, 임상연구 승인신청을 할 때 허가연계 여부를 명확히 하여 신청하는 것을 권고하며, 허가연계 의사를 미리 밝히지 않을 경우 또한 자료가 해당 요건에 모두 부합할 경우에는 허가연계가 가능할 수도 있다.

첨단바이오횰약품 개발을 준비하고 있는 임상연구자의 경우는 초기단계부터 식약처와의 상담을 통하여 개발전략을 수립하기를 조언하며, 첨단바이오횰약품 “규제과학의 날” 등 사전상담제도를 이용하여 개발단계부터 긴밀한 상담을 진행하기를 추천한다.

2. 임상연구결과의 활용 방안

임상시험의 기본원칙에 적합한 임상연구는 첨단바이오횰약품 개발을 위한 임상시험의 설계에 활용이 가능할 것이다. 동 가이드라인을 참고하며 임상연구를 토대로 첨단바이오횰약품 개발을 목적으로 하는 연구자라면, 「약사법」 및 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」을 충분히 숙지하고 임상연구를 수행하기를 권고한다.

「약사법」 및 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」에 따르면 임상시험이란 임상시험용의약품의 안전성과 유효성을 증명할 목적으로, 해당 약물의 약동·약력·약리·임상 효과를 확인하고 이상반응을 조사하기 위하여 사람을 대상으로 실시하는 시험 또는 연구를 말한다. 이 경우 임상시험의 단계는 임상시험용의약품을 최초로 사람에게 투여하는 제1상(임상약리시험 등), 환자군에서 치료적 유효성을 탐색하여 가능한 용량과 투여기간 설정을 위한 다양한 정보수집을 목적으로 하는 제2상(치료적 탐색 임상시험 등), 의약품의 안전성과 유효성을 확증하기 위한 제3상(치료적 확증 임상시험 등), 품목허가 후 허가사항의 범위에서 수행하는 제4상(치료적 사용 임상시험 등)으로 구분한다.

앞서 설명한 바와 같이, 고전적인 임상시험의 경우 목적에 따라 구분되며, 임상 연구결과가 해당 임상시험 설계의 참고자료 또는 임상시험용의약품을 최초로 사람에게 투여하는 제1상(임상약리시험 등)의 정보를 담고 있다면 이를 참고하여 효율적인 임상시험 설계가 가능할 것으로 기대한다.

- [1] 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 [총리령 제1915호]
- [2] 「첨단바이오횰약품 안전 및 지원에 관한 규칙」 [총리령 제1909호]
- [3] 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 [별표4][총리령 제1915호]
- [4] 「의약품 제조 및 품질관리에 관한 규정」 [식품의약품안전처고시 제2023-94호]
- [5] 「첨단바이오횰약품의 품목허가·심사 규정」 [식품의약품안전처고시 제2024-59호]
- [6] 「고위험 첨단재생의료 연구계획 승인 절차 및 방법 등에 관한 규정」 [식품의약품안전처고시 제2023-38호]

[붙임] 첨단재생의료임상연구의 첨단바이오의약품 허가연계 개발 계획(예시)

첨단재생의료임상연구 연계 첨단바이오의약품 개발 계획

신청인 (대표자)	의료기관의 명칭	의료기관장의 성명
	주소 및 연락처	
의약품 개발계획	제품명(또는 성분명)	
	구 분	
	<input type="checkbox"/> 세포치료제 <input type="checkbox"/> 유전자치료제 <input type="checkbox"/> 조직공학제제 <input type="checkbox"/> 첨단바이오융복합제제 <input type="checkbox"/> 이종이식제제 <input type="checkbox"/> 이종이식융복합제제	
	효능·효과	
	용법·용량	
제조원		

「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률」 제12조제1항, 같은 법 시행령 제11조제1항 및 「첨단재생의료의 안전 및 지원에 관한 규칙」 제9조에 따라 신청된 임상연구는 유의미한 결과가 도출 될 경우, 첨단바이오의약품 허가심사자료로 활용하여 첨단바이오의약품을 개발할 계획입니다.

년 월 일

신청인(대표자) 성명

(서명 또는 인)

담당자 성명 및 전화번호

210mm × 297mm[백상지 80g/m² 또는 중질지 80g/m²]

“의약품 개발 시 첨단재생의료 임상연구 결과 활용을 위한 고려사항 (민원인 안내서)”

발행일	2024년 12월
발행인	식품의약품안전처장
편집위원장	바이오생약국장
편집위원	바이오의약품정책과(첨단바이오의약품TF) 남주선, 최경숙, 정세리, 김정아, 손한솔, 이하림, 차우경
도움을주신 분들	식품의약품안전평가원 바이오생약심사부 세포유전자치료제과
문의처	식품의약품안전처 바이오의약품정책과(첨단바이오의약품TF) Tel : 043-719-3655 Fax : 043-719-3333
주소	충청북도 청주시 흥덕구 오송읍 오송생명 2로 187, 오송보건의료행정타운 식품의약품안전처 바이오생약국
