

등록번호

안내서-0056-03

임상시험용의약품의 치료 목적  
사용을 위한 가이드라인  
[민원인 안내서]

2019. 5.



식품의약품안전처

의약품안전국 임상제도과

## 지침서·안내서 제·개정 점검표

**명칭**      임상시험용의약품의 치료 목적 사용을 위한 가이드라인 [민원인 안내서]

**아래에 해당하는 사항에 체크하여 주시기 바랍니다.**

<b>등록대상 여부</b>	<input type="checkbox"/> 이미 등록된 지침서·안내서 중 동일·유사한 내용의 지침서·안내서가 있습니까? <span style="float: right;"> <input type="checkbox"/> 예  <input checked="" type="checkbox"/> 아니오             </span>
	☞ 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? <span style="float: right;"> <input type="checkbox"/> 예  <input checked="" type="checkbox"/> 아니오             </span>
	<input type="checkbox"/> 단순한 사실을 대외적으로 알리는 공고의 내용입니까? <span style="float: right;"> <input type="checkbox"/> 예  <input checked="" type="checkbox"/> 아니오             </span>
	<input type="checkbox"/> 1년 이내 한시적 적용 또는 일회성 지시·명령에 해당하는 내용입니까? <span style="float: right;"> <input type="checkbox"/> 예  <input checked="" type="checkbox"/> 아니오             </span>
	<input type="checkbox"/> 외국 규정을 번역하거나 설명하는 내용입니까? <span style="float: right;"> <input type="checkbox"/> 예  <input checked="" type="checkbox"/> 아니오             </span>
	<input type="checkbox"/> 신규 직원 교육을 위해 법령 또는 행정규칙을 알기 쉽게 정리한 자료입니까? <span style="float: right;"> <input type="checkbox"/> 예  <input checked="" type="checkbox"/> 아니오             </span>
☞ 상기 사항 중 어느 하나라도 '예'에 해당되는 경우에 지침서·안내서 등록 대상이 아닙니다. 지침서·안내서 제·개정 절차를 적용하실 필요는 없습니다.	
<b>지침서·안내서 구분</b>	<input type="checkbox"/> 내부적으로 행정사무의 통일을 기하기 위하여 반복적으로 행정사무의 세부기준이나 절차를 제시하는 것입니까? (공무원용) <span style="float: right;"> <input type="checkbox"/> 예(☞지침서)  <input checked="" type="checkbox"/> 아니오             </span>
	<input type="checkbox"/> 대내외적으로 법령 또는 고시·훈령·예규 등을 알기 쉽게 풀어서 설명하거나 특정한 사안에 대하여 식품의약품안전처의 입장을 기술하는 것입니까? (민원인용) <span style="float: right;"> <input checked="" type="checkbox"/> 예(☞안내서)  <input type="checkbox"/> 아니오             </span>
<b>기타 확인사항</b>	<input type="checkbox"/> 상위 법령을 일탈하여 새로운 규제를 신설·강화하거나 민원인을 구속하는 내용이 있습니까? <span style="float: right;"> <input type="checkbox"/> 예  <input checked="" type="checkbox"/> 아니오             </span>
	☞ 상기 질문에 '예'라고 답하신 경우 상위법령 일탈 내용을 삭제하시고 지침서·안내서 제·개정 절차를 진행하시기 바랍니다.

**상기 사항에 대하여 확인하였음.**

2019년    5월    29일

담당자  
확 인(부서장)

남 은 미  
김 정 미

이 안내서는 임상시험용의약품의 치료목적 사용승인 신청 및 사용 시 고려사항 등에 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 2019년 5월 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 의약품안전국 임상제도과로 문의하시기 바랍니다.

전화번호: 043-719-1885

팩스번호: 043-719-1850

## 제·개정 이력

연번	제·개정번호	승인일자	주요 내용
1	B1-2015-2-082	2015. 12. 30.	제정
2	안내서-0057-01	2017. 5. 30.	「식약처 지침서등의 관리에 관한 규정」 개정에 따른 등록 번호 일괄 정비 (규제개혁담당관실-3761호, 2017.5.16.)
3	안내서-0056-02	2018. 4. 12.	가이드라인 명칭 변경 및 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 개정 (2017.12.13.)에 따른 관련 내용 정비
4	안내서-0056-03	2019. 5. 29.	심각하거나 긴박하게 생명이 위태로운 환자를 대상으로 치료 목적 사용을 신속하게 승인할 수 있도록 관련 내용 정비

# 목 차

## I. 서론

- 1. 목적 ..... 1
- 2. 기본원칙 ..... 2
- 3. 임상시험용의약품의 치료목적 사용승인 종류 ..... 3

## II. 개인별 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용승인

- 1. 절차 ..... 7
- 2. 민원 신청 시 고려사항 ..... 7
  - 가. 대상질환 등 ..... 7
  - 나. 신청인의 자격 ..... 8
  - 다. 대상 임상시험용의약품 ..... 9
  - 라. 신청 시 제출자료 ..... 9
  - 마. 변경신청 등의 내용 및 제출자료 ..... 14
  - 바. 사용승인을 받은 자의 준수사항 ..... 14
  - 사. 임상시험용의약품 제공자 준수사항 ..... 15

## III. 다수 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용승인

- 1. 절차 ..... 17
- 2. 민원 신청 시 고려사항 ..... 17
  - 가. 대상질환 등 ..... 17
  - 나. 신청인의 자격 ..... 18
  - 다. 대상 임상시험용의약품 ..... 18
  - 라. 신청 시 제출자료 ..... 19
  - 마. 변경신청 등의 내용 및 제출자료 ..... 23
  - 바. 사용자의 준수사항 ..... 24
  - 사. 사용승인을 받은 자의 준수사항 ..... 24

## IV. 치료목적 사용승인 민원신청 방법

- 1. 개인별 치료목적 사용승인 민원신청 방법 ..... 30
- 2. 다수 환자를 위한 치료목적 사용승인 민원신청 방법 ..... 34

## V. 참고자료

- 1. 신청 서식 등 ..... 39
- 2. 환자 동의서 서식(예시) ..... 45
- 3. 제공의향서 서식(예시) ..... 46

## I. 서론

### 1. 목적

- 1) 의약품은 개발과정에서 제품의 안전성과 유효성을 입증하여야 하며, 이를 위해 사람을 대상으로 하는 임상시험을 거쳐야 한다. 따라서 임상시험은 환자를 대상으로 하지만 임상시험계획서에서 정한 목적을 증명하기 위해 미리 정해진 절차에 따라 진행되는 시험에 해당하며, 임상시험에 사용되는 의약품을 임상시험용의약품이라 한다.
- 2) 시판허가는 불특정 다수의 환자를 대상으로 안전성, 유효성에 대한 확증이 필수적이며, 규제당국의 철저한 검토과정을 거쳐야 하기 때문에 상당기간이 소요된다. 생명을 위협하는 질환을 가진 환자에게 현재 다른 치료수단이 없을 경우, 긴 기간이 필요한 시판허가 과정을 기다리는 건 어려운 일이다. 따라서 환자, 가족과 의료진에게 시판허가 전이라도 새로운 치료기회를 제공하는 것은 인도주의적 차원에서 필요하다.
- 3) 임상시험용의약품은 안전성, 유효성이 완전히 입증되지 않은 의약품이므로 반드시 임상시험 목적으로만 사용이 제한되어야 하지만, 위와 같이 다른 치료수단이 없고 생명을 위협하는 질환 등을 가진 환자에게 치료기회 부여 등의 차원에서 환자에게 제공하는 것이 바람직할 수 있다.
- 4) 이런 임상시험용의약품의 동정적 사용 제도는 미국(Expanded Access Program), 유럽(Compassionate use) 등에도 있으며, 우리나라도 「약사법」 제34조제4항에서 이를 허용하고 있다.

#### 「약사법」 제34조(임상시험등의 계획 승인 등)

- ④ 임상시험(생물학적 동등성시험은 제외한다. 이하 이 항에서 같다)을 위하여 제조되거나 제조되어 수입된 의약품등은 임상시험이 아닌 다른 용도에 사용하여서는 아니 된다. 다만, 다음 각 호의 어느 하나에 해당하여 총리령으로 정하는 바에 따라 식품의약품안전처장의 승인을 받은 경우에는 해당 의약품

등을 임상시험이 아닌 다른 용도에 사용할 수 있으며, 이 경우 제34조의2 제3항제2호를 준용하여야 한다.<개정 2013.3.23., 2017.10.24.>

1. 말기암 또는 후천성면역결핍증 등 생명을 위협하는 중대한 질환을 가진 환자를 치료하려는 경우
2. 생명이 위급하거나 대체치료수단이 없는 등 총리령으로 정하는 응급환자를 치료하려는 경우
3. (생략)

## 2. 기본원칙

- 1) 동 제도는 임상시험용의약품을 임상시험 목적이 아닌 환자 치료를 위해 사용하는 것으로서 특수한 경우에만 사용 가능하도록 제한을 두어야 하므로 약사법령에 따라 사용 전에 반드시 식품의약품안전처장에게 사용승인을 받도록 정하고 있다.
- 2) 임상시험용의약품은 식품의약품안전처장이 임상시험에 사용 가능한 지 여부를 확인하기 위해 해당 물질의 특성, 품질, 동물시험 결과 등을 검토하여 승인을 한 상태이며, 시판허가에 필요한 안전성, 유효성, 품질을 확보하고 있지는 않으므로 신중하게 환자에게 사용되어야 한다.
- 3) 사용 전에 현재 진행 중인 임상시험용의약품의 사용목적, 임상시험용의약품의 정보, 임상시험용의약품 사용 시 대상자의 건강에 발생할 수 있는 내용과 사용절차 등을 임상시험용의약품 제공자와 상의하여 임상시험용의약품의 치료목적 사용 대상자에게 설명하고 반드시 동의를 받아야만 한다.
- 4) 임상시험용의약품은 용량, 투여 빈도 등에 대한 자료가 충분히 확립되지 않아 약물의 안전성 데이터가 제한적이므로, 임상시험용의약품의 치료목적 사용 승인의 신청자 및 사용자는 반드시 관련 법령을 준수하여 임상시험용의약품을 사용하여야 한다.
- 5) 임상시험용의약품을 치료목적으로 사용하는 의사는 해당 환자에게 발생한 이상반응, 효과 및 안전성에 대한 추적결과 등 수집된 정보를 임상시험용의약품 제공자에게 제출하여야 하고, 임상시험용의약품 제공자는 수집된

정보를 받은 날로부터 20일 이내에 임상시험용의약품 사용 결과(신청자 정보, 승인일, 대상환자 식별을 위한 기본정보, 투여 시작일 및 종료일, 종료사유, 비용청구 현황 등 의약품 사용현황에 대한 내용)를 작성하여 식품의약품안전처장에게 제출하여야 한다. 다만, 임상시험용의약품 제공자는 중대하고 예상하지 못한 모든 약물이상반응이 발생한 경우에는 의약품 임상시험관리기준에 따라 식품의약품안전처장에게 보고하여야 한다.

- 6) 다수(2명 이상)의 환자를 위한 치료목적 사용승인은 제약사 등(임상시험 계획승인을 받은 자 또는 국내 시판 허가를 신청 중인 제약회사 등)이 대상 환자 범위 등을 정한 사용계획서를 작성하고 임상시험실시기관에 제공하는 절차에 따라 진행되므로 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조제9항에 따라 해당 임상시험실시기관의 임상시험심사위원회(IRB)의 승인을 받은 후 임상시험용의약품을 사용하도록 정하고 있다. 참고로, 개인별 환자 대상의 치료목적 사용승인의 경우 주치의(전문의)가 환자별로 생명을 위협하는 상황 등의 경우 식품의약품안전처장의 사용승인을 받아 사용하므로 실시기관 IRB 승인을 받도록 의무화하고 있지 않다.

### 3. 임상시험용의약품의 치료목적 사용승인 종류

- 1) 국내에서 환자 치료를 위해 식품의약품안전처장의 임상시험계획승인을 받은 임상시험용의약품을 사용하는 절차는 식품의약품안전처장의 사용승인을 위해 신청하는 주체 및 대상 환자 규모에 따라 2가지로 구분되며, 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조에서 규정하고 있다.
- 2) 먼저, 환자의 주치의(전문의)가 개인별 환자의 치료를 위해 임상시험용의약품의 치료목적 사용 승인을 신청하는 경우이다. 일반적으로 임상시험은 비교적 단기간 동안 시험대상자 등록이 완료되며, 선정·제외기준이 의약품 개발을 위한 임상시험 목적에 맞게 정해져 있으므로 이를 벗어나는 경우 임상시험 대상에서 제외될 수밖에 없는 특성이 있어 치료기회 부여 측면에서 한계가 있다. 따라서 생명을 위협하는 상황 등에 놓인 환자에게 주치의(전문의)의 판단 하에 임상시험용의약품을 사용하는 것은 다양한 치료기회 부여라는 측면에서 필요한 제도이다.
- 3) 또 다른 경우는 주로 제약업체가 임상시험 결과 안전성, 유효성이 관찰된 의약품을 시판 허가받기 전에 환자치료를 위한 사용계획서를 마련하여 다수의

환자에게 사용하기 위해 사용승인을 신청하는 경우이다. 임상시험용의약품을 사용한다는 점에서 외형적으로 임상시험과 유사한 측면이 있으나, 의약품 개발을 위한 안전성·유효성 등 평가가 아닌 환자치료를 위해 해당 의약품을 공급·사용한다는 점에서 큰 차이가 있다.

**「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조 (임상시험용의약품의 치료목적 사용 승인 신청 등)**

- ① 법 제34조제4항제2호에서 "총리령으로 정하는 응급환자"란 다음 각 호의 환자를 말한다.
1. 심각하거나 긴박하게 생명이 위태로운 환자
  2. 치료시기를 놓치면 치료효과를 기대하기 어려운 상황으로서 대체치료수단이 없는 환자
- ② 임상시험을 위하여 제조되거나 제조되어 수입된 의약품(이하 "임상시험용 의약품"이라 한다)을 법 제34조제4항 제1호 또는 제2호에 해당하는 환자의 치료를 위하여 임상시험이 아닌 용도로 사용하기 위한 승인(이하 "치료목적 사용승인"이라 한다)을 신청하려는 자는 법 제34조제4항 각 호 외의 부분 단서에 따라 별지 제28호서식의 임상시험용의약품의 치료목적·연구 등 목적 사용승인 신청서(전자문서로 된 신청서를 포함한다)에 대상 환자의 인원 규모별로 제3항 또는 제4항에 따른 서류 또는 자료를 첨부하여 식품의약품안전처장에게 제출하여야 한다.
- 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 및 대상 환자가 법 제34조제4항 각 호의 어느 하나에 해당한다는 의학적 소견에 대한 요약 자료
  3. 대상 환자에 대한 진단서
  4. 다음 각 목의 사항이 포함된 해당 환자의 동의서
    - 가. 임상시험용의약품의 사용 목적

- 나. 환자에게 미칠 것으로 예상되는 위험이나 불편
- 다. 신청인인 전문의가 임상시험용의약품 사용에 영향을 줄 수 있는 새로운 정보를 취득하면 지체 없이 환자 또는 환자의 대리인에게 알릴 것이라는 사실
- 라. 환자의 임상시험용의약품 사용 여부 결정은 자발적이라는 사실
- 마. 환자가 원래 받을 수 있는 이익에 대한 손실 없이 임상시험용의약품 사용을 거부할 수 있으며 사용 중에도 언제든지 사용을 중단할 수 있다는 사실
- 바. 임상시험용의약품의 제공자가 환자에게 비용을 청구하는 경우에는 그 비용을 부담하여야 한다는 사실

5. 사용하려는 임상시험용의약품에 대한 제공자의 제공 의향서

④ 2명 이상의 환자를 위하여 치료목적 사용승인을 신청하려는 자는 제2항의 치료목적 사용승인 신청서에 다음 각 호에 따른 서류 또는 자료를 모두 첨부하여 제출하여야 한다.

1. 다음 각 목의 내용이 포함된 사용계획서

- 가. 임상시험용의약품의 사용목적과 사유
- 나. 안전성·유효성 관련 자료 수집방법
- 다. 사용 환자 선정기준
- 라. 최신의 임상시험자 자료집 또는 이에 상응하는 안전성·유효성 관련 자료
- 마. 환자 동의서 서식(제29조에 따라 환자에게 비용을 청구하는 경우에는 그 사실을 포함하여야 한다)
- 바. 제24조제2항 각 호의 사항 중 해당 임상시험용의약품 사용을 위하여 필요한 사항

2. 임상시험용의약품이 치료의 목적이 된 질환에 대하여 임상적 효과가 있음을 입증할 수 있는 다음 각 목의 구분에 따른 자료

- 가. 법 제34조제4항제1호 또는 이 규칙 제28조제1항제1호에 해당하는 대규모(25명 이상을 말한다. 이하 같다) 환자 치료의 경우: 초기 임상시험에서 임상시험용의약품이 해당 질환에 대하여 임상적 효과가 있음을 입증할 수 있는 임상시험 결과
- 나. 제1항제2호에 해당하는 대규모 환자 치료의 경우: 임상시험용의약품의 국내 시판을 위한 법 제31조제2항, 제3항 또는 제42조제1항 등의 허가

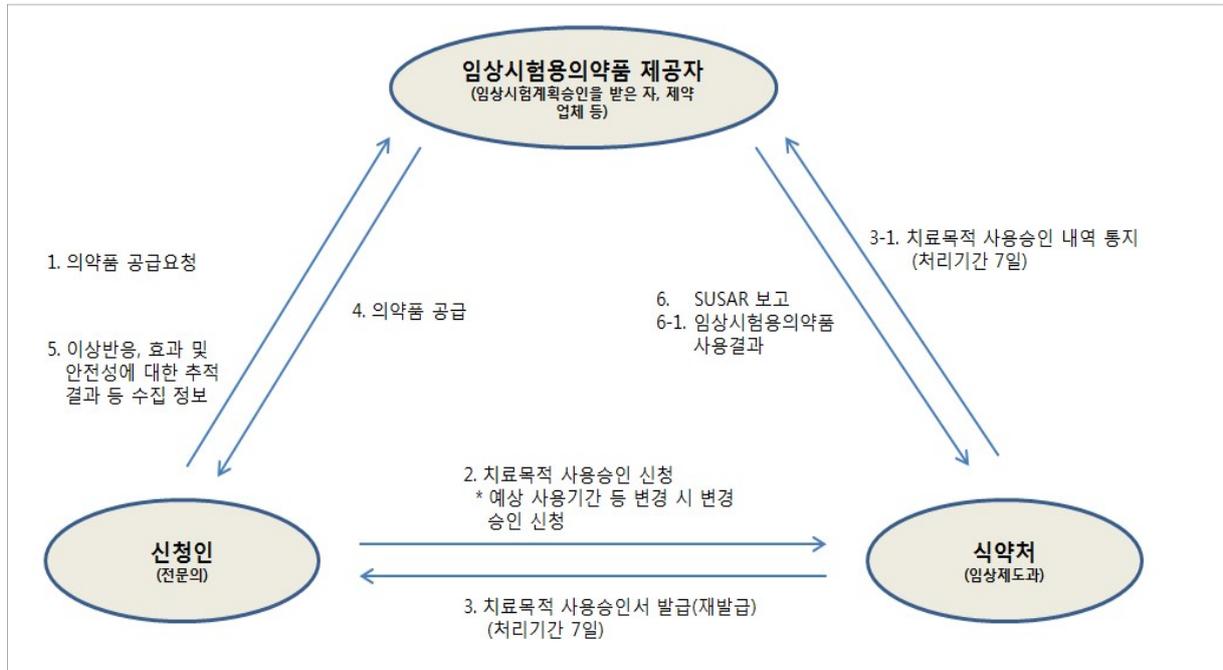
또는 신고 등을 위한 임상시험 결과 또는 이에 상응하는 자료

다. 소규모(2명 이상 25명 미만을 말한다) 환자 치료의 경우: 임상시험용 의약품이 해당 질환에 대하여 임상적 효과가 있음을 입증할 수 있는 근거 자료로서 해당 투여기간과 투약량이 안전하다는 근거 및 해당 질환에 대한 약리적 효과를 합리적으로 설명할 수 있는 자료

- ⑤ 식품의약품안전처장은 제2항부터 제4항까지에 따라 제출된 임상시험용의약품의 치료목적 사용승인 신청서 및 첨부 서류 또는 자료를 검토하여 타당성이 인정되는 경우에는 별지 제29호서식의 임상시험용의약품의 치료목적·연구 등 목적 사용승인서를 발급하여야 한다.
- ⑥ 제5항에 따라 치료목적 사용승인을 받은 자가 승인받은 내용을 변경하고자 하는 경우에는 별지 제30호서식의 임상시험용의약품의 치료목적·연구 등 목적 사용 변경승인 신청서(전자문서로 된 신청서를 포함한다)에 변경의 근거가 되는 서류 또는 자료를 첨부하여 식품의약품안전처장의 변경 승인을 받아야 한다. 이 경우 식품의약품안전처장은 변경승인 신청서 및 첨부 서류 또는 자료를 검토하여 타당성이 인정되는 경우에는 별지 제29호서식의 임상시험용의약품의 치료목적·연구 등 목적 사용승인서를 재발급하여야 한다.
- ⑦ 제5항에 따라 치료목적 사용승인을 받고 임상시험용의약품을 환자에게 사용한 자는 그 사용을 마친 후 지체 없이 해당 환자에게 발생한 이상반응, 효과 및 안전성에 대한 추적 결과 등 수집된 정보를 임상시험용의약품을 제공한 자에게 제출하여야 하고, 임상시험용의약품을 제공한 자는 수집된 정보를 받은 날부터 20일 이내에 임상시험용의약품 사용 결과를 작성하여 식품의약품안전처장에게 제출하여야 한다. 다만, 예상하지 못한 중대한 약물이상반응이 발생한 경우에는 별표 4 제7호카목 및 제8호러목에 따라 보고하여야 한다.
- ⑧ 2명 이상의 환자를 치료할 목적으로 제5항에 따라 치료목적 사용승인을 받은 자는 임상시험용의약품을 임상시험실시기관에 제공할 수 있다.
- ⑨ 제8항에 따라 임상시험실시기관에 제공된 임상시험용의약품을 사용하려는 자는 별표 4 제6호에 따른 임상시험실시기관의 임상시험심사위원회(이하 "임상시험심사위원회"라 한다)의 승인과 사용 환자의 동의를 받아야 한다.
- ⑩ 제1항부터 제9항까지에서 규정한 사항 외에 임상시험용의약품의 치료목적 사용승인에 필요한 구체적인 방법 및 절차에 관한 사항은 식품의약품안전처장이 정하여 고시한다. [전문개정 2017.12.13.]

## II. 개인별 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용승인

### 1. 절차



### 2. 민원 신청 시 고려사항

#### 가. 대상질환 등

##### <관련 법령>

- 「약사법」 제34조제4항 각호의 어느 하나에 해당하는 환자
  - ① 말기암 또는 후천성면역결핍증 등 생명을 위협하는 중대한 질환
  - ② 생명이 위급하거나 대체치료수단이 없는 등 총리령으로 정하는 응급환자
- 총리령으로 정하는 응급환자(「의약품등의 안전에 관한 규칙」 제28조제1항)
  - ① 심각하거나 긴박하게 생명이 위태로운 환자
  - ② 치료시기를 놓치면 치료효과를 기대하기 어려운 상황으로서 대체치료 수단이 없는 환자

- 1) 개인별 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용승인 제도는 말기암 환자 등에 대하여 치료기회 부여 차원에서 해당 질환에 대하여 전문적 지식과 경험을 갖춘 전문의의 판단 하에 시판허가 전이지만 현재 개발 중인 임상시험용의약품을 사용할 수 있도록 하는 제도이다. 따라서 적응증이 반드시 임상시험과 일치하여야 하는 것은 아니다.
  - 2) 주로 더 이상 표준 치료방법이 없는 말기암 또는 후천성면역결핍증 등 생명을 위협하는 중대한 질환을 가진 환자에 한하여 담당 주치의(전문의)가 해당 환자에게 임상시험용의약품 사용이 위험보다 이익이 더 크다고 판단하는 경우에 사용할 수 있다.
  - 3) 다른 경우는 해당 질환에 대한 전문의가 임상시험용의약품을 사용하지 않을 경우 환자의 생명이 위태로울 수 있는 긴박한 상황이라고 판단하는 경우에 사용된다.
  - 4) 또한, 해당 질환에 대하여 전문적 지식과 경험을 갖춘 전문의가 환자가 치료시기를 놓치면 치료효과를 기대하기 어려운 상황으로서 대체치료수단이 없다고 판단하는 경우에도 사용된다.
- ☞ (처리기간 등) 개인별 치료목적 사용승인의 경우 신청인이 접수한 날로부터 근무일 기준 7일 이내(보완기간 미포함)에 승인하되, 해당 임상시험용의약품을 당일 사용하지 않으면 사망 등 생명이 위태롭다고 전문의가 판단한 환자(이하, “신속승인 대상 환자”라 한다.)의 경우에는 접수일 당일 승인할 수 있으며, 이 경우에는 해당 임상시험의 적응증과 일치하여야 한다.

#### 나. 신청인의 자격

- 1) 사용승인의 신청 주체는 대상 환자의 주치의이며, 해당 질환과 임상시험용의약품에 대하여 전문적 지식과 경험을 갖춘 전문의여야 한다.
- 2) 신청은 해당 임상시험용의약품으로 진행된 임상시험에 참여한 의사가 아니어도 가능하며, 반드시 임상시험 실시기관 소속 의사가 아니어도 가능하다. 환자별로 주치의(전문의)의 판단 하에 치료를 목적으로 사용되므로 모든 의료기관 소속 전문의들이 신청 가능하다.

- 3) 신속승인 대상 환자에 대한 치료목적 사용승인 신청은 해당 임상시험에 참여하여 임상시험용의약품을 사용한경험이 있는 전문의(「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 별표4에 따른 시험책임자 또는 시험담당자)가 가능하다.

#### 다. 대상 임상시험용의약품

- 1) 해당 임상시험용의약품은 임상시험에 사용가능한 범위 내에서 품질, 독성 자료 등에 대하여 식품의약품안전처의 검토를 받은 의약품이어야 한다. 해당 의약품은 국내에서 임상시험계획 승인을 받은 바 있어야 하며, 해당 임상시험의 진행 중 또는 종료 여부와 관계없이 임상시험을 위해 제조되거나 제조되어 수입된 의약품이 있는 경우 신청이 가능하다. 다만, 환자 치료 기회 부여라는 제도운영의 취지를 고려하여 임상시험이 종료되었고 시판 허가가 되지 않은 상태이나 임상시험용의약품을 추가로 제조하거나 제조하여 수입이 가능한 경우, 또는 국내 시판 허가되었으나 효능·효과 추가 등의 사유로 임상시험 중인 임상시험용의약품에 대하여 치료목적 사용승인으로 환자에 사용하는 경우에는 예외적으로 신청이 가능하다.
- 다만, 신속승인 대상 환자를 치료하기 위한 임상시험용의약품은 해당 임상시험이 진행 중인 경우에 신청이 가능하다.
- 2) 임상시험계획 승인을 받은 자 등(제조사)이 신청인(전문의)의 공급요청에 따라 임상시험용의약품의 공급에 동의하여 제공의향서를 식품의약품안전처장에게 제출한다. 아울러, 환자 치료 기회 부여 및 시판 허가되지 않은 의약품의 사용이라는 점 등을 고려할 때 임상시험용의약품은 무상으로 공급하는 것이 바람직하다.

#### 라. 신청 시 제출자료

##### <관련 법령>

○ 「의약품등의 안전에 관한 규칙」 제28조제3항

1. 신청인이 전문의로서 해당 질환에 대하여 전문적 지식과 경험을 갖추고 있음을 증명할 수 있는 서류
2. 대상 환자의 진료기록 및 대상 환자가 법 제34조제4항 각 호의 어느

<p>하나에 해당한다는 의학적 소견에 대한 요약 자료</p> <p>3. 대상 환자에 대한 진단서</p> <p>4. 다음 각 목의 사항이 포함된 해당 환자의 동의서</p> <p>가. 임상시험용의약품의 사용 목적</p> <p>나. 환자에게 미칠 것으로 예상되는 위험이나 불편</p> <p>다. 신청인인 전문의가 임상시험용의약품 사용에 영향을 줄 수 있는 새로운 정보를 취득하면 지체 없이 환자 또는 환자의 대리인에게 알릴 것이라는 사실</p> <p>라. 환자의 임상시험용의약품 사용 여부 결정은 자발적이라는 사실</p> <p>마. 환자가 원래 받을 수 있는 이익에 대한 손실 없이 임상시험용의약품 사용을 거부할 수 있으며 사용 중에도 언제든지 사용을 중단할 수 있다는 사실</p> <p>바. 임상시험용의약품의 제공자가 환자에게 비용을 청구하는 경우에는 그 비용을 부담하여야 한다는 사실</p> <p>5. 사용하려는 임상시험용의약품에 대한 제공자의 제공 의향서</p>
--

1) 개인별 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용승인을 신청하는 경우에는 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 별지 제28호 서식(참고 1)에 따른 신청서에 같은 규칙 제28조제3항에서 정하는 서류 또는 자료를 첨부하여 식품의약품안전처장에게 제출하여야 한다.

2) 신청서 작성 시에는 신청인, 기본정보, 사용방법 등에 대하여 작성하여야 하며, 임상시험용의약품 제조에 고가의 비용이 필요하여 환자 치료기회 확대를 위해 원가에 해당하는 비용을 청구하고자 하는 경우에는 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제29조에서 규정하고 있는 자료를 추가로 제출하여야 한다.

가) ‘신청인’ 항목 작성방법

- (1) 명칭: 신청인이 소속되어 있는 의료기관의 명칭
- (2) 소재지: 신청인이 소속되어 있는 의료기관의 소재지
- (3) 성명: 신청인의 성명 (대상 환자의 주치의(전문의) 성명)
- (4) 생년월일: 신청인의 생년월일

나) ‘기본정보’ 항목 작성방법

- (1) 개발자: 임상시험용의약품에 대하여 임상시험계획 승인을 받은 자
- (2) 제품명 또는 코드명(성분명): 임상시험계획 승인 시 제품명 또는 코드명(성분명)
- (3) 대상질환명: 임상시험계획 승인 시 대상질환명

다) ‘사용방법’ 항목 작성방법

- (1) 대상 질환명 또는 대상 환자(성명, 나이, 성별): 대상 환자의 사용 목적에 맞는 상세한 한글 질환명(환자의 질환명)과 대상 환자 정보 작성
- (2) 투여방법 및 투여량: 용법용량을 상세하게 기술하고, 임상시험용의약품의 특성에 따른 증량 또는 감량의 계획이 있는 경우 구체적으로 기술
  - \* (작성예시) 경구투여, 1회 투여량(1회 30mg 1정), 1일 투여횟수(1일2회)

(3) 예상 사용기간: 최대 6개월

- \* 일반적으로 예상 사용기간은 환자 치료 시 유효성 등을 고려하여 최대 6개월 기준으로 신청가능하며, 이후 추가 연장하려는 경우 변경승인 절차를 거쳐 기간을 연장할 수 있음
- \* 다만, 신속승인 대상 환자의 예상 사용기간은 최대 1개월로 하며, 이후 추가 연장하려는 경우 변경승인 절차를 거쳐 기간을 연장(최대 6개월)할 수 있음

라) ‘비용청구’ 시 제출서류

**<관련 법령>**

- 「의약품등의 안전에 관한 규칙」 제29조
- 1. 「공인회계사법」에 따라 등록된 공인회계사 또는 회계법인이 신청일 기준 1개월 이내에 작성한 원가산정보고서
- 2. 환자에게 발행하는 비용청구서
- 3. 비용청구 신청이 법 제31조제2항, 제3항 또는 제42조제1항에 따른 허가를 받거나 신고를 하지 아니하고 임상시험용의약품을 국내에 시판하려는 의도가 없다는 점을 소명할 수 있는 서류(대규모 환자를

대상으로 사용하고자 하는 경우에는 시판 허가를 위한 임상시험 완료가능성을 증명하기 위한 시험대상자 등록현황, 개발 진행 정도 및 차기년도 개발 계획 등을 포함하여야 한다)

- (1) 임상시험용 의약품 제공자는 일반적으로 임상시험용 의약품을 무상으로 공급하는 것이 바람직하나, 최근 개발되는 바이오 의약품 등 고가 신약의 경우 제품 제조 시 발생하는 비용이 높아 무상으로 공급하는 경우 임상시험용 의약품 제공자가 비용 부담 때문에 임상시험용 의약품의 공급을 꺼리게 되어 환자 치료 기회가 제한될 우려가 있다.
  - (2) 이 경우 임상시험용 의약품 제공자는 전문의와 해당 환자의 동의하에 투약 받는 환자에게 해당 임상시험용 의약품의 원가에 해당하는 비용을 예외적으로 청구할 수 있다. 다만, 허가되지 않은 의약품의 상업적 이용 등 윤리적인 문제점 등을 해소하기 위하여 원가에 대하여 엄격하게 산정할 필요가 있으며, 시설 및 환경관리 등에 소요되는 비용과 연구 개발비용 등을 제외한 개인별 환자에게 사용되는 임상시험용 의약품 제조에 직접 소요되는 비용만을 원가로 인정할 수 있다.
  - (3) 의약품의 개발 단계에 따라 원가 등 비용 청구의 타당성을 재검토하기 위하여 원가 청구의 유효기간은 1년으로 제한하고 있으며, 유효기간을 연장하거나 연장된 기간을 재연장하려는 경우에는 최초 비용 청구 시 제출서류를 최신화하여 다시 제출하여야 한다.
- 3) 신청서와 함께 제출하는 서류 작성 시 유의사항
- 가) 신청인이 전문의로서 해당 질환에 대하여 전문적 지식과 경험을 갖추고 있음을 증명할 수 있는 서류
    - \* 전문의(해외 포함) 자격증 또는 내과분과 전문의 자격 증 등 전문의임을 증명할 수 있는 서류
    - \* 전문성을 확인할 수 있는 신청인의 이력서(전공 등 포함)
    - \* 신속 승인대상 환자를 치료하기 위하여 신청하는 경우 신청인이 해당 임상시험에 참여하여 임상시험용 의약품을 사용하였음을 증명할 수 있는 서류(임상시험 참여 계약서, 의무기록 등)
  - 나) 대상 환자의 진료기록 및 대상 환자가 법 제34조제4항 각 호의 어느

하나에 해당한다는 의학적 소견에 대한 요약 자료

\* (진료기록) 전문의(신청인)이 대상 환자가 법 제34조제4항 각 호의 어느 하나에 해당한다고 작성한 의학적 소견에 대한 요약 자료 상 주요 진단 내용 등을 확인할 수 있는 의료기관에서 발행한 진료기록

\* (소견서) 진단명, 현재 질병상태, 환자에게 임상시험용의약품을 사용 하여야 하는 필요성, 표준 치료법 또는 대체 치료수단으로 치료 불가능한 사유, 해당 환자가 국내 진행 중인 임상시험에 참여할 수 없는 사유, 임상시험용의약품을 대상 환자에게 사용하는 것이 위험보다는 이익이 될 수 있다는 판단의 근거, 임상시험용의약품을 당일 사용해야 하는 필요성 및 위험보다 이익이 될 수 있다는 판단의 근거(신속승인 대상 환자를 치료하는 경우에 한함) 등을 포함하여 기재한 의료기관에서 발행한 소견서(의료기관 양식이 없는 경우 신청인이 작성·서명 가능)

다) 대상 환자에 대한 진단서: 현재 질병 상태 등이 포함된 의료기관에서 발행한 진단서

라) 아래 내용이 포함된 해당 환자의 동의서(작성 예시: 참고 2): 아래 내용이 반드시 포함되고 해당 환자가 서명한 동의서 사본

- (1) 임상시험용의약품의 사용 목적
- (2) 환자에게 미칠 것으로 예상되는 위험이나 불편
- (3) 신청인인 전문의가 임상시험용의약품 사용에 영향을 줄 수 있는 새로운 정보를 취득하면 지체 없이 환자 또는 환자의 대리인에게 알릴 것이라는 사실
- (4) 환자의 임상시험용의약품 사용 여부 결정은 자발적이라는 사실
- (5) 환자가 원래 받을 수 있는 이익에 대한 손실 없이 임상시험용의약품 사용을 거부할 수 있으며 사용 중에도 언제든지 사용을 중단할 수 있다는 사실
- (6) 임상시험용의약품의 제공자가 환자에게 비용을 청구하는 경우에는 그 비용을 부담하여야 한다는 사실

마) 사용하려는 임상시험용의약품에 대한 제공자의 제공 의향서(작성 예시: 참고 3)

**마. 변경신청 등의 내용 및 제출자료**

- 1) 개인별 환자를 위한 임상시험용 의약품 치료목적 사용승인을 받은 자가 승인받은 내용을 변경하고자 하는 경우에는 임상시험용 의약품의 치료목적·연구 등 목적 사용 변경승인 신청서(별지 제30호 서식, 참고 1)에 변경의 근거가 되는 서류 또는 자료를 첨부하여 식품의약품안전처장의 변경 승인을 받아야 한다.
- 2) 아래의 어느 하나에 해당하는 경우 변경에 필요한 자료를 첨부하여 식품의약품안전처장의 변경 승인을 받아야 한다.

변경 내용	제출 자료
신청인의 소속(의료기관) 변경	신청인 재직증명서
제품명(또는 코드명)의 단순 명칭 변경	해당 사항 없음 (담당 공무원이 임상시험계획승인서 등을 통해 확인)
투여방법 및 투여량	투약계획 등
예상 사용기간 연장	「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조제3항 제2호, 제4호, 제5호에 해당하는 서류 또는 자료
비용 청구 추가	「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제29조제2항 각 호에 해당하는 서류 또는 자료

- 3) 임상시험용 의약품 비용청구 기간을 연장하려는 경우에는 임상시험용 의약품 비용 청구기간 연장 신청서(별지 제31호서식, 참고 1)에 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제29조제2항 각호에서 정하는 자료를 첨부하여 식품의약품안전처장의 연장 승인을 받아야 한다.

**바. 개인별 환자를 위한 치료목적 사용승인을 받은 자의 준수사항**

- 1) 승인받은 자는 대상 환자로부터 동의 취득 시 「약사법」 및 의약품 임상

시험 관리기준에서 정하는 임상시험 동의 절차에 준하여 대상 환자 또는 대상 환자의 대리인에게 임상시험용의약품의 사용목적 및 정보 등의 내용에 대하여 충분히 설명하고 동의를 받아야 한다. 사용하는 동의서에는 관련 규정에서 정하는 내용이 반드시 포함되어야 하며 자세한 내용은 ‘환자 동의서 서식’(참고 2)을 참조한다.

- 2) 승인받은 자는 임상시험용의약품 사용 중 대상 환자에게 중대한 약물 이상반응이 발생할 경우 임상시험용의약품 제공자에게 신속히(가급적 24시간 이내) 보고하여야 한다.
- 3) 승인받은 자는 임상시험용의약품 사용 종료 후 그 결과를 임상시험용의약품 제공자에게 신속히 보고하여야 한다.
- 4) 승인받은 자는 승인받은 치료기간이 종료되었으나 치료를 계속할 필요가 있는 경우 식품의약품안전처장에게 변경 승인을 받아야 한다.
- 5) 승인받은 자(주치의)가 해외 연수, 퇴직 등의 개인사유로 소속 의료기관에서 일시 또는 지속적으로 부재하게 되는 경우에는 예정된 투여기간이 남아 있다고 하더라도 더 이상 치료를 진행할 수 없으며, 해당 의약품이 지속적으로 사용이 필요한 경우 대상 환자의 새로운 주치의가 임상시험용의약품 제공자로부터 투약 잔량 등에 대한 제공의향서를 제공받아 식품의약품안전처장에게 사용승인을 받은 후 사용하여야 하며, 변경승인 대상이 아니다.
- 6) 신속승인 대상 환자를 치료하기 위하여 승인받은 자는 승인받은 날에 해당 임상시험용의약품을 환자에게 투약했다는 사실 및 해당 환자의 경과를 확인할 수 있는 근거자료(진료기록, 의무기록, 환자 경과 기록 등) 등을 승인받은 날로부터 7일 이내에 식품의약품안전처장에게 제출하여야 한다.

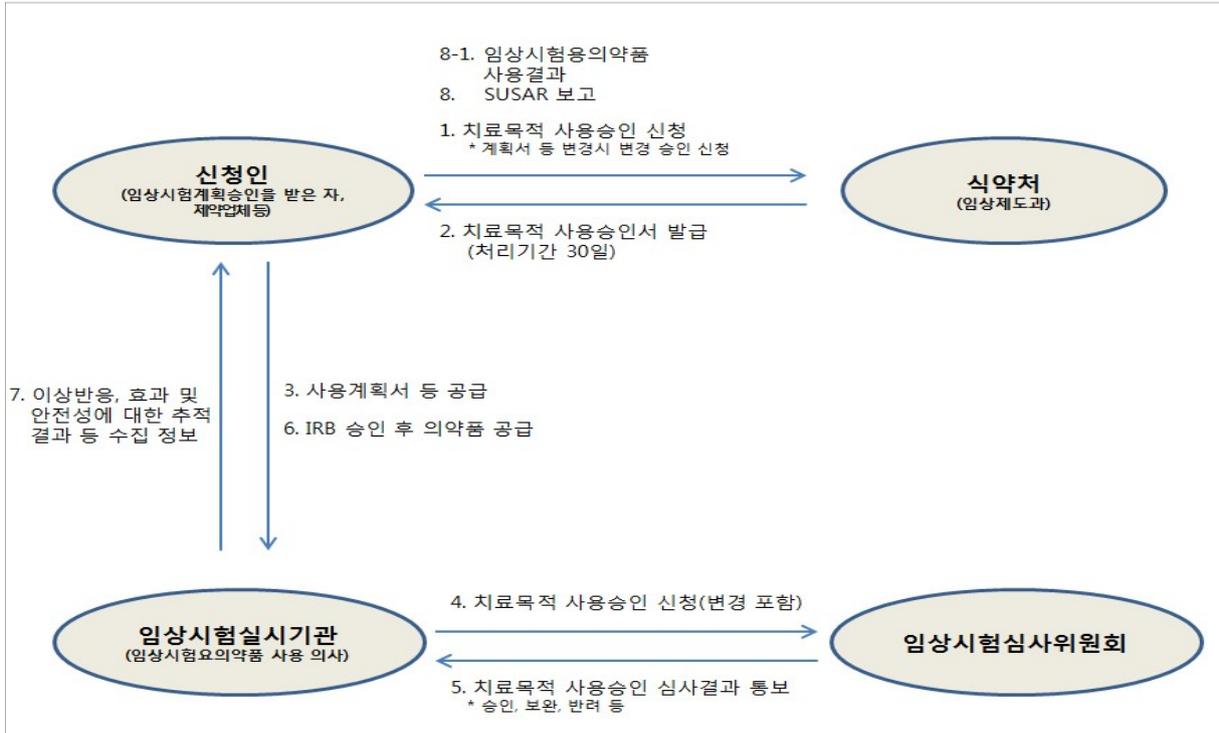
#### 사. 임상시험용의약품 제공자 준수사항

- 1) 임상시험용의약품 제공자는 임상시험용의약품 치료목적 사용승인 내용 확인 후 신청자에게 임상시험용의약품을 승인된 기간과 수량 등을 확인하고 제공하여야 한다.

- 2) 원가에 해당하는 비용을 대상 환자에게 청구하는 것으로 식품의약품안전처장의 승인을 받은 경우, 임상시험용의약품 제공자는 대상 환자에게 동의를 받은 후 비용청구서(「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제29조 제2항제2호)를 승인받은 자를 통해 대상 환자에게 제공하여 환자가 소요 비용을 직접 지불할 수 있도록 하여야 한다. 이 경우 임상시험용의약품의 치료목적 사용승인서(별지 제29호서식, 참고 1)에 기재된 비용 청구기간 이내에 대상 환자에게 비용 청구서가 제공되어야 한다.
- 3) 임상시험용의약품 제공자는 환자에게 발생한 이상반응, 효과 및 안전성에 대한 추적결과 등을 수집하기 위한 기록지 서식 등을 제공하는 것이 바람직하다.
- 4) 임상시험용의약품을 제공한 자는 신청자로부터 수집된 정보를 받은 날부터 20일 이내에 임상시험용의약품 사용 결과(신청자 정보, 승인일, 대상환자 식별을 위한 기본정보, 투여 시작일 및 종료일, 종료사유, 비용청구 현황 등 의약품 사용현황에 대한 내용)를 작성하여 식품의약품안전처장에게 제출하여야 한다.
- 5) 임상시험용의약품을 제공한 자는 중대하고 예상하지 못한 약물이상반응이 발생하면 사망을 초래하거나 생명을 위협하는 경우 7일 이내, 그 밖의 경우 15일 이내에 임상시험관리기준(GCP)에서 정한 바에 따라 식품의약품안전처장에게 보고하여야 한다.
- 6) 동 사용승인과 관련하여 임상시험용의약품은 무상제공 되는 것이 원칙이나, 임상시험에 해당되지 않으므로 환자 치료와 관련된 검사비용 등에 대한 환자 부담비용의 경우 동의서에 반영하여 반드시 환자에게 미리 알려주는 것이 바람직하다.
- 7) 해당 의약품의 표시기재는 임상시험용의약품의 표시기재를 사용할 수 있으며, 필요한 경우 일부 정보를 가감할 수 있다.

## Ⅲ. 다수 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용승인

### 1. 절차



### 2. 민원 신청 시 고려사항

#### 가. 대상질환 등

##### <관련 법령>

- 「약사법」 제34조제4항 각호의 어느 하나에 해당하는 환자
  - ① 말기암 또는 후천성면역결핍증 등 생명을 위협하는 중대한 질환
  - ② 생명이 위급하거나 대체치료수단이 없는 등 총리령으로 정하는 응급환자
- 총리령으로 정하는 응급환자(「의약품등의 안전에 관한 규칙」 제28조제1항)
  - ① 심각하거나 긴박하게 생명이 위태로운 환자
  - ② 치료시기를 놓치면 치료효과를 기대하기 어려운 상황으로서 대체치료수단이 없는 환자

- 1) 다수 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용은 말기암 환자 등에 대하여 “임상시험을 통하여 임상적 효과가 관찰된 임상시험용의약품”에 한하여 가능하다.
- 2) 일반적으로 의약품 개발 업체가 임상시험을 통해 해당 질환 관련 유효성 등을 확인한 후, 해당 적응증의 허가 신청 이전 또는 허가 신청 단계에서 승인신청을 하여 해당 환자들을 대상으로 대규모 무상공급을 결정하고 동정적 사용 프로그램(Expanded Access Program 등)을 운영하는 형태로 나타난다.
- 3) 다수 환자를 위한 치료목적 사용 승인을 받기 위해서는 “사용계획서”를 작성하여 제출하여야 하며, 해당 임상시험용의약품의 대상환자, 사용범위, 사용기간 등은 식품의약품안전처장의 승인을 받은 계획서에 따라 사용되어야 한다.
  - ☞ (처리기간 등) 다수 환자를 위한 치료목적 사용승인의 경우 신청인이 접수한 날로부터 근무일 기준 30일 이내(보완기간 미포함)에 승인한다.

#### 나. 신청인의 자격

- 1) 사용승인의 신청 주체는 해당 임상시험용의약품의 개발을 책임지고 있는 임상시험계획 승인을 받은 자인 제약회사 등이어야 한다.
- 2) 개인 환자를 위한 치료목적 사용승인과 달리, 식품의약품안전처장의 사용 승인 이외에 임상시험용의약품을 사용하고자 하는 임상시험실시기관의 임상시험심사위원회 승인을 득하고 사용계획서에서 정하고 있는 환자를 대상으로 사용하여야 한다.

#### 다. 대상 임상시험용의약품

- 1) 주치의(전문의)의 책임하에 개인 환자별로 임상시험용의약품을 사용하는 ‘개인별 환자를 위한 임상시험용의약품의 치료목적 사용승인’과는 달리, ‘다수 환자를 위한 임상시험용의약품의 치료목적 사용승인’은 임상시험용의약품 개발 주체인 제약회사 등이 미리 작성한 “사용계획서”에 따라 일정 규모 이상의 환자를 대상으로 진행된다. 사용되는 임상시험용의약품은

해당 적응증에 대해 임상시험을 통해 임상적 효과가 관찰된 경우로 한정되고, 해당 적응증 및 사용하고자 하는 환자의 규모에 따라 임상적 효과를 입증하기 위한 제출자료의 범위(라. 신청 시 제출자료 참조)에 차이가 있다.

- 2) 해당 의약품은 국내에서 임상시험계획 승인을 받은 바 있어야 하며, 해당 임상시험의 진행 중 또는 종료 여부와 관계없이 임상시험을 위해 제조되거나 제조되어 수입된 의약품이 있는 경우 신청이 가능하다. 다만, 환자 치료 기회 부여라는 제도 운영의 취지를 고려하여 임상시험이 종료되었고 시판허가가 되지 않은 상태이나 임상시험용의약품을 추가로 제조하거나 제조하여 수입이 가능한 경우 또는 국내 시판 허가되었으나 효능·효과 추가 등의 사유로 임상시험 중인 임상시험용의약품에 대하여 치료목적 사용승인으로 환자에 사용하는 경우에는 예외적으로 신청이 가능하다.
- 3) 의약품 공급주체는 환자 치료 기회 부여 및 시판 허가되지 않은 의약품의 사용이라는 점 등을 고려하여 임상시험용의약품을 무상으로 공급하는 것이 바람직하다.

## 라. 신청 시 제출자료

### <관련 법령>

○ 「의약품등의 안전에 관한 규칙」 제28조제4항

1. 다음 각 목의 내용이 포함된 사용계획서

가. 임상시험용의약품의 사용목적과 사유

나. 안전성·유효성 관련 자료 수집방법

다. 사용 환자 선정기준

라. 최신의 임상시험자 자료집 또는 이에 상응하는 안전성·유효성 관련 자료

마. 환자 동의서 서식(제29조에 따라 환자에게 비용을 청구하는 경우에는 그 사실을 포함하여야 한다)

바. 제24조제2항 각 호의 사항 중 해당 임상시험용의약품 사용을 위하여 필요한 사항

2. 임상시험용의약품이 치료의 목적이 된 질환에 대하여 임상적 효과가 있음을 입증할 수 있는 다음 각 목의 구분에 따른 자료

가. 법 제34조제4항제1호 또는 이 규칙 제28조제1항제1호에 해당하는 대규모(25명 이상을 말한다. 이하 같다) 환자 치료의 경우: 초기

임상시험에서 임상시험용의약품이 해당 질환에 대하여 임상적 효과가 있음을 입증할 수 있는 임상시험 결과

나. 제1항제2호에 해당하는 대규모 환자 치료의 경우:

임상시험용의약품의 국내 시판을 위한 법 제31조제2항, 제3항 또는 제42조제1항 등의 허가 또는 신고 등을 위한 임상시험 결과 또는 이에 상응하는 자료

다. 소규모(2명 이상 25명 미만을 말한다) 환자 치료의 경우:

임상시험용의약품이 해당 질환에 대하여 임상적 효과가 있음을 입증할 수 있는 근거 자료로서 해당 투여기간과 투약량이 안전하다는 근거 및 해당 질환에 대한 약리적 효과를 합리적으로 설명할 수 있는 자료

1) 다수 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용승인을 신청하는 경우에는 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 별지 제28호 서식(참고 1)에 따른 신청서에 같은 규칙 제28조제4항에서 정하는 서류 또는 자료를 첨부하여 식품의약품안전처장에게 제출하여야 한다.

2) 신청서 작성 시에는 신청인, 기본정보, 사용방법 등에 대하여 작성하여야 하며, 임상시험용의약품 제조에 고가의 비용이 필요하여 환자 치료기회 확대를 위해 원가에 해당하는 비용을 청구하고자 하는 경우에는 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제29조에서 규정하고 있는 자료를 추가로 제출하여야 한다.

가) ‘신청인’ 항목 작성방법: 신청하는 제약회사 등의 명칭, 소재지 등 기재

\* 생년월일은 미기재

나) ‘기본정보’ 항목 작성방법

- (1) 개발자: 임상시험용의약품에 대하여 임상시험계획 승인을 받은 자
- (2) 제품명 또는 코드명(성분명): 임상시험계획 승인 시 제품명 또는 코드명(성분명)
- (3) 대상질환명: 임상시험계획 승인 시 대상질환명

다) ‘구분’ 항목 작성방법

- (1) 계획서 제목: 치료목적 사용계획서 제목
- (2) 계획서 번호: 치료목적 사용계획서 관리를 위해 업체가 부여하여 관리하는 고유번호 및 버전 등을 의미함

(3) 대상 환자: 대상 환자가 해당하는 요건에 따라 체크(√) 표시

- ① 「약사법」 제34조제4항제1호(말기암 또는 후천성면역결핍증 등 생명을 위협하는 중대한 질환을 가진 환자)
- ② 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조제1항제1호(심각하거나 긴박하게 생명이 위태로운 환자)
- ③ 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조제1항제2호(치료시기를 놓치면 치료효과를 기대하기 어려운 상황으로서 대체치료수단이 없는 환자)

라) ‘사용방법’ 항목 작성방법

(1) 대상 질환명 또는 대상 환자(성명, 나이, 성별): 사용계획서 상 대상 환자의 사용 목적에 맞는 상세한 한글 질환명과 투약 가능 대상 환자 정보(연령대, 성별)

(2) 투여방법 및 투여량: 사용계획서에 기재되어 있는 용법용량을 상세하게 기술하고, 임상시험용의약품의 특성에 따른 증량 또는 감량의 계획이 있는 경우 구체적으로 기술

\* (작성예시) 경구투여, 1회 투여량(1회 30mg 1정), 1일 투여횟수(1일2회)

(3) 예상 사용기간: 사용계획서에 기재되어 있는 예상 사용기간 기재

마) ‘비용청구’시 제출서류

**<관련 법령>**

- 「의약품등의 안전에 관한 규칙」 제29조
- 1. 「공인회계사법」에 따라 등록된 공인회계사 또는 회계법인이 신청일 기준 1개월 이내에 작성한 원가산정보고서
- 2. 환자에게 발행하는 비용청구서
- 3. 비용청구 신청이 법 제31조제2항, 제3항 또는 제42조제1항에 따른 허가를 받거나 신고를 하지 아니하고 임상시험용의약품을 국내에 시판하려는 의도가 없다는 점을 소명할 수 있는 서류(대규모 환자를 대상으로 사용하고자 하는 경우에는 시판 허가를 위한 임상시험 완료가능성을 증명하기 위한 시험대상자 등록현황, 개발 진행 정도 및 차기년도 개발 계획 등을 포함하여야 한다)

- (1) 임상시험용의약품 제공자는 일반적으로 임상시험용의약품을 무상으로 공급하는 것이 바람직하나, 최근 개발되는 바이오의약품등 고가 신약의 경우 제품 제조 시 발생하는 비용이 높아, 무상으로 공급하는 경우 임상시험용의약품 제공자가 비용 부담 때문에 임상시험용의약품의 공급을 꺼리게 되어 환자 치료기회가 제한될 우려가 있다.
- (2) 이 경우 임상시험용의약품 제공자는 임상시험실시기관 소속 전문의와 해당 환자의 동의하에 투약 받는 환자에게 해당 임상시험용의약품의 원가에 해당하는 비용을 예외적으로 청구할 수 있다. 다만, 허가되지 않은 의약품의 상업적 이용 등 윤리적인 문제점 등을 해소하기 위하여 원가에 대하여 엄격하게 산정할 필요가 있으며, 시설 및 환경관리 등에 소요되는 비용과 연구개발비용 등을 제외한 개인별 환자에게 사용되는 임상시험용의약품 제조에 직접 소요되는 비용만을 원가로 인정할 수 있다.
- (3) 의약품의 개발 단계에 따라 원가 등 비용청구의 타당성을 재검토하기 위하여 원가 청구의 유효기간은 1년으로 제한하고 있으며, 유효기간을 연장하거나 연장된 기간을 재연장하려는 경우에는 최초 비용청구 시 제출서류를 최신화하여 다시 제출하여야 한다.

### 3) 사용계획서 작성 시 유의사항

- (1) 임상시험용의약품의 사용목적 및 사유, 의약품사용과 관련하여 안전성·유효성 관련 자료 수집방법, 사용 환자 선정기준, 최신의 임상시험자 자료집 또는 같은 수준 이상의 안전성·유효성 관련 자료가 포함되어야 하며, 임상시험계획서에 준하여 작성하여야 한다.
- (2) 의뢰자가 SOP 등으로 관리하는 임상시험계획서 서식을 사용하여 작성할 수 있다. 다만, 목적이 유효성 입증 등을 위한 임상시험이 아닌 환자치료를 위한 의약품 공급임을 명확히 하여야 한다.
- (3) 대상자 선정제외기준은 근거가 되는 임상시험을 기초로 설정되어야 하며, 평가는 최소한 안전성 자료 수집 등이 포함되는 것이 바람직하다.
- (4) 단일군이며, 임상시험용의약품의 투여방법 및 투여량 등은 임상시험 결과를 근거로 명확히 작성되어야 한다.

- (5) 의약품 무상제공 대상 인원 및 기간 등이 명시되어 있어야 한다.
- (6) 동의서는 의뢰자가 SOP 등으로 관리하는 동의서 서식을 사용하여 작성할 수 있다. 다만, 임상시험관리기준과 개인별 환자를 위한 치료목적 사용승인에서 정하는 동의서 항목을 준용하여 다수 환자를 위한 치료 목적 사용의 목적에 맞도록 적절히 조정되어야 한다.

**마. 변경신청 등의 내용 및 제출자료**

- 1) 다수 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용승인을 받은 자가 승인 받은 내용을 변경하고자 하는 경우에는 임상시험용의약품의 치료목적 사용 변경승인 신청서(별지 제30호서식, 참고 1)에 변경의 근거가 되는 서류 또는 자료를 첨부하여 식품의약품안전처장의 변경 승인을 받아야 한다.
- 2) 아래의 어느 하나에 해당하는 경우 변경에 필요한 자료를 첨부하여 식품의약품안전처장의 변경 승인을 받아야 한다.

변경 내용	제출 자료
신청인의 변경	양도·양수 계약서 등 변경을 입증할 수 있는 자료 (법인 내 변경의 경우 법인등기부 등본 증명서 제출)
제품명(또는 코드명)의 단순 명칭 변경	해당 사항 없음 (담당 공무원이 임상시험계획승인서 등을 통해 확인)
투여방법, 투여량 또는 투약기간	변경된 사용계획서 및 변경의 근거가 되는 자료
대상 환자 선정·제외기준	
임상시험실시기관	
대상환자 규모 (소규모 → 대규모)	「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제29조제4항제2호 가목 또는 나목에 해당하는 자료
비용 청구 추가	「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제29조제2항 각 호에 해당하는 서류 또는 자료

- 3) 임상시험용의약품 비용청구를 위해 승인받은 기간이 경과하기 전에 승인 받은 기간을 연장하려는 경우에는 임상시험용의약품 비용 청구기간 연장 신청서(별지 제31호서식, 참고 1)에 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제29

조제2항 각호에서 정하는 자료를 첨부하여 식품의약품안전처장의 연장 승인을 받아야 한다.

**바. 다수 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용자의 준수사항**

- 1) 사용자는 임상시험실시기관에 소속된 의사(전문의)여야 하며, 의약품 사용 전에 반드시 임상시험실시기관의 임상시험심사위원회로부터 승인을 받아야 한다.
- 2) 임상시험실시기관의 사용자(전문의)는 임상시험용의약품 사용 전에 반드시 대상자로부터 자발적 동의를 받아야 한다. 동의절차 등은 임상시험 관리기준에서 정하는 절차에 따라 진행되어야 하며, 사용대상자 또는 사용대상자의 대리인에게 임상시험용의약품의 사용목적 및 정보 등에 대하여 충분히 설명하여야 한다.
- 3) 사용을 마친 후 지체 없이 해당 환자에게 발생한 이상반응, 효과 및 안전성에 대한 추적 결과 등 수집된 정보를 치료목적 사용승인을 받은 자에게 제출하여야 한다. 일반적으로 승인받은 자가 제공한 기록지 서식 등을 작성하여 제출한다.
- 4) 중대하고 예상하지 못한 약물이상반응이 발생한 경우에는 사용계획서 및 임상시험관리기준(GCP)에서 정한 기한 내에 계획서에서 정한 절차 등에 따라 치료목적 사용승인을 받은 자에게 보고하여야 한다.

**사. 다수 환자를 위한 치료목적 사용승인을 받은 자의 준수사항**

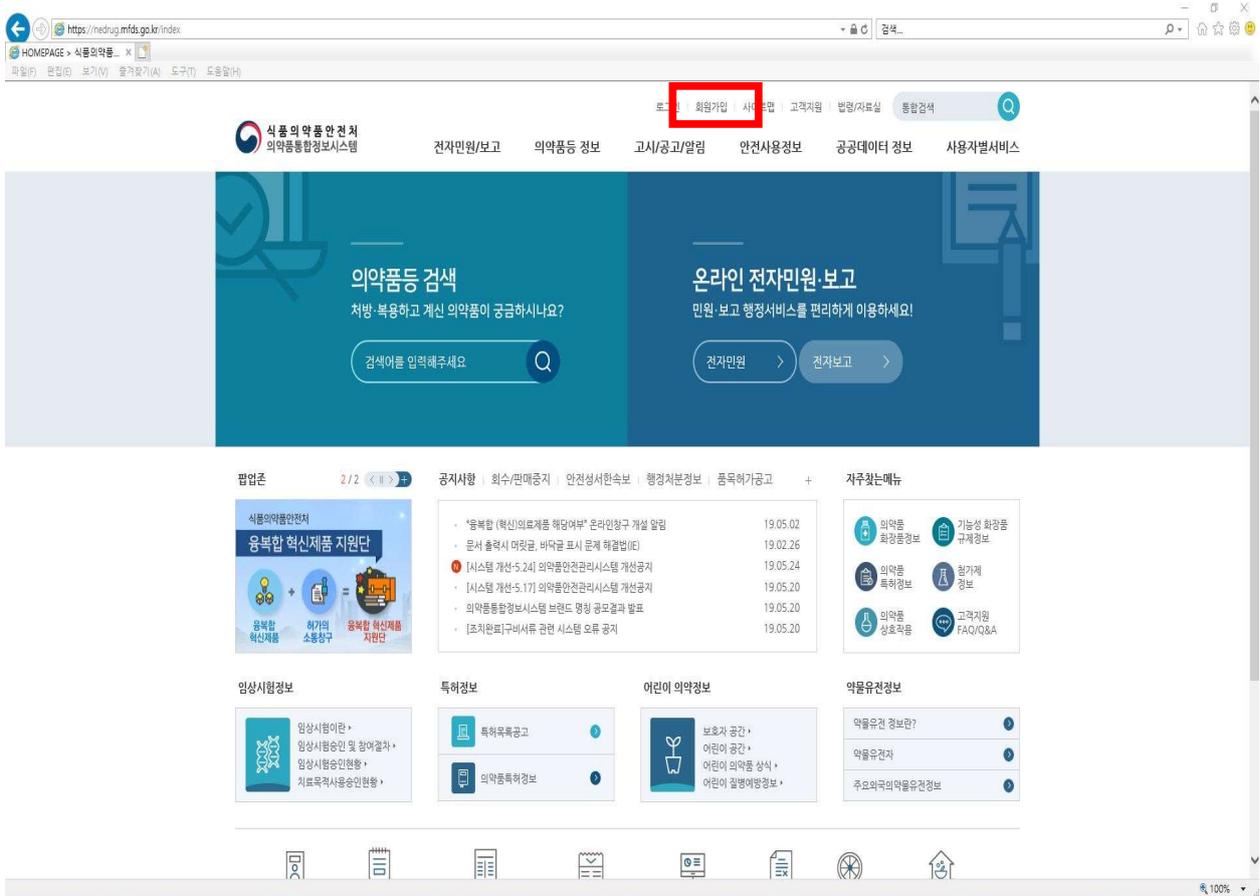
- 1) 치료목적 사용승인 신청자는 “사용계획서”를 첨부하여, “임상시험용의약품의 치료목적 사용승인 신청서”를 작성하여 식품의약품안전처장에게 사용승인을 신청한다.
- 2) 식품의약품안전처장의 치료목적 사용승인서를 발급받은 후 식약처장이 약사법령에 따라 지정한 임상시험실시기관에 한해 해당 의약품을 제공할 수 있다.
- 3) 치료목적 사용승인을 받은 자는 임상시험용의약품을 제공한 임상시험실시기관으로부터 ‘환자에게 발생한 이상반응, 효과 및 안전성에 대한 추적결과’ 등을 수집하여야 하며, 최종 대상 환자로부터 수집된 정보를 받은 날로부터

20일 이내에 임상시험용 의약품 사용 결과(신청자 정보, 승인일, 대상 환자 식별을 위한 기본정보, 투여 시작일 및 종료일, 종료사유, 비용 청구 현황 등 의약품 사용현황에 대한 내용)를 작성하여 식품의약품안전처장에게 제출하여야 한다. 기한 내 제출이 어려울 경우에는 사전에 협의하여야 한다. 또한 신속한 자료 수집을 위해 실시기관에 기록지 서식 등을 제공할 수 있다.

- 4) 중대하고 예상하지 못한 약물이상반응이 발생하면 사망을 초래하거나 생명을 위협하는 경우 7일 이내, 그 밖의 경우 15일 이내에 임상시험관리기준(GCP)에서 정한 바에 따라 식품의약품안전처장에게 보고하여야 한다. 따라서 사용계획서에 동 보고절차 등을 포함하여 사용자가 적절히 보고할 수 있도록 하여야 한다.
- 5) 동 사용승인과 관련하여 임상시험용 의약품은 무상제공 되는 것이 원칙이나, 임상시험에 해당되지 않으므로 환자 치료와 관련된 검사비용 등에 대한 환자 부담비용의 경우 동의서에 반영하여 반드시 환자에게 미리 알려주는 것이 바람직하다.
- 6) 해당 의약품의 표시기재는 임상시험용 의약품의 표시기재를 사용할 수 있으며, 필요한 경우 일부 정보를 가감할 수 있다.
- 7) 해당 의약품 공급 차질로 환자들이 위협에 노출되지 않도록 재고관리에 철저를 기해야 하며, 보관조건 등이 적절히 유지되어 품질에 영향이 없도록 보관 관리되어야 한다. 또한, 승인받은 목적이외로 의약품이 사용되지 않도록 철저한 관리가 필요하다.
- 8) 사용 전에 현재 진행 중인 임상시험용 의약품의 사용목적, 임상시험용 의약품의 정보, 임상시험용 의약품 사용 시 대상자의 건강에 발생할 수 있는 내용과 사용절차 등을 임상시험용 의약품의 치료목적 사용 대상자에게 설명하고 반드시 동의를 받아야 하며 동의서의 내용은 개인별 환자를 위한 치료목적 사용승인 동의서 내용에 준하여 치료목적 사용승인에 적합하게 작성한다.
- 9) 치료목적 사용승인을 받은 자에게 임상시험실시상황보고, 임상시험 관련 안전성 정보보고(DSUR, IB update 등)는 요구되지 않는다.

## IV. 치료목적 사용승인 민원신청 방법

1. “의약품통합정보시스템(식약처 전자민원 창구)” 사이트 (<http://nedrug.mfds.go.kr>)에 접속합니다.



## 2. “의약품통합정보시스템” 사이트의 회원이 아니라면 회원가입 양식에 맞춰 회원가입 후 로그인합니다.

**회원가입**

1 약관동의   2 본인인증   3 정보입력   4 등록완료

\* 필수입력

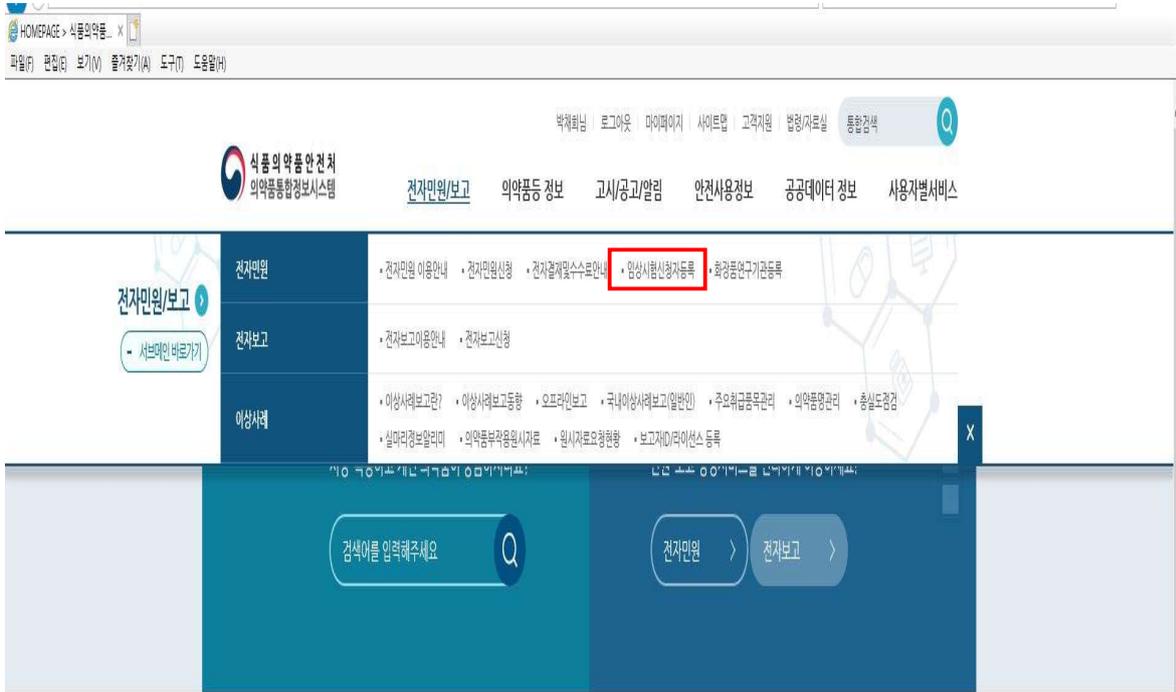
아이디*	<input type="text"/>	! 회원아이디는 6자이상 16자리 이하로 입력하시기 바랍니다.
패스워드*	<input type="password"/>	! 영문 대소문자/숫자/특수문자 세가지 조합으로 9자리~16자리입니다.
패스워드확인*	<input type="password"/>	! 패스워드 변경기간이 3개월을 초과시에는 로그인 시 자동공격됩니다.
성명*	<input type="text"/>	
소속회사명	<input type="text"/>	<input type="button" value="업체조회"/> <input type="button" value="삭제"/> ! 소속회사명을 삭제합니다. ! 소속회사명을 등록을 하셔야, 소속회사로부터 위임을 받을 수가 있습니다.
회원구분*	일반인 <input type="text"/>	! 민원 대행업체(컨설팅업체)의 경우는 기타로 지정해주시기 바랍니다.
이메일*	<input type="text"/>	! 비밀번호 초기화 또는 비밀번호 확인 시 이메일 주소가 꼭 필요합니다. * 민원신청내역이나 민원처리과정에서 발생하는 담당자의 의견을 메일을 통해 받아보겠습니까? <input checked="" type="radio"/> 예 <input type="radio"/> 아니요
전화번호*	<input type="text"/>	

※ 회원가입 및 재동의 일로 부터 2년 경과 사이에 재동의를 하지 않으면 회원자격이 자동 탈퇴 처리되오니 이점 유념해주시기 바랍니다.

\* 연구자 개인일 경우에는 소속회사명을 작성하지 않습니다.

### 3. 임상시험신청자 등록을 합니다.



#### 임상시험신청자등록

[🔍 접근성가이드](#)

**가이드**

- 임상시험신청자 등록, 수정, 폐업에 대한 정보입니다.
- 임상시험신청자 등록이 되어야 임상 민원처리가 진행됩니다.
- 현재 등록 된 회원의 위임여부에 따라 신청자 등록, 수정, 폐업 권한이 달라집니다.
- 등록완료된 신청자가있고 임상승인 신청,승인완료 건이있는 경우 업소명,대표자,소재지는 임상변경승인/신청인의 변경으로 가능합니다.
- 회원정보 수정하여 임상신청자 건 진행시 [메인메뉴 -> 회원정보 변경] 에서 확인 하시기 바랍니다.

**신청자정보**

	연구자 <input type="radio"/> 개인(책임연구자) <input checked="" type="radio"/> 학회 등		
신청자분류	재약사등 <input type="radio"/> 국내 <input type="radio"/> 제약사 <input type="radio"/> 임상시험수탁기관 <input type="radio"/> 기타		
		다국적 <input type="radio"/> 제약사 <input type="radio"/> 임상시험수탁기관 <input type="radio"/> 기타	
신청기관명 (또는 병원명)	<input type="text" value="식약처"/>		
신청자명 (외국인여부)	<input type="text" value="홍길동"/> <input type="checkbox"/> 외국인여부		
주소(소재지)	<input type="text" value="28159"/> <input type="text" value="충청북도 청주시 흥덕구 오송읍 오"/>		
허가번호	<input type="text" value="1536"/>	사업자번호	<input type="text" value="9000002272"/>
연락처	<input type="text" value="00-000-0000"/>	FAX	<input type="text"/>
이메일	<input type="text" value="xxxxx@korea.kr"/>		
신청구분	<input type="text" value="- 선택하세요 -"/>	신청상태	<input type="text" value="처리완료"/>

### 4. 신청하실 민원 사무명을 검색하여 안내 및 신청을 합니다.

\* 전자민원/보고 → 전자민원신청 → 민원사무목록 → 민원사무 : 임상시험  
 의약품치료목적사용승인



Home > 전자민원/보고 > 전자민원 > 전자민원신청

**전자민원/보고**

- 전자민원
  - 전자민원 이용안내
  - 전자민원신청
  - 전자결재및수수료안내
  - 임상시험신청등록
  - 화장품연구기관등록
- 전자보고 +
- 이상사례 +

### 전자민원신청

민원사무검색:

#### 민원사무목록

순번	업무분류	민원사무명
1	단순민원	임상시험용의약품치료목적사용변경승인
2	단순민원	임상시험용의약품치료목적사용승인

#### 민원사무안내

Area reserved for detailed information regarding the selected administrative matter.

민원사무선택

## 5. 민원사무분류에서 신청 목적에 따라 신청합니다.

- \* 개인별 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용승인 (처리기한 7일)
- \* 다수 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용승인 (2인 이상) (처리기한 30일)

### 5-1. 개인별 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용승인

- \* 구비서류를 확인 후 ‘치료목적사용승인-개인별’ 민원신청을 클릭합니다.

**연식검색**

- 전자민원 이용안내
- 전자민원신청
- 전자결재및수수료안내
- 임상시험신청자동록
- 화장품연구기관등록

전자보고 +

이상사례 +

민원사무검색 -전체- 치료목적 검색

**민원사무목록**

순번	업무분류	민원사무명
1	단순민원	임상시험용의약품치료목적사용변경승인
2	단순민원	임상시험용의약품치료목적사용승인

**민원사무안내**

임상시험용의약품의 치료목적 사용 승인 및 임상시험용의약품의 응급상황 사용 승인을 얻고자 하는 자가 식품의약품안전처장에게 사용 승인 신청하는 민원사무입니다.

▶ 임상시험용의약품치료목적사용승인-개인별

**민원사무분류**

1차분류명	2차분류명
<input checked="" type="radio"/> 개인별	
<input type="radio"/> 2인이상	

**심사유형**

선택

**수수료 및 처리일수**

수수료	0
처리일수	7

민원신청

**관련법규**

1. 임상시험용의약품의 치료 목적 사용승인 절차

## 5-1. 개인별 환자를 위한 임상시험용 의약품 치료목적 사용승인

- \* 기본정보 항목은 기존에 임상시험계획 승인 받은 정보를 기재합니다. 개발자는 임상시험계획승인을 받은 자를 의미합니다.

전자민원/보고

전자민원 -

- 전자민원 이용안내
- 전자민원신청
- 전자결재및수수료안내
- 임상시험신청자등록
- 화장품연구기관등록

전자보고 +

이상사례 +

### 전자민원신청

접근성가이드

**임상시험용의약품치료목적사용승인-개인별**

\* \*로 표시된 부분은 필수 입력항목입니다.  
 \* 주소입력시 나머지 주소를 정확히 기입하여 주시기 바랍니다.

**신청인**

업체명	식약처	허가번호	1536
소재지주소	28159	충청북도 청주시 흥덕구 오송읍 오송생명2로 187	
대표자		생년월일	- -

**기본정보**

제품명		성분명(코드명)	
대상질환명		개발자	
제출자료 보호여부	- 선택하세요 -	임상시험계획승인번호	

**구분**

환자 대상	개인별 환자 대상
환자구분	<input type="checkbox"/> 약사법 제 34조 제 4항 제 1호에 해당하는 환자 <input type="checkbox"/> 의약품 등의 안전에 관한 규칙 제 28조 제 1항 제 1호에 해당하는 환자 <input type="checkbox"/> 의약품 등의 안전에 관한 규칙 제 28조 제 1항 제 2호에 해당하는 환자
비용징구 여부	- 선택하세요 -
유효기간	- - ~ - -

**사용방법**

### 5-1. 개인별 환자를 위한 임상시험용 의약품 치료목적 사용승인

- \* 대상질환, 대상환자 성명 등을 확인하여 기입하신 후, 구비서류를 클릭합니다.
- \* 투여량은 1회 투여량을 기재합니다. (예: 1회 30mg(15mg×2정))

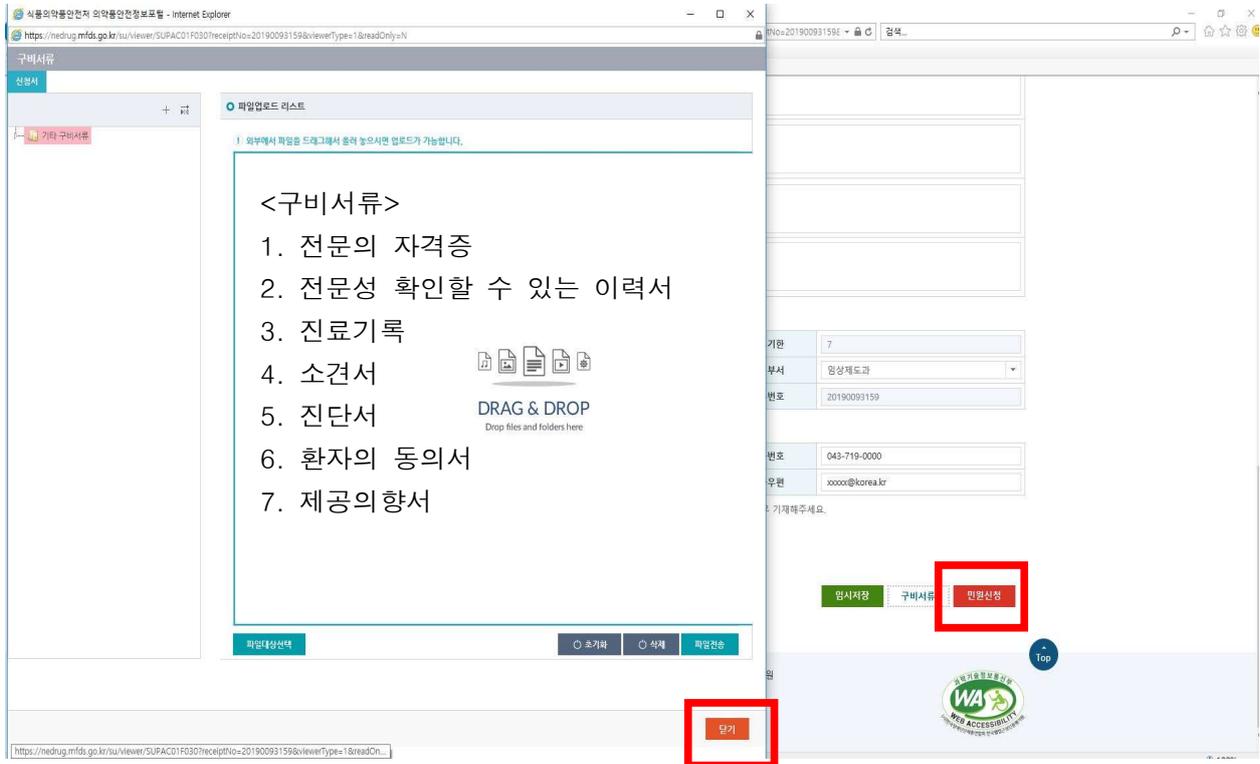
사용방법				
대상질환 구분	-선택하세요-	대상질환 환자규모		
대상질환명				
대상질환 설명				
대상환자 연령		대상환자 성별	- 선택하세요 -	
투여방법	투여횟수	-선택하세요-	투여경로	-선택하세요-
	투여주기여부	- 선택하세요 -	투여주기	
	투여방법 (기타)			
	투여방법변경 (종감 또는 증량)			
투여량				
예상 사용기간				
민원정보				
민원명	임상시험용의약품의치료목적사용승인-개인별	처리기한	7	
수수료	0	처리부서	임상제도과	
수령방법	<input type="radio"/> 웹 <input type="radio"/> 방문 <input type="radio"/> 우편수령	접수번호	20190093159	
담당자				
담당자성명	홍길동	전화번호	043-719-0000	
휴대폰번호		전자우편	xxxxx@korea.kr	

- 전자우편 : 민원처리과정에서 발생하는 담당자의 의견을 메일로 통해 전달받기 원하는 경우 기재해주세요.  
 - 휴대폰번호 : 민원신청 내역의 처리 진행사항을 안내받기 원하는 경우 기재해 주세요.

임시저장
구비서류
민원신청

## 5-1. 개인별 환자를 위한 임상시험용 의약품 치료목적 사용승인

\* 작성한 구비서류를 업로드 → 파일전송 → 닫기 → '민원신청' 클릭



## 5-2. 다수 환자를 위한 임상시험용 의약품 치료목적 사용승인

\* 구비서류를 확인 후 '치료목적사용승인-2인이상' 민원신청을 클릭합니다.

**전자민원**

- 전자민원 이용안내
- 전자민원신청
- 전자결제및수수료안내
- 임상시험신청자등록
- 확장품연구기관등록

전자보고 +

이상사례 +

민원사무검색 -전체- -치료목적- 검색

**민원사무목록**

순번	업무분류	민원사무명
1	단순민원	임상시험용의약품치료목적사용변경승인
2	단순민원	임상시험용의약품치료목적사용승인

**민원사무안내**

임상시험용의약품의 치료목적 사용 승인 및 임상시험용의약품의 용급상황 사용 승인을 얻고자 하는 자가 식품의약품안전처장에게 사용 승인 신청 하는 민원사무입니다.

▶ 임상시험용의약품의치료목적사용승인-2인이상

**민원사무분류**

1차분류명	2차분류명
<input type="radio"/> 개인별	
<input checked="" type="radio"/> 2인이상	

**심사유형**

<input type="checkbox"/>	선택

**수수료 및 처리일수**

수수료
0
처리일수
30

민원신청

## 5-2. 다수 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용승인

**임상시험용의약품의치료목적사용승인-2인이상**

· \*로 표시된 부분은 필수 입력항목입니다.

· 주소입력시 나머지 주소를 정확히 기입하여 주시기 바랍니다.

**> 신청인**

업체명	식약처	허가번호	1536
소재지주소	28159	충청북도 청주시 흥덕구 오송읍 오송생명2로 187	
대표자		생년월일	-- --

**> 기본정보**

제품명		성분명(코드명)	
대상질환명		개발자	
제출자료 보호여부	- 선택하세요 -	임상시험계획승인번호	

**> 구분**

환자 대상	2명 이상의 환자 대상
계획서 번호	
계획서 제목	
환자구분	<input type="checkbox"/> 약사법 제 34조 제 4항 제 1호에 해당하는 환자 <input type="checkbox"/> 의약품 등의 안전에 관한 규칙 제 28조 제 1항 제 1호에 해당하는 환자 <input type="checkbox"/> 의약품 등의 안전에 관한 규칙 제 28조 제 1항 제 2호에 해당하는 환자
비용정구 여부	- 선택하세요 -
	유효기간

## 5-2. 다수 환자를 위한 임상시험용 의약품 치료목적 사용승인

- \* 대상질환, 대상환자 성명 등을 확인하여 기입하신 후, 구비서류를 클릭합니다.

사용방법				
대상질환구분	- 선택하세요 -	대상질환 환자규모	- 선택하세요 -	
그룹성별	<input type="checkbox"/> 남성 <input type="checkbox"/> 여성	그룹연령	<input type="checkbox"/> 영아 <input type="checkbox"/> 유아 <input type="checkbox"/> 소아 <input type="checkbox"/> 청소년 <input type="checkbox"/> 성인	
대상질환명				
투여방법	투여횟수	- 선택하세요 -	투여경로	- 선택하세요 -
	투여주기여부	- 선택하세요 -	투여주기	
	투여방법 (기타)			
	투여방법변경 (중간 또는 종량)			
투여량				
투여기간				

민원정보			
민원명	임상시험용의약품의치료목적사용승인-2면이송	처리기한	30
수수료	0	처리부서	임상제도과
수령방법	<input type="radio"/> 웹 <input type="radio"/> 방문 <input type="radio"/> 우편수령	접수번호	20190093171
담당자			
담당자성명	홍길동	전화번호	043-7191111
휴대폰번호		전자우편	zz@korea.kr

- 전자우편 : 민원처리과정에서 발생하는 담당자의 의견을 메일로 통해 전달받기 원하는 경우 기재해주세요.  
 - 휴대폰번호 : 민원신청 내역의 처리 진행사항을 안내받기 원하는 경우 기재해 주세요.



### 5-3. 다수 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용 변경승인

\* 로그인 하신 후, 전자민원 → 민원사무목록 → 민원사무 : 2인이상치료목적사용변경승인 신청을 합니다.

**전자민원**

- 전자민원 이용안내
- 전자민원신청
- 전자결재및수수료안내
- 임상시험신청자등록
- 확장품연구기관등록

전자보고 +

이상사례 +

민원사무검색

-전체- > 치료목적

검색

**민원사무목록**

순번	업무분류	민원사무명
1	단순민원	임상시험용의약품치료목적사용변경승인
2	단순민원	임상시험용의약품치료목적사용승인

**민원사무안내**

임상시험용의약품의 치료목적 사용에 대한 변경 승인을 받기 위하여 신청하는 민원입니다.

임상시험용의약품치료목적사용변경승인 2인이상치료목적사용변경승인

**민원사무분류**

1차분류명	2차분류명
<input type="radio"/> 개인별치료목적사용변경승인	
<input checked="" type="radio"/> 2인이상치료목적사용변경승인	
<input type="radio"/> 임상시험용의약품비용청구기간연장신청	

**심사유형**

선택

**수수료 및 처리일수**

수수료	0
처리일수	30

민원신청

관련법규

https://medrug.mfds.go.kr/NEACRO/launch.html?screenId=Portal\_screen&formpath=apri\_popup.CCAZ01P010&title=치료목적 사용승인 목록&popupId=popup93f91cf3c1eabc243

**임상시험용의약품 치료목적 사용승인 조회**

임상시험일련번호

제품명

대상질환

임상시험승인번호

성분명

성명

계획서번호

임상시험제목

**조회결과** 0건 / 현재페이지 : 1

순번	사용승인일련번호	사용승인번호	계획서번호	임상시험제목	제품명	성분명	대상질환	성명
----	----------	--------	-------	--------	-----	-----	------	----

20 | + 더보기

### 5-3. 다수 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용 변경승인

\* 변경내용 중 변경하려는 치료목적 사용승인을 검색하여 선택합니다.

**> 변경대비표 \* 별도 첨부한 변경대비표 파일의 내용을 모두 반영하여 작성하시기 바랍니다.** + 추가 | - 삭제 | 삭제위소

상태	순번	항목	지정받은 사항	변경승인 신청사항	사유
입력	1				

변경내용	<div style="border: 1px solid black; padding: 2px;"> <span style="background-color: #e0e0e0; padding: 2px;">선택하세요</span> </div>
지정받은 사항	<div style="border: 1px solid black; padding: 2px;">                     -선택하세요-                      신청인의 변경(법인내)                      제품명 또는 코드명                      비윤정구여부(연장제외)                      대상환자규모(소규모, 대규모)                 </div>
변경승인 신청사항	<div style="border: 1px solid black; padding: 2px;">                     사용계획서                 </div>
사유	<div style="border: 1px solid black; height: 30px;"></div>

**> 민원정보**

민원명	임상시험용의약품치료목적사용변경승인-2인0	처리기한	30
수수료	0	처리부서	임상제도과
수령방법	<input type="radio"/> 웹 <input type="radio"/> 방문 <input type="radio"/> 우편수령	접수번호	20190093172

**> 담당자**

담당자성명	홍길동	전화번호	043-719-1111
휴대폰번호		전자우편	zzz@korea.kr

- 전자우편 : 민원처리과정에서 발생하는 담당자의 의견을 메일트 통해 전달받기 원하는 경우 기재해주세요.  
 - 휴대폰번호 : 민원신청 내역의 처리 진행사항을 안내받기 원하는 경우 기재해 주세요.

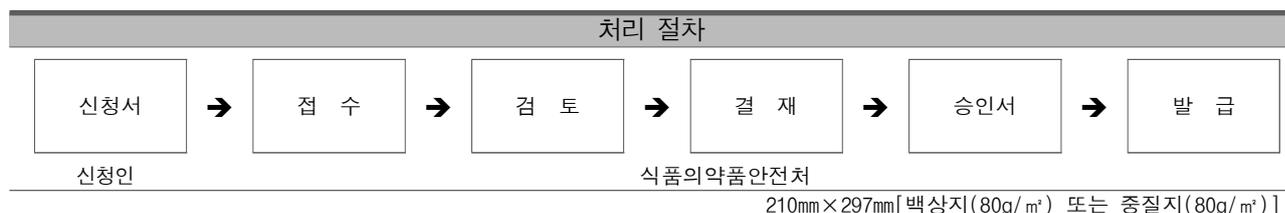
임시저장
구비서류
민원신청



담당자 성명  
담당자 전화번호

**식품의약품안전처장** 귀하

신청인 제출서류	<p><b>I. 치료목적 사용승인 신청의 경우</b></p> <p>1. 개인별 환자를 치료하는 목적으로 사용하는 경우</p> <p>가. 신청인이 전문의로서 해당 질환에 대하여 전문적 지식과 경험을 갖추고 있음을 증명할 수 있는 서류</p> <p>나. 대상 환자의 진료기록 및 대상 환자가 「약사법」 제34조제4항 각 호의 어느 하나에 해당한다는 의학적 소견에 대한 요약 자료</p> <p>다. 대상 환자에 대한 진단서</p> <p>라. 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조제3항제4호 각 목의 사항이 포함된 해당 환자의 동의서</p> <p>마. 사용하려는 임상시험용의약품에 대한 제조자의 제공 의향서</p> <p>2. 2명 이상의 환자를 치료하는 목적으로 사용하는 경우</p> <p>가. 제28조제4항제1호 각 목의 내용이 포함된 사용계획서</p> <p>나. 임상시험용의약품이 치료의 목적이 된 질환에 대하여 임상적 효과가 있음을 입증할 수 있는 다음 구분에 따른 자료</p> <p>1) 「약사법」 제34조제4항제1호 또는 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조제1항제1호에 해당하는 대규모(25명 이상을 말한다. 이하 같다) 환자 치료의 경우: 초기 임상시험에서 임상시험용의약품이 해당 질환에 대해 임상적 효과가 있음을 입증할 수 있는 임상시험 결과</p> <p>2) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조제1항제2호에 해당하는 대규모 환자 치료의 경우: 임상시험용의약품의 국내 시판을 위한 법 제31조제2항, 제3항 또는 제42조제1항 등의 허가 또는 신고 등을 위한 임상시험 결과 또는 이에 상응하는 자료</p> <p>3) 소규모(2명 이상 25명 미만을 말한다) 환자 치료의 경우: 임상시험용의약품이 해당 질환에 대해 임상적 효과가 있음을 입증할 수 있는 근거 자료로서 해당 투여기간과 투약량이 안전하다는 근거 및 해당 질환에 대한 약리적 효과를 합리적으로 설명할 수 있는 자료</p> <p>3. 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제29조제1항에 따라 비용을 청구하는 경우에는 제1호 또는 제2호에 따른 서류 또는 자료 및 다음 각 목에 해당하는 서류</p> <p>가. 「공인회계사법」에 따라 등록된 공인회계사 또는 회계법인이 신청일 기준 1개월 이내에 작성한 원가산정보고서</p> <p>나. 환자에게 발행하는 비용청구서</p> <p>다. 비용청구 신청이 법 제31조제2항, 제3항 또는 제42조제1항에 따른 허가를 받거나 신고를 하지 아니하고 임상시험용의약품을 국내에 시판하려는 의도가 없다는 점을 소명할 수 있는 서류(대규모 환자를 대상으로 사용하고자 하는 경우에는 시판 허가를 위한 임상시험 완료가능함을 증명하기 위한 시험대상자 등록현황, 개발 진행 정도 및 차기년도 개발 계획 등을 포함하여야 한다)</p> <p><b>II. 연구 등 목적 사용승인 신청의 경우</b></p> <p>다음 각 호의 사항이 포함된 사용계획서</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. 임상시험용의약품의 구체적 사용 목적</li> <li>2. 임상시험용의약품의 제품명</li> <li>3. 수량</li> <li>4. 사용자</li> <li>5. 사용장소</li> <li>6. 사용 종료 후 수량 회수 및 폐기 계획 등</li> </ol>	수수료 없음
-------------	--	-----------



■ 의약품 등의 안전에 관한 규칙 [별지 제29호서식] <개정 2018. 10. 25.>

(앞쪽)

제 호  <div style="display: flex; justify-content: center; align-items: center; gap: 20px;"> <span>[ ] 치료목적</span> </div> <div style="display: flex; justify-content: center; align-items: center; gap: 20px;"> <span>임상시험용의약품의</span> <span>[ ] 연구 등 목</span> <span>사용승인서</span> </div> <div style="text-align: center; font-weight: bold; font-size: 1.2em;">적</div>		
신청인	명칭(업체명 또는 의료기관)	
	소재지	
	성명(대표자 또는 의사)	
제품명 또는 코드명(성분명)		
<b>&lt;치료목적 사용승인의 경우&gt;</b>		
구분	[ ] 개인별 환자 대상	[ ] 2명 이상 환자 대상
		[ ] 소규모 [ ] 대규모
사용방법	대상질환 또는 대상환자(성명, 나이, 성별)	
	투여방법 및 투여량	
	예상 사용기간	
비용청구 기간		
<b>&lt;연구 등 목적 사용승인의 경우&gt;</b>		
사용계획	구체적 사용 목적	
	수량	
	사용자	
	사용 장소	
<p>「약사법」 제34조제4항 단서 및 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조제5항 또는 제6항, 제29조의2제2항에 따라 위와 같이 승인(변경승인)합니다.</p> <p style="text-align: right; margin-right: 100px;">년      월      일</p> <div style="display: flex; justify-content: center; align-items: center; gap: 50px; margin-top: 20px;"> <span style="font-weight: bold; font-size: 1.1em;">식품의약품안전처장</span> <div style="border: 2px solid red; width: 60px; height: 60px; display: flex; align-items: center; justify-content: center;"> <span style="font-size: 0.8em;">직인</span> </div> </div>		

변경 및 처분사항 등	
연월일	내 용





## 참고 2. 환자 동의서 서식(예시)

## 동의서

## 가. 임상시험용의약품의 사용 목적

- 임상시험용의약품은 현재 허가받지 않은 의약품이라는 사실, 임상시험용의약품의 구체적인 정보 및 임상시험용의약품 사용은 임상시험의 참여가 아닌 치료목적 사용임을 포함한 사용목적에 상세히 작성

## 나. 환자에게 미칠 것으로 예상되는 위험이나 불편

- 임상시험용의약품 사용 시 대상 환자에게 발생할 수 있는 이상반응 등 환자에게 미칠 것으로 예상되는 위험이나 불편 및 의약품 사용 후 의학적 이익이 없을 수 있다는 사실을 상세히 작성
- 임상시험용의약품 사용과 관련하여 발생한 손상에 대하여 보상하지 않는 경우에는 임상시험 참여가 아니므로 보상하지 않는다는 내용을 작성

## 다. 신청인인 전문의가 임상시험용의약품 사용에 영향을 줄 수 있는 새로운 정보를 취득하면 지체 없이 환자 또는 환자의 대리인에게 알릴 것이라는 사실

- 임상시험용의약품 사용 시 복용방법, 복용 시 주의사항 등의 기본정보의 변경이나 임상시험용의약품 사용에 영향을 줄 수 있는 새로운 정보 취득 시 환자 또는 환자의 대리인에게 지체 없이 알릴 것이라는 내용을 상세히 작성

## 라. 환자의 임상시험용의약품 사용 여부 결정은 자발적이어야 한다는 사실

- 임상시험용의약품 사용을 결정하는데 충분한 시간을 갖고 자발적으로 동의한다는 사실을 구체적으로 작성

## 마. 환자가 원래 받을 수 있는 이익에 대한 손실 없이 임상시험용의약품 사용을 거부할 수 있으며 사용 중에도 언제든지 사용을 중단할 수 있다는 사실

## 바. 임상시험용의약품의 제공자가 환자에게 비용을 청구하는 경우에는 그 비용을 부담하여야 한다는 사실

- 비용을 부담하여야 한다는 사실과 청구하는 구체적인 비용 및 산정기준 등을 구체적으로 작성

## 사. 기타 추가 필요사항(개인정보보호법 관련 사항 등)

의사 성명 \_\_\_\_\_ (서명) \_\_\_\_\_ 년 월 일

대상 환자 성명 \_\_\_\_\_ (서명) \_\_\_\_\_ 년 월 일

대상 환자 법정대리인 성명 \_\_\_\_\_ (서명) \_\_\_\_\_ 년 월 일

법정대리인과 대상 환자와의 관계 \_\_\_\_\_

대리인 서명 사유 \_\_\_\_\_

### 참고 3. 제공의향서 서식(예시)

\* 공문 형태로 작성하여 제출합니다.

<p><b>가. 임상시험용의약품 제공자 정보</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>- 국내 임상시험계획 승인을 받은 자의 업체명</li></ul> <p><b>나. 신청자 정보: 임상시험용의약품 공급 요청자의 소속 및 성명</b></p> <p><b>다. 임상시험용의약품의 정보 및 공급계획</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>- 제품명(성분명)</li><li>- 임상시험용의약품 공급 수량(세포치료제의 경우 cell 수를 포함한 공급 수량)</li><li>- 공급일정</li><li>- 공급빈도</li><li>- 공급방법</li></ul> <p><b>라. 대상 환자 정보</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>- 대상환자의 성명(필요시 이니셜 또는 식별번호)</li><li>- 성별</li><li>- 나이</li></ul> <p><b>마. 제공목적 서술</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>- 임상시험이 아닌 개인별 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용 요청에 따른 공급임을 구체적으로 작성</li></ul> <p><b>바. 임상시험용의약품 치료목적 사용 종료 후 남은 수량 회수 및 폐기계획</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>- 임상시험용의약품 제공자의 회수 폐기 또는 신청자의 소속기관에서 자체 폐기 인지 등에 대하여 구체적으로 서술</li></ul> <p style="text-align: right;">임상시험용의약품 제공자 (서명 또는 인)</p>
--

# “임상시험용의약품의 치료 목적 사용을 위한 가이드라인 (민원인 안내서)”

---

발 행 일 2019년 5월

발 행 인 의약품안전국장 김영옥

편집위원장 임상제도과장 김정미

편집위원 임상제도과 사무관 김병삼, 김희선, 이소향  
주무관 강미선, 이인선, 이주경, 서진주,  
남은미, 전보명, 이지은, 이수희, 민동훈  
심사관 김민준, 실무관 박채희

발 행 처 식품의약품안전처 의약품안전국 임상제도과

---



**【공직자 부조리 및 공익신고안내】** \*\* 신고자 및 신고내용은 보호됩니다.

▶ 부조리 신고 : 식약처 홈페이지 “국민신문고 > 공직자 부조리 신고” 코너

▶ 공익 신고 : 식약처 홈페이지 “국민소통 > 신고센터 > 부패.공익신고 상담” 코너