

식약처, 희귀·중증질환 치료제 GIFT 심사에 환자의 목소리를 반영한다

- ‘의료제품의 우선심사 지정신청 시 고려사항(민원인안내서)’ 개정
- GIFT 지정 신청 시 환자경험자료를 제출할 수 있도록 표준 신청서 마련

식품의약품안전처(처장 오유경) 소속 식품의약품안전평가원(원장 강석연)은 희귀·중증질환 치료제의 신속한 제품화를 지원하는 글로벌 혁신제품 신속 심사지원체계(GIFT)*에 환자의 경험과 관점을 체계적으로 반영하기 위해 ‘의료제품의 우선심사 지정신청 시 고려사항(민원인안내서)’을 8월 28일 개정했다고 밝혔다.

* GIFT(Global Innovative product on Fast Track): 생명을 위협하는 중대한 질환 또는 희귀질환 치료제 중 혁신성이 뛰어난 글로벌 혁신 의료제품을 신속하게 심사하는 제도

이번 개정은 식의약 안심과제 일환으로 추진되었으며, 임상시험 결과만으로는 충분히 파악하기 어려운 희귀·중증질환 환자의 증상, 기능 상태, 삶의 질, 치료과정에서의 어려움 등 환자의 실제 경험자료를 GIFT 지정 단계에서 활용하기 위해 진행되었다.

민원인 안내서의 주요 개정 내용은 GIFT 지정 신청서에 환자경험자료* 체크리스트를 신설해 업체가 자료의 유형과 제출 여부 등을 표시하고 환자 경험자료를 함께 제출할 수 있는 절차를 마련하고, GIFT 지정 대상인 ‘심각한 중증질환’에 대한 상세 설명 등을 추가했다.

* 환자경험자료(Patient Experience Data, PED): 질환이나 치료과정에서 환자가 경험하는 증상, 기능 상태, 삶의 질, 치료경험 등 환자의 경험과 관점을 파악하기 위해 수집된 자료 (환자보고결과(PRO) 등 임상결과 평가자료, 환자선호도연구, 환자·보호자 인터뷰등 질적연구, 환자참여활동을 통해 수집된 자료 등이 포함)

식약처는 그 간 GIFT 지정 심사 시 질환의 중대성, 대체 가능한 의약품 유무 및 대체 가능한 의약품 대비 안전성·유효성 개선 여부 등을 중심으로 지정요건을 검토해 왔다. 이번 개정으로 업체가 환자경험자료를 추가로 제출하는 경우 희귀·중증질환의 중대성과 신청 품목의 유의성·위해성을 평가하는 데 참고자료로 활용할 수 있게 된다.

식약처는 이번 개정을 통해 업체가 GIFT 지정에 대한 이해도와 심사 예측성을 확보하는데 도움이 될 것으로 기대하며, 의약품의 사용 주체인 환자의 경험과 관점을 GIFT 지정 심사 과정에 체계적으로 반영하고 희귀·중증질환 환자와 가족이 실제 체감가능한 치료제가 신속하게 허가될 수 있도록 지원할 계획이다.

자세한 내용은 ‘식약처 대표 누리집(www.mfds.go.kr) → 법령/자료 → 법령 정보 → 공무원지침서/민원인안내서’에서 확인할 수 있다.

<붙임> 환자경험 체크리스트

담당 부서	식품의약품안전평가원 신속심사과	책임자	과 장	박재현 (043-719-5061)
		담당자	연구관	임 숙 (043-719-5062)



구분	제출 여부	첨부파일명
임상 결과 평가 자료(Clinical Outcome Assessment Data)		
환자 보고 결과(Patient-Reported Outcome)	해당자료 제출 ☐	
관찰자 보고 결과(Observer-reported outcome)	해당자료 제출 ☐	
임상의 보고 결과(Clinician-reported outcome)	해당자료 제출 ☐	
수행능력 결과(Performance outcome)	해당자료 제출 ☐	
환자선호도 연구(Patient Preference Studies)	해당자료 제출 ☐	
질적 연구(Qualitative Studies) (예, 환자 또는 보호자 인터뷰, 포커스그룹 인터뷰 등을 통해 수행한 연구)	해당자료 제출 ☐	
환자참여활동(Patient Engagement Activity) 자료 (예, 질환의 중대성, 질환 및 치료에 대한 환자의 경험 등을 설명하는 환자동영상, 녹취록, 서면의견 등)	해당자료 제출 ☐	
기타 자료(상세서술) (예, 질병경과관찰연구, 설문조사연구 등)	해당자료 제출 ☐	

※ 우선심사 대상 의약품 지정 신청 시 환자경험자료를 첨부할 경우 제출자료의 종류를 해당 항목에 표시하여 제출

※ 환자경험자료 유형

- (환자 보고 결과, PRO) 환자가 자신의 건강 상태, 증상, 또는 삶의 질 등에 대해 직접 보고한 결과로, 의료진이나 다른 사람이 해석이나 평가하지 않은 결과를 말한다.
- (환자선호도 연구) 환자선호도 정보 즉, 치료효과의 크기, 이상사례의 종류와 빈도, 투여경로, 치료기간, 복약편의성 등 다양한 치료 특성에 대해 환자가 부여하는 상대적 중요도, 수용가능성 등에 대한 연구
- (질적 연구) 환자 또는 보호자 인터뷰, 포커스그룹 인터뷰 등을 통해 질환 및 치료에 대한 환자의 관점, 필요 및 우선순위 등을 탐색하는 연구
- (환자참여활동 자료) 질병에 대한 환자의 경험, 치료 과정에서의 어려움, 치료 결과에 대한 기대, 유익성과 위해성에 대한 인식 등을 파악하기 위해 환자, 보호자, 환자단체 등과 상호작용하는 활동을 통해 수집된 자료