

가이드라인 관리번호

B1-2014-#-###

# 학술연구 목적 세포치료제 연구자임상시험 가이드라인 (안)

(Guideline on Sponsor-Investigator Trials of  
Cell Therapy Products for Academic Purpose)

2014. 12. (예정)

본 가이드라인은 현재의 규정에 근거하여 세포치료제 연구자임상시험에 대한 행정사항을 안내하고, 학술연구 목적 세포치료제 연구자임상시험의 제출자료에 대한 식품의약품안전처의 최근 입장을 기술하고 있습니다. 이 가이드라인에 기술된 사항은 법적 구속력이 있는 것이 아니며, 법령이나 행정규칙 등에서 정하고 있는 사항 외에는 식품의약품안전처의 권고사항입니다. 이는 합리적인 규제방향에 대한 사회적, 과학적 합의가 있을 경우 개정될 수 있으므로 이러한 사항이 있을 경우 식품의약품안전처에 의견을 제시하여 주시기 바랍니다.

※ 본 가이드라인에 대하여 의견이 있는 경우 아래로 문의하시기 바랍니다.

---

식품의약품안전처

식품의약품안전평가원

세포유전자치료제과

Tel : 043-719-3536

Fax : 043-719-3530

Email :

kgdw306@korea.kr

---

# 목 차

1. 서 론 .....	1
2. 세포치료제 연구자임상시험 .....	2
2.1. 세포치료제 연구자임상시험의 분류 및 제출자료 .....	2
2.2. 학술연구 목적의 세포치료제 연구자임상시험 심사시 고려사항 .....	3
2.3. 세포치료제 연구자임상시험의 신청용 .....	4
3. 학술연구 목적 세포치료제 연구자임상시험 제출자료 .....	6
3.1. 임상시험계획서 .....	6
3.2. GMP 입증자료 .....	7
3.3. 자가기준 및 시험방법 .....	7
3.4. 식약처장이 지정한 임상시험심사위원회(이하 IRB) 승인서 .....	8
3.5. 해당분야 관련 전문가 5인 이상의 임상시험에 대한 동의서 .....	8
부록. 전문가 동의(의견)서 양식 .....	10
제·개정이력 .....	13

# 학술연구 목적 세포치료제 연구자임상시험 가이드라인 (안)

## 1. 서론

본 가이드라인은 「생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정」(식품의약품안전처 고시) 제2조제14호 정의에서 정하고 있는 “세포치료제”를 이용하여 연구자임상시험 승인 신청시 연구자임상시험의 대상, 운영방법 등을 명확히 하고, 학술연구만을 목적으로 하는 세포치료제 연구자임상시험의 제출자료에 대한 세부사항을 제시하는데 있다.

임상시험 승인을 위해서는 「약사법」 제34조 제7항 및 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제24조에 적합한 임상시험계획을 마련해야 하며, 해당임상시험은 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제30조에 따라 수행되어야 한다. 임상시험계획 승인에 필요한 자료의 작성요령, 범위, 요건 등에 관한 세부사항은 「의약품 임상시험 계획 승인에 관한 규정」(식품의약품안전처 고시)에서 정하고 있으며 동 고시 제7조 및 제8조 제6항에서는 연구자임상시험 승인 신청 시 제출되는 심사자료의 종류를 정하고 있다.

학술연구만을 목적으로 세포치료제를 이용하여 연구자임상시험을 실시하고자 하는 경우 「의약품 임상시험 계획 승인에 관한 규정」 제7조3항(식품의약품안전처 고시 제2014-158호(2014.9.5. 개정))에 따른 자료를 제출해야 한다.

## 2. 세포치료제 연구자임상시험

### 2.1. 세포치료제 연구자임상시험 제출자료

연구자임상시험 (Sponsor-Investigator Trials)이란 「의약품 임상시험 계획 승인에 관한 규정」(이하 '임상규정') 제2조 제1항 3호에 따른, 임상시험자(연구자)가 안전성·유효성이 검증되지 않은 의약품 또는 허가(신고)되어 시판중인 의약품으로 허가(신고)되지 아니한 새로운 효능·효과, 새로운 용법·용량에 대해 외부의 의뢰 없이 독자적으로 수행하는 임상시험을 말한다.

임상시험을 실시하고자 할 경우 계획서를 작성하여 식품의약품안전처장의 사전승인을 받아야 하는데 세포치료제 연구자임상시험은 임상시험을 수행하는 목적과 임상시험용 의약품의 기허가여부에 따라 임상시험계획 (변경) 승인을 위한 제출 자료의 종류가 다르다.

일반적으로 임상시험을 수행하고자 할 경우 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제24조에 적합한 임상시험계획의 승인을 받아야 하며 제출해야 하는 자료는 다음과 같다. 1)의약품 등의 안전에 관한 규칙 제24조 제1항에 따라 임상시험계획 승인(변경승인) 신청서(별지 제23호서식 또는 전자문서로 된 신청서), 2)임상시험 (변경)계획서, 3)의약품 제조 및 품질관리기준에 따른 제조 입증자료(GMP 입증자료), 4)자가기준 및 시험방법 및 5)임상규정에서 정하는 안전성·유효성과 관련하여 식약처장이 고시한 자료(임상규정 제4조에서 세부자료 설명)이다.

품목허가 제출자료 마련을 위한 목적으로 임상시험을 수행하고자 하는 경우, 세포치료제 연구자임상시험은 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제24조를 따라야 하며, 안전성·유효성과 관련하여 식약처장이 고시한 자료는 임상규정 제7조 제1항에 따라 제6조를 준용해야 한다.

다만, 임상시험용 의약품(세포치료제)이 허가되어 판매 중인 의약품이고, 임상시험 실시의 과학적 타당성을 입증할 수 있는 학술논문 자료를 구비하고 있는 경우, 임상규정 제8조 제6항에 따라 임상시험계획 승인(변경승인) 신청서에 임상시험계획서, 해당 학술논문 자료, 임상시험심사위원회(IRB) 승인서를 첨부하여 임상시험계획(변경)승인을 신청할 수 있다.

한편, 학술연구만을 목적으로 임상시험을 수행하는 경우에는 임상규정 제7조 제3항이 적용될 수 있다. 이러한 경우는 제출자료는 임상시험계획 승인(변경승인) 신청서에 GMP 입증자료, 자가기준 및 시험방법, 임상시험심사위원회(IRB) 승인서, 해당분야 관련 전문가 5인 이상의 임상시험에 대한 동의서와 임상시험 계획서이다.

## 2.2. 학술연구만을 목적으로 하는 세포치료제 연구자임상시험 심사시 고려사항

임상규정 제7조 제3항에 따른 학술연구만을 목적으로 하는 세포치료제의 연구자임상시험은 원칙적으로 임상시험계획 승인(변경승인) 신청서에 GMP 입증자료, 자가기준 및 시험방법, 임상시험심사위원회(IRB) 승인서, 해당분야 관련 전문가 5인 이상의 임상시험에 대한 동의서와 임상시험계획서를 바탕으로 심사하게 된다.

다만, 학술연구만을 목적으로 하는 세포치료제 연구자임상시험이라 하더라도, 해당 임상시험의 적정을 기하기 위하여 임상규정 제16조 제1항 제2호에 따라 필요한 경우 추가 자료가 요구될 수 있다. 예를 들어 적용 대상은 사람에게 투여경험이 전혀 없는 신규 세포치료제로서 해당 임상시험용 의약품의 안전성에 대한 정보가 충분하지 않거나 현재 개발 또는 허가받은 세포치료제이지만 이미 수행된 임상시험 또는 허가사항(적용증, 투여경로, 용량 등)을 변경하여 그 안전성의 확보가 필요한 경우 등이 될 수 있다.

일반적으로 요구되는 추가 자료는 해당 임상시험용 의약품 특성, 대상 질환 등을 고려하여 안전성 확보를 위한 최소한의 자료로서, 신규 세포치료제의 미생물학적 안전성 확보 자료, 투여경로 변경에 따른 독성·분포자료, 해당 용량 적용 근거 자료 및 신규 줄기세포치료제의 종양원성평가자료 등이 될 수 있다.

### 2.3. 세포치료제 연구자임상시험의 신청

의약품 임상시험계획 (변경)승인 신청은 식약처 의약품 민원사이트 “의약품 전자민원창구(ezdrug.mfds.go.kr)”에서 접수할 수 있다. 접수 시 필요한 제출파일은 민원서식기(위 사이트에서 다운받을 수 있음)를 실행하여 작성하게 된다. 인터넷으로 임상시험계획(변경) 승인 관련 민원을 신청하는 방법, 민원서식기 이용방법 등은 “2013년 임상시험 관련 자주묻는 질의·응답집”(식약처 홈페이지 [mfds.go.kr](http://mfds.go.kr) > 법령정보 > 지침·가이드라인·해설서) 또는 임상시험 관련 승인보고 매뉴얼 (식약처 온라인의약도서관 [drug.mfds.go.kr](http://drug.mfds.go.kr) > 주제별 > 임상시험 정보 > 자료실)을 참조할 수 있다.

의약품 임상시험계획 (변경)승인을 신청하기 위하여 필요한 제출파일을 민원서식기로 작성할 때, 민원서식기를 실행하고 신청하려는 서식(의약품 임상시험 계획승인 신청서 또는 의약품 임상시험 계획 변경승인 신청서)을 선택하게 된다. 서식을 선택한 이후, 입력할 서류의 유형을 선택하는 단계에서는 연구자임상시험의 유형에 따라 선택하는 항목을 구분해야 한다.

임상규정 7조1항에 따라 품목허가 제출자료 마련을 위한 목적으로 세포치료제 연구자임상시험인 경우에는 “제약사등, 연구자” 박스의 “유형 12 - 생물학적제제등”을 선택한다(그림 좌측 참조). 임상규정 제8조 6항에 따라 임상시험용 의약품(세포치료제)이 허가되어 판매 중인 의약품이고, 임상시험 실시의 과학적 타당성을 입증할 수 있는 학술논문 자료를 구비하고 있는 경우 수행되는 연구자임상 신청의 경우에는 “연구자” 항목의 “유형 1 - 시판중인 의약품”을 선택한다(아래 그림 참조).

<그림> 연구자임상시험 신청서류 유형(좌 유형12 - 생물학적제제등, 우 유형1-시판중인의약품)

임상규정 7조3항에 따라 학술연구만을 목적으로 수행하는 세포치료제 연구자임상시험인 경우에는 “연구자” 항목의 “유형 2 - 학술연구 목적 세포 치료제”를 선택하고 신청서 상의 “임상시험의 용도”에서 “연구용(연구자 임상시험)”을 선택하여 그 신청 목적을 명확히 한다.

<그림> 연구목적 연구자임상시험 신청서류 유형(유형2 - 학술연구목적세포치료제)

**임상시험의 개요**

【임상시험】 【국문】	임상시험의 제목
【대상】	임상시험의 전문제목
【배경】	임상시험의 배경
【목적】	임상시험 전체 목적을 간략하게 서술(각성에서: ---를 평가하고자 함)하고, 1차 평가변수(Primary endpoint)와 2차 평가변수(Secodary endpoint) 항목을 각각 기재
【변화】	임상시험계획서의 번호
【용도】	시판용(의외적 임상시험)/연구용(연구자 임상시험)
【국내/국제】	국내 개발/국외 개발
【다국/다국】	다국가임상/국내임상
【대상】	대상 질환 대상 질환명(역송준)

**임상시험 설계**

선택한 국 문헌에서 임상시험 단계에 주시기를 바랍니다.  
(단, 1) 임상시험 단계가 결정된 경우는 일 단계 선택, 2) 연쇄목적에 대한 연구자임상시험의 경우 “연구자임상시험” 선택)

【임상시험 단계】 0상/1상/2상/2a상/2b상/3상/3a상/3b상/4상/연구자임상시험  
Single/Group/Parallel/Cross-over/Factorial/Other(각각 입력)

【임상시험 형태】 Other(각각 입력)

【무작위배정 여부】 예/아니오  
중재(intervention)의 수를 숫자로만 입력하여 주시기 바랍니다.  
【중재군 수】 <예를 들어, 치료군(A)과 대조군(B) 비교를 위한 평행설계(parallel design)의 경우 중재군 수는 2군입니다.>  
【군개념】 중재군 수  
Open/Single Blind/Double Blind

**임상시험의 기간**

【시작예정일】 0000년 00월  
【종료예정일】 0000년 00월



### 3. 학술연구 목적 세포치료제 연구자임상시험 제출자료

#### 3.1. 임상시험계획서

학술연구만을 목적으로 하는 세포치료제 연구자임상시험계획 승인 신청을 하는 경우에도 다른 의약품의 임상시험 승인 신청과 동일하게 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제24조 제1항 1호에 따라 임상시험계획서를 제출하여야 하며, 임상시험계획서의 구성항목이나 심사 기준 등에서 의약품과 다르지 않다. 따라서, 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제24조제2항에 따라 임상시험의 명칭 등 “<표1. 임상시험계획서의 구성>”의 각 항목을 포함하여 각 항목에 적합한 내용으로 작성되어야 한다.

<표 1. 임상시험계획서의 구성>

1. 임상시험의 명칭 및 단계
2. 약사법 제34조의2제1항에 따른 임상시험실시기관(이하 "임상시험실시기관"이라 한다)의 명칭 및 주소
3. 임상시험의 책임자, 담당자 및 공동연구자의 성명 및 직명
4. 임상시험용 의약품등을 관리하는 약사의 성명 및 직명
5. 임상시험을 하려는 자(이하 "임상시험 의뢰자"라 한다)의 명칭 및 주소
6. 임상시험의 목적 및 배경
7. 임상시험용 의약품등의 코드명이나 주성분의 일반명, 원료약품 및 그 분량, 제형 등
8. 대상 질환
9. 시험대상자의 선정기준, 제외기준, 목표한 시험대상자의 수 및 그 근거
10. 임상시험의 기간
11. 임상시험의 방법(투여·사용량, 투여·사용 방법, 투여·사용 기간, 병용요법 등)
12. 관찰항목, 임상검사항목 및 관찰검사방법
13. 예측 부작용 및 사용상의 주의사항
14. 시험대상자의 임상시험 참여 중지·탈락 기준
15. 효과 평가기준, 평가방법 및 해석방법(통계분석방법 등)
16. 부작용을 포함한 안전성의 평가기준, 평가방법 및 보고방법

- |   |
|---|
| 17. 시험대상자 동의서 양식<br>18. 피해자 보상에 대한 규약<br>19. 임상시험 후 시험대상자의 진료 및 치료기준<br>20. 시험대상자의 안전보호에 관한 대책<br>21. 그 밖에 임상시험을 안전하게 과학적으로 실시하기 위하여 필요한 사항 |
|---|

이외에, 의약품 임상시험계획서 심사시 일반적으로 고려되는 사항은 “[바이오생약심사부 업무수행편람] MFDS/MaPP 5150.02G 임상시험 계획 심사 업무”, “[우수심사기준 표준작업지침서] GRP-SOP-2014-7 의약품 임상시험계획(변경)승인 신청자료 작성요령”, “[우수심사기준 표준작업지침서] GRP-SOP-2014-8 의약품 임상시험계획서 평가시 일반적 고려사항” 및 해외 규제기관 등의 가이드라인 등을 참고할 수 있다.

### 3.2. GMP 입증자료

학술연구만을 목적으로 하는 세포치료제 연구자임상시험계획 승인 신청을 위해서는 다른 의약품의 임상시험 승인 신청과 동일하게 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제24조 제1항 제2호에 따라 동 규칙 별표 1의 의약품 제조 및 품질관리기준과 [별표 3]의 생물학적제제등 제조 및 품질관리기준에 맞게 제조되었음을 증명하는 서류 또는 자료를 제출하여야 한다.

### 3.3. 자가기준 및 시험방법

학술연구만을 목적으로 하는 세포치료제 연구자임상시험계획 승인 신청을 위해서는 다른 의약품의 임상 승인 신청과 동일하게 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제24조 제1항 제3호에 따라 자가기준 및 시험방법을 제출하여야 한다.

임상시험용 의약품의 품질관리를 위해 제조 및 품질관리를 위한 자가기준 및 시험방법이 적절히 설정될 필요가 있고, 일반적으로 세포치료제의 기준

및 시험방법은 생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정(식약처 고시) 제30조에 따라 “<표2. 세포치료제 기준 및 시험방법>” 상의 항목을 설정한다. 세포치료제의 자세한 품질자료는 ‘임상시험용 생물의약품 품질평가 가이드라인’, ‘세포치료제 품질관리 시험항목 설정 가이드라인’ 등을 참조할 수 있다.

<표 2. 세포치료제 기준 및 시험방법> 작성항목
1. 명칭
2. 성상
3. 무균시험
4. 마이코플라스마 부정시험
5. 엔도톡신시험
6. 외래성 바이러스 부정시험
7. 총세포수
8. 세포생존율시험
9. 확인시험
10. 순도시험
11. 역가시험

### 3.4. 식약처장이 지정한 임상시험심사위원회(이하 IRB) 승인서

학술연구만을 목적의 세포치료제 연구자임상시험계획 승인 신청을 위해서는 의약품임상시험관리기준(의약품 안전에 관한 규칙) [별표4]에 부합하는 식약처장이 지정한 임상시험실시기관의 임상시험심사위원회(IRB) 승인서를 제출하여야 한다.

### 3.5. 해당분야 관련 전문가 5인 이상의 임상시험에 대한 동의서

학술연구만을 목적으로 하는 세포치료제 연구자임상시험계획 승인 신청을 위해서는 임상규정 제7조 제3항에 따라 해당분야 관련 전문가 5인 이상의 임상시험에 대한 동의서를 제출하여야 한다.

해당분야 관련 전문가는 임상시험의 안전성·유효성등과 관련하여 다각

적으로 검토될 수 있도록 선정되어야 한다. 이러한 전문분야 선정시 고려되어야 할 사항으로 첫째는, 임상시험용 의약품(세포치료제)의 특성과 관련하여 그 안전성을 충분히 검토할 수 있는 전문분야가 포함되어야 한다는 점이다. 특히 해당 세포치료제가 기존에 알려진 세포치료제 종류와 유사하지 않아(예, 배아줄기세포치료제 및 유도만능줄기세포치료제) 임상에서의 안전성 정보 등을 참고할 사례가 거의 없는 경우, 제조공정상 안전성 우려가 있는 과정 또는 물질을 사용하는 경우, 임상·비임상 등에서 위해성이 보고된 경우와 유사한 세포치료제인 경우 등은 해당 임상시험용의약품의 특성과 관련된 안전성이 면밀히 검토되어야 한다. 전문분야 선정 시 두 번째로 고려해야 할 사항은 세포치료제 임상 분야의 전문가가 포함되어야 한다는 점이다. 세포치료제 임상시험에서 용법·용량은 유사 임상사례에서 근거하는 경우가 있을 수 있어 임상에서의 인체 적용 경로, 투여량, 투여횟수·간격, 동반되는 시술 등과 관련된 안전성에 대해 유사 임상시험에 대한 경험이 있는 전문가의 검토가 요구될 수 있다. 그 다음으로는 해당 질환의 임상 전문가가 포함되어 설정된 선정·제외기준, 병용요법, 임상 평가항목, 피험자 수 등 임상계획의 타당성이 검토되어야 한다. 또한 해당 질환 임상 전문가는 임상연구의 필요성, 의의 등 해당 임상 진입에 대한 전반적인 타당성을 검토할 수 있을 것이다.

동의서를 제출하는 전문가가 적절히 구성되었다면, 그 동의서에는 각 전문분야를 기반으로 한 해당 임상시험에 대한 검토 의견이 명확하고 상세히 제시될 필요가 있다. 전문가의 검토 의견은 해당 임상시험을 좀 더 과학적이고 안전하게 계획하는 데 중요한 참고자료가 될 수 있으며, 각 전문가의 명확한 의견은 해당 임상시험 진입의 근거를 판단하는 데 기준이 된다.

또한, 구성된 전문가들은 해당 임상시험에 대한 검토를 객관적으로 수행할 수 있어야 하므로, 이해관계 확인이 필요하다.

위의 전문가 선정 및 동의서 작성 시 유의해야 할 사항을 포함하여 “전문가 동의(의견)서 양식”을 별첨으로 첨부하였다.

부록. 전문가 동의(의견)서 양식  
[표지]

전문가 동의서 제출서

“**임상시험제목**”에 대한 전문가 5인 동의서를  
첨부와 같이 제출합니다.

	소속기관	전문분야	성명	비고
1				
2				
3				
4				
5				

- 첨부 1. 전문가 동의(의견) 확인서  
2. 전문가 동의(의견)서

년            월            일

소속 :

직위 :

의뢰자 이름 :            (서명)

## 전문가 동의(의견) 확인서

본 연구자는 학술연구만을 목적으로 세포치료제를 이용하여 연구자임상 시험 (임상시험 제목) 에 대해 식품의약품안전처에 임상시험계획 승인을 신청하고자 합니다 (임상시험계획서 첨부). 일반적으로 연구자임상시험은 경우 「의약품 임상시험 계획 승인에 관한 규정」 제7조제1항에 따라 제출해야 하나, 학술연구만을 목적으로 하는 세포치료제는 제7조 제3항을 적용함으로써 안전성·유효성에 관한 자료 등 의약품 임상시험계획 승인 신청 시 제출해야 하는 자료가 해당분야 관련 전문가 5인 이상의 임상시험에 대한 동의서 제출로 갈음됩니다. 따라서 이를 위하여 첨부 양식에 따라 관련 전문적인 지식을 바탕으로 동 임상시험계획에 대한 동의(의견)서 작성을 요청 드립니다. 아울러 객관적인 평가를 위한 이해관계확인을 요청드립니다.

첨부: 1. 임상시험계획서

2. 전문가 동의(의견)서 양식(이해관계확인 포함)

년            월            일

소속 :

직위 :

연구자 이름 :            (서명)

## 전문가 동의(의견)서

임상시험 제목			
임상시험 책임자		임상시험에대한 동의여부	○ / X
임상시험 관련 이해관계 확인등	1. 해당연구의 임상시험계획서 및 임상시험 참여여부		○ / X
	2. 배우자 및 직계 가족의 관련 여부		○ / X
	3. 특허나 상표권 공동보유, 계약관계		○ / X
	4. 기타( )		○ / X
관련 전문경력 또는 전공			
검토 의견	<p>※ 임상시험용의약품의 안전성, 대상질환, 투여경로, 용법·용량, 피험자수 등 임상 진입 타당성에 대해 구체적인 검토의견을 의견을 주십시오. 여백이 부족한 경우 뒷장을 활용바랍니다.</p>		

본인은 상기 임상시험계획서를 관련분야 전문가로서 전문성과 윤리성을 가지고 검토하였으며 과학적 타당성, 연구내용의 적절성에 대해 동의합니다.

          년        월        일

소속 :

직위 :

이름 : (서명)

## 제·개정 이력

### 학술연구 목적 세포치료제 연구자임상시험 가이드라인

제 · 개정 번호	승인일자	주요내용
B1-2014-#-###	2014. 12 (예정)	학술연구 목적 세포치료제 연구자임상시험 가이드라인 제정 (예정)

DRAFT



DRAFT

## 학술연구 목적 세포치료제 연구자임상시험 가이드라인 (안)

---

발행일	2014년 12월 (예정)
발행인	바이오생약심사부장 손여원
발행위원	신원 최미라 최민정 한의리 진미령 김태균 김성민 최경숙 박송희 이정은 권오희 김동윤 장미희
발행처	식품의약품안전처 식품의약품안전평가원 바이오생약심사부 세포유전자치료제과

---

청렴·신속·투명·책임·공정·효율·협력·혁신·성장·발전·행복·세계  
청렴·신속·투명·책임·공정·효율·협력·혁신·성장·발전·행복·세계

행복한  
대한민국을 여는  
정부 3.0

DRAFT