

MFDS/MaPP : 신속심사과-03

승인일: 2021

개정일: 2025. 5. 29. (3개정)

신속심사 지정 검토서 작성기준

Guideline on Expedited Review Designation Templates

구분	소속 및 이름
작성자	신속심사과 주무관 엄소영
검토자	신속심사과 연구관 임 숙 신속심사과 과 장 박재현
승인자	식품의약품안전평가원장 강석연

지침·안내서 제·개정 점검표

명칭

신속심사 지정 검토서 작성기준(공무원 지침서)

아래에 해당하는 사항에 체크하여 주시기 바랍니다.

등록대상 여부	☐ 이미 등록된 지침서·안내서 중 동일·유사한 내용의 지침서·안내서가 있습니까?	☐ 예 ☒ 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 : _____)	
	☐ 법령(법·시행령·시행규칙) 또는 행정규칙(고시·훈령·예규)의 내용을 단순 편집 또는 나열한 것입니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☐ 단순한 사실을 대외적으로 알리는 공고의 내용입니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☐ 일회성 지시·명령에 해당하는 내용입니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☐ 외국 규정을 번역하거나 설명하는 내용입니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☐ 신규 직원 교육을 위해 법령 또는 행정규칙을 알기 쉽게 정리한 자료입니까?	☐ 예 ☒ 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	☐ 행정사무의 통일을 기하기 위하여 내부적으로 행정사무의 세부 기준이나 절차를 제시하는 것입니까? (공무원용)	☒ 예(☞지침서) ☐ 아니오
	☐ 민원인들의 이해를 돕기 위하여 법령 또는 행정규칙을 알기 쉽게 설명하거나 특정 민원업무에 대한 행정기관의 대외적인 입장을 기술하는 것입니까? (민원인용)	☐ 예(☞안내서) ☒ 아니오
기타 확인 사항	☐ 상위 법령을 일탈하여 새로운 규제를 신설·강화하거나 민원인을 구속하는 내용이 있습니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☞ 상기 질문에 '예'라고 답하신 경우 상위법령 일탈 내용을 삭제하시고 지침서·안내서 제·개정 절차를 진행하시기 바랍니다.	
상기 사항에 대하여 확인하였음. 2025년 5월 29일 담당자 확 인(부서장) 임소영 박재현		

이 지침서는 의약품의 신속심사 대상 지정 심사 시 검토서 작성에 대한 식품의약품안전평가원 관련 부서 담당 직원의 업무처리를 위한 것입니다.

본 지침서는 대외적으로 법적 효력을 가지는 것이 아니므로 본문의 기술방식(‘~하여야 한다’ 등)에도 불구하고 민원인 여러분께서 참고로만 활용하시기 바랍니다. 또한, 본 지침서는 2025년 5월 29일 현재 유효한 법규를 토대로 작성되었으므로 이후 최신 개정 법규 내용 등에 따라 달리 적용될 수 있음을 알려드립니다.

※ “공무원 지침서”란 행정사무의 통일을 기하기 위하여 내부적으로 행정사무의 세부기준이나 절차를 제시하는 것임(식품의약품안전처 지침서등의 관리에 관한 규정 제2조)

※ 본 지침서에 대해 의견이나 문의사항이 있을 경우 식품의약품안전처 식품의약품안전평가원 신속심사과로 문의하시기 바랍니다.

전화 : 043-719-5068

팩스 : 043-719-5060

<개요>

목적

이 지침서(편람)는 의약품의 신속심사 대상 지정신청 시 심사자로 하여금 신속심사 대상 지정을 위한 검토서 작성에 적정을 기하게 하기 위함이다.

다만, 희귀의약품지정과 동시 신청된 경우, 희귀의약품 지정의 타당성에 대한 내용을 포함하여 작성할 수 있다.

공개여부

공개

유효일

이 지침서(편람)는 발간일로부터 유효함

연락처

이 편람에 대하여 문의사항 및 추가의견이 있는 경우 신속심사과(전화: 043-719-5068, 이메일 : syeum10@korea.kr)로 연락바랍니다.

<목차>

1. 목적
2. 관련규정
3. 본문

1. 목적

이 지침서(편람)는 의약품의 신속심사 대상 지정신청 시 심사자로 하여금 신속심사 대상 지정을 위한 검토서 작성에 적정을 기하게 하기 위함이다.

다만, 희귀의약품지정과 동시 신청된 경우, 희귀의약품 지정의 타당성에 대한 내용을 포함하여 작성할 수 있다.

2. 관련규정

- 「약사법」 제35조의4
- 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」(총리령) 제40조의2
- 「의약품의 품목허가·신고·심사 규정」(식품의약품안전처 고시) 제58조
- 「생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정」(식품의약품안전처 고시) 제41조
- 「한약(생약)제제 등의 품목허가·신고에 관한 규정」(식품의약품안전처 고시) 제43조
- 「희귀의약품 지정에 관한 규정」(식품의약품안전처 고시) 제2조제1항제2호

3. 본문

3.1. 정의

3.1.1. 신속심사 대상 지정

신속심사과에서 「약사법」, 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 등의 관련 규정에 따른 신속(우선)심사 대상이 되는 의약품을 지정하는 것을 말한다. 신속(우선)심사 대상 지정이 필요한 경우는 다음과 같다.

<신속심사 대상 지정 필요한 경우>

- 1) 심각한 중증질환 또는 「희귀질환관리법」 제2조제1호에 따른 희귀질환을 치료하기 위한 목적으로 사용되는 의약품으로서, 대체 가능한 의약품이 없거나 대체 가능한 의약품에 비하여 안전성·유효성을 현저히 개선하였거나 개선할 것으로 예상되는 경우
- 2) 생물테러감염병 및 그 밖의 감염병 대유행(치명적인 대유행감염병의 발생을 포함한다) 등 공중보건에 심각한 위협을 끼칠 우려가 있는 감염병의 예방 또는 치료를 목적으로 하는 의약품으로서, 기존 치료법이 없거나 기존 치료법에 비해 작용 원리·기전 등이 전혀 새로운 신개념 의약품 또는 기존 치료법보다 유효성 등에서 의미 있는 개선을 보인 경우
- 3) 혁신형 제약기업이 개발한 신약에 해당하며 보건복지부장관의 지정 요청이 있는 의약품

3.1.2. 희귀의약품 지정 검토

업체에서 신속심사 대상 지정 신청한 의약품에 대하여 희귀의약품 지정을 동시에 신청한 경우, 의약품정책과의 협조요청에 따라 「희귀의약품 지정에 관한 규정」 제2조제1항제2호에 적합한 지 여부에 대해 검토하는 것을 말한다.

3.1.3. 심사자

신속심사 대상(희귀의약품 포함) 지정을 위해 「약사법」 제35조의4제2항 각 호에 해당하는 자료, 기원 및 개발경위에 관한 자료, 제조방법, 용법용량 및 효능효과에 대한 자료를 심사하는 심사자를 말하며, 심사담당자(1차 심사자, primary reviewer), 심사검토자(연구관), 부서의 장을 포함한다.

3.1.4. 신속심사 지정 검토서(이하 '검토서')

신속심사 대상 지정 심사 내용의 구성, 목차, 배치 및 순서를 표준화한 양식이다. 검토서는 신청한 품목이 신속심사 대상에 해당하는지 여부를 뒷받침하는 증거에 대한 심사자의 평가 및 결론, 제출 자료의 적절성, 신속심사 지정 근거 등의 내용을 포함한다. 검토서는 신속대상 지정 심사의 각 요소를 기록하는 데 일관성을 유도하고 정보를 신속히 조회할 수 있도록 해준다.

희귀의약품 지정이 동시 의뢰된 경우는 희귀의약품 지정요건 충족여부에 대한 검토내용을 추가한다.

3.2. 방침

- 검토서는 신속심사과내 모든 심사자가 사용한다.
- 검토서는 의약품의 신속심사 대상 신청(희귀의약품 동시 신청 포함) 시 지정 여부에 대한 심사결과를 문서화하기 위해서 사용되어야 한다.
- 필요하다면 신청사항에 따라 검토서는 변경이 가능하다.

3.3 검토서 작성에 관한 사항

3.3.1. 구성

검토서는 크게 1) 결재란이 포함된 표지부분, 2) 희귀의약품 지정 검토의견 3) 신속심사 대상 지정 검토의견 4) 신속심사 대상 지정 체크리스트 5) 신속심사 지정(신청) 결과 통지서 6) 신속심사 대상(희귀의약품 포함) 지정 검토요약으로 구성되며, 각 부분별 주요 내용은 다음과 같다.

[표1] 검토서의 구성

구 성	내 용 및 설 명
표지	- 결재란 - 신청품목에 대한 정보 - 검토결과 - 참고사항
붙임1.(희귀의약품 지정) 검토의견	- 희귀의약품지정요건 충족 여부
붙임2.(신속심사 대상 지정) 검토의견	- 신속심사 대상 지정요건 충족 여부
붙임3. 신속심사 대상 지정 체크리스트	- 대분류, 중분류, 소분류 - 신속심사대상 해당여부, 제출자료 여부 - 신속심사 대상 지정 제출 시 필요자료
붙임4. 우선심사 대상 의약품 지정서	- 업체명 - 소재지 - 제품 명칭 - 효능·효과 - 주성분 또는 구성성분
붙임5. 검토요약	- 심사자 종합 검토의견 - 신속(우선) 심사 대상(「약사법」 제35조의4제2항 각 호) 여부에 관한 자료 - 기원 또는 발견 및 개발경위에 관한 자료 - 용법용량 및 효능효과에 대한 자료 : 약리작용에 관한 자료, 임상시험성적에 관한 자료 - 기존 치료제 대비 개선 여부(해당시) - 검토의견 : 신청사항에 대한 검토 의견을 종합하여, 신속심사 대상 지정 적합 여부(동시 신청시 희귀의약품 지정 적합여부포함) 및 판단 근거, 보완인 경우 세부 사항 등을 작성함

3.3.2. 작성서식

검토서 양식은 반드시 한글 소프트웨어의 서식으로 작성한다. 표준서식은 아래의 [붙임 1]과 같다.

- 용지 : A4 (210 × 297mm), 세로방향
- 여백 : 위쪽 20mm, 아래쪽 15mm, 오른쪽 20mm, 왼쪽 20mm, 머리말 15mm, 꼬리말 15mm
- 줄 간격 : 180%
- 글꼴 : 휴먼명조(또는 굴림)
- 글자크기 : 11 폰트
- 행의 정돈 : 양쪽정렬
- 페이지 수 : 가운데 바닥3

신속(우선)심사 지정 검토서

☐ 희귀의약품 지정 동시 신청, ☐ 신속심사 지정 단독 신청

년 월 일

담당자	연구관	과 장

종류 : 신속심사지정

① 회 사 명		② 문서번호	(희귀의약품) 접수번호: 202300000000 (2023.00.00.) 의약품정책과-000호(2023.00.00) 협의회신기한: 2023.00.00 (신속심사) 접수번호: 202300000000 (2023.00.00.) 처리기한: 2023.00.00
③ 제 품 명		④ 구분	수입/제조, 전문/일반, 분류번호 (신속심사 대상 분류) ☐ 생명을 위협하거나 심각한 중증질환 ☐ 희귀질환 ☐ 공중보건 위기대응의약품 ☐ 혁신형 제약기업 개발 신약
⑤ 원료약품분량 (주성분)	단위제형 중 주성분명, 함량, 규격(가능한 경우)을 기술한다 (예, 이 약 1캡슐(000.0mg) 중 ○○○○(규격) 00.0mg)		
⑥ 성 상	신청품목의 제형을 포함하여 성상을 기술한다 (예, 경질캡슐제 / 필름코팅정 / 정맥주사제 / 동결건조주사제등)		
⑦ 신청효능·효과 (대상질환)	신청 효능효과를 기술한다 (예, 성인의 발작성 야간 혈색소뇨증(PNH)의 치료)		
⑧ 용법·용량	핵심 임상시험 등의 신청예상 용법용량을 기술한다. (예, 1일 2회, 1회 200mg 투여)		
⑨ 저장방법 및 사용기간	신청 저장방법 및 사용기간 기술한다. 제출하지 않은 경우 '미제출' (예, 기밀용기, 실온(1~30℃)보관 / 제조일로부터 36개월)		
⑩ 기원 및 개발경위	신청품목의 개발경위를 고려하여 신속심사 대상 주요 지정 사유를 기술한다. (예, 대체 보체 경로의 계열 내 최초 경구투여형 B 인자 억제제) - 주요 지정 사유: 생명을 위협하는 암 등 중대한 질환(기존 치료법 없음)		
⑪ 약리작용기전	신청품목의 약리기전을 기술한다 (예, 보체 인자 B(factor B, FB)에 결합하여 대체 경로(alternative pathway, AP)의 C3 전환효소 억제 및 C3 전환효소 억제를 통해 C5 전환효소복합체를 억제)		
⑫ 국내·외 사용현황	▶ 국내 현황 - 허가 현황: 없음 - 신청 적응증에 해당하는 국내 임상시험 계획 승인 이력: 2건		

임상 단계	임상시험 제목	승인일자	진행여부	참고
2	(승인받은 임상시험제목 그대로 기재할 것)	2023.00.00.	완료	다국가 370명, 한국 포함(50명)
3		2024.00.00.	진행중	다국가 278명, 한국 포함(20명)

- 희귀의약품 지정 여부: 지정완료(2024.00.00) / 동시신청 심사중 / 신청 예정
(완료 시, 지정 적응증 추가 기술)

연번	성분명(제형)	대상질환	희귀의약품 지정일

- (기존 치료법 대비 개선인 경우) 유사 적응증 국내 현황

제품명	업소명	허가일자	적응증

▶ 국외 현황

- 신속심사 및 허가 현황

국가	효능효과	허가일자	신속심사 등
미국			☐ 패스트트랙(FT) ☐ 혁신의약품지정(BTD) ☐ 신속심사(AA) ☐ 우선심사(PR)
유럽			☐ 예외적허가(MAEC) ☐ 프라임(PRIME) ☐ 신속심사(AA) ☐ 조건부심사(CMA)
일본			☐ 우선심사(PR) ☐ 사키가케(SAKIGAKE) ☐ 조건부 조기허가(CEA)

- (동시 신청의 경우) 희귀의약품 지정 현황

국가	효능효과	희귀의약품 지정일

- (기존 치료법 대비 개선인 경우) 유사 적응증 국외 허가 현황

	국가	제품명	업소명	허가일자	적응증	참고
						희귀의약품

⑬ 관련조항

신청 품목 관련 규정을 기술한다. 희귀의약품 지정 동시 신청 시, 해당 규정 추가 기술한다.

(예, 약사법 제35조의4
의약품 등의 안전에 관한 규칙(총리령) 제40조의2
의약품의 품목허가·신고·심사 규정(식약처 고시) 제58조
(희귀의약품 지정에 관한 규정(식약처 고시) 제2조제1항)

⑭ 검토결과

(희귀의약품)
(신속심사)

<참고사항>

- 1) 결재시 참조될 사항이 있는 경우 기재한다(예, 핵심임상시험 진행상황, 사전상담 또는 사전검토 여부, 개발단계 및 예상 허가신청시점 등).
- 2) 희귀의약품 지정 여부 등 관련 사항이 있는 경우 기재한다.
- 3) 혁신형 제약기업이 신청한 신속심사지정 신청의 경우, 보건복지부의 혁신형 제약기업 인증 확인 결과 공문을 기재한다.

1. 검토요청사항 (의약품정책과 검토의뢰)

- 신청 내용이 「희귀의약품 지정에 관한 규정」(식약처 고시) 제2조제1항제2호에 적합한지 여부

「희귀의약품 지정에 관한 규정」(식약처 고시) 제2조(지정기준)

① 희귀의약품의 지정기준은 다음 각 호에 적합하여야 한다.

1. 국내 환자수(유병인구)가 20,000명 이하인 질환에 사용되는 의약품
2. 적절한 치료방법과 의약품이 개발되지 않은 질환에 사용하거나 기존 대체의약품보다 현저히 안전성 또는 유효성이 개선된 의약품
3. <삭 제>

2. 심사자

- 품질 : OOO 주무관 (제조방법에 대한 심사가 수행된 경우에 기재한다)

붙임 1. (희귀의약품 지정) 검토의견

2. (신속심사 대상 지정) 검토의견
3. 신속심사 대상 지정 분류 체크리스트
4. 우선심사 대상 의약품 지정서
5. 검토 요약

<붙임 1> (희귀의약품 지정) 검토의견 - 제품명, 회사명

(작성 예시, 적합)

○○○○(주)에서 희귀의약품 지정 신청한 “○○○○” 건과 관련하여 신청 품목의 제출 자료가 「희귀의약품 지정에 관한 규정」 제2조제1항제2호에 적정한지 여부에 대해 검토한 결과, 아래와 같이 의견 회신합니다.

1. “적절한 치료방법과 의약품이 개발되지 않은 질환에 사용하거나 기존 대체의약품보다 현저히 안전성 또는 유효성이 개선된 의약품”에 해당하는지 여부

(기존 치료제 없는 경우)

가. 신청 대상질환인 ‘○○○○’ 목적으로 국내에 허가된 약물이 없는 바, 동 품목은 적절한 치료 방법과 의약품이 개발되지 않은 질환에 사용하는 약물에 해당되는 것으로 판단됩니다.

(기존 치료제 있는 경우)

가. ○○○○의 치료에 대해서는 ‘○○○○’ 및 ‘○○○○’가 현재 허가되어 있습니다. 신청품목은 ‘기존 대체의약품보다 현저히 안전성 또는 유효성이 개선된 의약품’에 해당하는 것으로 판단됩니다

(작성 예시, 보완)

「희귀의약품의 지정에 관한 규정」(식품의약품안전처 고시)에 근거하여 신청품목이 희귀의약품지정 대상 품목임을 확인할 수 있는 다음의 자료를 제출하여 주시기 바랍니다.

1. 동 규정 제2조제1항에 관한 자료

가. 1) 관련규정: 제2조제1항제2호

2) 보완사유: 미제출

3) 보완사항: 신청품목이 기존 대체의약품보다 현저히 안전성 또는 유효성이 개선되었음을 입증할 수 있는 자료 제출

<붙임 2> (신속심사지정) 검토의견 - 제품명, 회사명

(작성 예시, 적합인 경우)

「의약품 등의 안전에 관한 규칙」(식품의약품안전처 고시)에 따라 검토한 결과, “제품명”은 신속심사 지정기준에 적합하여 우선심사 대상으로 지정하고자 합니다.

(작성 예시, 보완인 경우)

「의약품 등의 안전에 관한 규칙」(식품의약품안전처 고시)에 근거하여 신청품목이 신속(우선)심사 대상 품목임을 확인할 수 있는 다음의 자료를 제출하여 주시기 바랍니다.

1. 동 규정 제○조제○호에 따른 신속(우선)심사 대상 지정에 적합한 자료

가. 1) 관련규정: 제○조제○호

2) 보완사유:

3) 보완사항:

<붙임 3> 신속심사 대상 지정 체크리스트

※ 기존 치료법 유무 및 신청사항에 따라 해당 항목 중복 선택 가능

지정 대상 구분			해당 여부 (O/X)	제출자료 여부 ※일부면제시 내용기술
대분류	중분류	소분류		
□ 생명을 위협하는 암 등 중대한 질환	기존 치료법 없음			해당자료 제출 ☐
	기존 치료법 대비 개선	유효성 개선		해당자료 제출 ☐
		안전성 개선		해당자료 제출 ☐
□희귀 질환	기존 치료법 없음			해당자료 제출 ☐
	기존 치료법 대비 개선	유효성 개선		해당자료 제출 ☐
		안전성 개선		해당자료 제출 ☐
□ 공중보건 위해: 생물테러 감염병 또는 감염병 대유행(유행 우려 포함) (예방□, 치료□)	기존 치료법 없음			해당자료 제출 ☐
	기존 치료법 대비 개선	유효성 개선		해당자료 제출 ☐
		안전성 개선		해당자료 제출 ☐
□ 혁신형 제약기업 개발 신약				해당자료 제출 ☐

<붙임 4> 우선심사 대상 의약품 지정서

제 호

우선심사 대상 의약품 지정서

1. 업체명:
2. 소재지:
3. 제품 명칭:
4. 효능·효과:
5. 주성분 또는 구성성분:

「약사법」 제35조의4제3항 및 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제40조의2 제4항에 따라 위와 같이 우선심사 대상 의약품으로 지정합니다.

년 월 일

식품의약품안전처장 직인

<붙임 5> 검토요약 - 제품명, 회사명을 기입한다.

- 신속심사 대상 지정 신청 분류
- 신청인이 제출한 신속심사 대상 지정 종류 중 대분류를 기재한다.
- 중분류를 기재한다(기존치료법 없음, 신개념, 또는 개선 여부)

<심사자 종합 검토의견>

- 제출자료를 검토한 결과, 회귀의약품 지정 적합 여부, 신속심사 지정 적합 여부 및 심사자의 종합적 검토의견을 기재한다. 지정 적합 여부의 판단 근거 및 보완인 경우 세부사항 등을 포함한다.

[약어 및 정의]

- 동 검토서에 사용되는 약어에 대하여 설명하며 필요시 작성한다.

1. 신속(우선) 심사 대상(약사법」 제35조의4제2항 각 호) 여부에 관한 자료

1.1. 제품 정보

- 주성분의 일반명
- 약리작용에 따른 분류(Pharmacological class)
- 신청한 효능효과 및 용법용량(가능한 경우)을 요약 기술한다.
- 기타 약물의 간단한 설명
- 원료약품 및 그 분량(가능한 경우). 안전성·유효성에 영향을 미칠 수 있는 첨가제(예, 서방성 기제, 백신의 adjuvant 등) 또는 새로운 첨가제인 경우 해당 내용을 기술한다.

1.2. 작용 기전

- 신청 의약품의 약리작용 기전을 기술한다.
- 국내 기허가 품목 중 유사한 기전으로 작용하는 제제 유무, 당해 의약품의 간단한 특징점 등을 기술한다.

1.3. 목표 적응증

- 신청 의약품의 치료, 예방, 진단의 목표가 되는 질환(목표 적응증)에 대한 일반적인 특성을 간략히 기술한다.
- 대상 적응증의 원인, 환자분포, 진단기준, 국내외 역학적 현황(기대수명, 유병률, 발생률, 치료율 등) 등에 대해 간략히 기술한다.
- 해당 질환에 대한 일반적인 치료법(국내외 진료지침 등)에 대해 간략히 기술한다.

1.4. 적용 대상 질환의 중대성

- 신청 의약품의 목표 적응증의 임상적/병태생리학적 측면을 요약한다.
- 일시적이고 일회성인 이환은 이 신속심사 대상 범위에 해당되지 않지만 이환이 오래 지속되거나 재발하는 경우는 임상적 판단에 따라 신속심사 대상이 될 수 있다. 질병 또는 상태가 중대한 지 여부는 생존, 일상적 기능 수행 또는 치료하지 않고 방치했을 때 질환의 상태가 악화될 가능성 등과 같은 인자들에 미치는 영향을 고려한다.
- 희귀질환 여부는 건강보험심사평가원 보건의료빅데이터 등의 자료에 근거한 국내 유병률 조사 결과 및 희귀질환 헬프라인(<https://helpline.kdca.go.kr>)의 희귀질환 등록여부를 참고한다.

1.5. 기존 치료법

- 신청 의약품과 동일한 목표 적응증 치료에 현재 사용되고 있는 국내외 표준치료(standard of care, SOC), 기허가 의약품 등에 대해 기술한다.
- 국내 기허가 품목 중 동 적응증의 치료제로 대체 가능한 의약품(기존 치료제)이 있는 경우, 해당 기허가 품목에 대해 간략히 기술하고, 신청 의약품이 기존 치료법 대비 개선 여부에 대한 사항은 '5. 기존 치료제 대비 개선 여부(해당시)'항에 상세 기술한다.
- 국내 기허가 품목 중 동 적응증의 치료제로 대체 가능한 의약품이 없는 경우, 신청 의약품의 미충족 의료 수요 해소 측면을 설명한다. 필요 시 신청 의약품과 유사 기전으로 작용

하는 제제나 신청 의약품이 다른 적응증으로 허가되어 있는 경우 등 관련 내용을 간략히 추가 기술할 수 있다.

1.6. 신속(우선) 심사 대상 분류에 관한 사항

- 목표 적응증, 적용대상 질환의 중대성, 기존 치료법 유무 및 신청사항에 따라, 지정 민원의 주요 신청사유를 기술한다(<붙임 3> 신속심사 대상 지정 체크리스트 참고).

(작성예시)

- 생명을 위협하는 암 등 중대한 질환 치료제(기존 치료법 없음/기존 치료법 대비 유효성 개선/기존 치료법 대비 안전성 개선)
- 희귀질환 치료제(기존 치료법 없음/기존 치료법 대비 유효성 개선/기존 치료법 대비 안전성 개선)
- 공중보건에 심각한 위해 우려 감염병의 예방 또는 치료제(기존 치료법 없음/기존 치료법 대비 유효성 개선/기존 치료법 대비 안전성 개선)
- 보건복지부장관의 지정 요청이 있는 혁신형 제약기업이 개발한 신약

2. 기원 또는 발견 및 개발경위에 관한 자료

- 신청 의약품의 품질, 비임상 및 임상적 측면에 대한 전체적인 개발 상태에 대한 정보를 간략하게 기술한다. 지정 신청 민원을 뒷받침하는 비임상 및 임상시험의 상세 내용은 '4. 용법 용량 및 효능효과에 대한 자료'에 기술한다.
- 신청 의약품이 타당하고 합리적인지 판단하는데 도움을 줄 수 있도록 육하원칙에 따라 명료하게 기술한다(예 : 언제, 어디서, 누가, 무엇으로부터 추출, 분리 또는 합성하였고 발견의 근원이 된 것은 무엇이며, 기초시험·임상시험 등에 들어간 것은 언제, 어디서였는지 등).
- 가능한 경우 신청 의약품의 국내외 품목허가 신청 예상시점 등을 기술한다. 국내 허가신청 계획의 경우, 진행하고자 하는 허가 형태(신약, 희귀의약품, 조건부 허가 등)에 따라 실시 중이거나 계획중인 핵심 임상시험의 타당성에 대해 기술한다.
- 국내 임상시험계획 승인 이력이 있는 경우 표로 간략히 정리하여 계획서 번호, 진행상황 등을 기술한다.
- 국내외 허가현황에 관한 것으로서 해당국, 업체명, 허가일자 등을 기술한다.
- 국외 신속심사 프로그램에 참여한 경우 추가 기술한다.
- 희귀의약품 지정 동시 신청 품목의 경우, 국내외 희귀의약품 지정 현황에 대해 추가 기술한다.
- 신청 의약품의 개발 시 사전상담 또는 사전검토 이력이 있는 경우 검토요청사항과 이들 결과에 관한 사항을 기술한다.

3. 제조방법

- 제형, 함량, 제조원(가능한 경우) 정보를 기술한다. 임상 개발 중에 사용된 함량과 신청하고자 하는 함량이 상이한 경우 해당 내용을 기술한다.
- 신청 의약품의 개발과 관련하여 제제의 특성상 항체와 약물을 결합하는 이중항체(ADC) 등

특별한 제조방법을 설정하였거나, 방출조절제 등 특별한 제제기능을 갖는 경우, 해당 제형의 특성, 원료약품 및 그 분량의 설정 이유 등을 기술한다.

4. 용법용량 및 효능효과에 대한 자료

1) 약리작용에 관한 자료

- 약리작용 또는 효력시험에 관한 자료를 간략히 기재한다.

2) 임상시험성적에 관한 자료

- 신청 적응증에 대한 안전성·유효성을 평가한 핵심 임상시험(2상 및/또는 3상) 일람표와 함께 전반적 개요를 작성한다.
- 신청 적응증이 2개 이상인 경우 구분하여 기재한다.
- 무작위배정, 눈가림, 대조약의 선택, 환자군 선택, 교차시험 등의 디자인 특성, run-in 기간, 시험평가변수, 시험기간, 사전에 계획한 분석방법 등 시험디자인의 중요한 특징을 기재한다.
- 검토방법과 관련된 사항은 “의약품 안전성·유효성 심사자료 평가시 일반적 고려사항”을 참조한다.

(작성예시)

- 안전성·유효성 임상시험 일람표

단계	임상시험 (번호/ 저널명)	디자인	대상환자	투여용량	투여 기간	기본요법	평가항목	결과
2상		PD 위약대조 이중맹검	만 성 요 통 환 자 51명 *급성악화(35 명)	S정 ²⁾ OOmg/일(BID) 19명 위약 16명 아세틸시스테인	4주	보조약제: 트라마돌만 허용(rescue medication)	약력학 *platelet aggregation	S의 OOmg/일, 4주 투여 시 혈 소 판 응 집 영 향 없음. 출혈시간 을 연장시키지 않음.
§ Efficacy : 통증완화								
3상		위약대조 이중맹검 무작위 평행군	18~75세 만 성 요 통 환 자에서의 급 성악화 210명	S정 ²⁾ OO0mg/일(BID) 70명 OOmg/일(BID) 70명 위약 70명	4주	보조약제: OO만 허용(rescue medication)	*Pain-free 환자수 *OO 치료환자수 *Arhus Pain Index	위약에 비해 통 증을 경감시켜 줌
§ Efficacy : 골관절염								
2상		위약대조 이중맹검	남자>18세 여자>50세 hip or knee 골관절염 환자 78명	S정 ¹⁾ OOmg/일(BID) 39명 위약 39명	2주	병용금지: 다른진통제, NSAIDs, systemic corticosteroid	WOMAC VAS 등	

1)1정 중 ○○○ extract OO mg (총△△으로서 OOm, 8%)
 2)1정 중 ○○○ (8-14:1) OO mg (총△△으로서 OOm, 7.5%)

- 신청 적응증의 유효성을 나타내는 환자집단의 인구통계학적인 특성과 기초적인 특성을 설명한다. 이전 치료 경험이 있는 환자를 선정하여 실시한 임상시험인 경우 이전 치료의 종류(투여약물 등)와 치료기간, 이전 치료 약물별 비율(%)에 대하여 확인하고 요약 기술한다.
- 시험결과 비교는 일차평가변수를 중심으로 기재한다. 그러나 유효성 시험마다 일차평가 변수가 다른 변수 또는 시점에 차이가 있을 경우에는 전체 시험을 통해 얻은 중요한 데이터를 비교하는 것이 유용하다.
- 소아에 대한 적응증이 있는 경우 소아에서의 유효성에 대해 반드시 기재해야 한다.
- 본 항에서는 개개의 임상시험결과보고서 및 다른 관련 보고서의 결과를 정리해 대상이 되는 환자집단에서 신청 의약품의 안전성에 관한 데이터를 요약하여 기술한다.
- 유효성 결과에 대한 요약 및 결론
 - 의약품의 유효성의 특징을 나타내는 모든 데이터를 요약한다. 이 요약에는 최종적인 결론에 관계없이 모든 데이터의 해석 결과를 포함시키며, 관련된 시험이 서로 어느 정도 결론을 확립하는데 유용한 가를 고찰해야 한다.
 - 유효성에 관한 데이터 간에 중대한 모순이 있으면 이를 기재하며 추가 검토를 필요로 하는 것을 분명하게 기재한다.
 - 약물의 유효성을 평가하기 위한 시험결과에는 결론이 명확하지 않거나 부정적 결과를 가진 시험도 포함하여 요약하고 비교한다. 결과변수, 대조군, 시험기간, 통계방법, 환자집단, 투여량과 같은 시험계획의 차이가 있는 경우 이를 명시한다.
- 안전성 결과에 대한 요약 및 결론
 - 안전성 자료의 기재는 다음을 고려한다.
 - 노출정도(용량, 기간, 환자수, 환자유형)를 고려하여 안전성자료를 평가한다.
 - 비교적 흔하게 발생하는 이상반응과 임상실험실적 검사치 변화를 확인, 분류하여 그것들의 발현에 관해 요약한다.
 - 중대한 이상반응과 기타 의미있는 이상반응을 확인하고, 이런 증상 발현에 대해 요약한다. 특히 장기간 사용하는 의약품에 대해 시간에 따른 발현빈도 변화 및 새로운 이상반응 발생 여부를 검토한다.
 - 임상적 안전성 자료를 통해 얻어진 신청 의약품의 안전성 결과는 표와 그림으로 자세하고 명확하며 객관적인 방법으로 설명한다.

5. 기존 치료제 대비 개선 여부(해당시)

- 신청품목의 임상시험성적에 관한 자료를 바탕으로 신청 의약품이 대체 가능한 의약품(기존 치료제)보다 유효성 또는 안전성 측면에서 임상적 의미있는 개선을 확인할 수 있는 지에 대해 기술하며, 적용 대상 질환의 중대성을 고려하여 기존 치료제 대비 개선 여부를 다음의 기준을 참고하여 기술한다.

※ 기존의 치료법 보다 유효성 등에서 의미있는 개선을 보이는 경우로 고려될 수 있는 경우(예시)

- 해당 질환에 기존치료법에서 확인되지 않은 의미있는 치료적 효과를 나타내는 경우
- 기존 치료법과 비교하여 질환으로 인한 상태 개선 효과를 나타내는 경우
- 기존 치료법에 내약성이 없거나 치료에 실패한 환자에서 질환으로 인한 중대한 상태에 효과가 있는 경우
- 기존 치료법과 병용 불가능한 다른 주요 약물과 효과적으로 함께 사용할 수 있는 경우
- 기존 치료법과 유효성이 유사하면서, (1)기존 치료법 사용 시 발생하는 중대한 독성이 없거나, (2)치료의 영구중단을 초래하는 덜 심각하나 흔하게 나타나는 독성을 억제하거나, 또는 (3)유해한 약물 상호작용의 가능성이 더 낮은 경우
- 기존 치료법과 안전성 및 유효성이 유사하면서, 치료적 이점이 있어 결과적으로 중대한 상태가 개선될 것으로 예상되는 경우

6. 검토의견

- 제출된 사항에 대해 전반적으로 고찰하고 주요 사항에 대해 기술한다.
- 신청 자료의 종합적 검토 결과 희귀의약품 지정 및 신속심사 대상 지정 적합 여부 또는 부적합에 대한 판단 근거를 기술한다.
- 검토 결과 보완이 필요한 경우 보완이 필요한 사유를 포함하여 해당 내용을 기술한다.

개정 이력

연번	연도	편람코드	개정번호	편람명	작성자
1	2021	지침서-0997-01	제정	신속심사지정검토서 작성기준	유선애
2	2023	지침서-0997-02	1	신속심사지정검토서 작성기준	손상현
3	2023	지침서-0997-03	2	신속심사지정검토서 작성기준	신효숙
4	2025	지침서-0997-04	3	신속심사지정검토서 작성기준	엄소영