

# 임상시험용의약품의 치료목적사용에 있어 환자로부터의 동의 획득 기준: 임상시험용의약품의 응급사용 및 임상시험과의 비교를 중심으로

김은애\*

## 요약

원칙적으로 임상시험용의약품은 안전성과 유효성을 확인하기 위한 임상시험에만 사용될 수 있다. 그럼에도 불구하고, 생명을 위협하는 중대한 질환을 가지고 있으나 이의 치료를 위해 더 이상 사용할 수 있는 다른 방법이 없는 환자 또는 중대한 질환이 생명을 위협하고 있어 매우 위태로운 상황에 있는 환자에게는 인도적 차원에서 예외적으로 임상시험용의약품의 사용이 허용될 수 있다. 전자에 해당하는 치료목적사용은 환자의 치료를 목적으로 하기에 후자에 해당하는 응급사용과 목적이 같지만, 그 목적이 치료에 있으므로 비록 임상시험용의약품을 사용하지만 연구를 목적으로 하는 임상시험과는 엄연히 다르다. 이러한 치료목적사용을 위해 환자로부터 동의를 획득하는 일은 임상시험이나 응급사용을 위해 임상시험대상자나 환자로부터 동의를 획득하는 일과 마찬가지로 매우 중요하다. 그런데, 임상시험이나 응급사용에 있어 동의 획득의 방법이나 내용과 관련해서는 법에 기준이 구체적으로 정해져 있는 반면, 치료목적사용에 있어서는 임상시험의 경우에 준하여야 한다는 정도로만 되어 있다. 그리고, 식품의약품안전처가 치료목적사용과 응급사용 관련 가이드라인을 마련하여 발표하였지만, 이에도 동의 획득의 방법이나 내용과 관련한 구체적인 기준은 포함되어 있지 않다. 이에 이 논문에서는 치료목적사용을 임상시험이나 응급사용과 비교하여 그 공통점과 차이점을 확인하고, 임상시험과 응급사용을 위한 동의 획득의 방법이나 내용과 관련한 법적 기준을 살펴봄으로써, 치료목적사용에 있어 환자로부터의 동의 획득 기준을 제시해보고자 하였다.

## 색인어

치료목적사용, 동의, 임상시험용의약품, 응급사용, 임상시험

## I. 들어가며

의약품은 사람의 질병을 진단·치료·경감·치지 또는 예방할 목적으로 사용하거나 사람의 구조와 기능에 약리학적 영향을 줄 목적으로 사용하는 물품을 말하는 것으로 법적으로 정의되어 있다.<sup>1)</sup> 그러므로 이러한 의약품은 사람이 사용하는 것이기에 그 건강이나 생명에 영향을 줄 수 있는 만큼 기본적으로 안전하여야 할 것이고, 특히나 질병과 관계되어 사용되는 것이기에 유효하기도 하여야 할 것이다. 이에 식품의약품안전처(이하 ‘식약처’라 한다)로부터 의약품으로 시판 허가를 받기 위해서는 그 안전성과 유효성이 반드시 증명되어야만 하는데, 이러한 증명은 시판 허가를 받고자 하는 의약품의 약동·약력·약리·임상적 효과를 확인하고 이상반응을 조사하기 위하여 건강한 사람이나 환자를 대상으로 하여 실시되는 “연구”라고 할 수 있는 “임상시험(clinical trial)”을 통해 이루어진다.<sup>2)</sup> 의약품으로 시판될 수 있도록 “개발 중인 의약품”으로서 이러한 임상시험 단계에서 사용되는 것을 “임상시험용 의약품(investigational product/investigational new drug/pre-approval drug)”이라고 한다.<sup>3)</sup> 즉, 임상시험이 완료되어 시판 허가를 받은 의약품과 비교할 때 이러한 임상시험용 의약품은 아직 그 안전성과 유효성이 명확히 확인되지 않은 상태의 것이다. 그러므로 임상시험을 위하여 제조되거나 제조되어 수입된 의약품인 임상시험용 의약품은 해당 임상시험에만 사용되어야 하고 다른 용도에

사용되어서는 안 되는 것으로 법에 명확히 규정되어 있다.<sup>4)</sup>

그러나 질병을 가진 환자들 중에는 말기암 또는 후천성면역결핍증 등 생명을 위협하는 중대한 질환을 가진 환자, 심각하거나 긴박하게 생명을 위협받고 있는 상황에 있는 응급환자, 그리고 치료시기를 놓치면 치료효과를 기대하기 어려운 상황임에도 불구하고 대체치료수단이 없는 응급환자도 있다. 이러한 환자들은 질병으로 인해 생사의 갈림길에 놓여 있으므로 임상시험용 의약품에 대한 임상시험이 완료되어 그 안전성과 유효성이 입증된 후 이것이 의약품으로 시판되기까지의 상당한 시간 동안 기다리기가 어려운 상황이다. 그러므로 비록 임상시험 중에 있어 아직 안전성과 유효성이 증명되지 않은 임상시험용 의약품이라 하더라도 이의 사용은 이러한 환자들에게 자신의 질병에 대한 치료 가능성을 확인해볼 수 있는 기회가 될 수 있다는 것만으로도 의의가 있을 수 있다. 이에, 임상시험용 의약품은 해당 임상시험에만 사용되어야 한다는 원칙에도 불구하고 이렇듯 매우 어려운 처지에 있는 환자들에게 예외적으로 사용될 수 있도록 허용되기도 한다. 이를 소위 “동정적 사용(同情的 사용, Compassionate Use)” 또는 “동정적 사용 프로그램(Expanded Access Program)”이라고 한다.

실제로 우리나라에서 동정적 사용이 어느 정도 이루어지고 있는지를 정확하게 알 수 있는 데 이터가 포함되어 있는 자료를 찾아낼 수는 없었다. 그러나, 관련 논문과 기사를 통해 확인한 바

1) 「약사법」 제2조 제4호 나목 참고.

2) 「약사법」 제2조 제15호, 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 별표4 <의약품 임상시험 관리기준> 2호 가목 참고.

3) 임상시험용 의약품에는 시험약과 대조약이 있는데, 이 중 시험약은 대조약을 제외한 의약품을 말하는 것으로 정의되어 있고, 대조약은 시험약과 비교할 목적으로 사용하는 위약(偽藥, 소위 ‘가짜약’) 또는 개발 중이거나 시판 중인 의약품을 말하는 것으로 정의되어 있다. 이에 대해서는 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 별표4 <의약품 임상시험 관리기준> 2호 자-카목 참고. 그런데 이 글은 동정적 사용에 관한 것이고, 동정적 사용은 의약품으로 시판 허가를 받기 전 상태인 임상시험용 의약품을 사용하는 것을 말한다. 그러므로 법적으로 임상시험용 의약품에는 위약과 시판 중인 의약품이 포함되는 것으로 규정되어 있지만, 이 글에서 말하는 임상시험용 의약품은 “의약품으로 시판 허가를 받기 전 상태인 임상시험용 의약품”만을 말한다.

4) 「약사법」 제34조 제4항 참고.

에 의하면 우리나라에서 동정적 사용의 최초 사례는 2001년도에 비소세포폐암치료제가 없는 상황에서 제3상 임상시험 단계에 있던 ‘이레사’라는 임상시험용의약품을 해당 개발사인 아스트라제네카(Astrazeneca)사가 폐암 말기인 환자가 사용할 수 있도록 한 것이고, 그 밖에도 이후에 만성 골수성백혈병 환자에 대해 노바티스(Novartis)사가 개발 중인 ‘글리벡’이, 2003년에 만성B형간염 환자에 대해 글락소스미스클라인(GlaxoSmith-Kline)사가 개발 중인 ‘헵세라’가, 그리고 2007년에 유방암 환자에 대해 글락소스미스클라인사가 개발 중인 ‘라파티닙’과, 글리벡 치료에 내성 및 불내약성을 보이는 백혈병 환자에 대해 노바티스사가 개발한 ‘닐로티닙’과, 후천성면역결핍증(AIDS)을 일으키는 인체면역결핍바이러스(HIV) 치료제로 화이자(Pfizer)사가 개발한 ‘미라비루’이 사용되도록 허용된 경우 등이 있었다고 한다 [1,2].<sup>5)</sup> 참고로, 세계적으로도 동정적 사용이 이루어지고 있는데, 예를 들면 2014년에 화이자사가 개발 중인 ‘팔보시클립’이 미국에서 진행성유방암 환자에게 사용될 수 있도록 허용되었고,<sup>6)</sup> 같은 해에 테크미라 파마슈티컬스(Tekmira Phar-

maceuticals)사가 에볼라 치료용 신약후보물질로서 의약품으로의 개발 단계에 있는 ‘TKM-에볼라(TKM-Ebola)’도 미국과 유럽에서 임상시험에 참가할 수 없는 중환자인 에볼라 환자에게 사용될 수 있도록 허용되었다.<sup>7)</sup> 특히, 미국식품의약국(USFDA)은 2015년 2월에 동정적 사용에 대한 신청을 보다 간편하게 할 수 있도록 하여 승인을 받기까지의 기간을 단축하기 위한 제도를 마련하기 위해 관련 법령을 마련하기로 했다[2].<sup>8)</sup>

우리나라에서 식약처장이 승인하는 경우에는 임상시험용의약품이 예외적으로 이러한 환자들의 질병 치료를 목적으로 사용될 수 있도록 하는, 즉 동정적 사용을 허용하는 법적 근거는 2011년에 「약사법」에 마련되어 2012년부터 시행되고 있다.<sup>9)</sup> 그리고 지난 2015년 12월에 식약처는 동정적 사용과 관련하여 <응급환자 등 치료를 위한 임상시험용의약품의 안전 사용 가이드라인(이하 ‘가이드라인’)>을 마련하여 발표하였다.<sup>10)</sup>

이러한 동정적 사용은 환자의 질병 상태를 고려할 때 절실한 필요가 있다고 판단되어 치료를 목적으로 임상시험용의약품을 예외적으로 사용하는 것이지만, 그만큼 환자의 상태가 좋지 않

5) 강한철, “약사법상 의약품 동정적 사용제도”, 『한국의료법학회지』 제21권 제1호, 한국의료법학회, 2013, 10면; 최현태, “의약품 ‘동정적 사용 프로그램(Expanded Access Program)’의 민사법적 고찰”, 『법학연구』 제23권 제4호, 경상대학교 법학연구소, 2015, 381-382면; 의약뉴스, 2014년 9월 24일 기사 “FDA, 테크미라 에볼라 치료제 동정적 사용 ‘허가’”, <http://www.newsmpp.com/news/articleView.html?idxno=125483> 2016년 2월 17일 검색; 뉴스와이어, 2007년 2월 12일 기사 “GSK 유방암 치료제, 동정적 사용승인 프로그램 진행”, <http://media.daum.net/press/newsview?newsid=20070212104517631> 2016년 2월 17일 검색; 의학신문, 2007년 2월 13일 기사 “노바티스 ‘닐로티닙’ ENACT 진행 - 골수성백혈병 환자 치료 기회 확대 제공”, [http://www.bosa.co.kr/umap/sub.asp?news\\_pk=95216](http://www.bosa.co.kr/umap/sub.asp?news_pk=95216) 2016년 2월 17일 검색, 머니투데이, 2007년 2월 15일 기사, “동정적 사용 프로그램이라고?”, <http://news.mt.co.kr/newsPrint.html?no=2007021511511606252&type=1&gubn=undefined> 2016년 2월 17일 검색 참고.

6) 약업뉴스, 2014년 10월 14일 기사 “FDA, 화이자 유방암 신약 팔보시클립 신속심사, 내년 4월까지 허가 여부 최종결론 도출 기대 할 만”, <http://www.yakup.com/news/index.html?nid=178390&mode=view> 2016년 2월 17일 검색 참고.

7) 약업뉴스, 2014년 9월 23일 기사 “에볼라 신약후보물질 美·加서 동정적 사용 승인, ‘TKM-에볼라’ 더 많은 환자들에 투여 가능 해져”, <http://www.yakup.com/news/index.html?mode=view&cat=all&nid=177812> 2016년 2월 17일 검색 참고.

8) 최현태, “의약품 ‘동정적 사용 프로그램(Expanded Access Program)’의 민사법적 고찰”, 『법학연구』 제23권 제4호, 경상대학교 법학연구소, 2015, 379면; 쿠키뉴스, 2015년 2월 6일 기사 “美 FDA, 실험약물 ‘동정적 사용’ 간소화”, <http://news.kukinews.com/article/view.asp?arcid=0009117754&code=46111801&cp=du> 2016년 2월 17일 검색 참고.

9) 법률 제10788호, 2011년 6월 7일, 일부개정, 2012년 6월 8일 시행.

10) 가이드라인 관리번호 B1-2015-2-082. 참고로, 식약처 예규인 「식품의약품안전처 지침등의 관리에 관한 규정」 제2조 제항 2호에 규정되어 있는 바에 의하면 “가이드라인”은 “대내외적으로 특정한 사안 등에 대하여 식품의약품안전처의 입장을 기술하는 것”을 말한다. 이에 식약처는 이 가이드라인 역시 임상시험용의약품을 예외적으로 환자들에게 사용하는 일과 관련하여 단순히 식약처의 입장을 기술한 것이기에 대외적으로 법적 효력을 가지는 것은 아니라는 점을 밝히고 있다.

은 상태에서 말 그대로 아직은 임상시험 단계에 있기에 그 안전성과 유효성이 명확하게 확인되지 않은 것을 사용하게 된다는 점 때문에 윤리적인 측면에서나 법적인 측면에서 여러 가지 논란이 있다. 예를 들면, 동정적 사용이 가능한 임상시험용의약품의 범주의 문제, 임상시험용의약품을 사용할 대상자 선정 기준의 문제, 위험-이익 평가 및 추적관찰을 포함한 안전성 관리의 문제, 이상 반응 발생 시 책임의 문제, 관련 비용 부담의 문제 등이 바로 그것이다. 그렇기 때문에 동정적 사용에 있어 식약처의 승인을 받는 일만큼이나 중요한 것은 그 당사자인 환자에게 동정적 사용에 대한 동의를 획득하는 일이라고 할 수 있다. 이에 이러한 동의 획득은 동정적 사용에 있어 반드시 갖추어야 할 법적인 조건으로 규정되어 있다.<sup>11)</sup>

그러나 그럼에도 불구하고 동정적 사용에 있어 환자로부터 동의를 획득하는 일과 관련하여 그 기준 중 일부(응급사용의 경우 동의 획득 시 동의서에 포함되어야 하는 사항)가 관련 법에 제시되어 있기는 하지만, 이를 제외하고는 임상시험의 경우에 준하여야 한다는 것 외에 구체적인 기준이 관련 법에 제시되어 있지 않다. 또한 식약처가 마련하여 발표한 가이드라인에도 동정적 사용에 있어 환자로부터의 동의 획득은 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 별표4 <의약품 임상시험 관리 기준(Korea Good Clinical Practice)>에 정해져 있는 바에 준하여야 한다는 점 외에 세부적인 설명이 제시되어 있지 않다.

물론 임상시험에 있어 시험대상자로부터 동의를 획득하는 일과 관련한 기준이 관련 법과 <의약품 임상시험 관리기준>에 매우 자세하게 명시

되어 있기는 하다. 그렇지만, 임상시험과 동정적 사용은 그 목적에서부터 “연구”와 “치료”로 차이가 있다는 점을 감안하면, 동정적 사용을 위해 환자로부터 동의를 획득함에 있어 임상시험에서의 기준을 그대로 따르도록 하는 것은 적절하지 않을 수밖에 없다. 더 나아가 동정적 사용에 있어서도 치료목적사용과 응급사용에도 차이가 있기에 치료목적사용을 위해 환자로부터 동의를 획득함에 있어 응급사용에서의 기준을 그대로 따르도록 하는 것 역시 적절하지 않을 수 있다. 특히, 응급 사용은 식약처장의 승인만을 획득하면 되지만, 치료목적사용은 식약처장의 승인 외에도 임상시험실시기관 임상시험심사위원회(Institutional Review Board, 이하 ‘IRB’라 한다)의 승인을 획득하는 일이 법적으로 요구된다. 그러므로, 치료목적사용을 위한 동의 획득 준비가 적절하게 되어 있는지를 IRB가 제대로 심사할 수 있도록 하기 위해서는 응급시험이나 임상시험과 비교할 때 치료목적사용이 어떠한 차이점을 가지고 있는지를 반영하여 동의 획득과 관련한 법적 기준이 별도로 제시될 실질적인 필요성이 있다.

이에 이 글에서는 치료목적사용이 응급사용이나 임상시험과 비교할 때 어떠한 공통점과 차이점이 있는지에 대해 살펴보고, 응급사용을 위해 환자로부터 동의를 획득하는 일과 임상시험을 위해 시험대상자로부터 동의를 획득하는 일에 있어 그 방법과 내용에 관한 법적 기준이 어떻게 마련되어 있는지를 분석해보고자 한다. 이를 통해 치료목적사용을 위해 환자로부터 동의를 획득하는 일에 있어 그 방법과 내용에 관한 법적 기준이 향후 어떻게 마련되어야 할 것인지에 대해 제언하

11) 「약사법」 제34조 제4항에 규정된 바에 의하면 임상시험용의약품을 환자의 치료를 위해 사용할 수 있는 것으로 식약처장의 승인을 받은 경우 동법 동조 제3항 제3호(임상시험등의 내용, 임상시험등을 하는 동안 그 대상자의 건강에 발생할 수 있는 피해에 대한 보상 내용과 절차 등을 임상시험등의 대상자에게 설명하고 동의를 받을 것)를 준용한다는 내용이 있다. 그리고 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조 제5항에 규정된 바에 의하면 임상시험용의약품의 치료목적사용의 경우 이를 사용할 환자의 동의를 받아야 하고, 동 규칙 제29조 제2항에 규정된 바에 의하면 임상시험용의약품의 응급사용의 경우 사용 승인 신청 시 신청서에 첨부하여 제출하여야 하는 서류 중에 해당 환자의 동의서가 포함되어 있다.

고자 한다.

## II. 임상시험용의약품의 치료목적사용 개관: 임상시험용의약품의 응급사용 및 임상시험과의 비교를 중심으로

### 1. 치료목적사용의 개념 및 의의

임상시험용의약품의 동정적 사용이 가능하기 위한 기본적인 조건은 환자가 말기암 또는 후천성면역결핍증 등 생명을 위협하는 중대한 질환을 가진 환자인 경우로 법에 정해져 있다.<sup>12)</sup> 이에 이러한 동정적 사용을 “품목 허가 전 임상시험용의약품의 치료목적사용(이하 ‘치료목적사용’이라 한다)”이라 한다.<sup>13)</sup> 이러한 치료목적사용은 중대한 질환이 생명을 위협하고 있는 상황에 처해 있는 환자에게 비록 임상시험용의약품이기는 하지만 이를 인도적 차원에서 사용할 수 있도록 해줌으로써 치료 기회를 제공해준다는 데에 의의가 있다. 물론 치료목적사용이 허용되는 임상시험용의약품의 경우 사실상 곧 시판될 수 있는 상황에 있는 것이기에 시판 후에는 해당 질환에 대해 제약 없이 사용할 수 있기는 할 것이다. 하지만, 질환으로 인해 생명을 위협받고 있는 환자의 상태를 고려할 때 의약품으로의 시판을 기다리기에는

상당한 부담이 있을 수 있다. 그리고 이러한 임상시험용의약품의 경우 해당 적응증에 대한 임상적 효과가 관찰된 경우에만 치료목적사용의 수단이 될 수 있으므로, 비록 시판 허가 전이기는 하지만 이를 사용할 수 있다면 환자의 질환을 치료하는데 분명 도움이 될 수 있을 것이다. 그러므로 이러한 환자를 위해 치료목적사용이라는 예외적인 조치가 가능하도록 하는 것 역시 현실적으로 매우 필요하고 의미 있는 제도라고 할 수 있다.

임상시험용의약품의 동정적 사용이 가능하기 위한 또 다른 기본적인 조건은 환자가 심각하거나 긴박하게 생명을 위협받고 있는 상황에 있는 응급환자이거나 또는 치료시기를 놓치면 치료효과를 기대하기 어려운 상황임에도 불구하고 대체치료수단이 없는 응급환자<sup>14)</sup>인 경우로 법에 정해져 있다.<sup>15)</sup> 이에 이러한 동정적 사용은 “응급상황에서의 임상시험용의약품 사용(이하 ‘응급사용’이라 한다)”이라 한다.<sup>16)</sup> 이러한 응급사용은 중대한 질환이 생명을 위협하고 있어 매우 위태로운 상황에 있거나 또는 질병 치료를 위해 사용할 수 있는 표준치료방법이 더 이상 없어 사실상 치료를 포기할 수밖에 없는 상황에 이른 응급환자에게 비록 임상시험용의약품이기는 하지만 이를 인도적 차원에서 사용할 수 있도록 해줌으로써 치료 기회를 제공해준다는 데에 의의가 있

12) 「약사법」 제34조 제4항 1호 및 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조 참고.

13) 식품의약품안전처 Online 의약품사전 임상시험 관련 용어 코너 검색 용어, 생명을 위협하는 중대한 질환 등을 가진 환자를 치료하기 위하여 임상시험용의약품 또는 시판허가 되지 않은 의약품을 동정적으로 사용할 수 있도록 하는 것.

14) 「응급의료에 관한 법률」에 규정된 바에 의하면 “응급환자”란 “질병, 분만, 각종 사고 및 재해로 인한 부상이나 그 밖의 위급한 상태로 인하여 즉시 필요한 응급처치를 받지 아니하면 생명을 보존할 수 없거나 심신에 중대한 위해(危害)가 발생할 가능성이 있는 환자 또는 이에 준하는 사람으로서 보건복지부령으로 정하는 사람”을 말한다(제2조 1호), 그리고 여기에서 말하는 “보건복지부령으로 정하는 사람”이란 “응급증상(급성의식장애를 비롯한 신경학적 응급증상 등) 및 이에 준하는 증상(의식장애를 비롯한 신경학적 응급증상 등)이 있는 자” 또는 “이러한 증상으로 진행될 가능성이 있다고 응급의료종사자가 판단하는 증상이 있는 자”를 말한다(동법 시행규칙 제2조 1-2호), 그러나 응급사용으로서의 동정적 사용은 임상시험용의약품의 사용이 사실상 최후 수단일 수밖에 없는 응급환자를 위한 것이다. 그러므로 법적으로 응급환자에는 다양한 응급 상황에 있는 환자가 포함되는 것으로 규정되어 있지만, 이 글에서 말하는 응급환자는 “의약품으로 시판 허가를 받기 전 상태인 임상시험용의약품 외에 다른 치료 수단이 없는 응급환자”만을 말한다.

15) 「약사법」 제34조 제4항 2호 및 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제29조 참고.

16) 식품의약품안전처 Online 의약품사전 임상시험 관련 용어 코너 검색 용어, 임상시험계획 승인 전에 응급 시 임상시험용의약품을 사용할 수 있도록 하는 것.

다. 물론 이러한 응급환자 역시 해당 임상시험용 의약품을 사용하는 임상시험에 시험대상자로 참여하는 방법을 통해 해당 임상시험용의약품을 사용할 수 있을 것이다. 하지만, 이러한 임상시험의 경우 비교적 단기간 내에 시험대상자 등록이 완료되는 편이고, 임상시험의 목적에 맞게 시험대상자 선정기준(포함기준 및 제외기준)이 정해져 있어 이에 맞지 않는다면 시험대상자가 될 수 없다[3].<sup>17)</sup> 그렇기 때문에 이러한 응급환자의 경우 사실상 이러한 임상시험에 참여하여 치료 기회를 갖는 것에 한계가 있을 수 있고, 이러한 한계점에 대해서는 식약처도 가이드라인을 통해 설명하며 인정하고 있다[3].<sup>18)</sup> 이에 응급환자를 위해 응급 사용이라는 예외적인 조치가 가능하도록 하는 것은 현실적으로 매우 필요하고 의미 있는 제도라고 할 수 있다.

이렇듯 치료목적사용과 응급사용은 아직 우리나라에서 “의약품으로 시판이 허가되지 않은, 연구 단계에 있는 임상시험용의약품”을, “이의 사용을 사실상 최후 수단으로 볼 수밖에 없는 심각한 절박한 위기 상황에 있는 환자”의 “질병 치료”를 위해 “인도적인 차원에서 예외적으로 허용”되어 사용한다는 점에서 공통적이다. 그러나 임상시험은 의약품으로의 시판 허가를 받기 위해 임상시험용의약품 상태의 것을 가지고 그 효과를 확인하고 이상반응을 조사하기 위하여 건강

한 사람이나 환자를 대상으로 하여 실시되는 연구이므로, 비록 임상시험용의약품을 사용한다는 점에 있어서는 치료목적사용 및 응급사용과 같지만, 치료목적사용과 응급사용이 “환자만을 대상으로 하여 질병 치료”를 목적으로 이루어지는 일임에 반해, 임상시험은 환자 이외에 건강한 사람도 대상으로 할 뿐만 아니라 실질적으로는 환자에 대한 치료 효과도 기대하기는 하지만 그 본연의 목적은 “임상시험용의약품의 안전성과 유효성을 증명하기 위한 연구”에 있다는 점에서 근본적인 차이가 있다[4].<sup>19)</sup>

## 2. 치료목적사용이 허용되는 임상시험용의약품의 범주 및 조건

치료목적사용이 가능한 임상시험용의약품의 범주는 중대한 질환에 대하여 임상시험을 통하여 임상적 효과가 관찰된 의약품으로 법에 의해 한정되어 있다.<sup>20)</sup> 실제로 치료목적사용은 일반적으로 의약품으로 시판될 수 있도록 “개발 중”인 임상시험용의약품에 대해 임상시험을 통해 해당 질환과 관련한 유효성 등을 확인한 후, 해당 적응증으로 이의 시판 허가를 신청하기 이전 단계나 신청 중인 단계에서 해당 질환을 가진 일정 규모 이상의 환자들을 대상으로 대규모 무상 공급을 결정함에 따라 이루어진다[3].<sup>21)</sup> 이러한 점은 응

17) 식약처는 가이드라인을 통해 신청서 작성 방법에 대해 안내하고 있는데, 신청서 상 ‘환자의 치료계획’ 항목에는 사용목적 및 사유로서 해당 환자가 국내에서 진행 중인 임상시험에 참여할 수 없는 이유(진행 중인 임상시험의 적응증이나 투여량, 투여방법, 선정기준 등에 대한 구체적인 사유)를 적시하여야 한다고 구체적으로 설명하고 있다. 이에 대해서는 식약처 가이드라인 10-11면 ‘바. 신청서 작성 시 유의사항’ 중 1)-③번 참고.

18) 식약처 가이드라인 3면 ‘3. 임상시험용의약품의 예외적 사용의 종류’ 중 2)번 참고.

19) 참고로, 미국 보건부(DHHS)와 식약처(FDA) 등은 임상시험이 임상시험용의약품의 안전성과 유효성에 관한 정보를 얻는 데에 최우선적인 의도를 두고 있는 반면, 동정적 사용은 환자의 질병이나 상태에 대해 진단하거나 모니터링하거나 또는 환자를 치료하는 데에 그 최우선적인 의도를 두고 있다는 점에서 구분된다고 설명하였다. 이에 대해서는 U. S. Department of Health and Human Services, Food and Drug Administration, Center for Drug Evaluation and Research, Center for Biologics Evaluation and Research가 제시한 <Guidance for Industry : Expanded Access to Investigational Drugs for Treatment Use - Qs & As(2013년 5월)>, Washington, D.C., 2면 Q1에 대한 답변 참고.

20) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조 제2항 참고.

21) 식약처 가이드라인 15-16면 ‘가. 대상 질환’ 참고.

급사용이 가능한 임상시험용의약품의 범주에 있어서도 거의 유사하다. 물론 치료목적사용이 가능한 임상시험용의약품의 범주가 법에 의해 한정되어 있는 것과는 달리 응급사용이 가능한 임상시험용의약품의 범주에 대한 법적 기준은 제시되어 있지 않다. 그러나 식약처는 가이드라인을 통해 응급사용이 가능한 임상시험용의약품은 임상시험에 사용 가능한 범위 내에서 품질, 독성자료 등에 대하여 식약처의 검토를 받은 품목이어야 하고, 해당 임상시험용의약품에 대한 임상시험계획이 식약처에 의해 승인된 것이어야 하며(해당 임상시험이 진행 중이거나 종료되었다는 점과는 관계 없음), 해당 임상시험용의약품의 원개발사(이하 '제약업체'라 한다) 또는 임상시험계획에 대해 식약처의 승인을 받은 자가 응급사용을 위해 해당 임상시험용의약품을 공급해줄 의향이 확인되어 무상제공이 가능한 것이어야 한다고 설명하고 있다[3].<sup>22)</sup> 즉, 치료목적사용과 응급사용이 가능한 임상시험용의약품 모두 임상시험을 통해 안전성과 유효성이 거의 확인된 것으로서 사실상 이들 환자를 위해 무상으로 제공될 수 있는 것이어야 한다는 점에서 공통적이다[5].<sup>23)</sup>

앞서 언급한 바와 같이 임상시험에서 임상시험용의약품이 사용되고 이것이 시험대상자에게 비

용을 부담시키지 않고 제공된다는 점은 치료목적 사용 및 응급사용에서도 같다. 하지만, 임상시험은 임상시험용의약품을 최초로 사람에게 투여하는 제1상 임상시험(임상약리시험 등), 환자군에서 치료적 유효성을 탐색하여 가능한 용량과 투여기간 설정을 위한 다양한 정보수집을 목적으로 하는 제2상 임상시험(치료적 탐색 임상시험 등), 의약품의 안전성과 유효성을 확증하기 위한 제3상 임상시험(치료적 확증 임상시험 등), 품목허가 후 허가사항의 범위에서 수행하는 제4상 임상시험(치료적 사용 임상시험 등)으로 구분되는데,<sup>24)</sup> 의약품으로의 시판 허가를 받기 위해서는 제3상 임상시험이 완료되어 그 안전성과 유효성이 확인되어야만 한다. 그러므로 제1상이나 제2상 임상시험 단계에 있는 임상시험용의약품과 제3상 임상시험 단계에 있는 임상시험용의약품은 그 안전성과 유효성 입증 정도에 있어 엄연히 차이가 있을 수밖에 없다. 따라서 임상시험의 경우에는 다양한 단계에 있는 임상시험용의약품이 사용되지만, 치료목적사용과 응급사용은 임상시험을 통해 안전성과 유효성이 “거의 확인된” 임상시험용의약품만이 사용될 수 있다는 점에 큰 차이가 있다.

22) 식약처 가이드라인 7-8면 '다. 대상 임상시험용의약품' 참고. 식약처는 가이드라인을 통해 신청서 작성 방법에 대해 안내하고 있는데, 신청서 상 '기본정보' 항목에는 응급사용을 하고자 하는 임상시험용의약품과 관련한 내용으로 임상시험 진행 현황으로서 국내 임상시험 승인 현황 및 진행 현황 요약, 그리고 제품의 특성으로서 작용기전, 효능, 효과, 투여량, 투여경로, 투여기간, 투여중지·용량감량 계획 등을 적시하여야 한다고 구체적으로 설명하고 있다. 이에 대해서는 식약처 가이드라인 9면 '바. 신청서 작성 시 유의사항' 중 1)-②번 참고.

23) 희귀난치질환 치료제 개발을 위한 임상시험용의약품의 경우에는 특성 상 대량생산이 어렵고 개발 비용이 고가이므로 생산원가가 다른 임상시험용의약품에 비하여 매우 고가일 수 있으므로 이의 사용에 대한 비용을 환자에게 청구하지 못하도록 한다면 별다른 비용 보전 방안이 마련되어있지 않는 한 제약사 입장에서는 이의 공급을 기피하는 현상을 보일 수 있어 결과적으로 환자의 접근성이 떨어질 수 있다는 우려점이 있고, 제약사가 임상시험용의약품의 사용과 관련하여 생산원가에 해당하는 실비 정도를 청구할 수 있도록 하기 위한 기준을 마련하고, 이에 환자로부터 동의 획득 시 이러한 실비가 환자에게 청구될 것이기에 이를 부담하여야 할 것이라는 점에 대해 미리 알리고 환자가 이를 부담할 확실한 의사가 있는지 여부를 확인하도록 하여 제약사가 환자에게 실비를 청구할 수 있도록 할 필요가 있다는 의견이 있다. 이에 대해서는 김연장, 줄기세포치료제 치료기회 확대 방안 연구(식약처 연구보고서), 청주, 2014.12.19, 6-8면, 14-15면, 87-88면, 92-98면 참고. 이와 관련하여 참고할만한 미국의 임상시험용의약품 비용 청구 제도에 대해서는 같은 연구보고서 21-49면 참고.

24) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 별표4 <의약품 임상시험 관리기준> 2호 가목 참고.

### 3. 치료목적사용에 대한 승인 신청자와 신청 방법

치료목적사용은 임상시험을 위하여 제조되거나 제조되어 수입된 의약품을 사용하고자 하는 자가 신청할 수 있는 것으로 법에 정해져 있다.<sup>25)</sup> 그러므로 신청자가 누구여야 하는지가 명확하지 않은 듯 하지만, 승인을 받은 자는 임상시험용의 약품을 임상시험실시기관에 제공할 수 있다고 되어 있으므로<sup>26)</sup> 승인 신청자는 임상시험용의 약품을 제공할 수 있는 자, 즉 이의 원개발사인 제약업체라는 것을 알 수 있다. 치료목적사용은 임상시험을 통하여 임상적 효과가 관찰된 임상시험용의 약품이기는 하지만 아직 시판 허가를 받지 않은 상황에서 해당 임상시험용의약품의 적응증을 가지고 있어 생명을 위협받고 있는 환자들이 임상시험용의약품이 시판 가능한 의약품으로 허가를 받기까지 기다리지 않고도 이를 사용할 수 있도록 이의 원개발사가 공급해주는 것이기에, 치료목적사용의 가능 여부는 현실적으로 원개발사의 임상시험용의약품 공급 의지 유무에 달려 있다고 해도 과언이 아니다. 참고로 식약처는 가이드라인을 통해 치료목적사용의 취지와 방법 상 임상시험용의약품의 원개발사가 이러한 동정적 사용에 대한 계획을 수립하여 진행하는 형태로 나타난다고 설명하고 있다[3].<sup>27)</sup> 이에 치료목적 사용에 대한 승인 신청자인 원개발사는 치료목

적사용 신청 시 사용계획서를 신청서에 첨부하여 식약처장에게 제출하여야 한다.<sup>28)</sup> 이와 관련하여 치료목적사용에 관한 세부적인 사항은 식약처장이 정하여 고시하는 것으로 되어 있으나<sup>29)</sup> 현재 관련 고시는 제정되어 있지 않다. 다만, 식약처는 가이드라인을 통해 이러한 사용계획서에는 임상시험용의약품의 사용목적 및 사유, 사용 환자 선정기준, 임상시험용의약품의 투여방법 및 투여량, 임상시험용의약품 사용과 관련하여 안전성·유효성 관련 자료의 수집방법, 최신의 임상시험자자료집 또는 같은 수준 이상의 안전성·유효성 관련 자료가 포함되어야 하고, 이러한 사용계획서는 임상시험계획서에 준하여 작성되어야 한다고 설명하고 있다[3].<sup>30)</sup>

반면, 응급사용은 응급환자가 가지고 있는 질환에 대하여 전문적 지식과 윤리적 소양을 갖춘 전문의가 해당 환자가 이러한 상태에 있는 응급환자라고 판단하여 임상시험용의약품의 사용이 요구되는 경우 식약처장에게 신청하도록 되어 있다.<sup>31)</sup> 전문의가 응급환자를 위해 직접 신청을 하여야 하는 상황이라는 점을 감안하면, 여기에서 말하는 전문의는 사실상 해당 응급환자의 상태를 정확하게 파악하고 있으면서 임상시험용의약품의 사용에 따른 위험과 이익을 비교 평가하여 이익이 더 크다고 판단되는 경우 응급환자에게 응급사용을 직접 권유하거나 또는 응급사용에 대한

25) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조 제1항 참고.

26) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조 제4항 참고.

27) 식약처 가이드라인 15-16면 '가. 대상질환' 중 2)-3)번 및 '나. 대상 임상시험용의약품' 중 1)번 참고.

28) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조 제1항 참고.

29) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조 제7항 참고.

30) 식약처 가이드라인 16-17면 '다. 치료목적 사용승인을 받은 자의 준수사항' 중 3)번 및 19-20면 '바. 사용계획서 작성 시 유의사항' 중 1)번 참고. 참고로, 식약처는 가이드라인을 통해 임상시험회피자가 SOP 등으로 관리하는 임상시험계획서 서식을 사용하여 사용계획서를 작성할 수 있으나 그 목적이 유효성 입증 등을 위한 임상시험이 아니라 환자치료를 위한 임상시험용의약품 공급임을 명확히 하여야 하고, 대상자 선정제외기준은 근거가 되는 임상시험을 기초로 설정되어야 하며, 평가에는 최소한 안전성 자료 수집 등이 포함되는 것이 바람직하고, 임상시험용의약품의 투여방법 및 투여량 등은 임상시험 결과를 근거로 명확히 작성되어야 하며, 임상시험용의약품 무상 제공의 대상 인원 및 기간 등이 명시되어야 한다는 점을 추가로 안내하고 있다. 이에 대해서는 식약처 가이드라인 19-20면 '바. 사용계획서 작성 시 유의사항' 중 2)-5)번 참고.

31) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제29조 제1항 참고.



응급환자의 요청을 받아들여 응급사용 승인 신청 여부를 결정할 수 있는 주치의여야 할 것이다. 이와 관련하여 식약처는 가이드라인을 통해 응급사용의 승인 신청 자격은 해당 응급환자의 주치의인 전문의에게 있다는 점을 명확히 하고 있다 [3].<sup>32)</sup> 이에 승인 신청을 위해서는 전문의가 응급사용 신청 시 본인이 전문의로서 해당 질환에 대한 전문적 지식과 경험을 갖추고 있음을 증명할 수 있는 서류,<sup>33)</sup> 해당 환자가 이러한 응급환자에 해당하여 임상시험용의약품의 사용이 요구된다는 것을 확인할 수 있는 해당 환자의 진료기록 및 의학적 소견에 대한 요약자료<sup>34)</sup>와 진단서,<sup>35)</sup> 해당 환자가 이러한 응급사용을 원한다는 것을 확인할 수 있는 해당 환자의 동의서, 그리고 응급사용을 하고자 하는 임상시험용의약품을 제공받을 수 있을 것이라는 점을 확인할 수 있는 제공자의 제공 의향서<sup>36)</sup>를 신청서에 첨부하여 식약처장에게 제출하여야 한다.<sup>37)</sup>

이렇듯 응급사용에 대한 승인 신청은 그 사용의 대상이 될 환자가 이미 특정된 상태에서 해당 환자의 주치의가 신청을 하지만, 치료목적사용에 대한 승인 신청은 그 사용의 대상이 될 환자가 아

직 특정되지 않은 상태에서 임상시험용의약품의 원개발사인 제약업체가 한다는 점에서 가장 큰 차이가 있다. 그리고 이러한 차이와 관련하여 응급사용에 대한 승인 신청은 이미 해당 환자로부터 임상시험용의약품의 치료목적사용에 대한 동의가 획득된 상태임을 전제로 하는 반면, 치료목적사용에 대한 승인 신청은 그렇지 않다는 데에 주요한 차이가 있다. 그리고 임상시험에 대한 승인을 받기 위해서는 이의 승인을 받으려는 자가 임상시험 계획서, 안전성 및 유효성에 관한 자료 등을 임상시험계획 승인 신청서에 첨부하여 식약처장에게 제출하여야 하고,<sup>38)</sup> 여기에서 말하는 임상시험 계획서에는 임상시험의 명칭 및 단계, 목적 및 배경, 대상 질환, 시험대상자 선정기준 및 수와 산출근거, 임상시험의 방법뿐만 아니라 동의서 양식 등이 포함되어 있어야 한다.<sup>39)</sup> 그러므로 사전에 계획을 적절하게 세우고 해당 계획에 대해 식약처장의 승인을 받은 다음에 해당 계획에 따른 조건에 맞는 사람들을 대상으로 임상시험용의약품을 사용하는 절차를 진행한다는 점에서는 치료목적사용과 임상시험이 공통적이다.

32) 식약처 가이드라인 6-7면 '가. 대상질환' 및 '나. 신청인의 자격' 중 1)번 참고. 참고로, 식약처는 가이드라인을 통해 응급사용은 각각의 응급환자별로 전문의인 주치의의 판단 하에 질병 치료 목적으로 이루어지는 것이므로, 응급사용을 신청하는 임상시험용 의약품으로 진행된 임상시험에 참여한 의사가 아니거나 임상시험실시기관 소속 의사가 아니라도 의료기관 소속 전문의라면 누구나 신청할 수 있다고 설명하고 있다. 이에 대해서는 식약처 가이드라인 7면 '나. 신청인의 자격' 중 2)번 참고.

33) 보건복지부 장관이 발급한 의사면허증 및 전문의 자격증, 그리고 성명, 소속, 직책, 전문성을 확인할 수 있는 전공, 임상시험 관련 교육 이수 이력, 관련 논문 등에 대해 알 수 있는 내용이 포함된 이력서.

34) 진단명, 현재 질병 상태, 과거 치료력, 과거 치료 결과, 주요한 이상약물반응 등을 포함하여 해당 환자의 상태에 대한 의학적 소견을 상세히 기재한 병원 양식의 소견서(해당 환자의 주치의인 전문의가 작성), 그리고 소견서 상 주요 진단과 검사에 해당되는 부분을 확인할 수 있는 병원 의무기록(소견서의 내용을 확인할 수 있는 기간 내의 의무기록).

35) 진단명, 현재 질병 상태, 과거 치료력, 과거 치료 결과, 주요한 이상약물반응 등을 포함하여 작성된 병원 양식의 진단서.

36) 임상시험용의약품 제공자 정보(국내 임상시험계획 승인을 받은 자의 업체명), 신청자 정보(임상시험용의약품 제공 요청자의 소속 및 성명), 임상시험용의약품의 정보 및 공급계획(임상시험용의약품의 제품명(성분명), 공급 수량(제공 예정량), 공급 일정(투여방법에 따른 총 제공기간), 공급 빈도, 공급 방법), 대상 환자 정보(성명(필요 시 이니셜 또는 식별번호), 성별, 나이), 제공목적(임상시험용의약품의 응급상황 사용 요청에 따른 공급목적), 임상시험용의약품의 응급상황 사용 종료 후 남은 수량 회수 및 폐기 계획(제공자가 회수하여 폐기할 것인지 신청자의 소속기관에서 자체적으로 폐기할 것인지에 대한 내용), 그리고 임상시험용의약품 제공자의 날인이 포함된 공문형태의 서류.

37) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제29조 제2항, 식약처 가이드라인 12-13면 '사. 첨부서류 작성 시 유의사항' 및 14면 '자. 제공 의향서 서식(예시)' 참고.

38) 「약사법」 제34조 제4항 및 제7항, 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제24조 제1항 참고.

39) 「약사법」 제34조 제7항 및 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제24조 제2항 참고.

#### 4. 치료목적사용에 대한 승인 및 사용에 따른 후속 절차

식약처장은 치료목적사용에 대한 승인 신청이 있는 경우 신청서 등을 검토하여 타당성이 인정되는 경우 이를 승인하게 되는데, 이는 응급사용의 경우에도 동일하다.<sup>40)</sup> 그러나, 응급사용의 경우에는 그에 대해 해당 임상시험실시기관 IRB의 승인을 받아야 한다는 조건이 법적으로 제시되어 있지 않기 때문에 IRB의 승인 없이도 응급사용을 신청할 수 있고, 그 사용의 대상이 될 환자가 이미 특정된 상태에서 그 사용에 대해 해당 환자의 동의가 획득된 후에야 승인 신청을 할 수 있도록 되어 있기에 응급사용에 대한 식약처의 승인을 받은 전문의는 해당 임상시험용의약품을 해당 환자에게 바로 사용할 수 있다. 그러나, 응급사용과 달리 치료목적사용을 위해서는 이러한 승인을 받은 자, 즉 원개발사가 임상시험용의약품을 임상시험실시기관에 제공하는 데에는 전혀 문제가 없지만,<sup>41)</sup> 이를 사용하기에 앞서 이의 사용자<sup>42)</sup>가 그 사용에 대해 해당 임상시험실시기관 IRB의 승인과 이를 사용하는 환자의 동의를 받아야 한다는

점에 차이가 있다.<sup>43)</sup> 그리고 이러한 점이 있어서는 임상시험과 치료목적사용이 거의 동일하다. 즉, 임상시험의 경우에도 치료목적사용의 경우와 마찬가지로 이러한 임상시험실시기관 IRB의 승인과 함께 임상시험용의약품을 사용할 당사자인 시험대상자로부터 동의를 획득한 후에 임상시험용의약품을 사용하는 절차를 진행하여야 하기 때문이다.<sup>44)</sup>

또한, 치료목적사용이나 응급사용의 경우에는 그 사용에 따른 후속 절차로서 이러한 승인과 동의를 받은 사용자가 해당 환자에게 발생한 이상반응, 효과 및 안전성에 대한 추적결과 등 수집된 정보를 임상시험용의약품을 제공한 자에게 제출하여야 하고, 임상시험용의약품을 제공한 자는 수집된 정보를 받은 날부터 20일 이내에 사용결과를 작성하여 식약처장에게 제출하여야 하고, 예상하지 못한 중대한 이상약물반응이 발생한 경우에는 <의약품 임상시험 관리기준> 제7호 카목 및 제8호 러목에 따라 보고하여야 하는 법적 의무를 갖는다는 점에 있어서는 치료목적사용의 경우와 응급사용의 경우가 동일하다.<sup>45)</sup>

40) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조 제3항 및 제29조 제3항 참고. 참고로, 여기에서 말하는 타당성이란 무엇이고, 타당하지 여부를 판단하기 위한 기준이 무엇인지에 대해서 의문을 제기하고 있는 경우가 있는데, 이는 타당성 인정 가능 여부를 평가할 수 있는 구체적인 기준을 식약처가 제시하고 있지 않기 때문이기도 하지만, 치료목적사용이나 응급사용과 관련하여 의료인이 판단을 내리거나 실행하는 것은 모두 환자의 치료를 위한 의료행위의 일환이므로 의료행위를 할 수 있는 면허를 가진 의료인에게 귀속되어 있고 보장되어 있는 진료권의 행사여서 행정기관을 비롯한 제3자가 관여할 수 없는 것이 원칙임에도 불구하고 식약처가 해당 임상시험용의약품의 안전성이나 유효성을 검토하거나 제출서류를 확인하는 일을 넘어서서 치료목적사용이나 응급사용의 의학적 타당성까지를 검증하고자 한다면 적절하지 못하다는 의견이 있다. 이에 대해서는 강한철, “약사법상 의약품 동정적 사용제도”, 『한국의료법학회지』 제21권 제1호, 한국의료법학회, 2013, 7-33면 참고.

41) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조 제4항 참고.

42) 식약처는 가이드라인을 통해 여기에서 말하는 “사용자”가 임상시험실시기관에 소속된 전문의인 의사여야 하는 것으로 설명하고 있다. 이에 대해서는 식약처 가이드라인 18면 ‘라. 임상시험용의약품 치료목적사용자의 준수사항’ 중 1)-2)번 참고.

43) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조 제5항 참고.

44) 「약사법」 제34조 제3항 3호, 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제30조 제1항 4호 및 동 규칙 별표4 <의약품 임상시험 관리기준> 3호 자목 참고.

45) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조 제6항 및 제29조 제4항 참고. 참고로, 식약처는 가이드라인을 통해 이와 관련한 구체적인 사항들을 안내하고 있는 바에 따르면, 임상시험용의약품을 제공한 자가 식약처장에게 제출하여야 하는 사용결과에는 승인일, 대상 환자 식별을 위한 기본정보, 투여 시작일 및 종료일, 종료사유 등이 포함되어야 하고, 임상시험용의약품 제공자는 해당 환자에게 발생한 이상반응, 효과 및 안전성에 대한 추적결과 등을 수집하기 위한 기록지 서식 등을 제공하는 것이 바람직하며, 예상하지 못한 중대한 이상약물반응이 발생한 경우로서 사망을 초래하거나 생명을 위협하는 경우에는 7일 이내에, 그 밖의 경우에는 15일 이내에 <KGCP>에 정한 바에 따라 보고하여야 한다. 이에 대해서는 식약처 가이드라인 8면 ‘마. 임상시험용의약품 제공자 준수사항’ 참고.

### III. 임상시험용의약품의 치료목적사용에 있어 환자로부터의 동의 획득 기준에 대한 제언 : 임상시험용의약품의 응급사용 및 임상시험에 있어 동의 획득 기준과의 비교를 중심으로

#### 1. 동의 획득 방법에 대한 제언

##### 1) 주치의에 의한 동의 획득

임상시험의 경우 시험대상자로부터 임상시험 참여에 대해 동의를 받는 일에 대한 책임이 “임상시험을 하려는 자”에게 있는 것으로 법에 정해져 있다.<sup>46)</sup> 그리고 동의 획득 방법에 관한 사항은 하위법령으로 정해지도록 되어 있는데,<sup>47)</sup> 이러한 동의는 원칙적으로 임상시험의 책임자(이하 “시험책임자”라 한다)가 받아야 하는 것으로 법에 규정되어 있다.<sup>48)</sup> 그러나 동의 획득에 있어 법에 정해져 있는 기준을 준수하되 이외에도 그 실시에 관해서는 별표 4 <의약품 임상시험 관리기준>에 따르도록 되어 있는데,<sup>49)</sup> 이에 규정되어 있는 바에 의하면 시험책임자뿐만 아니라 의사, 치과의사, 한의사로서 자격을 갖춘 사람이 시험책임자의 위임을 받으면 시험대상자로부터 동의를 획득할 수 있는 것으로 되어 있다.<sup>50)</sup>

임상시험을 수행하는 연구자를 시험자라 하는데, 시험자에는 시험책임자 외에 시험담당자도 포함되는 것으로 규정되어 있다.<sup>51)</sup> 그리고 여기에서 말하는 시험담당자는 시험책임자의 위임

및 감독 하에 임상시험 관련된 업무를 담당하거나 필요한 사항을 결정하는 의사, 치과의사, 한의사 등을 말한다.<sup>52)</sup> 그러므로 이러한 점은 물론이고 동의 획득에 있어 동의 획득을 담당하는 사람이 해당 임상시험에 대해 적절하게 이해하고 있어 동의권자인 시험대상자에게 충분히 설명을 해 줄 수 있어야 할 뿐만 아니라 시험대상자의 질문에 성실하게 대답할 수 있어야 한다는 것이 중요하다.<sup>53)</sup> 을 감안하면, 여기에서 말하는 의사, 치과의사, 한의사로서 자격을 갖춘 사람이란 해당 임상시험의 시험자로서 시험담당자에 포함되는 사람에 한정하여 해석하는 것이 적절할 것이다. 그러나, 규정만을 보면 누구든지 의사, 치과의사, 한의사로서 자격을 갖춘 사람이면 위임을 받을 수 있고 해당 임상시험의 시험담당자여야만 하는 것으로 제한되어 있지는 않다. 실제로 임상시험의 시험담당자 중에는 해당 질환에 대한 전문가인 의사, 치과의사, 한의사만이 포함되는 것이 아니라 해당 임상시험에서 필요한 협력을 하거나 획득되는 정보를 분석하는 등의 역할을 하는 사람으로서 해당 질환에 대한 전문가는 아니지만 의사, 치과의사, 한의사인 사람도 포함된다. 그러므로 해당 임상시험의 시험담당자로 범주가 제한되더라도 해당 질환의 전문가는 아닌 의사, 치과의사, 한의사 역시 시험책임자의 위임을 받으면 시험대상자로부터 동의를 획득할 수 있다.

치료목적사용의 경우 환자로부터 치료목적사용에 응하는 것에 대해 동의를 받는 일에 대한 책임이 “임상시험용의약품을 사용하려는 자”에게

46) 「약사법」 제34조 제3항 3호 참고.

47) 「약사법」 제34조 제7항 참고.

48) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제30조 제1항 참고.

49) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제30조 제1항 참고.

50) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 별표4 <의약품 임상시험 관리기준> 7호 아목 8)번 참고.

51) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 별표4 <의약품 임상시험 관리기준> 2호 버목 참고.

52) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 별표4 <의약품 임상시험 관리기준> 2호 코목 참고.

53) 세계의사회 헬싱키선언(2013) 26번, 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제30조 제1항 4호 및 동 규칙 별표4 <의약품 임상시험 관리기준> 7호 아목 참고.

있는 것으로 법에 정해져 있다.<sup>54)</sup> 그러나 여기서 말하는 “임상시험용의약품을 사용하려는 자”의 범주는 구체화되어 있지 않다.<sup>55)</sup> 그리고 단지 치료목적사용을 위한 동의 획득에 있어서는 임상시험 시 동의 획득에 관한 법적 기준을 준용하여야 하는 것으로만 제시되어 있을 뿐이다.<sup>56)</sup> 이러한 상황에서 식약처가 가이드라인을 마련하여 발표하기는 하였으나, 이 가이드라인에도 동의 획득은 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 별표4 <의약품 임상시험 관리기준>에 정해져 있는 바에 준하여야 한다는 내용 외에 세부적인 설명도 제시되어 있지 않다.<sup>57)</sup> 그러므로 치료목적사용을 위해 동의 획득을 담당하는 사람의 범주를 임상시험의 경우에 준수되어야 하는 기준을 통해 정한다면, 치료목적사용 계획의 책임자 이외에 해당 질환에 대한 전문가는 아니지만 이러한 계획에 있어 필요한 협력을 하거나 획득되는 정보를 분석하는 등의 역할을 하는 사람으로서 의료진에 포함되어 있는 (전문의인) 의사, 치과의사, 한의사도 동의 획득 담당자가 될 수 있는 상황이다.

그러나 치료목적사용의 경우 생명을 위협하는 중대한 질환을 가진 환자의 치료를 목적으로 하여 임상시험용의약품을 예외적으로 사용하는 상황이기 때문에 해당 질환에 대한 전문적인 지식이 있는 사람에 의해 이의 대상이 되는 환자의 상태가 정확하게 파악될 수 있어야 한다는 것이 반드시 전제되어야만 한다. 이러한 점에 있어서는 응

급사용의 경우에도 같다. 실제로 응급사용은 해당 환자의 주치의가 환자의 상태를 정확하게 파악하고 있는 상태에서 응급사용 승인 신청 여부를 결정할 뿐만 아니라, 응급사용에 대한 승인 신청을 할 수 있어 신청 시 신청서와 함께 해당 환자의 동의서를 제출하여야 하는 일도 주치의가 하여야 하는 것으로 되어 있다. 이와 더불어 식약처는 가이드라인을 통해 승인을 받은 자, 즉 승인을 신청한 주치의가 해당 환자에게 관련 내용을 충분히 설명하고 동의를 받아야 한다고 설명하고 있다[3].<sup>58)</sup> 심지어, 식약처는 가이드라인을 통해 응급사용에 대한 승인을 받은 자가 해외 연수, 퇴직 등의 사유로 소속 의료기관에서 일시적으로나 지속적으로 부재하게 되는 경우에는 예정된 투여기간이 남아있다고 하더라도 더 이상 치료를 진행할 수 없으며, 만약 응급사용이 지속되어야 할 필요가 있으면 해당 환자의 새로운 주치의가 식약처장에게 다시 승인 신청을 하여 승인을 받은 후 사용하여야 한다는 점을 명확히 하고 있다 [3].<sup>59)</sup> 다른 전문의에 의해 대체가 불가능하고 주치의의 변경 시 승인 신청을 새로이 하여야 하는 것으로 기준이 제시되어 있는 이유는 그만큼 해당 환자의 주치의가 환자의 상태 파악을 비롯하여 응급사용 전반에 있어 상당히 중요하고도 결정적인 역할을 하기 때문일 것이다. 이러한 점은 치료목적사용의 경우와 응급사용의 경우가 크게 다르지 않다. 그러므로 치료목적사용에 대한 동의 획

54) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조 제5항 참고.

55) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조 제7항에 따르면 이 규칙에 규정한 사항 외에 치료목적사용에 관한 세부 사항은 식품의약품안전처장이 정하여 고시하는 것으로 규정되어 있으나 이에 따른 고시는 현재 마련되어 있지 않다.

56) 「약사법」 제34조 제4항 단서조항 참고.

57) 다만, 식약처 가이드라인에 “임상시험실시기관의 사용자(전문의)는 임상시험용의약품 사용 전에 반드시 대상자로부터 자발적 동의를 받아야 한다.”라는 표현이 사용되어 있기는 하여 동의 획득에 대한 책임이 전문의인 사용자에게 있음을 간접적으로 확인할 수 있다.

58) 식약처 가이드라인 8면 ‘라. 응급상황 사용승인을 받은 자의 준수사항’ 중 1)번 참고. 비록 식약처가 동의 획득이 승인을 받은 자의 준수사항인 것으로 잘못 설명하고 있지만, 결과적으로 승인 신청자와 승인을 받은 자 모두 동일하게 해당 환자의 주치이라는 점을 감안하였다.

59) 식약처 가이드라인 8면 ‘라. 응급상황 사용승인을 받은 자의 준수사항’ 중 5)번 참고.

득도 해당 질환에 대한 전문의인 주치의가 담당하도록 제한하고, 이러한 계획의 의료진에 포함되어 있는 의사, 치과의사, 한의사더라도 해당 질환에 대한 전문의가 아니라면 동의를 획득하는 일에 대한 위임을 받을 수 없도록 하는 것이 적절할 것으로 생각된다.

## 2) 임상시험심사위원회의 승인을 받은 동의서 및 설명문의 사용

치료목적사용을 위해 환자로부터 동의를 획득함에 있어 사용되는 동의서 및 설명문과 관련한 법적 기준은 명확하지 않은 상황이고, 단지 치료목적사용을 위한 동의 획득에 있어서는 임상시험시 동의 획득에 관한 법적 기준을 준용하여야 하는 것으로만 제시되어 있을 뿐이다.<sup>60)</sup> 그러나 응급사용의 경우 개별 응급환자를 위해 승인을 받아 사용하는 것이므로 해당 사용 계획에 대해 임상시험심사위원회(IRB)의 승인을 받을 것이 전제 조건으로 법적으로 제시되어 있지 않은 것과 달리, 치료목적사용의 경우 해당 사용 계획에 대해 IRB의 승인을 받을 것이 전제 조건으로 제시되어 있다는 점에 차이가 있다. 그리고 여기에서 말하는 IRB란 “임상시험계획서나 대상자로부터 서면동의를 얻기 위해 사용하는 방법이나 제공되는 정보를 검토하고 지속적으로 확인함으로써 임상시험에 참여하는 대상자의 권리·안전·복지를 위하여 시험기관에 독립적으로 설치한 상설위원회”로 법적으로 정의되어 있다.<sup>61)</sup> 이와 동시에 시험책임자에게는 임상시험을 실시하기 전에 임상시험계획서뿐만 아니라 시험대상자용 동

의서 및 설명문 등을 IRB에 제출하여 심사를 받아야 하는 법적 의무가 있다.<sup>62)</sup> 이에 통상적으로 IRB는 임상시험에 대한 심사시 임상시험계획서와 함께 해당 임상시험에 참여하게 될 시험대상자로부터 동의를 획득하기 위해 준비되어 있는 동의서 및 설명문을 시험책임자로부터 제출받아 검토하여 필요 시 수정·보완이 될 수 있도록 조치한 후 적절하게 준비되었다고 최종적으로 판단된 동의서 및 설명문을 포함하여 해당 임상시험계획서의 사용을 승인해줌으로써 해당 임상시험이 수행될 수 있도록 하고 있다.

치료목적사용 역시 임상시험처럼 임상시험용 의약품을 사용하지만, 치료목적사용은 기본적으로 연구가 아니라 치료를 목적으로 하는 것이기에 근본적으로 임상시험과는 다르다. 그러나 현재 치료목적사용을 위한 동의서 및 설명문에 포함되어야 하는 사항에 대한 기준이 구체적으로 제시되어 있지 않은 상황에서, 앞서 언급한 바와 같이 치료목적사용을 위한 동의 획득에 있어서는 임상시험시 동의 획득에 관한 법적 기준을 준용하여야 하는 것으로 제시되어 있다.<sup>63)</sup> 식약처가 가이드라인에도 동의 획득은 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 별표4 <의약품 임상시험 관리기준>에 정해져 있는 바에 준하여야 한다는 내용 외에 세부적인 설명도 제시되어 있지 않다.

하지만 응급사용의 경우와는 달리 치료목적사용의 경우에는 임상시험용의약품을 사용하려는 자가 이에 대해 IRB의 승인을 받아야 하는 것으로 법에 정해져 있다.<sup>64)</sup> 그리고 앞서 언급한 바와 같이 치료목적사용에 대한 식약처 승인 신청 시에는 임상시험용의약품의 사용목적 및 사유, 사

60) 「약사법」 제34조 제4항 단서조항 참고.

61) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 별표4 <의약품 임상시험 관리기준> 2호 오목 참고.

62) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 별표4 <의약품 임상시험 관리기준> 7호 라목 1번 참고.

63) 「약사법」 제34조 제4항 단서조항 참고.

64) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제28조 제4항 참고.

용환자 선정기준, 임상시험용의약품의 투여방법 및 투여량, 임상시험용의약품 사용과 관련하여 안전성·유효성 관련 자료의 수집방법, 최신의 임상시험자자료집 또는 같은 수준 이상의 안전성·유효성 관련 자료가 포함되어 있는 것으로서 “임상시험계획서에 준하여 작성된 사용계획서”가 제출되어야 하는데, 임상시험계획서의 경우 “시험대상자 동의서 양식”이 포함되어 있어야 하는 것으로 법에 정해져 있다.<sup>65)</sup> 따라서 치료목적사용에 있어서는 임상시험의 경우처럼 환자로부터 동의를 획득하기 위해 준비되어 있는 동의서 및 설명문이 IRB의 승인을 받아야 한다는 명시적인 규정은 없지만, 치료목적사용에 대한 IRB의 승인을 위해서도 환자를 위한 동의서 양식이 포함된 사용계획서를 IRB에 제출하여야 할 것이므로 사용계획서에 대한 승인과 함께 해당 동의서 양식에 대한 승인도 받아야 하는 것으로 판단된다. 그러므로 치료목적사용의 특징이나 특수성이 고려될 수 있도록 함과 동시에 일반인인 환자가 이해할 수 있는 동의서 및 설명문이 마련될 수 있도록 하기 위해서는 치료목적사용을 위한 동의서 및 설명문 역시 IRB에 의해 심사되고 필요 시 수정이나 보완이 가능하도록 조치가 취해질 수 있도록 하여 적절성이 담보된 것만이 사용될 수 있도록 하는 것이 적절할 것이다.

## 2. 동의 획득 내용에 대한 제언

치료목적사용을 위해 환자로부터 동의를 획득

함에 있어서 동의서 및 설명문에 반드시 포함되어야 하는 사항이 무엇인지는 법적으로 명확하지 않다. 단지 식약처 가이드라인에 사용대상자인 환자나 그 대리인에게 임상시험용의약품의 사용목적 및 정보 등에 대하여 충분히 설명하여야 한다는 것이 치료목적사용자의 준수사항으로 명시되어 있고[3],<sup>66)</sup> 치료목적사용은 임상시험에 해당되지 않으므로 환자 치료와 관련된 검사비용 등은 동의서에 반영하여 반드시 환자에게 미리 알려주어야 한다는 것과 현재 진행 중인 임상시험용의약품의 사용목적, 임상시험용의약품의 정보, 임상시험용의약품 사용 시 대상자의 건강에 발생할 수 있는 내용과 사용절차 등을 임상시험용의약품의 치료목적사용의 대상자인 환자에게 설명하고 반드시 동의를 받아야 한다는 것이 치료목적사용에 대한 승인을 받은 자의 준수사항으로 명시되어 있으므로[3],<sup>67)</sup> 최소한 이러한 준수사항들과 관련되는 내용들은 동의서 및 설명문에 반드시 포함되어야 한다는 것을 알 수 있는 정도이다.

현재, 치료목적사용을 위한 동의 획득에 있어서는 기본적으로 임상시험 시 동의 획득에 관한 법적 기준을 준용하여야 하는 것으로 제시되어 있고,<sup>68)</sup> 임상시험을 위한 시험대상자용 동의서 및 설명문에 적시되어야 하는 사항들은 법에 정해져 있다.<sup>69)</sup> 그러나 앞서 언급한 바와 같이 치료목적사용은 임상시험용의약품을 사용한다는 점에 있어서는 임상시험과 동일하지만, 임상시험은 연구이고 치료목적사용은 연구가 아니라는 점

65) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제24조 제2항 17호 참고.

66) 식약처 가이드라인 18면 ‘라. 임상시험용의약품 치료목적 사용자의 준수사항’ 중 2)번 참고.

67) 식약처 가이드라인 17면 ‘라. 치료목적 사용승인을 받은 자의 준수사항’ 중 6)번 및 9)번 참고.

68) 「약사법」 제34조 제4항 단서조항 참고.

69) 법에 정해져 있는 사항들은 가) 임상시험이 연구를 목적으로 수행된다는 사실, 나) 임상시험의 목적, 다) 임상시험용 의약품에 관한 정보 및 시험군 또는 대조군에 무작위배정될 확률, 라) 침습적 시술(侵襲的 施術, invasive procedure)을 포함하여 임상시험에서 대상자가 받게 될 각종 검사나 절차, 마) 대상자가 준수하여야 할 사항, 바) 검증되지 않은 임상시험이라는 사실, 사) 대상자(임부를 대상으로 하는 경우에는 태아를 포함하며, 젖을 먹이는 여성을 대상으로 하는 경우에는 영유아를 포함한다)에게 미칠 것으로 예상되는 위험이나 불편, 아) 임상시험을 통하여 대상자에게 기대되는 이익이 있거나 대상자에게 기대되는 이익이 없을

에 있어 근본적인 차이가 있다. 그러므로 임상시험을 위한 시험대상자용 동의서 및 설명문에 적시되어야 하는 것으로 법에 정해져 있는 사항을 그대로 참고하여 치료목적사용을 위한 환자용 동의서 및 설명문에 적시되어야 하는 사항을 판단하는 데에는 문제가 있을 수밖에 없다. 예를 들어, 치료목적사용의 경우 치료를 목적으로 예외적으로 임상시험용의약품을 사용할 수 있는 조건에 적합한 환자에게 해당 임상시험용의약품을 제공해주는 방식으로 진행될 것이기에 시험군과 대조군으로 나누어진다거나 이러한 군에 무작위배정 되는 일은 없을 것이다. 그러므로 시험군과 대조군에 무작위배정될 확률의 경우 임상시험에서는 반드시 시험대상자를 위한 동의서 및 설명문에 포함되어야 하는 사항일지라도 치료목적사용에는 해당되지 않는 내용이다. 그렇기 때문에 임상시험을 위한 시험대상자용 동의서 및 설명문에 적시되어야 하는 것으로 법에 정해져 있는 사항들을 치료목적사용을 위한 환자용 동의서 및 설명문의 마련을 위해 그대로 참고하는 경우 오히려 혼란이 발생할 수 있다. 이에 식약처도 치료목적사용에 있어서의 동의 획득 사항은 치료목적사용에 맞게 조정되어야 할 것이라는 점을 가이드라인을 통해 분명히 하기는 하였으나[3],<sup>70)</sup> 보다

정확한 판단을 위해서는 치료목적사용을 위한 환자용 동의서 및 설명문의 내용에 대한 기준은 치료목적사용에 맞게 제시될 필요가 있다.

그리고 심각하고 절박한 위기 상황에 있는 환자의 질병 치료를 위해 시급히 그리고 인도적인 차원에서 임상시험용의약품의 사용이 예외적으로 허용되는 경우라는 점, 즉 동정적 사용에 해당한다는 점에서는 치료목적사용과 응급사용이 동일하다고 할 수 있다. 이 중 응급사용에 있어서는 환자로부터 동의 획득 시 해당 동의서에 ① 응급상황의 임상시험용의약품 사용 목적, ② 응급 환자에게 미칠 것으로 예상되는 위험이나 불편, ③ 응급상황의 임상시험용의약품 사용에 영향을 줄 수 있는 새로운 정보를 취득하면 지체 없이 환자 또는 환자의 대리인에게 알릴 것이라는 사실, ④ 환자의 응급상황의 임상시험용의약품 사용은 자발적이어야 한다는 사실, ⑤ 환자가 원래 받을 수 있는 이익에 대한 손실 없이 응급상황의 임상시험용의약품 사용을 거부할 수 있으며 사용 중 언제든지 사용을 중단할 수 있다는 사실이 반드시 포함되어 있어야 한다는 점이 법에 명확하게 규정되어 있다.<sup>71)</sup>

이와 관련하여 식약처는 가이드라인을 통해 동의서 서식의 예를 제시하고 있는데, 이 예시 서식

경우에는 그 사실, 자) 대상자가 선택할 수 있는 다른 치료방법이나 종류 및 그 치료방법의 잠재적 위험과 이익, 차) 임상시험과 관련한 손상이 발생하였을 경우 대상자에게 주어질 보상이나 치료방법, 카) 대상자가 임상시험에 참여함으로써 받게 될 금전적 보상이 있는 경우 예상 금액 및 이 금액이 임상시험 참여의 정도나 기간에 따라 조정될 것이라고 하는 것, 타) 임상시험에 참여함으로써 대상자에게 예상되는 비용, 파) 대상자의 임상시험 참여 여부 결정은 자발적이어야 하며, 대상자가 원래 받을 수 있는 이익에 대한 손실 없이 임상시험의 참여를 거부하거나 임상시험 도중 언제라도 참여를 포기할 수 있다는 사실, 히) 제8호머목2)에 따른 모니터링, 제8호머목에 따른 점검을 실시하는 사람, 심사위원회 및 식물의약품안전처장이 관계 법령에 따라 임상시험의 실시절차와 자료의 품질을 검증하기 위하여 대상자의 신상에 관한 비밀이 보호되는 범위에서 대상자의 의무기록을 열람할 수 있다는 사실과 대상자 또는 대상자의 대리인이 서명한 동의서에 의하여 이러한 자료의 열람이 허용된다는 사실, 기) 대상자의 신상을 파악할 수 있는 기록은 비밀로 보호될 것이며, 임상시험의 결과가 출판될 경우 대상자의 신상은 비밀로 보호될 것이라는 사실, 니) 대상자의 임상시험 계속 참여 여부에 영향을 줄 수 있는 새로운 정보를 취득하면 제때에 대상자 또는 대상자의 대리인에게 알릴 것이라는 사실, 디) 임상시험과 대상자의 권익에 관하여 추가적인 정보가 필요한 경우 또는 임상시험과 관련된 손상이 발생한 경우에 연락해야 하는 사람, 리) 임상시험 도중 대상자의 임상시험 참여가 중지되는 경우 및 그 사유, 머) 대상자의 임상시험 예상 참여 기간, 베틀) 임상시험에 참여하는 대략의 대상자 수이다. 이에 대해서는 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제30조 제1항 4호 및 「의약품 임상시험 관리기준」 7호 아목 10)번 참고.

70) 식약처 가이드라인 20면 ‘바, 사용계획서 작성 시 유의사항’ 중 6)번 참고.

71) 참고로, 환자가 원래 받을 수 있는 이익에 대한 손실 없이 응급상황의 임상시험용의약품 사용을 거부할 수 있으며 사용 중 언제든지 사용을 중단할 수 있다는 사실에 대해서는 이 예시 서식에 포함되어 있는 추가적인 설명 내용이 없다.

에 포함되어 있는 설명 내용에 따르면 앞서 언급한 동의서에 반드시 포함되어 있어야 하는 사항들과 관련하여 다음과 같은 내용이 동의서에 작성되어야 한다[3].<sup>72)</sup> 첫째, 응급상황의 임상시험용의약품 사용 목적에 대해서는, 임상시험용의약품은 현재 허가 받지 않은 의약품이라는 사실과, 임상시험용의약품의 구체적인 정보 및 응급상황 사용에 대한 설명을 포함한 사용 목적이 상세히 작성되어야 한다. 둘째, 응급 환자에게 미칠 것으로 예상되는 위험이나 불편에 대해서는, 임상시험용의약품 사용 시 대상 환자에게 발생할 수 있는 이상반응 등에 대한 내용과, 환자에게 미칠 것으로 예상되는 위험이나 불편 및 의약품 사용 후 의학적 이익이 없을 수 있다는 사실이 상세히 작성되어야 한다. 셋째, 응급상황의 임상시험용의약품 사용에 영향을 줄 수 있는 새로운 정보를 취득하면 지체 없이 환자 또는 환자의 대리인에게 알릴 것이라는 사실에 대해서는, 임상시험용의약품 사용 시 복용방법, 복용 시 주의사항 등의 기본 정보와 임상시험용의약품 사용에 영향을 줄 수 있는 새로운 정보 취득 시 환자 또는 환자의 대리인에게 지체 없이 알릴 것이라는 내용이 상세히 작성되어야 한다. 넷째, 환자의 응급상황의 임상시험용의약품 사용은 자발적이어야 한다는 사실에 대해서는, 임상시험용의약품 사용을 결정하는데 충분한 시간을 갖고 자발적으로 동의 한다는 사실이 구체적으로 작성되어야 한다. 다섯째, 기타 추가 필요사항으로 개인정보 보호법 관련 사항 등이 작성되어야 한다.

그러나 응급사용의 경우 사용 대상자가 되는 환자가 특정된 상태에서 그 개인을 위해 진행되는 일인 반면 치료목적사용의 경우 사용 대상자가 될 수 있는 불특정 환자들을 위해 미리 계획이

세워져 진행되는 일이라는 점에서 가장 큰 차이가 있다. 그러므로 비록 치료목적사용과 응급사용이 상당한 공통점을 갖는다고 하더라도 그 차이점을 고려하면 이들 각각과 관련한 환자를 위한 동의서 및 설명문에 적시되어야 하는 사항도 완전히 동일할 수는 없다. 이에 이하에서는 임상시험 및 응급사용에 있어 동의 획득과 관련한 법적 기준과 식약처 가이드라인 상의 내용을 참고로, 치료목적사용을 위한 환자용 동의서 및 설명문에 반드시 포함되어야 하는 사항과 절대로 포함되어서는 안 되는 사항이 무엇인지에 대해 판단해보는 일을 기본으로 하여 치료목적사용을 위한 환자용 동의서 및 설명문의 내용에 관한 기준을 제시해보도록 하겠다.

1) 임상시험이 아닌 치료를 목적으로 임상시험용 의약품을 예외적으로 사용한다는 점

치료목적사용은 임상시험용의약품을 사용하지만 임상시험, 즉 연구를 위해 이루어지는 일이 아니고 생명을 위협하는 중대한 질환을 가진 환자의 치료를 목적으로 하여 임상시험용의약품을 예외적으로 사용하는 것이라는 점이 치료목적사용의 대상자인 환자에게 가장 기본적으로 인식되어야 한다. 물론 이에는 식약처로부터 이러한 예외적 사용에 대한 승인을 받았다는 내용이 포함될 수 있다. 그리고 생명을 위협하는 중대한 질환을 가지고 있는 환자는 그만큼 절박한 상황에 있기에 치료를 목적으로 한다는 점이 오히려 치료에 대한 기대를 높게 가지게 할 수 있다. 그러나, 아직 시판 허가를 받지 않은 상태의 의약품인 임상시험용의약품을 사용하므로 시판 허가를 받은 의약품의 사용과는 엄연히 차이가 있기에 그 유

72) 식약처 가이드라인 13번 ‘아. 임상시험용의약품 응급상황 사용승인 관련 동의서 서식(예시)’ 참고.



효성 측면, 즉 치료 효과에 있어 시판 허가를 받은 의약품을 사용하는 경우와 차이가 있을 수 있다. 그러므로 치료목적사용이 구체적으로 어떠한 상황에서 어떠한 목적으로 이루어지는지에 대해 환자가 정확하게 이해할 수 있도록 하는 것이 중요하다. 이에 임상시험의 경우 이것이 치료가 아니라 아직 검증되지 않은 바를 검증하기 위해 시행해 보는 연구라는 점과 해당 임상시험의 구체적인 목적을 동의권자인 임상시험대상자가 이해할 수 있도록 하기 위한 내용이 동의서 및 설명문에 포함되어야 하는 것이나, 응급사용에 있어 임상시험용의약품을 사용하는 목적을 동의권자인 환자가 이해할 수 있도록 하기 위한 내용이 동의서 및 설명문에 포함되어야 하는 것처럼, 치료목적사용의 개념과 의의가 무엇인지에 대한 정보 전달과 설명이 이루어져 동의권자인 환자가 이를 이해할 수 있도록 하기 위한 내용이 동의서 및 설명문에 포함되어야 할 것이다.

## 2) 치료목적사용 여부에 대해 환자에게 자율적 결정권이 있다는 점

치료목적사용은 생명을 위협하는 중대한 질환을 가지고 있는 환자가 치료를 위해 더 이상 선택할 수 있는 다른 치료방법이 사실상 없는 상태에서 비록 연구 단계에 있는 임상시험용의약품이기도 하지만 치료 효과에 대한 일말의 기대를 가지고 그 참여를 선택할 것이다. 그러나 앞서 언급한 바와 같이 이러한 임상시험용의약품의 사용에 따른 치료 효과는 시판 허가를 받은 의약품의 사용에 따른 치료 효과와 차이가 있을 수 있을 뿐만 아니라 안전성 측면에서도 역시 차이가 있다. 이에 치료목적사용은 연구가 아니라 치료가 목적이기는 하지만 시판 허가를 받은 의약품이 아니라 임상시험용의약품을 사용하는 일이기에 치료 효과

나 안전성 측면에서 실질적으로는 연구가 갖는 특성을 가지고 있다. 따라서 치료목적사용 여부를 결정하는 일은 더욱 신중하여야 하기에 응급사과 임상시험의 경우와 마찬가지로, 참여 여부를 결정하기에 앞서 충분한 시간을 가질 수 있어야 한다는 점과 자발적인 동의가 획득되는 일이 중요하다. 그러므로 임상시험에 있어 참여 여부에 대한 결정이 자발적이어야 한다는 점을 강조하고 있는 것이나, 응급사용에 있어 환자가 원래 받을 수 있는 이익에 대한 손실 없이 응급상황의 임상시험용의약품 사용을 거부할 수 있다는 점을 명확히 하고 있는 것과 마찬가지로, 치료목적사용에 있어서도 환자가 이에 대해 충분히 시간을 갖고 생각할 수 있어야 하고 필요 시 가족 등과 상의하여 결정하여야 한다는 점과, 이러한 결정이 환자 스스로의 판단에 따른 것이어야 한다는 점이 중요하다는 것을 환자에게 이해시킬 수 있도록 하기 위한 내용이 동의서 및 설명문에 포함되어야 할 것이다. 다만, 임상시험의 경우 표준치료 방법이나 일반적인 치료방법이 존재하고 있을 수 있기에 임상시험대상자가 선택할 수 있는 다른 치료방법이나 종류가 있다면 이에 관한 사항을 그 잠재적인 위험과 이익에 대한 내용까지를 포함하여 동의서 및 설명문에 명시하도록 하고 있다. 그러나, 치료목적사용의 경우는 응급사용의 경우와 마찬가지로 환자가 생명을 위협하는 중대한 질환을 가지고 있고 치료를 위해 더 이상 선택할 수 있는 다른 치료방법이 사실상 없는 상태임을 전제조건으로 하고 있다는 점을 감안하면 사실상 다른 치료방법이나 종류에 대한 설명은 현실적으로 무의미한 것일 수 있다. 하지만 치료목적사용이 이러한 환자에 대해 제한적으로 허용되는 것임을 설명하기 위해서 이에 관한 내용을 동의서 및 설명문에 포함시키는 것은 치료목적사용에 대한 이해를 돕기에 적절할 수도 있을 것이다.

### 3) 사용되는 임상시험용의약품에 관한 정보

치료목적사용이 비록 시판 허가된 의약품이 아니라 연구 단계에 있는 임상시험용의약품을 사용하여 이루어지기는 하지만, 앞서 언급한 바와 같이 치료목적사용이 가능한 임상시험용의약품의 범주는 중대한 질환에 대하여 임상시험을 통하여 임상적 효과가 관찰된 의약품으로 법에 의해 한정되어 있기에 해당 적응증으로 이의 시판 허가를 신청하기 이전 단계나 신청 중인 단계에 있는 것이 사용된다. 그러므로 해당 임상시험용의약품이 우리나라에서 시판 허가된 의약품은 아니라도 그간 임상시험을 통해 안전성과 유효성이 어느 정도 확인된 것이라는 점을 환자가 알 수 있어야만 치료목적사용에 참여할 것인지 여부를 결정할 수 있을 것이기에, 해당 임상시험용의약품의 안전성과 유효성에 관하여 알 수 있도록 하기 위한 내용으로서 해당 임상시험용의약품을 대상으로 한 임상시험 경과 및 결과에 관한 내용 등이 동의서 및 설명문에 포함되어야 할 것이다.<sup>73)</sup> 이는 임상시험에 있어 임상시험용 의약품에 관한 정보를 동의권자인 임상시험대상자에게 제공하도록 하고 있는 것과 동일한 것이라고 할 수 있다. 물론 해당 임상시험용의약품은 이미 시판 허가 직전까지의 단계를 거치며 연구되었을 것이므로 그 문제점으로서 사용에 따른 이상반응이 무엇인지 역시 어느 정도 확인이 되었을 것이다. 이에 임상시험용의약품의 사용으로 인해 환자의 건강에 발생

할 수 있는 문제점에 대한 내용 역시 안전성과 관계되는 내용으로서 동의서 및 설명문에 포함되어야 할 것이다.

### 4) 치료목적사용의 절차와 방법 및 환자가 준수하여야 하는 사항

임상시험에 있어 임상시험대상자가 어느 정도 기간 동안 전체적으로 몇 명의 임상시험대상자가 참여하는 상황에서 어떠한 절차에 따라 참여하며 어떠한 검사를 받게 될지에 대해 알고, 특히 임상시험대상자가 준수하여야 할 사항에 대해 잘 알고 있어야만 전체적인 진행에 있어 문제가 없을 것이기에 이에 관한 내용을 동의서 및 설명문에 포함시키도록 하고 있다. 이와 마찬가지로, 치료목적사용을 위해 어떠한 기준(임상시험을 기초로 설정된 포함기준 및 제외기준)에 따라 선정된 총 몇 명의 환자가 어느 정도의 기간 동안 임상시험용의약품을 어떻게(임상시험 결과를 근거로 확립된 투여방법 및 투여량 등) 사용하게 되는지, 사용 전후로 필요한 검사가 있다면 무엇인지를 비롯하여 치료목적사용의 절차와 방법에 대해 환자가 알 수 있도록 하기 위한 내용, 그리고 치료목적사용에 참여하는 환자가 준수하여야 하는 사항이 있다면 그것이 무엇인지를 환자가 알 수 있도록 하기 위한 내용이 동의서 및 설명문에 포함되어야 할 것이다.

73) 대법원은 의사는 의료행위에 앞서 환자나 그 법정대리인에게 질병의 증상, 치료방법의 내용 및 필요성, 발생이 예상되는 위험 등 상시의 의료 수준에 비추어 상당하다고 인정되는 사항을 설명하여 환자가 그 필요성이나 위험성을 충분히 비교해보고 그 의료행위를 받을 것인지 여부를 선택할 수 있도록 할 의무가 있고, 특히 그러한 의료행위가 임상시험의 단계에서 이루어지는 것이라면 해당 의료행위의 안전성 및 유효성(치료효과)에 관하여 그 시행 당시 임상에서 실천되는 일반적 표준적 의료행위와 비교하여 설명할 의무가 있으며, 의약품 공급자는 임상시험 단계에 있는 의약품을 공급함에 있어 해당 의약품의 안전성 및 유효성(치료효과) 등 그 구입 여부의 의사결정에 영향을 줄 수 있는 중요한 사정을 수요자에게 고지할 신의칙 상의 의무가 있다고 판시한 바 있다. 이에 대해서는 대법원 2010. 10. 14 선고 2007다3162 판결 참고, 그리고 서울행정법원도 치료실험이 정당화되기 위해서는 그와 같은 진료행위가 현재 학문적으로 인정받지 아니한 것이기에 진료행위의 안전성과 유효성에 대해서나, 그 결과와 위험성 등에 대해 충분한 설명이 이루어져야 하는데, 이는 일반적인 진료행위 당시 환자에 대한 설명의무에 비하여 보다 엄격하게 이루어져야 한다고 판시한 바 있다. 이에 대해서는 서울행정법원 2004. 6. 15 선고 2002구합42251 판결 참고.

5) 사용되는 임상시험용의약품이 환자에게 무상으로 제공된다는 사실

임상시험에 있어 시험대상자는 반드시 연구에 참여해야 할 이유가 없음에도 불구하고 연구를 위해 기꺼이 참여해주는 경우이므로 임상시험용의약품은 이를 시판할 수 있도록 하기 위해 연구를 하고자 하는 측, 즉 해당 임상시험용의약품의 원개발사인 제약업체에서 이를 직접 시험대상자에게 제공해주는 것이 당연하다. 그러므로 임상시험용의약품에 대한 비용을 시험대상자가 전혀 지불하지 않는다고 해서 이를 무상이라고 볼 수 없다. 그리고 대체로 환자의 경우 임상시험에 참여할 수 있기는 하지만 이외에 이미 존재하는 다른 치료방법을 사용할 수도 있다. 그러므로 임상시험용의약품을 무상으로 제공한다는 표현의 사용이 자칫 임상시험 참여에 대한 유인으로 작용할 수 있다는 점이 우려되기 때문에 통상적으로 “무상”이라는 표현의 사용은 지양되어야 할 것으로 간주되고 있다.<sup>74)</sup>

반면, 치료목적사용은 임상시험용의약품이기는 하지만 이를 임상시험, 즉 연구 목적으로 제공해주는 것이 아니라 이의 사용에 대한 절실함이 있는 환자에게 임상시험용의약품이 인도적 차원에서 사용될 수 있도록 제공해주는 것이다. 따라서 비록 임상시험용의약품이지만 이를 제공해주기 위해서는 제공자 측에 비용이 발생할 수밖에 없는 반면, 이를 제공해주더라도 제공자 측에서 연구 데이터의 획득과 같은 직접적인 대가를 바

랄 수는 없는 상황이다. 물론 이 임상시험용의약품은 말 그대로 시판 허가를 받기 전의 상태이므로 현실적으로 이를 판매하는 것도 구입하는 것도 가능하지 않은 것도 사실이다. 그러므로, 해당 임상시험용의약품의 원개발사인 제약업체 또는 임상시험계획에 대해 식약처의 승인을 받은 자가 치료목적사용을 위해 해당 임상시험용의약품을 무상으로 공급해줄 의향이 있는 경우가 전제될 수밖에 없다. 이러한 점을 감안하면 치료목적사용을 위해 환자에게 비용을 받지 않고 임상시험용의약품을 제공해주는 것이 무상 제공으로 표현되는 것은 적절할 뿐만 아니라 오히려 반드시 그러하여야 한다는 사실이 환자에게 알려질 필요가 있다. 그러므로 사용되는 임상시험용의약품이 무상으로 제공된다는 사실을 환자가 알 수 있도록 하기 위한 내용도 동의서 및 설명문에 포함되어야 할 것이다.

6) 치료목적사용에 따른 금전적 보상은 이루어지지 않는다는 점

임상시험에 참여하는 환자인 연구대상자 역시 치료목적사용에 참여하는 환자와 마찬가지로 임상시험용의약품의 사용에 따른 치료 효과를 기대한다는 점에서는 동일하지만, 임상시험의 경우 해당 임상시험용의약품이 안전하고 유효한가를 알아보기 위한 것이 근본적인 목적이므로 이러한 연구 과정 속에서 환자가 치료 효과를 볼 수 있는 경우가 존재할 수 있는 것임에 비해, 치료목적사용의 경우 연구를 목적으로 이루어지는 일이

74) 미국의 인간대상연구보호프로그램인증협회(Association for the Accreditation of Human Research Protection Programs)의 인간대상연구보호프로그램(Human Research Protection Program) 평가인증제도와 관련하여 사실상 평가인증 기준을 담고 있는 인증을 위한 평가 도구(Evaluation Instrument for Accreditation, 2014.1.1)에는, 연구대상자 모집 방법으로 사용되는 모집공고문은 연구 참여를 위한 연구대상자 동의 과정의 일부로서 동의 교섭의 시작일 수 있어 이에 포함되어 있는 내용은 적절한 동의 과정에 영향을 줄 수 있으므로 연구 참여를 위해 당연히 연구대상자가 부담하지 않아도 되는 사항을 마치 “무료 치료”로 둔갑시켜 약속하는 표현이 연구대상자 모집공고문에 포함되어서는 안 될 것이기에 포함 여부에 대해 IRB가 심의하여야 한다고 되어 있다. 이에 대한 구체적인 내용은 Domain 2 : IRB의 Standard II-3 중 Element II.3.C. 참고. 따라서 동의서 및 설명문에도 마찬가지로 “무료”라는 표현이 사용되어서는 안 되는 것으로 간주되고 있다.

아니라 근본적으로 환자의 치료를 목적으로 한다는 점에 큰 차이가 있다. 따라서 임상시험에 있어서는 환자가 임상시험에 참여하는 일과 관련하여 실제로 소요한 비용을 보전해주거나 참여에 대한 감사 표시 차원에서 시험대상자가 교통비, 식비 등의 명목으로 금전적 보상을 지급받는 경우가 상당수 존재한다. 이에 임상시험에 있어서는 임상시험대상자가 임상시험에 참여함으로써 받게 될 금전적 보상이 있는 경우 예상 금액 및 이 금액이 임상시험 참여의 정도나 기간에 따라 조정될 것이라고 하는 내용을 동의서 및 설명문에 적시하도록 되어 있다. 하지만, 치료목적사용은 동정적 사용이기에 이에 참여한다는 이유로 환자에게 금전적 보상이 지급되는 일은 거의 없을 것이다. 그러므로 참여에 따른 금전적 보상이 지급되는지 여부나 지급 시 참여 정도나 기간에 따른 보상액 조정에 대한 내용 역시 임상시험에서는 시험대상자를 위한 동의서 및 설명문에 포함되어야 하는 사항일지라도 치료목적사용에는 해당되지 않는다. 오히려, 임상시험용의약품을 사용한다는 점 때문에 환자가 임상시험 참여와 치료목적사용 참여를 혼동하여 치료목적사용에 참여했다는 이유로 금전적 보상을 받을 수 있을 것이라고 오인할 수 있는 가능성이 있다. 따라서 치료목적사용에 따른 금전적 보상은 이루어지지 않는다는 점을 환자가 명확하게 알 수 있도록 동의서 및 설명문을 통해 제시해줄 필요가 있다.

7) 치료목적사용과 관련하여 환자가 소요하여야 하는 비용이 있는 경우 해당 내용

임상시험에 참여하는 환자인 연구대상자를 대상으로 어떠한 검사가 이루어지는 경우 이를 통해 환자의 건강상태를 확인한다거나 해당 환자의 질환 치료를 위해 필요한 정보를 얻을 수 있을 것

이나, 이러한 검사는 사실 이 자체를 목적으로 하는 것이 아니라 해당 임상시험용의약품이 안전하고 유효한가를 알아보기 위한 것이다. 그러므로 임상시험에 있어서는 이러한 검사에 소요되는 비용도 임상시험용의약품은 이를 시판할 수 있도록 하기 위해 연구를 하고자 하는 측, 즉 해당 임상시험용의약품의 원개발사인 제약업체에서 부담하는 것이 당연하다. 하지만, 치료목적사용에 참여하는 환자를 대상으로 이루어지는 검사는 해당 임상시험용의약품의 유효성이나 안전성을 확인하기 위해 필요한 데이터를 획득하기 위한 목적에서가 아니라 직접적으로 그 환자의 건강상태를 확인한다거나 해당 환자의 질환 치료를 위해 필요한 정보를 얻고자 하는 목적에서 이루어지는 것이기에 이러한 검사에 소요되는 비용은 환자가 부담하는 것이 적절하다. 실제로 임상시험에 있어서도 동일한 이유에서 임상시험대상자가 비용을 부담하여야 하는 경우 이에 대해 정확하게 알 수 있도록 하는 내용이 동의서 및 설명문을 통해 제시되어야 하는 것으로 되어 있다. 그러므로 치료목적사용과 관련하여 환자가 소요하여야 하는 비용이 있다면 왜 이를 환자가 부담하여야 하는지에 대한 설명과 함께 해당 내용이 동의서 및 설명문에 포함되어야 할 것이다.

8) 치료목적사용에 따른 위험이나 불편, 그리고 치료목적사용이 중지될 수 있는 경우

치료목적사용에서는 아직 검증이 완료되지 않은 임상시험용의약품을 사용하여 절차를 진행하고, 이러한 절차 진행을 위해 환자는 병원을 방문하여 검사를 받는 등의 일을 하여야 한다. 따라서 환자에게는 임상시험 참여에 따른 위험이나 불편에 준하는 위험이나 불편이 따를 수 있다. 그러므로 치료목적사용이 환자에게 미칠 것으로 예상되

는 위험이나 불편, 임상시험용의약품의 사용으로 인해 환자에게 발생할 수 있는 이상반응의 문제 등에 대해서는 환자가 반드시 알 수 있도록 하여야 하기에 관련 내용이 동의서 및 설명문에 포함되어야 할 것이다. 이는 임상시험에 있어 임상시험대상자에게 미칠 것으로 예상되는 위험이나 불편에 대한 내용을, 그리고 응급사용으로서의 임상시험용의약품의 사용이 응급환자에게 미칠 것으로 예상되는 위험이나 불편에 관한 내용을 동의서 및 설명문에 적시하여 제공하도록 하고 있는 것과 동일한 것이라고 할 수 있다.

특히, 심각한 이상반응이 발생하거나 환자의 건강상태가 나빠지는 등의 이유로 해당 임상시험용의약품을 계속 사용하는 것이 부적절한 경우에는 환자가 원하더라도 치료목적사용이 중단되어야 할 수 있다. 그러므로 이에 관한 기준도 미리 제시되어 환자가 알 수 있어야 하기에 관련 내용이 동의서 및 설명문에 포함되어야 할 것이다. 이는 임상시험에 있어 임상시험 도중 임상시험대상자의 임상시험 참여가 중지되는 경우와 그 사용에 대한 내용을 제공하도록 하고 있는 것과 동일한 것이라고 할 수 있다.

9) 기대 가능한 이익이나 치료효과 미발생의 가능성, 그리고 문제 발생과 그에 따른 대처에 관한 사항

치료목적사용이 비록 임상시험용의약품을 사

용하여 이루어지기는 하지만 사용 가능한 임상시험용의약품의 범주가 중대한 질환에 대하여 임상시험을 통하여 임상적 효과가 관찰된 의약품으로 법에 의해 한정되어 있다. 이에 해당 임상시험용의약품은 해당 적응증으로 시판 허가를 신청하기 이전 단계나 신청 중인 단계에 있는 것이다. 그러므로 해당 임상시험용의약품을 사용하는 환자에게도 이를 이용한 임상시험에서 확인된 유효성과 동일하거나 유사한 수준에서 치료효과가 나타날 것으로 기대할 수 있고, 이는 실질적으로 환자가 가장 관심을 가지는 부분일 수밖에 없다. 하지만 치료목적사용이 예외적으로 허용되는 이유가 중대한 질환이 생명을 위협하고 있는 상황에 처해 있는 환자에게 마지막으로 기회를 주고자 하는 것이라는 점을 감안하면, 경우에 따라서는 환자 상태의 심각성 등으로 인해 아무런 치료효과가 발생하지 않을 수도 있다. 그러므로 기대 가능한 이익이 있을 수 있으나 치료효과가 발생하지 않을 가능성도 병존할 수 있기에<sup>75)</sup> 이에 관한 내용은 동의서 및 설명문에 반드시 포함되어야 할 것이다. 참고로, 임상시험에 있어서도 이러한 사정은 크게 다르지 않을 수 있기에 임상시험을 통해 임상시험대상자에게 기대되는 이익이 있는 경우에는 해당 내용을 적시하도록 하고 있을 뿐만 아니라 그렇지 않고 기대되는 이익이 없을 경우에도 그 사실을 적시하도록 하고 있다.

그리고, 치료목적사용은 임상시험용의약품을 사용하기에 이미 임상시험을 통해 확인된 이상반

75) 치료목적사용의 경우 임상시험을 통하여 임상적 효과가 관찰된 임상시험용의약품을 사용하기는 하지만 말 그대로 아직은 임상시험용의약품일 뿐이기에 치료효과가 발생하지 않을 수 있는데, 치료효과를 기대하지 않을 수 없는 환자 입장에서 이에 대해 문제를 삼을 수 있는 여지도 존재한다. 하지만 치료목적사용이 치료를 목적으로 한다는 점과 환자가 치료목적사용에 대해 동의하여 의사에게 그에 따른 절차 진행을 부탁하고 의사가 환자의 동의에 따라 치료목적사용의 절차를 개시한다는 점에 주목하면 이는 일반적인 의료계약과 매우 유사한데, 일반적인 의료계약의 경우 결과적인 성공을 보장하는 도급계약이 아니라 의료인으로 하여금 전문적인 지식과 경험에 근거하여 환자에게 의료행위를 할 수 있도록 하는 위임이나 고용계약에 해당하는 것으로 판단되고 있다. 따라서 원칙적으로는, 의료인이 행한 의료행위에 하자가 없거나 의료행위가 설명의무를 위반하고 의료인의 독단적인 결정에 의해 이루어지지 않는 한 책임을 물을 수는 없는 것으로 해석되고 있다. 그러므로 치료목적사용에 있어 치료효과가 발생하지 않을 수 있다는 점과 관련해서는 이러한 점에 대해서도 설명되어야 할 필요가 있을 것이다. 의료계약의 성격에 대한 해석과 그에 따른 책임에 대한 보다 자세한 내용은 김기영, “새로운 약제의 사용과 의사의 민사책임의 근거”, 「법조」 제59권 제5호, 법조협회, 2010, 81-87면 참고.

응의 문제가 환자에게 발생할 수 있을 뿐만 아니라, 환자 상태의 심각성 등으로 인해 임상시험을 통해 확인되지 않은 이상반응의 문제도 발생할 가능성이 있고, 이는 환자에게 손상의 발생으로 이어질 수도 있을 것이다. 물론 임상시험용의약품 자체에 결함이 있어 문제가 발생한 것이라면 비록 임상시험용의약품이 아직 시판에 대한 허가를 받지 않은 것이지만 합성화학물질로서 제조되거나 가공된 동산으로서 「제조물책임법」 상의 제조물에 해당하는 것으로 보아 비록 무상으로 제공해준 것이라고 하더라도 그 제조사인 제약업체가 문제 발생과 관련한 책임을 지도록 할 수는 있을 것이다[2].<sup>76)</sup> 하지만 제약업체가 치료목적사용을 통해 해당 임상시험용의약품으로 인해 발생한 이상반응에 대한 보고를 받아 자신들에게 유용할 수 있는 정보를 획득할 수 있다고 하더라도, 치료목적사용은 해당 임상시험용의약품의 원개발사인 제약업체에서 환자를 위해 임상시험용의약품을 무상으로 제공해주면서 선의(善意)로 진행하는 일이고 환자 역시 치료목적사용이 임상시험용의약품을 사용하기에 일반적이거나 표준적인 치료와 다르다는 점을 이해하고 동의한 후에 임하게 되므로 제약업체에 의한 임상시험용의약품의 제조 과정 상 고의나 중과실에 의한 하자가 있었다거나 임상시험 결과를 조작하였다거나 하는 문제가 있지 않는 한 치료목적사용에 참여한 환자에게 발생하는 문제, 특히 손상의 발생에 대한 대처로서 해당 제약업체에 치료나 보상에 대한 책임을 온전히 지울 수는 없을 것으로 판단된다[1].<sup>77)</sup> 동일한 맥락에서, 의사 역시

환자를 위해 최선의 방법을 제공하고자 한 것이었을 뿐이므로 치료효과가 발생하지 않았다거나 심지어 결과적으로 부정적인 상황에 놓이게 되었을지라도 의사에게 고의나 과실이 있지 않은 이상 이에 대한 책임을 물을 수는 없을 것으로 판단된다[1,2].<sup>78)</sup> 그러나 환자 입장에서는 치료에 대한 기대만큼이나 문제 발생에 대한 우려와 그에 따른 대처가 중요한 부분이 아닐 수 없을 것이다. 그러므로 임상시험에 있어 임상시험과 관련한 손상이 발생하였을 경우 임상시험대상자에게 주어질 보상이나 치료방법에 대한 내용을 반드시 동의서 및 설명문에 적시하도록 하고 있는 것과 마찬가지로, 치료목적사용에 있어서도 이에 따른 문제 발생 시 제약업체와 의사가 치료나 보상에 대한 책임을 지게 되거나 그렇지 않은 범위, 그리고 만약 책임을 지게 되는 부분이 있다면 구체적인 기준과 방법 등에 관한 내용 역시 동의서 및 설명문에 반드시 포함되어야 할 것이다.

10) 이상반응 발생, 효과 및 안전성에 대한 추적 결과 등의 정보 수집 및 관련 보고에 관한 사항

앞서 언급한 바와 같이, 치료목적사용의 경우 의사에게는 해당 환자에게 발생한 이상반응, 효과 및 안전성에 대한 추적결과 등 수집된 정보를 임상시험용의약품을 제공한 자인 제약업체에 알려주어야 하는 의무가 있다. 특히, 예상하지 못한 중대한 이상약물반응이 발생한 경우에는 반드시 식약처에 보고를 하여야 하는 법적 의무를 갖고 있다. 그러므로 비록 치료목적사용이 임상시험용

76) 같은 의견 및 동정적 사용을 위해 제공된 임상시험용의약품의 제조물로서의 책임과 관련된 구체적인 내용은 최현태, “의약품 ‘동정적 사용 프로그램(Expanded Access Program)’의 민사법적 고찰”, 『법학연구』 제23권 제4호, 경상대학교 법학연구소, 2015, 388-389면, 397-398면, 406-409면 참고.

77) 같은 의견으로는 강한철, “약사법상 의약품 동정적 사용제도”, 『한국의료법학회지』 제21권 제호, 한국의료법학회, 2013, 25-27면 참고.

78) 같은 의견으로 및 동정적 사용에 있어 의사의 책임에 대한 구체적인 내용은 강한철, “약사법상 의약품 동정적 사용제도”, 『한국의료법학회지』 제21권 제1호, 한국의료법학회, 2013, 25-27면; 최현태, “의약품 ‘동정적 사용 프로그램(Expanded Access Program)’의 민사법적 고찰”, 『법학연구』 제23권 제4호, 경상대학교 법학연구소, 2015, 398-403면 참고.

의약품의 안전성과 유효성을 입증하기 위해 이루어지는 연구는 아니지만, 임상시험용의약품의 사용에 따른 이상반응 발생과 그 효과 및 안전성은 1차적으로는 해당 임상시험용의약품의 시판 허가와 관련된 것이고 궁극적으로는 추후 시판되는 의약품을 사용하게 되는 환자의 건강과 생명에까지 관계될 수 있는 부분이므로 이와 관련된 정보가 수집되어 제약업체와 식약처가 이를 공유할 수 있도록 하는 것은 매우 중요하다. 그러므로 이러한 정보의 수집과 제공에 대한 법적 의무가 있다는 사실이 환자에게 사전에 설명되고 동의되어야 할 뿐만 아니라 이상반응의 발생이나 이에 따른 손상의 발생에 대해서 환자가 누구에게 어떻게 연락하여야 하는지도 알아야 하기 때문에 이러한 이러한 내용 또한 동의서 및 설명문에 반드시 포함되어야 할 것이다. 참고로, 임상시험에 있어서는 모니터요원이나 점검을 실시하는 사람, IRB 및 식약처장이 관계 법령에 따라 임상시험의 실시절차와 자료의 품질을 검증하기 위하여 임상시험대상자의 신상에 관한 비밀이 보호되는 범위에서 임상시험대상자의 의무기록을 열람할 수 있다는 사실과 임상시험대상자 또는 임상시험대상자의 대리인이 서명한 동의서에 의하여 이러한 자료의 열람이 허용된다는 사실과, 임상시험과 관련된 손상이 발생한 경우에 연락해야 하는 사람에 대한 정보를 동의서 및 설명문에 명시하도록 하고 있다.

- 11) 치료목적사용에 대해 환자에게 동의 철회권이 있다는 점, 계속 참여 여부에 영향을 줄 수 있는 새로운 정보를 취득하면 이를 환자에게 알려줄 것이라는 사실

환자에게 치료목적사용에 대한 자율적 결정권이 있음을 인정한다는 것은 곧 환자가 원래 받을

수 있는 이익에 대한 손실 없이 치료목적사용에 응하지 않을 수 있다는 점을 인정하는 일 외에 치료목적사용에 응하더라도 도중에 더 이상 원하지 않는 경우라면 언제든지 그만둘 수 있다는 점을 인정하는 것까지를 포함한다. 그러므로 환자는 자신에게 동의 철회에 대한 권리가 있다는 점도 알 수 있어야만 한다. 이에 임상시험에 있어서나 응급사용에 있어 임상시험대상자나 환자가 원래 받을 수 있는 이익에 대한 손실 없이 그 참여 도중에도 언제든지 이를 포기 또는 중단할 수 있도록 하는 것을 인정하고 이에 대한 내용을 동의권자가 알 수 있도록 하기 위해 동의서 및 설명문에 적시하도록 하는 것과 마찬가지로, 치료목적사용에 있어서도 이와 동일한 내용이 동의서 및 설명문에 명시되어야 할 것이다.

그런데 이러한 동의 철회는 이상반응과 같은 문제의 발생이 원인이 될 수도 있지만, 치료목적사용에 계속 응할 것인지 여부에 대해 결정하는데에 영향을 줄 수 있는 정보와 밀접한 연관성이 있을 수밖에 없다. 임상시험이나 응급사용에 있어서도 이러한 사정은 동일하기에 임상시험대상자의 임상시험 계속 참여 여부에 영향을 줄 수 있는 새로운 정보를 취득하거나 응급상황의 임상시험용의약품 사용에 영향을 줄 수 있는 새로운 정보를 취득하면 제때에 또는 지체 없이 이러한 사실을 임상시험대상자나 환자 또는 이들 각각의 대리인에게 알릴 것이라는 사실을 동의서 및 설명문에 명시하도록 하고 있다. 치료목적사용에 있어서도 이와 동일한 내용이 동의서 및 설명문에 명시되어야 할 것이다.

- 12) 기타

임상시험에 있어서는 임상시험과 임상시험대상자의 권익에 관하여 추가적인 정보가 필요한

경우에 연락해야 하는 사람에 대한 정보를 동의서 및 설명문에 적시하도록 하고 있다. 이는 치료목적사용에 있어서도 동일하게 적용되는 것이 타당할 것이다.

그리고, 임상시험은 연구이므로 추후 그 결과가 출판되는 것을 목적으로 하는 경우가 대부분이므로 이러한 경우에 있어 임상시험대상자의 신상이 비밀로 보호되는 것은 매우 중요한 일이기 때문에 이에 관한 사항이 동의서 및 설명문에 반드시 적시되어야 하는 것으로 규정되어 있다. 그러나 치료목적사용의 경우는 연구가 아니므로 연구와 관련된 성격의 내용은 적시되지 않는 것이 적절할 것이다.

#### IV. 마치며

심각한 질병으로 인해 생사의 갈림길에 놓여 있음에도 불구하고 더 이상의 치료방법이 없는 환자들에게 치료목적사용은 응급사용과 더불어 실낱 같더라도 삶이나 건강에 대한 희망을 가질 수 있도록 해준다는 점에 매우 중요한 의의가 있다. 물론 의생명과학기술의 발전이 급격하다는 점을 감안하면 비록 연구 중에 있는 임상시험용 의약품이라고 하더라도 실제로 이들의 치료에 의미 있는 도움을 줄 수 있을 것으로 충분히 기대할 수도 있다. 그러나 이러한 이유에서 임상시험용 의약품의 치료목적사용이 예외적으로 허용되는 것임에도 불구하고, 이를 위해 환자로부터 동의

를 획득하는 일과 관련한 법적 기준은 구체적으로 제시되고 있지 않다. 또 다른 하나의 예외적 허용인 임상시험용의약품의 응급사용에 있어서는 동의서에 포함되어야 하는 내용이 법에 명확하게 규정되어 있으나, 치료목적사용에 있어서는 그러하지 않다. 치료목적사용 역시 응급사용과 마찬가지로 임상시험용의약품을 사용하는데, 이 두 가지 사용 모두 임상시험용의약품의 사용에 따른 위험성 등을 이유로 예외적으로 인정되는 것이라는 점만을 고려하더라도 이 두 가지 사용을 위한 동의 획득에 대해 동일 또는 유사한 기준이 법적으로 제시될 필요가 있다고 판단된다. 이에 지금까지 치료목적사용을 임상시험이나 응급사용과 비교하여 그 공통점과 차이점을 확인하여 정리하고, 임상시험과 응급사용을 위한 동의 획득의 방법이나 내용과 관련한 법적 기준을 살펴 분석하였으며, 이러한 정리와 분석을 바탕으로 하여 치료목적사용을 위해 환자로부터 어떠한 방법으로 어떠한 내용에 대해 동의를 획득하여야 하는지에 대한 기준을 제시하였다.

임상시험용의약품의 동정적 사용이 인도적으로 매우 의미가 있을 수 있는 일이라는 하지만 그만큼 환자가 감당하여야 하는 위험성 등의 문제도 간과할 수는 없기에 치료목적사용과 응급사용에 앞서 환자에게 이에 대한 정보와 설명을 충분히 제공해주고 적절하게 동의를 획득하는 일은 국제적으로도 가장 중요한 일로 강조되고 있다[6,7].<sup>79)</sup> 그리고 동의 획득에 있어 결과적이고

79) 에볼라 바이러스 감염 질환에 대해 등록되지 않은 중재(unregistered interventions)를 사용하는 일과 관련한 윤리적 고려사항들에 대해 자문단이 세계보건기구에 제출한 보고서(Ethical considerations for use of unregistered interventions for Ebola viral disease (2014))에 의하면, 윤리적 과학적 기준이 이러한 등록되지 않은 중재를 사용하는 것을 안내하여야만 하는데, 이와 관련한 윤리적 기준 또는 이의 사용에 앞서 필수적으로 고려하여야 할 사항 중에 충분한 정보에 근거한 동의 획득이 포함되어 있다. 이에 대해서는 이 보고서 5-7면 참고. 또한 Annette Rid와 Ezekiel J Emanuel는 에볼라 관련한 실험적 중재에 있어 윤리적으로 고려되어야 할 사항으로 협력적 파트너십, 사회적 가치, 과학적 타당성, 대상자의 공정한 선정, 위험-이익 균형, 독립적인 심의, 선정된 대상자와 지역사회에 대한 존중과 더불어 충분한 정보에 근거한 동의 획득을 제시하면서 이와 관련된 윤리적 원칙들을 제안하였다. 이에 대한 자세한 내용은 Annette Rid, Ezekiel J Emanuel, "Ethical considerations of experimental interventions in the Ebola outbreak", THE LANCET, Volume 384, No. 9957, p.p.1896-1899, 22 November 2014, [http://dx.doi.org/10.1016/S0140-6736\(14\)61315-5](http://dx.doi.org/10.1016/S0140-6736(14)61315-5) 참고.



형식적인 측면도 중요하지만 실질적인 측면도 매우 중요하기에 IRB가 동의 획득 방법 및 절차 그리고 동의서 및 설명문을 중심으로 동의 획득을 위한 준비의 적절성에 대하여 사전에 살펴봄으로써 보다 적절한 동의 획득이 가능하도록 하는 일 역시 필수적인 일로 받아들여지고 있다. 그렇다면 동의 획득이 윤리적으로나 법적으로 적절할 수 있도록 하기 위해 준수되어야 하는 기본적인 기준이나 최소한의 기준은 법이나 가이드라인을 통해 명확하게 제시될 필요가 있다. 그래야만 치료목적사용에 관계되는 제약사와 의사 등이 이에 맞추거나 이를 고려하여 치료목적사용을 위한 동의 획득을 준비할 수 있을 것이고, IRB 위원들 역시 이에 따라 동의 획득의 적절성에 관하여 판단을 내릴 수 있을 것이다. 이에 치료목적사용에 있어 동의 획득 기준도 응급사용이나 임상시험의 경우처럼 관련 법이나 가이드라인을 통해 구체적으로 제시될 수 있기를 기대한다. ㉞

## REFERENCES

- 1) 강한철. 약사법상 의약품 동정적 사용제도. 한국의료법학회지 2013 ; 21(1) : 7-33.
- 2) 최현태. 의약품 ‘동정적 사용 프로그램(Expanded Access Program)’의 민사법적 고찰. 법학연구 2015 ; 23(4) : 379-416.
- 3) 식품의약품안전처 의약품안전국 임상제도과. 응급환자 등 치료를 위한 임상시험용의약품의 안전 사용 가이드라인. 청주 : 식품의약품안전처, 2015.
- 4) U.S. Department of Health and Human Services, Food and Drug Administration, Center for Drug Evaluation and Research, Center for Biologics Evaluation and Research. Guidance for Industry: Expanded Access to Investigational Drugs for Treatment Use Qs & As. Washington, D.C. : U.S. Department of Health and Human Services, 2013.
- 5) 김앤장. 줄기세포치료제 치료기회 확대 방안 연구. 식약처 연구보고서. 청주 : 식품의약품안전처, 2014.
- 6) Rid A, Emanuel EJ. Ethical considerations of experimental interventions in the Ebola outbreak. Lancet 2014 ; 384(9957) : 1896-1899.
- 7) Report of an advisory panel to WHO. Ethical considerations for use of unregistered interventions for Ebola viral disease. Geneva : WHO, 2014.

# A Study on the Ethical and Legal Standards to Obtain the Patient's Informed Consent about the Use of Investigational Product for Patient Treatment

KIM Eun Ae\*

## Abstract

Legally, the investigational product (IP) can be used only in the clinical trial (CT) since its safety and effectiveness are still under investigation. Nevertheless, on the humanitarian grounds and in the exceptional cases, IP can be used legally for the patients with life-threatening critical illness and no other treatment options (Treatment Use, TU) as well as for those in emergency situation as a result of life-threatening illness (Emergency Use, EU). It is important that informed consent (IC) should be obtained in all cases in which IP is used. However, unlike the cases of CT and EU, there are no specific legal standards regarding IC process for TU, other than that it should be in accordance with the legal standards for obtaining IC for CT. Recently, the Korean Ministry of Food and Drug Safety announced the guideline related to EU and TU, but the specific standards related to obtaining IC for TU were not included in that guideline. So in this article, I propose the ethical and legal standards for obtaining IC for TU. For this, I compare TU with CT and EU to identify their similarities and differences. In particular, I analyze the specific legal standards for obtaining IC for CT and EU.

## Keywords

use of investigational product for patient treatment, informed consent, investigational product, use of investigational product for emergency patient, clinical trial

---

\* Ewha Institute for Biomedical Law & Ethics, Ewha Womans University: *Corresponding Author*