

국내 희귀의약품의 현황 및 과제 -희귀질환에 대한 의약품 공급을 중심으로

김희은^a · 곽혜선^{a,b}

^a이화여자대학교 임상보건과학대학원, ^b이화여자대학교 약학대학

Current Status and Expectations of Orphan Drugs in Korea -In point of supplying medicines for the rare diseases-

Hee-Eun Kim^a and Hye-Sun Gwak^{a,b}

^aGraduate School of Clinical Health Sciences, Ewha Womans University, Seoul 120-750, Korea

^bCollege of Pharmacy, Ewha Womans University, Seoul 120-750, Korea

This study was aimed to investigate the current status and expectations of orphan drugs in Korea. The Korea Orphan Drug Center was established to supply many medicines for the patients with rare diseases. Among the medicines supplied by the Center, the number designated as the orphan drugs by the KFDA is quite few. However, a few of medicines are not under circulation even if the items are designated as the orphan drugs. Neoplasm-related medicines, infectious and parasitic disease-related medicines, endocrine, nutritional and metabolic disease-related medicines are the ones circulated most. There are several unapproved drugs among the medicines supplied by the Center. It's because the director of the Center can import the goods without a process to getting an approval from the KFDA. The Korea Orphan Drug Center has contributed to the selection of the medicines for treating the rare disease. On the contrary, some problems remain in the supply process. The safety and effectiveness of the medicines supplied by the Center are not guaranteed. So far, rare diseases have no specific legal definition, and therefore are only referred to in terms of the population of patients, which prevent from establishing the range of medicines.

The introduction of Special Access Program or Access to Unapproved Therapeutic Goods will be the solution of these problems. In addition, it is another solution to keep intimate relations with the Rare and Intractable Disease Center and the Medicine Safety Information Center which will be open soon.

□ **Key words** – Orphan Drugs, Korea Orphan Drug Center, Rare Disease

의약품은 질병의 진단 및 치료에 있어서 중요한 역할을 하는 보건의료자원으로 이의 원활한 공급은 국민 건강증진을 위해 기본적으로 충족되어야 할 요소이다. 오늘날 의·약학 등 생명과학기술의 발달과 더불어 의약품 연구개발도 매우 활발하게 진행되어 의약품 시장에는 상당수 의약품이 많은 제약기업에 의하여 대량으로 생산·공급되고 있다. 그럼에도 불구하고 여전히 희귀질환자의 치료 및 진단에 사용되는 의약품들의 경우 시장성·채산성이 떨어진다는 이유로 연구개발에 대한 투자나 생산이 제대로 이루어지지 않는 등, 의약품 수급의 사각지대에 놓여 있다. 따라서, 환자의 질병 진단이나 치료에 장애가 되고 있는 경우 또한 종종 발견된다. 또

한, 오늘날 과학기술의 발달에 따른 인류의 수명연장으로 인한 생존기간의 증가와 여러 환경적 요인을 감안한다면, 향후 질병의 종류는 더욱 다양해질 것으로 예상된다. 더욱이 진단기술의 발달로 인하여 희귀질환의 종류는 더욱 증가할 것으로 전망되며, 더불어 대상 환자 수가 적고 연간 필요량이 극히 미미한 의약품에 대한 수요도 계속 증가할 것이다¹⁾.

의약품의 연구개발 및 생산에 관한 사회적 기반이 취약한 우리나라의 경우 이러한 희귀의약품의 대부분을 수입에 의존하고 있다. 그러나 이러한 의약품의 수입도 용이한 것이 아니며 환자나 그 가족 또는 이들을 치료하는 의료인들에게 상당한 부담이 되어 왔다. 이에 정부에서는 이들을 위한 의약품의 원활한 수급을 지원할 목적으로 '한국희귀의약품센터'의 설립을 추진하였다.

희귀의약품센터의 설립 초창기에는 여러 가지 제도적, 법률적 문제로 인해 의약품의 공급업무를 적절하게 수행하지 못하였으나 2001년 9월 1일 「수입요건확인면제대상물품중의

Correspondence to : 곽혜선

이화여자대학교 약학대학/임상보건과학대학원
서울특별시 서대문구 대현동 11-1
Tel: +82-2-3277-4376, Fax: +82-2-3277-2851
E-mail: hsgwak@ewha.ac.kr

약품등수입추천요령」의 개정고시로 인하여 자가치료용 의약품에 한하여 회귀의약품센터소장의 추천으로도 의약품의 수입이 가능하게 되었다. 이어 2002년 1월12일 약사법시행규칙의 개정을 통하여 회귀의약품센터의 장이 회귀의약품 및 회귀질환자치료용의약품을 직접 수입하는 경우에 한하여 허가절차를 생략하고 수입할 수 있게 되었다. 그리하여 2002년에는 공급의약품 72개 품목, 대상환자수 748명, 2003년 공급의약품 93개 품목, 대상환자수 1,619명, 2004년 공급의약품 110품목, 대상환자수 2,903명으로 2002년 이후 공급의약품의 종류와 대상환자의 수가 해를 거듭할수록 증가하고 있다.

이러한 현상은 회귀의약품센터의 의약품 공급이 식품의약품안전청의 고시에 따른 회귀의약품 중 그 수급이 불안정한 의약품에 국한하여 이루어 지는 것이 아니라, 국내에서 수급에 문제가 있는 의약품에 대하여 발생하는 다양한 요구를 수용한 결과로 보여 진다. 이러한 요구는 크게 두 가지로 볼 수 있는데 하나는 국내의 열악한 의약품 개발현황과는 달리 많은 해외 신약의 출시로 인해 국내에 이미 유통되고 있는 의약품만으로 환자의 치료가 곤란 할 경우에 발생하는 이들 해외개발 신약 사용에 관한 요구이다. 또 다른 하나는 국내에 유통 중이던 의약품이 공급업소의 사정으로 인해 수입중단 되었으나 해외에서는 아직 구입이 가능한 의약품에 대한 공급 요구이다. 여기에서 회귀질환 및 회귀의약품의 정의에 입각하여 회귀의약품센터의 의약품 공급현황을 점검해 보아야 할 필요성이 제기된다. 그런데 우리나라의 경우 회귀질환에 관한 구체적인 정의가 없다고 할 수 있다. 이는 역학 조사가 제대로 이루어 지지 않아 문제의 심각성, 발병률, 유행률, 치료율 및 치료에 소요되는 비용 등에 관한 구체적 자료가 없기 때문이다²⁾. 이런 까닭에 회귀의약품센터를 통하여 공급하는 의약품에 있어서도 그 범위 설정을 명확하게 하기는 어려운 실정이다.

회귀의약품센터에서는 식품의약품안전청의 「회귀의약품 지정에관한규정」에 따라 지정·고시된 회귀의약품과 회귀질환자 치료용 의약품을 공급하고 있다. 그렇지만 회귀질환자 치료용 의약품의 경우, 별도의 규정은 마련되어 있지 않다. 그러기에 이들 의약품은 「회귀의약품지정에관한규정」의 지정기준을 응용하여, 회귀의약품센터에서 자체적으로 판단한다고 할 수 있다. 이 규정에 의하면 회귀의약품은 ‘국내 환자가 20,000명 이하이며 적절한 치료법과 대체의약품이 개발되지 아니한 질환에 사용되는 의약품’ 및 ‘현 의약품 수급체계에 비추어 제한적으로 공급되는 경우 환자의 치료에 큰 지장을 초래할 우려가 있다고 식품의약품안전청장이 인정하는 의약품’으로 되어 있다.

회귀의약품센터를 통한 의약품의 공급이 증가하면서, 회귀질환을 앓고 있는 환자나 그 가족 및 그들을 치료하는 의료인들에게 의약품 선택의 범위를 보다 확대한 측면에서는 어느 정도 기여하였다고 볼 수 있다. 그러나 정보제공의 질과 범위, 환자의 경제적 부담, 의약품 선택에 따른 의사 결정

과정에서의 환자의 권리, 의약품 사용의 적정성 평가 및 사후관리 등의 측면에 있어서는 문제점을 내포하고 있다.

본 연구에서는 식품의약품안전청에 의한 국내 회귀의약품 지정현황을 살펴 보고 회귀의약품센터를 통해 공급되는 의약품들을 회귀질환 및 회귀의약품의 관점에서 분석하며, 나아가 의약품 공급과정에서 나타날 수 있는 여러 가지 문제점들을 다각적 측면에서 점검해 보고, 이를 토대로 향후 개선 방향을 모색하고자 하였다.

연구방법

본 연구는 식품의약품안전청의 회귀의약품 자료 및 회귀의약품센터의 실적보고 자료를 대상으로 하여 실시되었다. 식품의약품안전청 고시 제2005-45호를 토대로 국내 회귀의약품 지정 현황을 파악하였다. 또한 회귀의약품센터의 실적보고 자료를 토대로 동 센터를 통하여 공급되는 의약품의 품목수 및 대상환자수의 연도별 변화 추이를 살펴보았다. 그 외, 이들 자료를 의약품 분류 및 적응증별 공급 내용으로 정리함으로써 의약품 공급상의 문제점을 파악해 보고자 하였다.

연구결과

우리나라의 회귀의약품 현황

식품의약품안전청 고시 제2005-45호, 「회귀의약품지정에관한규정」³⁾에 의하면 2005년 8월 3일까지 회귀의약품으로 지정된 성분은 107개로 그 중 항암제(분류기호421, 429, 617)가 26개로 가장 많았으며 그 다음으로 항바이러스제(분류기호629) 15개, 알레르기용제(분류기호149) 9개의 순이었다.

2005년 10월 회귀의약품센터의 유통현황 조사결과에 의하면 회귀의약품으로 지정된 성분은 총 109개 성분이며 제품은 277개 이다. 이 중 78개 성분 220 품목이 현재 국내 유통 중이며 31개 성분 57 품목은 비유통 중인 것으로 나타났다. 즉 회귀의약품으로 지정 받은 성분 중 약 28%에 해당하는 성분이 비유통 중이라고 할 수 있다. 이들 비유통 중인 의약품을 사유별로 보면 수입 미허가 4개 성분(4 품목), 허가 자진 취하 1개 성분(1 품목), 생산중단 3개 성분(6 품목), 수입예정 2개 성분(2품목), 수요부족 19개 성분 (42 품목), 약가 신청중 2개 성분(2품목)인 것으로 조사되었다⁴⁾. 이 중 비유통 사유가 수입 미허가, 약가 신청중 및 수입예정으로 조사된 성분(8개 성분)은 향후 정상적인 유통이 가능할 것으로 보이지만 나머지 23개 성분의 향후 공급 가능성은 불투명한 것으로 보인다. 이와 같이 회귀의약품으로 지정을 받고도 정상적인 국내 유통이 이루어지지 않는 것은 문제라고 할 수 있다.

회귀의약품센터의 의약품 공급현황

회귀의약품센터의 의약품 공급현황을 보면 2002년 72품목,

대상환자 748명, 2003년 93 품목, 대상환자 1,619명, 2004년 110품목 2,903명으로 해마다 증가 추세를 보이며 의약품 공급금액도 2002년 14억여원, 2003년 27억여원, 2004년 47억여원으로 해마다 상당한 증가를 나타내고 있다⁴⁾.

희귀의약품센터에서 공급하는 의약품에 대하여 이를 주로 신청하는 질병명에 대하여 세계보건기구(WHO)의 국제질병분류(ICD-10)⁵⁾ 기준에 의하여 질병군으로 분류하여 보았을 때 2002년의 경우 신생물 관련 의약품이 25품목으로 전체 공급품목중 35%를 차지하고, 내분비·영양·대사 질환 관련 의약품이 13품목으로 18%, 감염·기생충 질환 관련 의약품이 12품목으로 17%를 차지하였다. 2003년에는 신생물 관련 의약품이 28품목으로 30%, 감염·기생충 질환 관련 의약품이 18품목으로 19%, 내분비·영양·대사 질환 관련 의약품이 15품목으로 16%를 나타내었다. 2004년에는 감염·기생충 질환 관련 의약품이 26품목으로 24%, 신생물 관련 의약품도 26품목으로 24%, 내분비·영양·대사 질환 관련 의약품이 15%를 차지하였다. 이와 같이 신생물 관련 의약품, 감염·기생충 질환 관련 의약품, 내분비·영양·대사 질환 관련 의약품을 주로 공급하고 있는데, 이들 3개군의 의약품이 전체 품목중에서 차지하는 비율을 보면 2002년 70%, 2003년 65%, 2004년 63%를 차지하고 있다 (Table 1).

2002년부터 2004년까지 희귀의약품센터가 공급한 의약품을 좀 더 세부적으로 살펴 보면, 공급금액을 기준으로 가장 많이 공급한 의약품은 2002년도에는 신생물 관련 의약품(11억여원, 84.28%), 내분비·영양·대사 질환 관련 의약품(9천만여원, 6.72%), 손상·중독·외인에 따른 질환 관련 의약품

(5천만여원, 4.08%)의 순이었고, 2003년도에는 신생물 관련 의약품(14억여원, 53.08%), 감염·기생충 질환 관련 의약품(9억여원, 33.71%), 내분비·영양·대사 질환 관련 의약품(1억여원, 4.10%)의 순이었으며, 2004년도에는 신생물 관련 의약품(28억여원, 59.8%), 감염·기생충 질환 관련 의약품(11억여원, 24.96%), 내분비·영양·대사 질환 관련 의약품(2억여원, 5.73%)의 순이었다. 한편 대상환자수를 기준으로 가장 많이 공급한 의약품은 2002년도에는 신생물 관련 의약품(574명, 72.94%), 손상·중독·외인에 따른 질환 관련 의약품(62명, 7.88%), 내분비·영양·대사 질환 관련 의약품(44명, 5.59%)의 순이었고, 2003년도에는 신생물 관련 의약품(964명, 56.14%), 감염·기생충 질환 관련 의약품(350명, 20.38%), 건강상태 및 보건서비스 접촉에 영향을 주는 요인 관련 의약품(135명, 5.88%)의 순이었고, 2004년도에는 신생물 관련 의약품(1,530명, 44.37%), 감염·기생충 질환 관련 의약품(972, 28.19%), 달리 분류되지 않은 증상,징후와 임상 및 검사 이상소견 관련 의약품(476명, 13.81%)의 순이었다.

희귀의약품센터에서 공급하는 의약품중 신생물 관련 의약품이 공급금액 및 대상환자수 면에서 모두 가장 많은 것으로 나타났다. 이는 대상 질환이 희귀질환인 탓도 있겠지만, 해외개발 신약에의 접근성과도 관련이 있을 것으로 여겨진다.

희귀의약품센터가 2002년에서 2004년에 걸쳐 공급한 의약품중 희귀의약품의 비율은 2002년도 12품목(17%), 2003년도 11품목(12%), 2004년도 13품목(12%)에 불과하였다.

희귀의약품센터를 통하여 공급된 의약품 중 허가의약품과 미허가 의약품의 비율을 살펴보면 2004년도 공급의약품 110

Table 1. Medication classification supplied by Korea Orphan Drug Center in 2002-2004

Disease Classification	Medication Number (%)		
	Year 2002	Year 2003	Year 2004
Certain infectious and parasitic diseases	12 (17)	18 (19)	26 (24)
Diseases of the blood and blood-forming organs and certain disorders involving the immune mechanism	1 (1)	3 (3)	3 (3)
Diseases of the circulatory system	4 (6)	3 (3)	3 (3)
Diseases of the digestive system			1 (1)
Diseases of the ear and mastoid process		1 (1)	1 (1)
Diseases of the eye and adnexa	2 (3)	4 (4)	4 (4)
Diseases of the genitourinary system	1 (1)		
Diseases of the musculoskeletal system and connective tissue		1 (1)	3 (3)
Diseases of the nervous system	5 (7)	11 (12)	8 (7)
Diseases of the respiratory system	1 (1)	1 (1)	2 (2)
Diseases of the skin and subcutaneous tissue	1 (1)		
Endocrine, nutritional and metabolic diseases	13 (18)	15 (16)	17 (15)
Factors influencing health status and contact with health services	1 (1)	2 (2)	3 (3)
Injury, poisoning and certain other consequences of external causes	6 (8)	5 (5)	7 (6)
Mental and behavioural disorders		1 (1)	1 (1)
Neoplasms	25 (35)	28 (30)	26 (24)
Symptoms, signs and abnormal clinical and laboratory findings, not elsewhere classified			5 (5)
Total	72 (100)	93 (100)	110 (100)

품목중 허가약품이거나 회귀약품으로 지정받은 약품이 34품목(23%)이었고, 국내 동일성분, 동일제형의 약품이 유통 중임에도 수입하여 공급한 품목이 2품목(1%)이었으며, 국내 유사제제가 유통중이거나 허가중임에도 공급이 원활하지 못하거나 환자가 사용할 수 없는 등의 이유로 수입하여 공급한 품목이 36품목(25%)이었다. 그 밖에 국내 미허가 약품을 수입하여 공급한 경우는 38품목(35%)이었다⁶⁾. 이 중 미허가 약품을 사용하는 질병군을 알아보기 위하여 이들 약품의 주요 신청 적응증으로 질병군을 분류하면 Table 2에 제시된 바와 같이 감염·기생충 질환 관련 약품이 11품목(29%), 신생물 관련 약품이 9품목(24%), 내분비·영양·대사 질환 관련 약품이 6품목(16%)의 순으로 나타났다.

고 찰

회귀약품센터에서 약품을 공급하는 경우는 회귀약품 및 회귀질환자 치료용 약품이라고 할 수 있다. 회귀약품은 식품약품안전청의 고시 「회귀약품지정에관한규정」에 의하여 식품약품안전청에서 지정하기 때문에 논란의 대상이 되지 않는다고 할 것이다. 그러나 회귀질환자 치료용 약품은 사실 별도의 기준이 마련되어 있지 아니하기 때문에, 회귀약품센터의 자체적 판단에 의거하여 선정하게 된다. 이 과정에서 문제가 발생할 소지가 높다. 이미 언급하였듯이 회귀약품센터를 통하여 약품을 공급하는 것은 일반적인 약품의 경우와 달리, 안전성·유효성에 관한 심사 및 품질검사를 거치지 아니하는 예외적인 절차이기 때문에, 회귀질환자 치료용 약품의 범주를 확대 적용하여 운용할 경우 그에 따른 부수적인 문제들이 발생할 수 있다.

「회귀약품지정에관한규정」에 의하면 회귀약품은 국내 환자수(유병인구)가 20,000명 이하이며 적절한 치료법과 대체약품이 개발되지 아니한 질환에 사용되는 약품 및

현 약품 수급체계에 비추어 제한적으로 공급되는 경우 환자의 치료에 큰 지장을 초래할 우려가 있다고 식품약품안전청장이 인정하는 약품으로 나타나 있다. 따라서 회귀질환자 치료용 약품의 범주도 이를 준용하여 판단할 수밖에 없다고 할 것이다. 그런데 문제는 회귀질환에 대한 기준인 유병자수 20,000명에 대하여 이를 뒷받침할 공식 통계자료가 미비하다는 것이다. 물론 발생률 자료를 유병률과 동일시 할 수는 없겠으나 별도의 유병률 자료가 없는 상황인 점을 감안할 때, 일반적으로 인용되는 암통계에 있어서 우리나라의 발생 1순위의 위암의 경우도 연간 발생자수가 20,000명 이하이므로, 이 통계를 인용할 경우 모든 암도 회귀질환에 해당한다고 할 것이다¹⁾.

회귀약품센터가 공급하는 약품 중 회귀약품을 제외한 나머지 약품에 대하여는, 모두 회귀질환자 치료용 약품이라는 취지를 적용한다. 다만 수입절차상의 차이를 구별하는 개념으로서 대외무역관리규정의 ‘자가치료용 약품’과 약사법시행규칙에 나타난 ‘회귀약품센터의 장이 직접 수입하는 약품’이라는 개념을 사용하고 있기 때문에, 이 둘을 분리하여 판별할 근거는 없다고 할 것이다. 회귀질환자 치료용 약품이라는 개념의 해석상 그 한계가 모호하여, 환자 및 의사의 구입요청에 대하여 선별이 이루어지지 어려웠다고 볼 수 있다. 회귀약품센터를 통하여 공급되는 약품의 경우 일부 약품을 제외하고는 보험급여가 거의 이루어지지 않는다. 한편 약품의 공급은 더욱 다양화됨에 따라 환자의 경제적 부담이 가중되면서, 최근 회귀약품센터를 통하여 공급되는 약품 전반에 대한 급여 확대 논란이 제기되는 계기가 되었다.

회귀약품센터가 허가를 받았거나 국내 업소가 허가를 얻은 제품으로, 한시적으로 회귀약품센터를 통하여 공급하는 약품은 현행과 같이 공급하여도 될 것이다. 다만, 미허가 약품에 대하여서는 캐나다와 호주의 경우처럼 약품 사용 신청의 기준을 강화할 필요가 있다⁷⁻⁹⁾. 즉 진단서나 처방전만으로 약품 신청이 가능한 것이 아니라, 처방의사의 정보, 환자정보, 임상적 근거, 의사동의서, 환자동의서를 포함한 형태의 신청서로서 신청하도록 할 필요가 있다.

임상적 근거에는 환자 상태의 위중함에 대한 개요, 허가된 치료법이 존재할 경우는 미허가 약품을 사용하는 것이 기존의 치료법보다 낫다는 것을 입증할 수 있는 근거 및 환자에게 신청약품이 필요한 이유를 학술적 근거를 통해 제시하도록 하는 것이 바람직하다. 의사동의서의 내용에는 국내 허가가 이루어지지 않았기 때문에 품질·안전성·유효성에 관한 검증이 이루어지지 아니하였다는 것에 대한 고지 및 개별 환자에게 이러한 상황을 설명하여 사전동의를 받을 것과 약품 사용 결과 및 이상반응 보고를 하는 것에 대한 동의를 포함하도록 하여야 할 것이다. 또한 환자동의서에는 품질·안전성·유효성에 대해 이를 보증할 수 없다는 것과 회귀약품센터(또는 식품약품안전청)는 이러한 약품의

Table 2. Disease classification of unapproved medications supplied by Korea Orphan Drug Center in 2004

Disease Classification	Medication number (%)
Certain infectious and parasitic diseases	11 (29)
Neoplasms	9 (24)
Endocrine, nutritional and metabolic diseases	6 (16)
Diseases of the nervous system	4 (11)
Factors influencing health status and contact with health services	3 (8)
Diseases of the eye and adnexa	2 (5)
Diseases of the blood and blood-forming organs and certain disorders involving the immune mechanism	1 (3)
Diseases of the digestive system	1 (3)
Injury, poisoning and certain other consequences Of external causes	1 (3)
Total	38 (100)

사용과 관련한 책임이 없음에 대해서 알고 있다는 것, 그리고 의사로부터 이에 관한 설명을 들었다는 내용 및 환자와 설명의사의 서명을 포함할 수 있을 것이다. 또한 검토가 끝난 신청서에 대하여 승인통보를 한 후 통보한 사항에 관한 내용을 데이터베이스화하도록 하여야 할 것이다.

그리고 모든 의사가 미허가 의약품을 처방할 수 있는 것이 아니라 인증 신청을 통해 공인을 받도록 할 필요가 있는데, 호주의 경우처럼 병원윤리위원회의 승인을 받아 승인공문을 첨부하는 형태는 어려울 것이나, 의리기관으로부터 의약품 사용에 관한 추천을 받아 추천서 사본을 첨부하여 신청하도록 하는 방안을 생각해 볼 수 있다. 다만 추천의 단서 조항이 필요할 것인데, 이는 의약품 신청을 요청할 때 제출하는 신청서의 범위로 한정하여야 할 것이다.

그리고 신청하는 모든 의약품에 대하여 희귀의약품센터가 공급하는 것이 아니라, 국내에 시판허가를 준비중인 업소나 자격을 갖춘 수입업자로 하여금 의약품 공급이 가능하도록 하는 방안도 검토해 볼 수 있다. 즉 공급업자와 처방의사를 연결하여 주는 역할 및 이러한 정보를 관리하는 역할로 센터의 역할전환을 고려해 볼 수 있다. 이와 같은 경우, 승인된 신청에 대하여는 해당 의사 및 공급업자에게 승인통보를 하여야 할 것이다. 또한 공급업자로 하여금 공급 세부사항에 대하여 매 분기 혹은 연 2회 보고서를 제출하도록 하되, 보고서의 내용에는 공급관련 내용뿐만 아니라 이상반응 보고도 포함하도록 하며, 공급이 지속적으로 이루어지는 업소는 의약품 허가를 받도록 유도하는 것이 필요할 것이다.

그밖에 공인된 의사의 처방에 대해서 급여를 검토할 수 있도록 할 필요가 있을 것이다. 그렇게 된다면 안전성·유효성 자료를 인력부족과 전문성 결여로 어려움을 겪고 있는 희귀의약품센터가 준비하는 것이 아니라, 해당 의약품을 사용하고자 하는 의사가 준비하게 된다. 이는 급여검토 논의를 위한 안전성·유효성 자료의 확보를 용이하게 할 수 있으며, 미허가 의약품의 신중한 사용을 유도할 뿐만 아니라, 의약품 사용의 사후 관리 및 안전성 관리 차원에서 긍정적인 효과를 기대할 수 있을 것이다.

이러한 방안들이 실효를 거두기 위하여 제도적, 법률적 개선 사항이 뒤따라야 할 것인데, 우선 이들 의약품을 환자가 아닌 의리기관으로 공급할 수 있도록 해야 할 것이며, 보고 체계 및 보고의 범위 등에 관하여 명확하게 규정할 필요가 있을 것이다. 또한 공중보건의를 활용하는 방안 등 희귀의약품센터의 보건 전문 인력 부족을 해소하기 위한 구체적 방안 마련이 필요할 것이다. 더불어 이러한 과정을 통하여 의약품을 공급할 수 있는 상한선이 마련되어야 정식 허가과정 이 아닌 예외 규정으로서 의미가 있게 될 것이다.

그 밖에 질병관리본부에서 추진 중인 희귀·난치성 질환 센터와의 연계성을 통한 희귀·난치성 질환의 정보 제공 및 식품의약품안전청에서 추진중인 의약품안전정보원과의 업무 연계 방안도 필요할 것이다.

결 론

1999년 희귀의약품센터가 처음 설립된 이래 희귀의약품센터를 통한 의약품의 공급이 증가하고 있으며 이에 따라 공급하는 의약품의 품목 및 대상환자의 수도 점차로 증가하고 있다. 이러한 증가가 희귀질환으로 고통 받고 있는 환자 및 그 가족, 그리고 이들을 치료하는 의료인에게 의약품 사용에 있어 선택의 폭을 넓혀 주게 되었지만 한편으로는 문제점을 파생하고 있기도 하다.

이러한 문제점들을 살펴보기 전에 먼저 희귀질환의 개념과 관련정책에 대하여 외국과 국내의 현황을 비교하여 알아 보았다. 이 과정에서 우리나라의 희귀질환에 관해 더욱 더 많은 연구가 필요하며, 정책도 의료지원을 넘어서 희귀질환에 대한 상시 감시체계 및 연구 지원 형태로 발전하여야 할 필요가 있음을 알게 되었다. 그리고 희귀의약품 및 관련 정책에 대하여서도 외국과 국내의 현황을 비교하여 보았는데, 우리나라의 경우 희귀의약품의 개발과 관련한 지원이 상대적으로 미미하며 상당수 의약품이 희귀의약품으로 지정되기도 국내 유통이 제대로 이루어 지지 않고 있음을 알 수 있었다. 그 밖에 희귀의약품센터를 통한 의약품 공급에 있어서도 몇 가지의 문제점이 나타나고 있었다. 희귀의약품센터의 공급 대상 의약품의 범위 선정, 공급 과정에 있어서의 환자의 권리, 의약품 정보 및 안전 관리, 희귀의약품센터의 구조적 취약성 그리고 외부전문가 및 타 기관과의 횡적 연대 부족 등의 문제점이 그것이다.

희귀의약품센터의 의약품 공급 업무와 관련하여 발생하는 문제점을 해결할 수 있는 방안을 찾고자, 캐나다 및 호주의 미허가 의약품 사용과 관련한 정책을 살펴 보았다. 캐나다 및 호주의 관련 정책은 상당히 합리적으로 운영됨을 알 수 있었는데 미허가 의약품의 사용과 관련하여 나타날 수 있는 문제점들에 대한 적절한 예방 조치를 취하고 있었다. 따라서 희귀의약품센터를 통한 의약품 공급에 있어서도 이러한 제도를 적절히 응용하면 상당수의 문제점은 개선이 가능할 것으로 보여진다. 또한 앞으로 설립될 희귀·난치성 질환 센터 및 의약품안전정보원과의 긴밀한 협조 관계를 유지한다면 희귀질환자들에게 보다 적절한 형태로 의약품의 공급이 가능하게 될 것으로 예상된다. 다만 이러한 방안이 현실성을 가지기 위하여 제도적·법률적 개선책이 마련되어야 할 것이다.

참고문헌

1. 장원기·이의경·윤태영 등. 희귀질환자에 대한 보호지원계획 수립에 관한 연구. 한국보건사회연구원, 2000
2. 장창곡. 우리나라의 희귀질환의 특성에 관한 연구. 동덕여자대학교 생활과학연구 2000; 5: 52-67
3. 식품의약품안전청 홈페이지 <http://www.kfda.go.kr/>
4. 한국희귀의약품센터 홈페이지 <http://www.kodc.or.kr/>

5. WHO International Classification of Diseases 홈페이지 <http://www3.who.int/icd/>
6. 식품의약품안전청 의약품안전국 홈페이지 <http://ezdrug.kfda.go.kr/>
7. Health Canada. Special access program. Therapeutic Products Directorate, 2002
8. Therapeutic Goods Administration. Access to unapproved therapeutic goods in Australia. Therapeutic Goods Administration, 2001
9. Therapeutic Goods Administration. Drugs designated as orphan drugs. Therapeutic Goods Administration, 2002