



상급종합병원과 희귀난치성질환 전문병원의 희귀의약품 사용현황

최경숙^{1,3} · 정영미^{1,3} · 김유정¹ · 김윤희¹ · 구현민² · 이병구¹ · 이은숙³ · 이정연^{1*}

¹이화여자대학교 생명약학부 약학대학, ²한국희귀의약품센터, ³분당서울대학교병원 약제부
(2016년 4월 28일 접수 · 2016년 6월 17일 수정 · 2016년 6월 18일 승인)

Current View of Orphan Drug Usage in Tertiary Hospital and Rare Incurable Disease Hospital

Kyung Suk Choi^{1,3}, Young mi Jeong^{1,3}, Yu Jeong Kim¹, Yoon Hee Kim¹, Hyunmin Gu², Byung Koo Lee¹, Eunsook Lee³, and Sandy Jeong Rhie^{1*}

¹College of Pharmacy and Division of Life and Pharmaceutical Sciences Graduate School, Ewha Womans University, Seoul 03760, Republic of Korea

²Korea Orphan Drug Center, Seoul 06234, Republic of Korea

³Seoul National University Bundang Hospital, Gyeonggi-do 13620, Republic of Korea

(Received April 28 2016 · Revised June 17 2016 · Accepted June 18 2016)

ABSTRACT

Objective: Until now, there is minimal number of research for overall domestic status of orphan drug use in Korea. The purpose of this study is to identify the list of orphan drugs available in Korea and to understand the status of orphan drug usage in tertiary Hospitals and rare incurable disease Hospital. **Methods:** We made domestic orphan drug lists based on available orphan drugs in Korea. Based on this lists, we conducted e-mail survey from August, 2014 to September, 2014 to identify domestic status of orphan drug usage including the availability and management of orphan drugs. **Results:** There are three hundred and eighteen orphan drugs (184 ingredients) registered in Ministry of Food and Drug Safety. Among the three hundred and eighteen orphan drugs, Two hundred and twenty-eight drugs (102 ingredients) were selected. Information on each item was collected and documented with generic and brand names, manufacturers, wholesalers, indications, FDA approval status and insurance coverage. Forty-three tertiary hospitals and thirty-two rare incurable hospitals responded to the survey questionnaire (57.3%). According to the survey result, the antineoplastics and immunomodulating agents group has the highest percentage (40%) usage in the hospital. Of forty-three tertiary hospitals, thirteen hospitals manage orphan drugs separately (30.2%). Based on the reply, most of the healthcare professionals commented the drug information related to efficacy and safety including medication counseling of orphan drugs is insufficient. **Conclusion:** Through this study we anticipate providing an understanding of orphan drug usage status in Korea. We found the limited resources to the information on orphan drugs and this information requires updating on a regular basis. This can be the basis for further studies about preparing drug information, educational resources for rare disease patients.

KEY WORDS: Orphan drug, rare disease, drug information

희귀의약품은 환자수가 매우 적은 질환의 진단, 예방, 치료를 위한 의약품으로 국내에서는 식품의약품안전처 고시 제 2014-08호(2014.2.7. 개정)¹⁾에서 국내 환자 수(유병인구)가 20,000명 이하인 질환에 사용되는 의약품, 적절한 치료방법과 의약품이 개발되지 않은 질환에 사용하거나 기존 대체의약품보다 현저히 안전성 또는 유효성이 개선된 의약품으로 정의하고 있다. 희귀의약품은 대상 환자 수가 적어 임상시험이 어렵

고, 수익성을 기대하기 어려워 국내 공급 희귀의약품은 외국에서 개발된 희귀의약품에 의존하는 비중이 크며, 공급 불안정, 대체치료제가 없이 수입 및 공급되는 경우가 많아 한국희귀의약품센터에서 1999년 개원 이후 희귀의약품의 구입 및 공급, 희귀질환 및 희귀의약품 관련 정보제공의 업무를 수행하고 있다. 2013년 한국보건사회연구원 연구보고서에 따르면,⁶⁾ 희귀질환은 그 종류가 6천개로 추정되며, 우리나라의 희귀질

*Correspondence to: Sandy Jeong Rhie, Division of Life and Pharmaceutical Sciences Graduate School and College of Pharmacy, Ewha Womans University, 52, Ewhayeodae-gil, Seodaemun-gu, Seoul 03760, Republic of Korea

Tel: +82-2-3277-3023

E-mail: sandy.rhie@ewha.ac.kr

환자도 백만 명 이상으로 예측되고, 2007년에서 2009년까지 국내 등재된 희귀의약품 24품목 중 1백만원 초과 약품이 6품목으로²⁾ 이러한 고가 희귀의약품이 증가하면서 전체 약제비에서 차지하는 비중이 빠르게 증가하고 있다고 보고한 바 있다. 그러나 희귀의약품 관련 약품정보는 국내 유통되는 일반의약품에 비해서는 안전성 유효성 및 복약상담자료 등 약품관련 상세정보가 정보가 충분치 않은 경우가 있다. 이에 본 연구에서는 2014년 8월 기준 국내 사용 가능한 희귀의약품의 목록 및 약품정보를 파악하고, 희귀의약품의 주 사용 병원인 상급종합병원 및 희귀난치성질환 전문병원에서의 희귀의약품 사용현황 및 희귀의약품 관련 교육현황을 파악하여 희귀의약품 관련 업무에 활용하여 안전하고 효과적인 희귀의약품 사용을 도모하고자 했다.

연구방법

국내 희귀의약품 등록 현황

2014년 8월 기준 식품의약품안전처 지정·고시 희귀의약품 목록 및 한국희귀의약품센터 공급 보험 등재 의약품 목록을 기준으로 국내 유통 중인 희귀의약품 목록을 작성하였다. 이때 국내에서 허가는 받았으나, 생산 또는 수입이 개시되지 않았거나, 중단된 품목도 희귀의약품 목록에 포함하였다. 조사한 희귀의약품에 대해서는 성분명, 투여경로, 제형 및 FDA 승인, 국내 허가, 식품의약품안전처 희귀의약품 지정, 건강보험심사평가원 보험등재 정보를 수집하였다. 수집된 희귀의약품 목록은 병원 별 희귀의약품 사용현황에 대한 설문의 기초자료로 활용되었다.

국내 희귀의약품 사용실태 및 교육현황 설문조사

국내 희귀의약품 사용현황 조사를 위한 설문지를 개발하였으며, 설문문항은 희귀의약품 관련, 사용현황, 직원교육현황, 환자교육현황의 4개 분야 16개 질문으로 구성되어 있다(별첨 1). 전체 대상병원에 설문조사를 실시하기 전 삼성서울병원, 서울대학교병원, 서울아산병원, 연세대학교 강남세브란스병원, 이화여자대학교 목동병원의 5개 병원을 대상으로 예비 설문조사를 시행하고 자문위원의 감수를 거쳐 설문의 일부 문항을 수정 보완하였다.

국내희귀의약품 사용실태 및 교육현황에 대해 2014년 8월부터 9월까지 전자메일을 통한 43개 상급종합병원 및 32개 희귀난치성질환 전문병원의 희귀의약품 담당 약사 또는 담당자에게 전자메일을 통한 설문조사를 시행하였다. 설문지에는 국내희귀의약품 등록현황 조사를 통해 작성된 희귀의약품 품목리스트를 포함하여 대상 병원에서 원내 혹은 원외로 처방되는 품목을 품목리스트 내에서 회신하도록 요청하였다.

연구결과

국내 희귀의약품 등록 현황

식품의약품안전처에서 지정하여 고시한 희귀의약품 목록(2014.8.29 기준, 총 179성분)과 한국희귀의약품센터 공급 보험등재 의약품 목록(2014.9 기준, 총 19품목)을 기준으로 국내 유통중인 희귀의약품의 목록을 조사하였다. 희귀의약품 품목 리스트에 포함된 약품은 총 318품목(184성분)이었으며, 이 중 국내 유통 중인 의약품은 228품목(102성분), 생산·수입 중단 또는 유통이 확인 되지 않는 약품은 76품목, 국내 미허가 의약품은 14품목(14성분)이었다(Table 1). 2016년 한국희귀의약품센터 홈페이지의 제약회사 비유통 현황에 따르면, 총 136품목의 약품이 허가 후 미수입, 희귀의약품센터에서 자가의약품 공급, 심평원 보험약가 pending 상태, 허가 후 비급여 판정으로 미수입, 수입 중단, 허가 후 생산 하지 않음의 사유로 국내 유통되지 않음이 확인 되었다. 허가 후 미수입 및 수입 중단, 희귀의약품의 구입 및 공급과 관련하여 회사 공급 의약품은 287 품목, 한국희귀의약품센터 공급 약품은 29품목 이었다.

조사한 희귀의약품에 대해서는 성분명, 투여경로, 제형, FDA 승인 정보를 수집하였다(Table 2).

확인된 희귀의약품 중 허가 의약품/미허가 보험등재의약품 20품목과 자가치료용 의약품 82품목 총 102 품목에 대하여 허가의약품의 경우 복지부 분류를 미허가 의약품의 경우 WHO 분류를 통하여 효능군별로 분류하였다. 효능별 분류 상위 7개 계열이 전체 102품목 중 70.5%를 차지하였으며, 항감염제가 24품목(23.5%)으로 가장 높은 비중을 차지하였고, 심혈관 및 순환기 작용 약물 13개품목(12.7%), 항악성종양제 10품목(9.8%), 중추신경계 작용 약물 10품목(9.8%) 내분비계 작용 약물 6품목(5.9%), 해독제 5품목(4.9%), 진단 및 질병 평가용 4 품목(3.9%) 순 이었다. 이 외 해열·소염·진통제, 항히스타민제, 기타 비노기계에 작용하는 약물, 근골격계 작용 약물, 백신, 비타민/무기질제, 안구제제 및 기타 30 품목의 약품이 있었다(Table 3).

국내 희귀의약품 사용현황 관련 설문조사

설문조사의 주요 항목은 크게 4개 분야로 희귀의약품에 대한 인지도, 사용 현황 및 자료의 필요성, 의료진 및 환자교육 현

Table 1. Status of orphan drugs in Korea.

Status of Orphan drugs	Numbers of Medication	%
KFDA approved	228	71.7
Unavailable	76	23.9
KFDA unapproved	14	4.4
Total	318	100

Table 2. Medication supplied by Korea Orphan Center.

Name of the orphan drug	Dosage	Route	Dosage form	Therapeutic indication	WHO classification
3,4-diaminopyridine	10 mg	Oral	tab	Lambert-Eaton syndrome	ANTIPARASITIC PRODUCTS, INSECTICIDES AND REPELLENTS
Paclitaxel	100 mg	injection	vial	treatment of pancreatic cancer	ANTINEOPLASTIC AGENTS
Acetazolamide	125 mg 250 mg 500 mg	Oral	tab	edema	ANTIGLAUCOMA PREPARATIONS AND MIOTICS
Permethrin	5%, 60 g	External application	tub	treatment of scabies	ANTIPARASITIC PRODUCTS, INSECTICIDES AND REPELLENTS
Flucytosine	500 mg	Oral	cap	treatment of systemic fungal infections	ANTIINFECTIVES FOR SYSTEMIC USE
Androgen	80 g	External application	tub	Micropenis	OTHER DERMATOLOGICAL PREPARATIONS
Chlorpropamide	100 mg 250 mg	Oral	tab	type 2 diabetes mellitus	DRUGS USED IN DIABETES
Glycopyrrolate	1 mg	Oral	cap	hyperhidrosis	DRUGS FOR FUNCTIONAL GASTROINTESTINAL DISORDERS
Carmustine	100 mg	injection	vial	treatment of brain tumors	ANTINEOPLASTIC AGENTS
Biotin	5 mg	Oral	tab	epilepsy	Other plain vitamin preparations
Dibrompropamidine isetionate	0.1%	Oral	sol	treatment of Acanthamoeba infection	Other anti-infective
Capreomycin	1 g / 10 mL	injection	vial	tuberculosis	DRUGS FOR TREATMENT OF TUBERCULOSIS
Lomustine	40 mg	Oral	cap	Brain tumor, Hodgkin's disease	ANTINEOPLASTIC AGENTS
Protein C (Human)	500IU 1000IU	injection	vial	protein C deficiency	ANTITHROMBOTIC AGENTS

Table 3. Orphan drug designations in Korea: Top 7 therapeutic classification.

category	Number	%
Infectious/parasitic	24	23.5
Cardiovascular	13	12.7
Oncologic	10	9.8
Neurologic	10	9.8
Endocrinologic	6	5.9
Antidotes	5	4.9
Diagnostic	4	3.9
Others	30	29.5
Total	102	100

황이었다. 설문조사 결과 전체 설문조사 대상병원이었던 43개 상급종합병원과 32개 희귀난치성질환 전문병원 중 31개 상급종합병원, 12개 희귀난치성질환 전문병원에서 회신하여 상급종합병원의 회신율은 72.1%, 희귀난치성질환 전문병원의 회신율은 37.5%이었으며, 전체 회신율은 57.3%이었다.

Table 4. The top 10 orphan drugs in Korea by prescription.

Orphan drugs	Prescriptions (%)
thyrotropin alfa	88.4
ganciclovir	88.4
L-asparaginase	83.7
thalidomide	83.7
immunoglobulin anti-D(Rho)	81.4
emtricitabine/tenofovir	81.4
aldesleukin 18000KIU	79.1
anti-humanthymocyteimmunoglobulin (rabbit)	79.1
easyeef 0.005% 10 ml (rH Epidermal growth factor)	76.7
valganciclovir 450 mg	76.7

희귀의약품에 대한 인지도

희귀의약품에 대한 인지도를 파악하기 위하여 그 정의와 특성에 대한 인지도를 조사한 결과 희귀의약품의 정의를 알고 있다고 응답한 병원이 41개 병원(95.3%)이며, 희귀의약품의

특성에 대해 알고 있다고 응답한 병원이 40개 병원(93.0%), 식약처에서 희귀의약품을 지정, 고시함을 알고 있다고 응답한 병원이 39개 병원(90.7%) 으로 90% 이상의 병원에서 희귀의약품의 정의 및 특성에 대해 인지하고 있었다.

희귀의약품 사용 및 관리현황

희귀의약품 등록 현황 조사를 통해 확인된 228개 희귀의약품의 사용 현황 및 관리실태에 대한 설문조사결과 상급종합병원 및 희귀난치성질환 전문병원에서 가장 많이 사용하고 있는 희귀의약품은 갑상선 암의 재발가능성 및 전이여부 진단을 위한 thyrotropin alpha(타이로젠주®) 와 cytomegalovirus 망막염의 치료 및 예방에 적응증을 가진 ganciclovir(싸이메빈정주®) 이었다. 다음으로 급성 및 만성 임파성백혈병, 임파종에 적응증을 가진 L-asparaginase(로이나제주®)와 다발성 골수종에 적응증을 가진 thalidomide(탈리도마이드® 캡슐 50 mg)가 모두 83.7% 사용되고 있었으며, HIV 감염 치료를 위한 emtricitabine/tenofovir 복합제인 트루바다정®, 모체의 D(Rho) 항원에 대한 감각의 예방 및 특발성 혈소판 감소 자반증 치료에 적응증을 가진 Anti-D(Rh) immunoglobulin 윈로에스디에프주® 가 81.4%로 그 뒤를 이었다(Table 4).

희귀의약품 중 사용빈도가 높은 상위 10개 의약품을 효능 별로 분류한 결과 항악성종양제 및 면역조절제가 4품목(40%), 항바이러스제가 3품목(30%), 진단 및 질병 평가 약물 및 혈액제제류, 피부과용약제가 각 1품목(10%) 순이었다.

약제부에서 희귀의약품에 대한 관리가 별도로 이루어지고 있다고 응답한 곳은 총 43개 병원 중 13개 병원으로 전체 회신 병원의 30.2%이었다. 희귀의약품의 처방, 조제, 투약, 보관, 공급 및 복약지도에 대해 약제부에서 별도 관리한다고 응답한 13개 병원 중 희귀의약품의 처방, 조제, 투약 대한 관리가 별도로 이루어 지는 곳이 각각 10개 병원, 약품 투약에 대해 별도 관리한다고 응답한 병원이 8개 병원, 약품 복약지도에 대한 관리가 이루어 지는 곳은 6개 병원이었다. 그리고 약품 처방, 조제, 투약, 보관 및 공급, 복약지도의 별도 관리부분 5항목 중 5항목 모두를 별도 관리하고 있다고 응답한 병원이 6개 병원, 4부분을 별도 관리하고 있다고 응답한 병원이 1개 병원이었다 (Fig. 1).

희귀의약품관련 정보의 필요성

희귀의약품에 대한 정보를 요청 받은 적이 있다고 86.0%의 병원이 응답하였으며, 정보 요청자의 97.2%가 의사, 41.7%가 간호사로 약사에 의한 정확한 희귀 의약품 정보제공이 필요함을 확인할 수 있었다. 희귀의약품 관련 정보원에 대해서는 한국희귀의약품센터(35.4%), 국내허가사항(28.0%)을 통하여 확인한다고 회신하였으며, 기타 2차 문헌(14.6%), 약품설명서(7.3%), 인터넷(8.5%) 순이었다(Fig. 2). 희귀의약품 관련 정

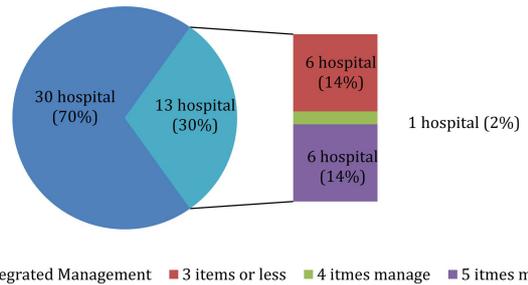


Fig. 1. The status of orphan drug management.

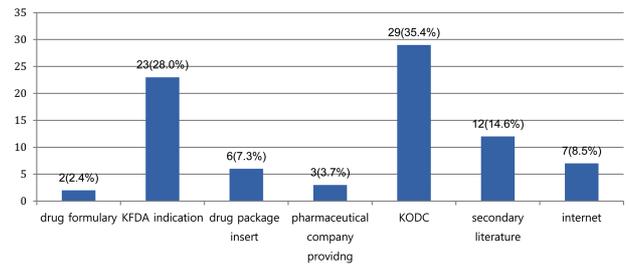


Fig. 2. The Sources of orphan drug information.

보의 필요성을 묻는 질문에서는 회신한 모든 병원(100.0%)에서 희귀의약품 정보가 필요하다고 응답하였으며, 희귀의약품 관련 정보의 선호하는 자료 형태는 복약지도용 리플렛(71.4%)이 가장 많았고, 교재(69.0%), 강사용 교육자료(31.0%), 환자용 동영상(11.9%) 순이었다. 희귀의약품에 대한 정보 중 가장 필요성을 느끼는 부분으로는 응답병원의 39.1%가 용법, 용량, 부작용과 같은 한글로 된 약품정보가 필요하다고 회신하였으며, 희귀의약품의 공급 관련 실시간 정보의 필요성 26.1%, 희귀의약품 정보 업데이트, 작용기전, 안정성자료, FDA 승인 여부에 대한 정보가 필요하다고 응답하였다. 기타 의견으로 희귀의약품 홈페이지를 통한 정보의 실시간 업데이트, 약품 공급처 변경 및 공급 중단에 대한 정보제공 및 환자 대상 설명문 제공, 장기 품질 시 대체 의약품 부재로 인한 어려움 해결 방안 제도적으로는 의약품업 예외약품 지정 및 입원 환자의 희귀의약품 원외처방 발행 시 급여 요청에 대한 의견이 있었다.

희귀의약품 관련 의료진 및 환자교육현황

설문에 응답한 43개 병원 중 원내 의료진을 대상으로 희귀 의약품교육이 교육이 별도로 이루어지고 있다고 응답한 병원은 4개 병원(9.5%)에 불과하였으며, 교육의 주체는 약사(50.0%) 또는 제약회사(50.0%)라고 응답하였다. 의약품 교육 자료는 3개 병원에서 약품설명서를 활용한다고 회신 하였으며, 제약회사 제공자료를 활용하는 병원이 2개 병원, 원내 자체 투약 안내문을 활용한다고 회신한 병원이 1개 병원이었다. 희귀의약품관련 교육 내용으로는 성분 및 효능, 용법 및 용량, 투여방법,

부작용, 주의사항을 모두 포함한다고 응답하였다.

희귀의약품에 대한 별도의 환자교육 또는 복약상담을 시행한다고 회신한 병원은 10개 병원(23.8%)이었다. 환자교육 수행자는 의사(60.0%), 약사(50.0%), 간호사(40.0%) 순이었으며, 환자 교육 시점은 대부분 약물을 처음 투여할 때 1회 실시하거나 필요에 따라 재교육한다고 회신하였다. 환자교육에 활용하는 교육자료로는 약품설명서(60.0%)가 가장 많았고, 그 외에 원내 자체 투약 안내문(40.0%), 제약회사 제공자료(10.0%) 순이었다. 교육내용으로는 용법 및 용량, 부작용이 90.0%로 가장 높았고, 성분 및 효능, 투여방법 및 주의사항이 80.0%로 뒤를 이었다. 원외처방용 희귀의약품에 대하여서는 19.0%가 별도 교육을 수행한다고 회신하였으며, 이러한 원외 처방용 희귀의약품에 대한 교육은 87.5%가 의사가 수행한다고 응답하였다.

고 찰

본 연구결과 희귀의약품으로 조사된 의약품은 318품목이었으나, 희귀의약품으로 지정 또는 허가를 받고도 생산중단 또는 수입중단 또는 유통이 확인되지 않은 의약품이 76품목 23.9%, 국내 미허가 의약품은 14품목 4.3%로 약 28%의 의약품은 환자나 의료진이 필요한 상황에도 즉시 사용이 어려울 것으로 예상된다. 또한 사용 가능한 의약품도 희귀의약품센터 공급 및 회사공급으로 공급이 이원화 되어 약품이 필요할 때 마다 희귀의약품센터 홈페이지를 확인하거나 유선으로 문의하여 사용 가능여부 및 재고 여부를 확인하고 환자에게 처방하는 형태를 가지고 있다. 희귀질환환자의 입장에서도 병원에서 보유하고 있어 처방 당일 바로 투여 받을 수 있는 약품과, 환자가 희귀의약품센터에 방문하여 구매를 해야 하는 약품으로 약품 공급방법이 이원화 되어 있어 어려운 점이 있을 것으로 예상된다.

설문조사에 회신한 병원 모두에서 희귀의약품 관련 정보가 필요하다고 회신한 바와 같이 희귀의약품에 대한 정보가 충분히 제공되지 못함을 확인할 수 있었다. 또한 희귀의약품 관련 정보는 일반의약품에 비해 효능 및 용법 정보로 제한적이었으며, 국문설명문 없이 생산국가의 허가사항 또는 설명서로 대체 사용하거나, 내용의 업데이트 확인이 어려운 부분이 있으며, 약물이상반응 및 안전성 정보는 매우 부족하였다. 희귀질환자의 약물 사용은 그 사용에 따른 경험이 극히 적은 의약품이 많기 때문에 통상적으로 사용되는 의약품에 비해 더 광범위한 설명이 필요하다. 그러나 본 현황조사 결과 희귀의약품에 대한 정보도 환자 및 환자진료와 관계되는 의료진이 쉽게 접하기 어려운 부분이 있었으며, 이 중 비유통 희귀의약품(희귀성의약품 포함)은 대부분이 외국으로부터 수입되는 경우가 많아 환자에게 기본적으로 제공되어야 할 의약품 정보의 범위가

제한 되어 있고, 일부는 외국어로 된 정보가 제공되어 약품 관련 정보의 필요성에 대한 의견이 많았다. 이는 희귀의약품의 국내 허가절차와도 관련이 있을 것으로 추정된다. 2010년 보건사회연구원 연구결과에서도 국내시판 희귀의약품의 대부분이 수입의약품이며, 이러한 제품들이 국내허가체계에서는 심사자료의 상당 부분을 생략하고 신속한 허가를 진행하며, 시판 후 관리에서도 재심사를 면제함을 보고한 바 있어 이러한 사유로 희귀의약품 관련 정보가 부족할 것으로 추정된다. 또한 희귀의약품 임상시험 과정에서 충분한 환자수 확보가 어려워 일반적인 신약개발에서 수행하는 수준의 근거를 기대하기 어려운 점도 희귀의약품 관련 약품정보의 부족의 원인으로 추정된다. 미국은 NORD(National organization for rare disorders) 사이트를 통하여 희귀질환에 대한 정보 및 희귀질환 환자와 가족, 환자단체에게 희귀의약품과 관련된 patient assistance program을 운영하여 도움을 주고 있으며, 프랑스는 프랑스국립보건의학연구소에 의해 구성된 40여개국의 협력단에 의해 운영되는 orphanet을 통하여 전문가에 의해 질환이 분류되고 지속적으로 업데이트된 정보와 질병이름, ATC 분류, 상품명으로 희귀의약품에 대한 정보를 제공 받을 수 있다. 국내에서도 희귀난치성질환 헬프라인 및 한국희귀의약품센터를 통하여 희귀질환 및 희귀의약품에 대한 정보를 제공하고 있으며, 2013년 [희귀의약품 지정에 관한 규정]에서 ‘개발단계 희귀의약품’에 관한 정의가 새롭게 마련되었다고 하니 향후 발전된 희귀의약품 관련 정보가 제공될 것으로 기대한다.

처방된 희귀의약품에 대한 환자교육이 별도로 이루어진다고 회신한 병원은 전체 23.8%이었으며, 교육담당자도 원내의약품은 60%, 원외처방용 희귀의약품은 87.5%가 의사가 수행한다고 회신한 점도 아쉬운 부분이 있다. 이는 원외처방용 희귀의약품의 특성 상 환자가 처방전을 받아 희귀의약품센터에서 구매하는 절차로 인한 것으로 추정된다. 이와 같이 희귀질환자의 특성에 맞게 필요한 사항들이 자세하게 다루어진 의약품 사용관련 교육자료는 사용자의 수요에 비해서는 부족한 것으로 확인되었다. 이에 희귀의약품에 대한 지식 및 인지도 향상을 위한 희귀의약품관련 정보 제공 및 교육은 안전성, 유효성 근거에 입각한 치료를 의사, 약사, 환자가 동일한 내용으로 공유하여 안전한 약물요법을 이루려는 노력이 요구되며 필요적으로 개선되어야 할 과제로 생각된다.

결 론

희귀의약품은 사회에서 소외되기 쉬운 희귀질환자에게 진단 및 치료에 필요한 의약품으로 희귀질환 치료의 약물효과를 증가시키며 환자의 삶의 질을 증가시키는 역할을 한다. 국내에서는 희귀의약품센터에서 희귀질환 환자를 위한 의약품 공급 및 환자의 생명을 위협하거나 환자 치료에 큰 지장을 초래

할 우려가 있는 의약품을 적시에 공급하기 위해 지속적으로 노력하고 있다. 희귀의약품은 그 사용량 및 대상 환자가 해마다 증가하고 있다. 약물사용이 증가함에 따라 약품의 공급 및 보유현황, 공급 진행현황에 대한 실시간 정보 제공 및 지역약물감시센터, 희귀의약품센터 등 희귀의약품 사용과 관련된 이상반응 보고 활성화를 통한 약물 안전성정보 수집, 환자 및 의료진 공유의 노력을 통하여 안전하고 효과적인 희귀의약품 사용에 기여할 수 있을 것으로 사료된다.

감사의 말씀

본 연구는 식품의약품 안전처 의약품 안전사용 및 적정사용 연구를 통하여 진행 되었습니다(과제번호: 14172의약안176).

참고문헌

1. MINISTRY OF FOOD AND DRUG SAFETY. <http://www.mfds.go.kr>. Accessed April 24, 2015.
2. Park S. Policy measures to enhance access to drugs for rare diseases. Korea Institute for Health and Social Affairs, 2010.
3. National health Insurance service. <http://www.nhis.or.kr>. Accessed November 10, 2014.
4. Hong EJ, Yoo SH, Jung SH, *et al*. Analysis of Orphan Drug Use in Seoul National University Hospital. J Korean Soc health-syst Pharmacists 2004;21(2):142-8.
5. Kim EH, Gwak HS. Current status and expectations of orphan drugs in Korea - In point of supplying medicines for the rare diseases. Korean J Clin Pharm 2006;16(2):107-12.
6. Park S, Chae SM, Park EJ, *et al*. A Comparative study on the orphan drug policies Korea Institute for Health and Social Affairs. Health Soc Welfare Review 2013;33(2):525-48.
7. KOREA HEALTH INDUSTRY DEVELOPMENT INSTITUTE. A study of promotion in the R&D for orphan drug and biomarker. Korea Health Ind Develop Inst 2012;7-83.
8. Hadjivasiliou A, Gardner J. 2014 Orphan Drug Report. Evalua Pharma 2014;7-19.
9. Korea Orphan Drug Center. <http://www.kodc.or.kr>. Accessed November 18, 2015.
10. The Portal for rare diseases and orphan drugs. <http://www.orphanet.net>. Accessed December 10, 2015.

별첨 1. 국내 희귀의약품 사용실태 및 교육현황 설문문항

희귀의약품 설문조사

1. 상기 희귀의약품의 정의에 대하여 알고 계십니까?
1) 예
2) 아니오
2. 상기 희귀의약품의 특성에 대하여 알고 계십니까?
1) 예
2) 아니오

희귀의약품 설문조사

3. 식약처에서 희귀의약품을 지정하여 고시하고 있다는 것을 알고 계십니까?
1) 예
2) 아니오
4. 희귀의약품 사용 현황
5. 약제부에서 희귀의약품에 대한 관리가 별도로 이루어지고 있습니까?
1) 예
2) 아니오
6. 다음 중 희귀의약품에 대한 관리가 별도로 이루어지고 있는 부분은?
1) 약품 처방
2) 약품 조제
3) 약품 투약
4) 약품 보관 및 공급
5) 약품 복약지도
7. 희귀의약품에 대한 정보를 요청 받은 적 있으십니까?
1) 예
2) 아니오
- 7-1. 요청한 사람은 누구였습니까?
1) 의사
2) 간호사
3) 약사
4) 환자
8. 희귀의약품에 대한 정보를 얻는 방법은 주로 무엇입니까?
1) 원내 의약품집
2) 국내 허가사항
3) 약품설명서
4) 제약회사 제공자료
5) 한국희귀의약품센터
6) 2차 문헌
7) 인터넷
9. 희귀의약품 정보에 대한 필요성을 느끼십니까?
1) 예
2) 아니오
10. 선호하는 자료 형태는 무엇입니까?
1) 복약지도용 리플렛
2) 교재
3) 강사용 ppt
4) 환자용 동영상
5) 스티커
11. 향후 희귀의약품에 대한 정보를 제공받는다면, 가장 필요하다고 생각하는 내용은 무엇입니까?
12. 귀 병원에서 처방되는 희귀의약품에 대한 원내 직원을 위한 교육이 별도로 이루어지고 있습니까?
1) 예
2) 아니오
- 13-1. 원내 직원에 대해 교육을 시행한다면, 교육담당자는 누구인가?
1) 약사
2) 의사
3) 간호사
4) 제약회사
5) 기타
- 13-2. 원내 직원에 대해 교육을 시행한다면 교육시행 시점은 언제인가?
1) 원내 도입 시 1회
2) 원내 도입 시 교육 후 정기적 재교육
3) 직원 의뢰 시 교육
4) 기타

희귀의약품 설문조사
13-3. 원내 직원에 대해 교육을 시행한다면 어떤 교육자료를 활용하시나요? 1) 원내 자체 투약 안내문 2) 약품설명서 3) 제약회사 제공자료 4) 원내 자체 동영상 또는 ppt 5) 제약회사 동영상 6) 기타
14. 원내 직원에 대해 교육을 시행한다면 어떤 교육내용이 포함되어 있나요? 1) 성분 및 효능 2) 용법 및 용량 3) 투여방법 4) 부작용 5) 주의사항 6) 투약 과오 시 대처법 7) 보관방법 8) 약가 및 보험여부 9) 기타
14. 귀 병원에서 처방되는 희귀의약품에 대한 환자교육이 별도로 이루어지고 있습니까? 1) 예 2) 아니오
15-1. 환자 교육을 시행한다면, 교육담당자는 누구인가요? 1) 약사 2) 의사 3) 간호사 4) 제약회사 5) 기타
15-2. 환자 교육을 시행한다면, 교육 시행 시점은 언제인가요? 1) 처음 투여 시 1회 2) 처음 투여 시 교육 후 필요에 따라 재교육 3) 처음 투여 시 교육 후 정기적 재교육 4) 의료진 의뢰 시 교육 5) 환자 의뢰 시 교육 6) 기타

희귀의약품 설문조사
15-3. 환자 교육을 시행한다면, 어떤 교육 자료를 활용하시나요? 1) 원내 자체 투약 안내문 2) 약품설명서 3) 제약회사 제공자료 4) 원내 자체 동영상 또는 ppt 5) 제약회사 동영상 6) 기타
15-4. 환자 교육을 시행한다면, 어떤 교육내용이 포함되어 있나요? 1) 성분 및 효능 2) 용법 및 용량 3) 투여방법 4) 부작용 5) 주의사항 6) 투약 과오 시 대처법 7) 보관방법 8) 약가 및 보험여부 9) 기타
16. 원외로 처방되는 희귀의약품에 대한 환자 교육이 별도로 이루어지고 있습니까? 1) 예 2) 아니오
16-1. 교육한다면, 교육담당자는 누구입니까? 1) 약사 2) 의사 3) 간호사 4) 제약회사 5) 외부약국 6) 기타