

포스트 코로나 시대
공중보건 위기대응 의료·방역제품
안전성 확보 및 신속 공급 방안 연구

2024. 9월

식품의약품안전처
유 대 규

차 례

국외훈련 개요	1
훈련기관 소개	2
1. 서론	3
1.1 연구 목표	3
1.2 연구 방법	4
2. 미국의 의료·방역제품 신속 공급 제도	5
2.1 미국의 허가제도 변천	5
2.1.1 설파닐아마이드 엘릭서	5
2.1.2 탈리도마이드	6
2.1.3 에이즈	7
2.1.4 911 테러	9
2.2 미국의 신속 허가 프로그램	11
2.2.1 조건부 허가	11
2.2.2 우선심사 지정	14
2.2.3 패스트트랙 지정	16
2.2.4 혁신 치료제 지정	18
2.2.5 재생첨단치료제 지정	20
2.2.6 항균제 및 항진균제를 위한 특정 인구집단 경로	21
2.2.7 롤링리뷰	23
2.2.8 동물 규칙	24
2.2.9 우선심사 바우처 프로그램	27
2.3 허가제도 외의 공급 프로그램	31
2.3.1 Emergency Use Authorization	31
2.3.2 EUA 승인 없는 긴급 사용	42
2.3.3 치료 목적 사용	44
2.3.4 치료받을 권리	51
2.3.5 맞춤형 제조 의약품	54
2.3.6 캐나다 처방약 수입 프로그램	56

3. 미국의 의료제품 부족 대응	59
3.1 의료제품 부족 대응 프로그램	59
3.1.1 생산 중단 사전 통지	59
3.1.2 의약품 생산량 보고	65
3.1.3 필수약품 등 목록	66
3.2 의약품 부족 현황	69
3.2.1 FDA	69
3.2.2 미국보건약사회	70
3.3 의약품 부족 원인 및 대안	71
3.3.1 FDA 주관 연방정부 의약품 부족 태스크포스 보고서	71
3.3.2 2023년 상원 국토안보 및 행정위원회 보고서	77
4. 미국의 포스트 코로나 대비 입법 동향	81
4.1 PREVENT 팬데믹법 주요내용	81
5. 결론	95
5.1 한-미 제도 비교	95
5.2 포스트 코로나 대비 정책 제언	99
5.2.1 의료·방역제품 공급망 정보 수집 능력 확대	99
5.2.2 의약품 수급 부족 시 규제 유연성 발휘	101
5.2.3 의료·방역제품 수급 조절 기능 강화	102
5.2.4 필수적 원료의약품 지원 근거 명문화	103
5.2.5 긴급사용승인 투명성 제고	105
5.2.6 우선심사 바우처 프로그램 시범사업 실시	105
참고문헌	107

국외훈련 개요

1. 훈련국: 미국

2. 훈련기관명: 글로벌문제연구센터 (GLOBIS)

(Center for the Study of Global Issues at
the University of Georgia)

3. 훈련분야: 보건행정

4. 훈련기간: 2023.3월 ~ 2024. 9월

훈련기관 개요

명 칭	미국, 글로벌문제연구센터 (GLOBIS) (Center for the Study of Global Issues at the University of Georgia)		
소재지	464 E. Broad St. Athens, GA 3060		
홈페이지	https://spia.uga.edu/departments-centers/center-for-the-study-of-global-issues-globis-2/		
설립목적	<ul style="list-style-type: none"> ○ 글로벌 이슈에 대한 교육과 연구활동 촉진 목적 - 글로벌 이슈와 국제 문제 해결을 위한 교육·연구를 위해 1994년 University of Georgia 내에 설립 - 교수, 공무원, 방문연구원들을 위한 국제연구 수료 과정, 해외 연수프로그램 등을 제공하고, 국제문제 해결을 위한 다양한 프로젝트 참여 - 2022년, 해외 공무원 및 국제리더십 교육을 위한 Global Leadership and Development (GLAD) Program을 설립하여 한국 공무원을 포함한 국제 리더십 개발 프로그램 운영 		
조직	<ul style="list-style-type: none"> ○ Certificate in Global Studies Program (4개 분야) ○ Study Abroad Programs (영국, 이탈리아, 아일랜드 등 7개국 9개 프로그램) ○ International Initiatives (3개 분야) ○ Global Leadership and Development Program (2개 분야) (교수 및 직원 9명) 		
주요기능 및 연구분야	<ul style="list-style-type: none"> ○ 글로벌 문제 연구 (정치, 경제, 사회문화) ○ 글로벌 연구 수료과정 운영 ○ 해외 공무원의 글로벌 리더십 교육 및 훈련 과정 운영 ○ 국제문제 파트너십 협력사업 부분 		
주요인사 인적사항	<ul style="list-style-type: none"> ○ Dr. Chad Clay (GLOBIS Director) ○ Dr. Taesik Yun (GLAD Program Director) 		
교섭창구	○ Dr. Taesik Yun, GLAD Program Director		
	전 화	1-706-248-0674	FAX
	E-mail	tyun@uga.edu	
훈련경비	기관부담금 USD 10,000/연		

1. 서론

1.1 연구 목표

2020년부터 전 세계적으로 700만 명이 넘는 사망자를 남긴¹⁾ 코로나19는 2024. 3월 현재도 진행형이다. 매주 4천 명 이상 환자가 발생하고 있다.²⁾ 확진되면 5일간 자가 격리가 권고되고 고령층에게는 치료제가 무료로 제공된다. 국가 차원의 지원이 계속되고 있다. 코로나19는 종식(終熄)이 아니라 공생(共生)과 관리의 대상이 되었다.

이번 팬데믹으로 인해 우리는 의약품, 의료기기 그리고 마스크와 같은 의료·방역제품의 중요성을 절실하게 깨달았다. 백신과 치료제를 가진 나라는 이를 무기화했다. 국경 봉쇄와 수출 통제로 자유무역과 글로벌 공급망에 대한 전통적인 신뢰는 훼손되었다. 팬데믹에 맞서는 의료제품의 독자적 개발이 필요한 이유는 이것이 국가의 존망, 국민의 건강과 직결되기 때문이다.

우리나라는 코로나19 백신과 치료제를 자체 개발하고 생산한 국가이다. 자랑스러운 K-방역의 성과이다. 그러나 적시성에 있어서는 아쉬움이 있다. 백신은 다른 개발국보다 1년 6개월 늦게 출시되어³⁾ 상대적으로 적게 사용되었고, 항체치료제는 세계 세 번째로 개발했지만⁴⁾, 이후의 변종 바이러스에는 효과가 크지 않았다.⁵⁾ 국내 기술로 개발된 허가된 경구 치료제는 아직 없다.

식품의약품안전처는 기업이 특정 제품을 연구·개발하도록 세금 감면, 금융지원 등의 직접적인 지원을 하기보다는 개발된 물품이 안전하고 효과적인지를 시판 전에 철저하게 검증하는 규제기관이다. 이는 백신,

1) WHO, "WHO COVID-19 dashboard", last modified Feb 25, 2024, <https://data.who.int/dashboards/covid19/deaths?n=c>, accessed Mar 18, 2024.

2) 질병관리청, <https://ncov.kdca.go.kr/pot/cv/trend/dmstc/selectMntrgSttus.do>, 2024. 3. 18. 접속.

3) 최초 국내 개발 코로나19 백신은 SK바이오사이언스의 '스카이코비원멀티주'로 2022년 6월 29일부터 품목허가를 받았다. (식품의약품안전처, "대한민국, 코로나19 백신 개발국에 합류하다.", 2022. 6. 29. 게시, [4\) 셀트리온에서 2021년 2월 5일 항체치료제 '렉키로나주' 품목허가를 받았다. \(식품의약품안전처, "코로나19 항체치료제 '렉키로나주' 품목허가", 2021년 2월 5일 게시, \[5\\) 박준용, "셀트리온 렉키로나주 공급중단...오미كرون 효능 낮아", *한겨레*, 2022년 2월 23일 게시, <https://www.hani.co.kr/arti/society/health/1032323.html>, 2023. 3. 17. 접속.\]\(https://mfds.go.kr/docviewer/skin/doc.html?fn=20210205020904797.hwp&rs=/docviewer/result/ntc0021/45029/1/202403, 2024. 3. 18. 접속.\)</p></div><div data-bbox=\)](https://mfds.go.kr/docviewer/skin/doc.html?fn=20220629020241092.hwp&rs=/docviewer/result/ntc0021/46486/1/202403, 2024. 3. 18. 접속.)</p></div><div data-bbox=)

치료제 등 의료·방역제품에 대해서도 마찬가지이다. 세상에 없는 물건을 직접 만들거나 개발되지 않은 제품을 누군가 만들게 할 권한은 없다. 다만, 임상시험, 허가 등과 관련된 지침을 제공하고 신속하고 탄력적인 안전성·유효성 심사 시스템을 운영함으로써 기업이 시행착오 없이 제품을 조속하게 개발할 수 있도록 유도한다.

우리는 2019년 코로나19 이전에도 사스(2003년), 신종인플루엔자(2009년), 메르스(2015년)를 겪었다. 주기적으로 유행했고 앞으로도 그럴 것이다. 어떠한 팬데믹이 언제 출현할지는 누구도 예측하기 어렵다. 백신과 치료제를 미리 개발해 두는 것 역시 쉽지 않다. 감염병이 크게 확산하기 전 그에 맞는 의료·방역제품을 최대한 빨리 개발하는 것이 최선이다. 이러한 측면에서 코로나19 이후 새로운 감염병 유행을 대비하여 외국의 사례를 분석해 우리나라의 정책과 제도를 재점검하고 필요한 정비를 하는 작업은 필수적이라 할 것이다.

1.2 연구 방법

이 보고서는 포스트 코로나를 대비하여 정부가 강화해야 할 기능에 주안점을 두었다. 이를 위해 미국을 분석 대상으로 선정하였다. 미국은 코로나19 초기 대응이 비록 미흡했다고 평가되고 있지만 전 세계에서 누구보다 빠르게 코로나19 백신과 경구 치료제를 개발·허가한 국가이기도 하다.

미국의 의료·방역제품 대응 정책과 제도를 △신속 허가방안, △허가제도 외 제품 공급 프로그램 그리고 △제품 부족 시 대응 메커니즘 등 세 개의 그룹으로 나누었다. 이를 우리나라의 그것과 비교하고 다음의 대규모 감염병 출현에 대비에 필요한 것들을 도출하였다. 필요한 경우에는 법률 개정안도 제시하였다.

식품의약품청(FDA, Food and Drug Administration), 회계감사원(GAO, Government Accountability Office), 의회조사국(CRS, Congressional Research Service)의 자료와 미국의 법률, 연방규정, 관보 등을 참고하였다. 이 보고서가 정책 수립 시 근거가 될 수 있도록 관련 법률과 지침을 필요한 한도 내 분석해 주석 또는 참고 자료에 수재 하였다.

2. 미국의 의료·방역제품 신속 공급 제도

2.1 미국의 허가제도 변천

2.1.1 설파닐아마이드 엘릭서

미국의 의료·방역 제품 신속 공급 제도를 이해하기 위해서는 허가와 관련된 각종 제도가 어떠한 배경에서 탄생했는지를 간략하게라도 이해할 필요가 있다. 미국의 의약품 허가제도는 안전성과 유효성 관점에서 네 번의 큰 변화를 겪었는데 모두 의약품에 대한 검증 수준을 높이고 허가·심사 절차를 고도화하는 과정이었다. 그런데 이들의 또 다른 공통점은 많은 사람이 희생된 비극적 사건으로부터 출발하였다는 것이다.

그 첫 번째가 1937년에 발생한 설파닐아마이드 엘릭서(Elixir Sulfanilamide) 사건이다. 설파닐아마이드는 항균제 성분으로 주로 정제·캡슐 형태로 판매되었다. 그러던 중 제약사는 고형제 외에도 어린아이가 복용하기 쉬운 액제 수요가 높다는 것을 발견하고 디에틸렌글라이콜과 물을 섞어 라즈베리향의 설파닐아마이드 액제를 만들어 시판한 것이다.⁶⁾ 이때 제약사는 첨가 성분에 대해 독성테스트를 하지 않았는데 당시의 법률인 「순수 식품 및 의약품법」(Pure Food and Drug Act)은 이러한 실험을 강제하지 않았기 때문이다.⁷⁾ 이처럼 법적 공백과 제약사의 과실로 인해 제품에 노출된 환자 353명 중 약 1/3이 급성 신부전으로 사망하였다.⁸⁾

이를 계기로 1938. 6월 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」(Federal Food, Drug and Cosmetic Act, P.L. 75-717)이 제정되었다. 새로운 법률에 따라 기업은 제품 출시 전 NDA 절차를 통해 FDA에 안전성 증거 자료를 제출해야 했으며, FDA는 2개월 이내에 NDA의 허가 또는 거부를 결정하거나 추가자료를 요청해야 했다. 또한 임상시험용 의약품에는 ‘시험용으로만 사용’이란 표시를 붙인 후 전문가가 이 용도로만 사용하게 강제하였다.⁹⁾¹⁰⁾¹¹⁾

6) Paine, M F, "Therapeutic disasters that hastened safety testing of new drugs", *Clinical Pharmacology and Therapeutics*, Vol. 101 (2017): 430-434. <https://doi.org/10.1002/cpt.613>.

7) FDA, "Sulfanilamide Disaster", last modified June, 1981, <https://www.fda.gov/about-fda/histories-product-regulation/sulfanilamide-disaster>, accessed Feb 11, 2024.

8) 디에틸렌 글라이콜의 대사산물인 디글라이콜릭산이 근위세뇨관 괴사를 유발한 것으로 후에 밝혀졌다.

9) FDA, "Milestones in U.S. Food and Drug Law", last modified Jan 30, 2023, <https://www.fda.gov/about-fda/f>

2.1.2 탈리도마이드

두 번째는 1960년대 초에 발생한 탈리도마이드(Thalidomide) 사건이다. 임부의 구역질 진정에 사용된 의약품이었으나 부작용으로 인해 수천 명의 기형아가 서유럽에서 태어난 것이다.¹²⁾ 미국에서는 이 약이 비록 정식 허가를 받지 못했지만, 회사가 임상시험을 목적으로 1,200명의 의사에게 제품을 배포한 사실이 드러나 미국에서도 17명의 기형아가 태어났다.¹³⁾ 당시에는 FDA가 60일 이내 신약 신청 검토를 완료하지 않으면 자동으로 허가되어 시판이 가능하다는 문제가 있었다. 또한 안전성과 달리 유효성 증명은 요구되지 않았을 뿐만 아니라 동물 실험도 표준화되지 않았다.¹⁴⁾

이 문제에 대응하기 위해 에스터스 키포버 상원 의원과 오렌 해리스 하원 의원 주도로 「키포버-해리스 의약품 개정법」(Kefauver-Harris Drug Amendments, P.L. 87-781)이 1962. 10월 시행됨에 따라 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」은 큰 변화를 맞게 된다. 개정 법률에 따라 △제조업자는 시판 전의 안전성뿐만 아니라 전문가가 시행한 적절하고 잘 통제된 임상 연구에 기초해 효과성을 입증하고 △심각한 부작용은 규제 당국에 보고하게 되었다.

또한 △의약품 시판 전에 반드시 FDA 허가를 받도록 하였으며(NDA) △FDA의 신약 심사 기간으로 180일이 주어졌다.¹⁵⁾ △임상시험 IND 제도도 이때 함께 규정되었다. 아울러 △1938년부터 1962년 사이에 안전성만으로 허가받은 의약품의 효과를 평가토록 하는 한편, △FDA가 GMP 기준을 정하여 제조시설을 정기적으로 실사하고 △처방약 광고에 부작용 정보 포함을 의무화하였다.¹⁶⁾

da-history/milestones-us-food-and-drug-law, accessed Feb 7, 2024.

10) FDA, "Summary of NDA Approvals & Receipts, 1938 to the present", last modified Jan 31, 2018, <https://www.fda.gov/about-fda/histories-fda-regulated-products/summary-nda-approvals-receipts-1938-present>, accessed Feb 11, 2024.

11) James L Zelenay Jr., "The Prescription Drug User Fee Act: is a faster Food and Drug Administration always a better Food and Drug Administration?", *Food Drug Law J.* Vol. 60(2) (2005): 261-338. PMID: 16094773.

12) FDA, 앞의 2023년 1월 30일 게시 자료

13) FDA, "Kefauver-Harris Amendments Revolutionized Drug Development", last modified Oct, 2012, https://www.gvsu.edu/cms4/asset/F51281F0-00AF-E25A-5BF632E8D4A243C7/kefauver-harris_amendments.fda.thalidomide.pdf, accessed Feb 8, 2024.

14) Ibid.

15) Ibid.

2.1.3 에이즈

「키포버-해리스 의약품 개정법」 이후 의약품 안전성과 유효성 검증 수준이 높아짐에 따라 FDA의 심사 기간이 점차 증가했다. 이는 에이즈(AIDS) 발생을 계기로 사회적·정치적으로 큰 주목을 받았다. 1980년대 초에는 FDA 허가를 받은 치료제가 없었기 때문에 에이즈는 매우 치명적인 질병이었다. 환자단체는 FDA의 허가 절차가 느리고 보수적이어서 치료제를 사용할 수 없다고 비판하면서 신속한 허가를 강력하게 요청하였다.¹⁷⁾

HIV(인체면역결핍바이러스)가 처음 보고된 1981년¹⁸⁾ 이후 약 6년 만인 1987. 3월 첫 번째 에이즈 치료제 AZT(Zidovudine)가 FDA 허가를 받았다. 임상시험 시작 20개월 만이었다.¹⁹⁾ 당시의 다른 신약에 비해 매우 빠르게 심사 절차가 진행되었는데 시판 후에 임상시험을 실시하는 조건으로 2상 임상시험 결과를 근거로 허가했기 때문이다.²⁰⁾ 그런데 AZT 사용 1년 후 부작용이 발생하고 내성으로 효과도 감소하기 시작했다. 대체제인 ddi(didanosine)와 ddC(zalcitabine) 허가마저 늦어지자 환자단체는 FDA에 이의 시판 허가를 계속 압박했다.²¹⁾

이에 1987. 5. 22.부로 연방규정 21 CFR 312에 임상시험 중인 의약품을 안전성·유효성 확인 목적이 아닌 환자 치료용으로 사용할 수 있게 하는 '치료 목적 사용 제도'(Expanded Access)가 처음 명문화되었다.²²⁾²³⁾ 추후 이 제도는 1997. 11월 「FDA 현대화법」(Food and Drug Administration Modernization Act of 1997, FDAMA, P.L. 105-115) 제정을 통해 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 법률로 포함되었다.

16) Ibid.

17) Erin E. Kepplinger, "FDA's Expedited Approval Mechanisms for New Drug Products", *Biotechnol Law Rep.* Vol. 34(1) (2015): 15-37, <https://doi.org/10.1089/blr.2015.9999>

18) HHS, "A Timeline of HIV and AIDS", accessed Feb 11, 2024, <https://www.hiv.gov/hiv-basics/overview/history/hiv-and-aids-timeline/>.

19) 강신정, "에이즈 환자, FDA 비난이 촉발시킨 '신속허가심사제도'", 히트뉴스, 2022년 8월 9일 게시, <http://www.hitnews.co.kr/news/articleView.html?idxno=40592>, 2024. 2. 11. 접속.

20) Ibid.

21) Ibid.

22) Federal Register, "Expanded Access to Investigational Drugs for Treatment Use", last modified Dec 14, 2006, <https://www.federalregister.gov/documents/2006/12/14/06-9684/expanded-access-to-investigational-drugs-for-treatment-use>, accessed Feb 14, 2024.

23) 비록 명문 규정은 없었지만, 그 이전에도 FDA는 비공식적으로 치료 목적 사용 제도를 운영했다.(출처: Ibid.)

FDA는 AZT 허가 경험을 바탕으로 1988. 10월부로 연방규정 21 CFR 312 Subpart E에 '패스트트랙'(fast track) 규정을 신설하였고²⁴⁾ 이는 위에서 언급한 1997. 11월의 「FDA 현대화법」을 통해 법제화되었다. 아울러, 신약 허가 신청자가 자료를 한꺼번에 제출하는 대신 완성된 것부터 순차적으로 제출하여 심사받을 수 있는 '롤링리뷰 제도'도 이 법률에 따라 신설되었다.

또한 미 의회와 정부는 FDA의 신약 심사 기간 단축 필요성을 절감하고 1992. 10월 「처방약 신청자 수수료법」(Prescription Drug User Fee Act of 1992, PDUFA, P.L. 102-571)을 제정하여 FDA가 걷은 수수료가 심사 직원 증원을 위해 사용될 수 있게 하면서, 허가 신청서에 대한 심사를 6개월 이내 완료하는 '우선심사'(Priority Review) 제도를 동시에 신설하였다.

마지막으로, FDA는 대리 평가변수에 근거해 1991. 10월 및 1992. 6월에 ddI와 ddC를 각각 조건부 허가한 후, 대리 평가변수를 통한 허가 절차인 연방규정 21 CFR 314 Subpart H를 1992. 12월 연방관보에 공고하였다.²⁵⁾ '조건부 허가'의 최초 법적 근거로²⁶⁾ 이는 2012. 7월 「FDA 안전 및 혁신법」(Food and Drug Administration Safety and Innovation Act, FDASIA, P.L. 112-144)을 통해 법제화가 이루어졌다.

- 에이즈가 촉발한 허가 제도 변천 -

1987	<ul style="list-style-type: none"> ■ AZT 조건부 허가 ■ 치료 목적 사용 최초 연방규정 신설 	21 CFR 312
↓		
1988	<ul style="list-style-type: none"> ■ 패스트트랙 최초 연방규정 신설 	21 CFR 312 Subpart E
↓		
1991	<ul style="list-style-type: none"> ■ ddI 조건부 허가 	
↓		
1992	<ul style="list-style-type: none"> ■ 조건부 허가 제도 최초 연방규정 신설 ■ 유저피 제도 및 우선심사 제도 법제화 ■ ddC 조건부 허가 	21 CFR 314 Subpart H 처방약 신청자 수수료법
↓		
1997	<ul style="list-style-type: none"> ■ 치료 목적 사용, 패스트트랙 및 롤링리뷰 제도 법제화 	FDA 현대화법
↓		
2012	<ul style="list-style-type: none"> ■ 조건부 허가 제도 법제화 	FDA 안전 및 혁신법

24) Federal Register, "Subpart E-Drugs Intended To Treat Life Threatening and Severely-debilitating Illnesses", last modified Oct 21, 1988, https://archives.federalregister.gov/issue_slice/1988/10/21/41492-41527.pdf#page=32, accessed Feb 11, 2024.

25) Federal Register(57 FR 58958), last modified December 18, 1992, <https://www.federalregister.gov/citation/57-FR-58958>, accessed Feb 12, 2024.

26) 시판 후 임상에 대해 Subpart E는 FDA 재량 사항으로, Subpart H에서는 의무 사항으로 규정하고 있다.

2.1.4 911 테러

의약품, 의료기기는 시판 전에 FDA의 허가를 받아야 하는 것이 원칙이다.²⁷⁾ 그런데 이의 예외적 절차가 있는데 바로 Emergency Use Authorization(EUA)이다. 공중보건 비상사태 시에 의료대응제품(MCMs)의 사용을 촉진함으로써 화학적·생물학적·방사능·핵(CBRN) 위협으로부터 공중보건을 확보하기 위한 제도이다.²⁸⁾ 우리나라의 「공중보건 위기대응 의료제품의 개발 촉진 및 긴급 공급을 위한 특별법」 상 긴급사용승인 제도와 유사하다.

미국에서 EUA 도입 논의가 시작된 계기는 2001년에 발생한 911과 탄저균 테러이다.²⁹⁾³⁰⁾ CBRN 테러에 적극적으로 대응할 필요성이 커지자, 부시 대통령은 2003년 연방의회 연설에서 ‘프로젝트 바이오셴드’를 제안하였고 이에 의회는 2004. 7월 「프로젝트 바이오셴드법」 (Project Bioshield Act, P.L. 108-276)을 제정하게 된다.³¹⁾

이 법률은 크게 세 부분으로 나뉘는데, △첫 번째는 통상 ‘프로젝트 바이오셴드’라고 불리는 내용이다.³²⁾ 정부가 시장의 역할을 뒷받침하기 위해 개발에 오랜 기간이 소요되는 CBRN 대응 의료제품을 보건부장관이 의무적으로 구매토록 하였다. △두 번째는 보건부가 제품 조달, 전문가 고용, 연구 보조금 지급 등 CBRN 테러 관련 지출을 신속하게 할 수 있도록 하였다. 그리고 △세 번째가 위에서 설명한 EUA 제도 신설에 관한 규정이다.

27) GAO, “COVID-19 Federal Efforts Accelerate Vaccine and Therapeutic Development, but More Transparency Needed on Emergency Use Authorizations”, last modified Nov, 2020, <https://www.gao.gov/assets/gao-21-207.pdf>, accessed Jan 27, 2024.

28) FDA, “About Emergency Use Authorizations (EUAs)”, last modified Mar 4, 2024,, <https://www.fda.gov/emergency-preparedness-and-response/mcm-legal-regulatory-and-policy-framework/emergency-use-authorization#abouteuas>, accessed Mar 18, 2024.

29) Jonathan Iwry, “From 9/11 to COVID-19: A Brief History of FDA Emergency Use Authorization”, last modified January 28, 2021, <https://blog.petrieflom.law.harvard.edu/2021/01/28/fda-emergency-use-authorization-history/>, accessed Jan 28, 2024.

30) Allan Tran and Theodore J. Witek, Jr, 2021, “The Emergency Use Authorization of Pharmaceuticals: History and Utility During the COVID-19 Pandemic”, *Pharmaceutical medicine*, Vol. 35(4) (2021): 203–213. doi:10.1007/s40290-021-00397-6.

31) CRS, “The Project BioShield Act: Issues for the 112th Congress”, last modified December 21, 2021, <https://crsreports.congress.gov/product/pdf/R/R42349/13>, accessed Jan 28, 2024.

32) Ibid.

1992. 12. 11. 제정 21 CFR 314 Subpart H 주요내용
Accelerated Approval of New Drugs for Serious or Life Threatening Illnesses

□ **범위**

- 이 규정은 심각하거나 생명을 위협하는 질병에 있어 안전성·유효성 연구를 위한 신약과 항생제에 적용된다. 이때 의약품은 현존하는 치료법 대비 의미 있는 치료상 편익을 제공하는 제품이다.(예를 들면 기존 치료에 반응하지 않거나 내성이 있는 환자를 치료하거나 기존 치료 대비 환자 반응이 향상된 경우)

□ **대리 평가변수 또는 임상적 평가변수**

- FDA는 적절하고 잘 통제된 임상시험을 통해 신약이 △역학적, 치료적, 병태생리학적, 기타의 증거를 통해 임상적 유의성을 예측하기에 충분한 대리 평가변수(surrogate endpoint) 에 영향을 미치거나 △생존 또는 비가역적 이환 이외의 임상적 평가변수(clinical endpoint)에 영향을 미치는 것을 입증하는 경우 그 신약을 시판 허가할 수 있다.
- 대리 평가변수와 임상적 유의성 사이 그리고 관찰된 임상적 유의성과 최종 결과 사이에는 불확실성이 있는 경우, 이 규정에 따라 허가를 받은 사람은 의약품의 임상적 유의성 검증과 설명을 위해 노력을 다해 추가 연구를 수행해야 한다.

※ 허가 조건, 철회 절차, 광고 자료 관련 내용 등은 후술 조건부 허가 제도에서 기술

1988. 10. 21. 제정 21 CFR 312 Subpart E 주요내용
Drugs Intended To Treat Life Threatening and Severely-debilitating Illnesses

□ **목적**

- 이 규정은 '생명을 위협하고 비가역적인 심각한 이환을 유발하는 질병 치료를 위해, 특히 적절한 대체 의약품이 없는 경우, 새로운 치료법의 개발, 평가, 시판을 신속하게 처리하기 위한 절차 수립을 목적으로 한다.
- 이는 안전성·유효성이 담보되는 한 관련 법적 기준을 적용할 때 최대한의 유연성이 필요하다는 FDA의 인식과 이러한 중대한 질병을 치료하는 의약품에 대해서는 리스크·부작용을 감수할 의향이 있다는 의사나 환자의 생각을 기반으로 한다.

□ **범위**

- 이 규정은 생명을 위협하고 비가역적 심각한 이환을 유발하는 질병 치료에 있어 안전성·유효성 연구 대상인 신약, 항생제, 생물약품에 적용한다.

□ **초기 상담**

- 위의 질병 치료 의약품의 스폰서는 개발 초기에 비임상, 임상연구 디자인에 관해 검토, 합의할 수 있도록 FDA 심사자와의 면담을 요청할 수 있다. 여기에는 △동물 실험 디자인 등에 관한 'IND 제출 전 미팅'(Pre-investigational new drug (IND) meetings), △2상 임상시험 디자인 등을 논의하기 위한 '1상 종료 후 미팅'(End-of-phase 1 meetings)이 포함된다.

□ **치료 프로토콜**

- 2상 시험의 예비 분석 결과가 유망하다고 판단되면 FDA는 스폰서에게 치료 프로토콜 제출을 요청할 수 있다. 치료 프로토콜이 요청·제출되면, 시판 허가에 필요한 모든 데이터를 스폰서가 수집하고 있고 FDA가 심사를 진행하고 있는 동안 해당 치료 프로토콜은 일반적으로 유효하다.

□ **위험-편익 분석**

- FDA는 의약품의 의학적 위험-편익을 고려해서 시판 허가 여부를 결정한다. 즉, △의약품의 편익이 실제적(known)·잠재적(potential) 위험보다 큰지 △질병의 심각성 및 대체 치료제 부재 시의 위험-편익에 관한 질문에 답변할 필요성을 고려한다.
- 1상 종료 미팅의 대상이 된 의약품의 시판 허가를 결정할 경우 FDA는 외부 과학 전문가 또는 자문 위원회의 조언을 듣는다.

□ **제4상 연구**

- 시판 허가와 동시에 FDA는 의약품의 위험, 편익, 최적 사용에 대한 추가 정보를 얻기 위해 스폰서와 4상 시판 후 연구를 수행하도록 합의할 수 있다.
- 여기에는 2상 연구 때와 다른 투여 용량이나 투여 일정, 다른 환자 집단이나 질병의 다른 단계에서 의약품 사용, 장기간 사용 효과 등에 관한 연구가 포함될 수 있으며 이 예시에 국한되지 않는다.

2.2 미국의 신속 허가 프로그램

2.2.1 조건부 허가 Accelerated Approval (AA)

□ 제도 개요

대리 평가변수 또는 중간 임상적 평가변수에 근거해 의약품을 허가하는 메커니즘을 말한다. 전통적으로 임상시험은 환자가 겪은 임상적 결과(clinical outcomes)를 평가한다. 이 정보를 얻기 위한 측정값을 평가변수(endpoints)라 하는데 임상적 평가변수(clinical endpoints)가 치료제 효능 평가의 표준이다. 환자가 어떻게 느끼고, 동작하고, 생존하는지를 직접 평가하기 때문이다.³³⁾

그러나 임상시험은 치료로 인한 임상적 결과를 예측할 수 있는 대체 방법으로도 디자인될 수 있는데 그 방법을 대리 평가변수(surrogate endpoint)라 한다. 이를 사용하는 목적은 '임상적 평가변수' 시험보다 시간과 비용을 절약할 수 있으면서도 효과를 적절하게 포착할 수 있기 때문이다.³⁴⁾ 또한, 무작위 임상시험 중 위약 그룹에 배정된 환자가 질병이 악화하여 실제 치료로 전환될 경우에 발생하는 통계적 문제점을 피하는데 유용하다. 잘 디자인된 단기 '대리 평가변수' 임상시험은 이러한 사건으로 영향을 받는 데이터를 적게 생산하고 임상시험용 의약품의 상대적 유익성을 추정하기 쉽게 만든다.³⁵⁾

대리 평가변수의 예로는 AIDS 환자의 CD4 숫자, 암환자의 종양 크기 감소, 심혈관질환자의 혈압, 녹내장 환자의 안압 등을 들 수 있는데, FDA는 신약을 허가할 때 실제 심사의 기초가 된 '대리 평가변수' 목록

33) Anna Kaltenboeck, Amanda Mehlman, Steven D. Pearson, "Strengthening the Accelerated Approval Pathway: an Analysis of Potential Policy Reforms and Their Impact on Uncertainty, Access, Innovation, and Costs", last modified Apr 26, 2021, https://icer.org/wp-content/uploads/2021/04/Strengthening-the-Accelerated-Approval-Pathway_-ICER-White-Paper_-April-2021.pdf, accessed Mar 20, 2024.

34) 2016. 12. 13.에 제정된 「21세기 치료법」(P.L. 114-255)에 따라 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 제507조 (21 U.S.C. § 357)에 '대리 평가변수'의 정의와 FDA의 허가 시 기초가 된 '대리 평가변수'의 목록 공개의무가 규정되었다. 즉, "대리 평가변수라는 용어는 실험실적 측정, 방사선 사진 이미지, 신체 징후 또는 기타 측정과 같은 지표(marker)를 의미하며 그 자체로는 임상적 유익성(clinical benefit)을 직접적으로 측정할 수 없으며 다음을 의미한다. 1) 임상적 유익성을 예측하는 것으로 알려져 있으며 의약품이나 생물학의약품의 전통적인 승인(traditional approval)을 뒷받침하는 데 사용될 수 있다. 또는 2) 임상적 유익성을 합리적으로 예측할 가능성이 높으며 타이틀 21의 제356조(c)(저자주: 조건부 허가 규정임)에 따라 의약품 또는 생물학의약품의 조건부 허가를 뒷받침하는 데 사용될 수 있다"라고 규정하고 있다.

35) CRS, 앞의 2021년 12월 21일 자료

70여 개 정보를 홈페이지에 게시하고 있다.

1992. 1월 조건부 허가가 연방규정에 처음 신설된 후 2012. 7월 「FDA 안전 및 혁신법」에 따라 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 포함되었다. 우리나라의 조건부 품목 허가제도와 유사하다.

□ 심사 기준

먼저 해당 의약품이 △심각하거나(serious) △생명을 위협(life-threatening) 하는 질병에 사용되는 △신약³⁶⁾이어야 한다. 이러한 제품은 △임상적 유익성(clinical benefit)을 합리적으로 예측할 수 있는 대리 평가변수(surrogate endpoint) 또는 △비가역적 질병 악화, 사망이나 임상적 유익성에 미치는 다른 영향을 합리적으로 예측할 수 있으면서 비가역적 질병 악화 또는 사망 이전에 측정할 수 있는 중간(intermediate)의 임상적 평가변수(clinical endpoint)에 근거해 허가할 수 있다. 이 외에도 질병의 심각성, 희귀성, 유행성, 대체 치료제 유무나 부족 상태 등을 함께 고려할 수 있다.³⁷⁾

평가변수가 임상적 유익성을 합리적으로 예측할 수 있음을 보여주는 증거로는 역학적, 병태생리적, 치료적, 약리학적 또는 바이오마커 등을 사용하여 개발된 증거, 과학적 방법 등이 있다.³⁸⁾

□ 허가 조건

신약의 스폰서는 △당초 예측한 비가역적 질병 악화, 사망이나 기타 임상적 유익성에 미치는 효과 검증을 위해 하나 이상의 시판 후 연구를 수행해야 하고 △허가심사 기간과 시판 후 일정 기간에는 제품과 관련된 모든 홍보 자료 사본을 배포 최소 30일 전까지 FDA에 제출해야 한다.³⁹⁾

스폰서의 시판 후 연구 조건은 신약 허가를 하는 날보다 늦지 않게 정해지며, 여기에는 연구 등록 대상자, 연구 프로토콜, 주요 일정, 연구

36) 21 U.S.C. § 355(c) 또는 42 U.S.C. § 262(a)에 해당하는 신약, 생물약품

37) 21 U.S.C. § 356(c)(1)(A)

38) 21 U.S.C. § 356(c)(1)(B)

39) 21 U.S.C. § 356(c)(2)(A)

완료 예정일이 포함될 수 있다.⁴⁰⁾ 만약 FDA가 시판 후 연구를 요구하지 않을 때는 그 이유를 홈페이지에 게재해야 한다.⁴¹⁾

안전한 의약품 사용을 위해 FDA는 △특정 시설 또는 특정 교육이나 경험을 가진 의사에게만 배포하거나 △특정 의료적 절차를 실시할 것을 조건으로 공급하는 등의 의약품 유통·사용 관련 일정한 제한 조건을 둘 수 있다. 제한의 정도는 의약품의 안전성 수준에 따라 달라진다.⁴²⁾

□ 허가 철회

△스폰서가 시판 후 연구 등 허가 조건을 신속하게 이행하지 않거나 △시판 후 연구가 제품의 효과나 유익성 검증에 실패한 경우 △기타의 증거가 제품의 안전성·유효성을 보여주지 않거나 △스폰서가 허위·과대 홍보 자료를 배포하면 허가가 철회될 수 있다.⁴³⁾ 철회 시에는 스폰서에게 사전 설명, 회의, 의견 제시 등의 기회를 부여하고 대중 의견수렴, 자문 위원회 개최 등의 절차를 거친다.⁴⁴⁾

□ 운영 현황

1992년부터 2021. 12월 말까지 FDA CDER의 조건부 허가를 받은 제품은 총 278개로 이중 약 1/4인 70개가 2020년과 2021년에 집중 허가되었다.⁴⁵⁾ 최근 3년간 허가된 신약의 약 20%가 조건부 허가를 받았다.⁴⁶⁾

40) 21 U.S.C. § 356(c)(2)(C)

41) 21 U.S.C. § 356(c)(2)(B)

42) 21 CFR § 314.520

43) 21 U.S.C. § 356(c)(3)(A)

44) 21 U.S.C. § 356(c)(3)(B)

45) HHS, "Delays in Confirmatory Trials for Drug Applications Granted FDA's Accelerated Approval Raise Concerns", last modified Sep, 2022, <https://oig.hhs.gov/oei/reports/OEI-01-21-00401.pdf>, accessed Feb 25, 2024.

46) ■ 2021년 통계: FDA, "New Drug Therapy Approvals 2021", last modified Jan, 2022, <https://www.fda.gov/media/155227/download> ■ 2022년 통계: FDA, "New Drug Therapy Approvals 2022", last modified Jan, 2023, <https://www.fda.gov/drugs/new-drugs-fda-cders-new-molecular-entities-and-new-therapeutic-biological-products/new-drug-therapy-approvals-2022> ■ 2023년 통계: FDA, "New Drug Therapy Approvals 2023", last modified Jan, 2024, <https://www.fda.gov/drugs/new-drugs-fda-cders-new-molecular-entities-and-new-therapeutic-biological-products/novel-drug-approvals-2023>.

구분	2021년	2022년	2023년
총 허가 신약수(A)	50개	37개	55개
조건부 허가(B)	14개	6개	9개
비율(B/A)	28%	16%	16%

□ 이슈 동향

조건부 허가 제도가 신약의 환자 접근성 확보에 기여했다는 긍정적인 의견도 있지만⁴⁷⁾ 기존 의약품 허가보다 낮은 수준의 규제 기준을 적용하고 있고, 허가 후 효과 검증 연구가 제대로 이행되지 않는다는 비판적 견해도 있다.⁴⁸⁾ FDA의 느슨한 사후 관리에 대한 우려도 있다.⁴⁹⁾

일례로 1992년부터 2021. 12월 말까지 조건부 허가를 받은 278개 중 104개는 아직 확증 시험을 완료하지 못했고 이 중 34%인 35개는 당초의 시험 완료 예정일을 초과했다. 확증 시험을 실시한 139개 제품도 허가 이후 시험 완료까지 평균 4년이나 걸리는 것으로 분석되었다. 조건부 허가를 받은 제품의 13%가 허가 철회되었다.⁵⁰⁾

2.2.2 우선심사 지정 Priority Review Designation (PRD)

□ 제도 개요

우선심사는 신약 신청서가 접수되면 FDA가 6개월 이내에 허가 여부를 신속히 결정하는 제도이다. 우리나라의 우선심사 제도와 유사하다. 앞서 설명한 바와 같이 우선심사의 법적 근거는 1992년의 「처방약 신청자 수수료법」이다.⁵¹⁾ 그런데 사실 이 법이나 현행 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」 어디를 보아도 우선심사(priority review) 용어, 절차나 심사

47) 식품의약품안전처, “미국 의약품 규제 동향 브리프 제6호”, 2022년 3월 게시

48) Ginny Beakes-Read, Madison Neisser, Patrick Frey & Mara Guarducci, “Analysis of FDA’s Accelerated Approval Program Performance December 1992-December 2021”, *Therapeutic innovation & regulatory science*, Vol. 56(5) (2022): 698-703. <https://doi.org/10.1007/s43441-022-00430-z>

49) HHS, 앞의 2022년 9월 자료

50) Ibid.

51) 식품의약품안전처, “해외 주요국 신속심사 사례집”, 2021년, https://www.mfds.go.kr/brd/m_1060/view.do?seq=14924&srchFr=&srchTo=&srchWord=&srchTp=&itm_seq_1=0&itm_seq_2=0&multi_itm_seq=0&company_cd=&company_nm=&page=52, 2024. 2. 9. 접속

기간 등은 명시되어 있지 않다. 구체적인 내용은 FDA의 MAPP⁵²⁾과 지침⁵³⁾에 기술되어 있다.

다만, 1992년 「처방약 신청자 수수료법」의 첫 장에 있는 의회 확인란에 수수료는 FDA 청장이 1992. 9. 14.과 1992. 9. 21.에 하원과 상원에 보낸 서한에서 밝힌 목표⁵⁴⁾와 같이 의약품 심사를 가속하는 데 사용될 것이라고 기술되어 있는데 이것이 제도의 법률적 근거이다.

□ 주요 내용

미국 FDA는 NDA, BLA 및 기허가 의약품 유효성 자료 추가 제출과 관련한 절차를 △표준 심사(standard review)와 △우선심사(priority review)로 나눈다. 가장 큰 차이점은 FDA의 심사 기간이다. 표준 심사는 기한이 10개월 이내지만 우선심사는 6개월 이내이다.⁵⁵⁾ 우선심사를 받으려면 FDA로부터 그 대상으로 지정을 받아야 한다. FDA가 직권으로 지정할 수도 있으나 통상 스폰서가 NDA, BLA 또는 기허가 의약품 유효성 자료 추가 신청·제출 시에 신청한다.⁵⁶⁾

의약품이 기존 치료보다 심각한 질병의 치료·진단·예방에 있어 안전성 또는 유효성을 의미 있게 개선(significant improvement)할 가능성이 있을 때 지정받을 수 있다. 의미 있는 개선의 예로는 △질병의 치료·진단·예방과 관련된 유효성 증가 △부작용이 없거나 상당한 감소 △환자 순응도 향상 △새로운 하위 인구집단에서의 안전성·유효성 입증을 들 수 있다.⁵⁷⁾

그러나 우선심사 지정이 장래의 시판 허가를 보장하지 않는다. 또한

52) FDA, "MAPP 6020.3 Rev.2, Review Designation Policy: Priority (P) and Standard (S)", last modified June 25, 2013, [https://www.fda.gov/files/about%20fda/published/Review-Designation-Policy—Priority-\(P\)-and-Standard-\(S\).pdf](https://www.fda.gov/files/about%20fda/published/Review-Designation-Policy—Priority-(P)-and-Standard-(S).pdf), accessed Feb 8, 2024.

53) FDA, "Guidance for Industry Expedited Programs for Serious Conditions - Drugs and Biologics", last modified May, 2014, <https://www.fda.gov/media/86377/download>, accessed Feb 8, 2024.

54) 1992. 9. 14.의 FDA 청장 서한에는 △NDA 등 우선심사 대상은 신청서 제출일로부터 6개월 이내 심사 완료 △6개월 이내 심사 완료 목표 비율을 1994년에는 55%, 1995년 70%, 1996년 80%, 1997년 90%까지 상향 △표준 심사 대상은 12개월 이내 완료 등 구체적 목표가 기술되어 있다.(Congress, "Congressional Record", last modified Sep 22, 1992, <https://www.govinfo.gov/content/pkg/GPO-CRECB-1992-pt18/pdf/GPO-CRECB-1992-pt18-4.pdf>, accessed Feb 9, 2024.)

55) FDA, 앞의 2013년 6월 25일 자료.

56) FDA, 앞의 2014년 5월 자료.

57) Ibid.

허가에 필요한 자료 수준을 변경하지도 않는다. 개발이나 임상시험의 기간에도 역시 영향을 미치지 않는다.⁵⁸⁾ 우선심사는 단지 일정한 조건을 갖춘 신약 허가 신청에 대해 6개월 이내 허가 여부를 결정하는 제도이기 때문이다.

□ 운영 현황

허가된 신약의 절반 이상이 우선심사 지정을 받았다.⁵⁹⁾

구분	2021년	2022년	2023년
총 허가 신약수(A)	50개	37개	55개
우선심사(B)	34개	21개	31개
비율(B/A)	68%	57%	56%

□ 이슈 동향

우선심사가 허가에 필요한 제출 자료나 심사 절차를 변경하지는 않음에도 불구하고, FDA가 기한에 쫓기게 됨에 따라 허가 여부를 결정하는 과정에서 실수할 가능성이 높아지고 이는 장기적으로 의약품의 안전성·유효성에 부정적인 영향을 줄 것이라는 비판적 의견이 있다.⁶⁰⁾

2.2.3 패스트트랙 지정 Fast Track Designation (FTD)

□ 제도 개요

일정한 조건을 충족하는 의약품을 대상으로 개발과 허가 심사 절차를 신속하게 하는 FDA의 지원 정책이다. 1997. 11월 제정된 「FDA 현대화법」을 통해 패스트트랙 제도가 법제화되었다.

□ 지정 기준

△단독 또는 하나 이상의 다른 의약품과 병용하여 △심각하거나

58) FDA, "Priority Review", last modified Jan 4, 2018, <https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-the-rapy-accelerated-approval-priority-review/priority-review>, accessed Feb 9, 2024.

59) FDA, 앞의 2021년, 2022년, 2023년 통계 자료

60) Drug Dangers, "Priority Review Program", <https://www.drugdangers.com/fda/priority-review-program/>, accessed Feb 25, 2024.

생명을 위협하는 질병 치료를 목적으로 하면서 △비임상 또는 임상 데이터가 미충족 의료수요를 해소할 잠재성을 보여주는 경우 또는 △적격 감염병 제품이 지정 대상이다.⁶¹⁾

□ 지정 절차

스폰서는 FDA에 IND 신청과 동시에 또는 그 이후 패스트트랙 지정을 요청할 수 있으나 FDA는 사전 NDA 미팅 전 요청이 이상적이라고 권장한다.⁶²⁾ 지정 요청을 받은 FDA는 60일 이내에 기준 충족 여부를 결정하고 기준 충족 시 패스트트랙 제품으로 지정한다.

□ 지정 효과

패스트트랙 지정 제품은 조건부 허가 대상이 된다. 이때 조건부 허가 절차 및 요건 등이 그대로 적용된다.⁶³⁾ 관련 기준이 충족 시 우선심사 대상이 된다.⁶⁴⁾ 또한 롤링리뷰를 받을 수 있다.⁶⁵⁾ 의약품 개발 계획을 논의하고 허가에 필요한 데이터를 수집하기 위해 FDA와 더 자주 회의할 수 있고, FDA와 임상시험 설계 및 바이오마커 사용과 관련하여 서면으로 소통할 수 있다.

□ 운영 현황

FDA 허가 신약의 40% 내외가 패스트트랙 지정 제품이었다.⁶⁶⁾

구분	2021년	2022년	2023년
총 허가 신약수(A)	50개	37개	55개
패스트트랙(B)	18개	12개	25개
비율(B/A)	36%	32%	45%

61) 21 U.S.C. § 356(b)(1)

62) FDA, 앞의 2014년 5월 FDA 자료 및 21 U.S.C. § 356(b)(2)

63) 21 U.S.C. § 356(c)(1)(A)

64) FDA, "Fast Track", last modified Jan 4, 2018, <https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review/fast-track>, accessed Feb 12, 2024.

65) 21 U.S.C. § 356(d)(1)

66) FDA, 앞의 2021년, 2022년, 2023년 통계 자료

2.2.4 혁신 치료제 지정 Breakthrough Therapy Designation (BTD)

□ 제도 개요

기존 치료법 대비 치료 효과가 개선된 의약품의 개발과 심사를 가속하기 위한 FDA의 법정 프로그램이다. 조건부 허가, 우선심사, 패스트트랙과 함께 미국 FDA의 4대 신속 프로그램(Expedited Programs) 중 하나로 2012년 7월 「FDA 안전 및 혁신법」 제정을 통해 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 신설되었다.

□ 지정 기준

△단독 또는 하나 이상의 다른 의약품과 병행하여 △심각하거나 생명을 위협하는 질병의 치료 목적이 있으면서, △임상 개발 초기에 근본적인 치료 효과가 관찰되는 등 예비 임상적 증거(preliminary clinical evidence)에서 임상적으로 유의한 평가변수 1개 이상이 기존 치료법(existing therapies) 대비 상당한 개선을 보여주는 의약품이 지정될 수 있다.⁶⁷⁾

□ 지정 절차

스폰서는 FDA에 IND 신청과 동시에 또는 그 이후 지정을 요청할 수 있으나 FDA는 늦어도 2상 종료 후 미팅^{end-of-phase 2 meeting} 전 요청할 것을 권장한다.⁶⁸⁾ 지정 요청을 받은 FDA는 60일 이내에 기준 충족 여부를 결정하고 기준을 충족한다면 그 의약품을 혁신 치료제로 지정하고 의약품 개발과 허가·심사를 가속하기 위한 적절한 조치를 취해야 한다.⁶⁹⁾

□ 지정 효과

롤링리뷰를 포함하여 패스트트랙 지정과 동일한 효과가 있다.⁷⁰⁾⁷¹⁾

67) 21 U.S.C. § 356(a)(1)

68) FDA, 앞의 2014년 5월 자료 및 21 U.S.C. § 356(a)(2)

69) 21 U.S.C. § 356(a)(3)(A)

70) FDA, "Breakthrough Therapy", last modified Jan 4, 2018, <https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review/breakthrough-therapy>, accessed Feb 13, 2024.

71) FDA, 앞의 2014년 5월 자료

제품 개발과 허가·심사 가속을 위해 스폰서는 다음의 규제 지원을 받을 수 있다.⁷²⁾

- 의약품 개발 기간 중 스폰서와 FDA 심사팀 간 미팅 개최
- 스폰서에게 비임상 및 임상 데이터의 수집을 위한 개발 프로그램 관련 적시 조언 제공 및 상호 소통
- 고위급 관리자^{senior managers} 및 숙련된 심사자가 협업적^{collaborative}, 다학제적^{cross-disciplinary} 심사에 참여
- 프로젝트 리더를 심사팀에 배정하고 스폰서 간 연락책 역할 수행
- 잠재적으로 덜 효과적인 치료법에 노출되는 환자의 최소화 등 임상시험이 최대한 효율적으로 디자인되도록 조치

□ 운영 현황⁷³⁾

구분	2021년	2022년	2023년
총 허가 신약수(A)	50개	37개	55개
혁신 치료제(B)	14개	13개	9개
비율(B/A)	28%	35%	16%

□ 혁신 치료제 vs 패스트트랙

혁신 치료제와 패스트트랙 제도 모두, 심각하거나 생명을 위협하는 질병에 대응하는 의약품 개발과 심사를 가속한다는 측면에서 유사하다. 두 제도의 가장 큰 차이는 지정 기준에 있는데, 패스트트랙보다 혁신 치료제 지정 요건이 높다. 패스트트랙은 비임상 또는 임상 데이터가 미충족 의료수요를 해소할 가능성만 보여줘도 지정될 수 있지만, 혁신 치료제는 기존 치료법 대비 상당한 개선을 보여주는 임상 데이터가 있어야 지정된다.⁷⁴⁾ 또한 혁신 치료제로 지정되면 패스트트랙 지정 제품보다 개발 전반에 걸쳐 보다 지속적으로 FDA와의 초기 회의와 상호작용할 수 있는 기회를 제공받는다.⁷⁵⁾

72) 21 U.S.C. § 356(a)(3)(B)

73) FDA, 앞의 2021년, 2022년, 2023년 통계 자료

74) Iheoma Anosike, "US FDA Expedited Review Processes: Fast Track Designation and Breakthrough Therapy Designation.", <https://www.scendea.com/fast-track-designation-and-breakthrough-therapy-designation>, accessed Feb 21, 2024.

75) Ibid.

구분	혁신 치료제 지정	패스트트랙 지정
지정 기준	<ul style="list-style-type: none"> ■ A drug that is intended to treat a serious condition AND preliminary clinical evidence indicates that the drug may demonstrate substantial improvement on a clinically significant endpoint(s) over available therapies 	<ul style="list-style-type: none"> ■ A drug that is intended to treat a serious condition AND nonclinical or clinical data demonstrate the potential to address unmet medical need OR ■ A drug that has been designated as a qualified infectious disease product
지정 효과	<ul style="list-style-type: none"> ■ Intensive guidance on efficient drug development ■ Organizational commitment ■ Rolling review ■ Other actions to expedite review 	<ul style="list-style-type: none"> ■ Actions to expedite development and review ■ Rolling review
지정 신청 시기	<ul style="list-style-type: none"> ■ With IND or after ■ Ideally, no later than the end-of-phase 2 meeting 	<ul style="list-style-type: none"> ■ With IND or after ■ Ideally, no later than the pre-BLA or preNDA meeting

2.2.5 재생첨단치료제 지정 Regenerative Advanced Therapy Designation

□ 제도 개요

재생 치료제의 중요성이 점점 증가함에 따라 미국은 2016. 12월부로 「21세기 치료법」을 제정, 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 규정을 신설하였다. 우리나라의 첨단바이오헬스케어 제도와의 유사하다.

□ 지정 기준

어떤 의약품이 제품 구성, 목적 등 다음 3개의 조건을 모두 충족하는 경우 '재생첨단치료제'77)로 지정될 수 있다.78)

- 재생의료치료제(세포 치료, 치료용 조직 공학 제품, 인간 세포 및 조직 제품, 이러한 치료 또는 제품을 사용한 복합 제품)79)이면서
- 해당 의약품이 심각하거나 생명을 위협하는 질병의 치료·개선·회복·완치 목적이 있고
- 임상적 증거가 해당 질병에 관한 미충족 의료수요 충족 가능성을 보여주는 의약품

76) FDA, 앞의 2014년 5월 자료

77) FDA에서는 재생첨단치료제(Regenerative Advanced Therapy)를 재생의료첨단치료제(Regenerative Medicine Advanced Therapy, RMAT)로 바꾸어 표현하고 있다.

78) 21 U.S.C. § 356(g)(2)

79) regenerative medicine therapy, 21 U.S.C. § 356(g)(8)

□ 지정 절차

스폰서는 IND 신청과 동시에 또는 그 이후 지정을 신청할 수 있다. FDA는 신청 60일 이내에 지정 여부를 결정한다.⁸⁰⁾

□ 지정 효과

‘재생첨단치료제’로 지정되면 패스트트랙 지정 또는 혁신 치료제 지정에 따른 모든 혜택을 받을 수 있다.⁸¹⁾ 즉, 우선심사, 조건부 허가, 롤링리뷰뿐만 아니라 혁신 치료제 지정 시와 동일한 규제 지원을 받는다.

□ 운영 현황

재생첨단치료제 신청·허가가 증가 추세이다. 2023년 17개 제품이 허가받았다.⁸²⁾

구분	2021년	2022년	2023년
총 신청 건수	24개	30개	35개
재생첨단치료제 허가	9개	14개	17개

2.2.6 항균제 및 항진균제를 위한 특정 인구집단 경로 (LPAD)

Limited Population Pathway for Antibacterial and Antifungal Drugs

□ 제도 개요

미국에서 항균제 연구·개발 감소와 중증 내성 감염 증가는 큰 위협으로 인식되고 있다.⁸³⁾ CDC는 미국에서 매년 최소 280만 건의

80) 21 U.S.C. § 356(g)(3), 21 U.S.C. § 356(g)(4)

81) FDA, “Expedited Programs for Regenerative Medicine Therapies for Serious Conditions”, last modified Feb 2019, <https://www.fda.gov/media/120267/download>, accessed Feb 13, 2024.

82) FDA, “Cumulative CBER Regenerative Medicine Advanced Therapy (RMAT) Designation Requests Received by Fiscal Year”, last modified Dec 31, 2023, <https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products/cumulative-cber-regenerative-medicine-advanced-therapy-rmat-designation-requests-received-fiscal>, accessed Feb 13, 2024.

83) FDA, “Limited Population Pathway for Antibacterial and Antifungal Drugs Guidance for Industry”, last modified Aug, 2020, <https://www.fda.gov/media/113729/download>, accessed Feb 20, 2024.

항균제·항진균제 내성 감염으로 35,000명 이상 사망하는 것으로 추산한다. 그러나 의약품 개발은 임상 환자 모집과 개발 비용 환수 어려움 등으로 충분히 이뤄지지 않고 있다.⁸⁴⁾

LPAD 경로는 2016. 12월 시행된 「21세기 치료법」에 따라 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 신설된 제도이다. 심각하거나 생명을 위협하는 각종 감염증을 앓는 특정 환자 집단의 미충족 의료수요에 대응하기 위해 항균제 및 항진균제의 허가를 신속하게 하려는 것을 목적으로 한다.⁸⁵⁾

□ 지정 기준

어떤 제품이 △미충족 의료 수요가 있는 특정 환자 집단의 심각하거나 생명을 위협하는 감염을 치료할 목적의 의약품이고 △의약품의 일반적 허가 기준을 충족하면서 △스폰서가 해당 제품을 특정 환자 집단용으로 허가해달라고 서면 요청을 하는 경우 LPAD 경로가 적용될 수 있다.⁸⁶⁾(별도의 지정 절차는 없다)

LPAD 경로 자체는 허가 절차를 변경하지는 않는다. 다만, △감염의 심각성, 희귀성, 유행성과 △특정 인구 집단에서 대체 치료제의 유무, 부족을 고려하여 △광범위한 인구집단의 위험-편익 프로필을 입증하는 증거가 부족하더라도 특정 인구집단에 한정 사용을 전제로 항균제·항진균제를 허가할 수 있다. 라벨링·광고에는 “Limited Population”이라고 표시해야 한다.⁸⁷⁾

□ 운영 현황

LPAD 경로로 허가된 제품은 총 2개이다. 이 중 최초는 2018. 9. 28. 허가된 ‘아리카이스(Arikayce)’이다. Mycobacterium avium complex로 인한

84) GAO, “Pathway for Approving Antibacterial and Antifungal Drugs for Patients with Limited Treatment Options is Infrequently Used”, last modified Nov 19, 2021, <https://www.gao.gov/products/gao-22-105042>, accessed Feb 20, 2024.

85) FDA, “Limited Population Pathway for Antibacterial and Antifungal Drugs – the LPAD Pathway”, last modified Aug 5, 2020, <https://www.fda.gov/drugs/development-resources/limited-population-pathway-antibacterial-and-antifungal-drugs-lpad-pathway>, accessed Feb 20, 2024.

86) 21 U.S.C. § 356(h)(1)

87) 21 U.S.C. § 356(h)(2) 및 § 356(h)(3)

폐 질환 치료제로 기존 치료에 반응하지 않는 환자를 대상으로 한다.⁸⁸⁾ 두 번째는 2019. 8. 14. 허가된 '프레토마니드(Pretomanid)'로, 약제 내성이 높은 폐결핵 치료를 목적으로 베타칼린, 리네졸리드와 병용한다.⁸⁹⁾

2.2.7 롤링리뷰 Rolling Review

□ 제도 개요

의약품 시판 허가에 필요한 자료를 한꺼번에 제출토록 하는 것이 아니라 허가 신청 전 자료가 준비되는 대로 단계적으로 제출하여 FDA 심사를 받을 수 있는 제도를 롤링리뷰(rolling review)라 한다. 우리나라의 '수시동반심사'와 같다. 1997년 11월 시행된 「FDA 현대화법」을 통해 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 신설되었다.⁹⁰⁾⁹¹⁾ 우리나라의 수시동반심사 제도와 유사하다.

□ 대상 제품

△패스트트랙 △혁신적 치료제 또는 △재생첨단치료제 지정 제품이 롤링리뷰를 받을 수 있다. 다만, 이러한 지정 자체가 곧 롤링리뷰를 받게된다는 의미는 아니다. 롤링리뷰와 관련된 절차도 함께 이행해야 한다.

□ 리뷰 절차

△스폰서는 FDA와의 사전 NDA 회의(pre-NDA meeting) 또는 2상 종료 후 회의(end-of-phase 2 meeting)⁹²⁾ 때 FDA로부터 예비 기관 협정 (preliminary Agency agreement)을 득해야 한다. 이 회의에서 스폰서와 FDA는 △유효성 입증 데이터 △NDA 세부 자료별 제출 시기 △제출될 서류에 관해 논의한다.⁹³⁾

88) FDA, 앞의 2020년 8월 5일 자료

89) Ibid.

90) 이 법률들 어디에도 롤링리뷰라는 단어 자체는 없다. '완전하지 않은 패스트트랙 제품의 허가 신청서 심사' 이란 제목의 항에서 롤링리뷰의 개념을 설명하고 있다. 21 U.S.C. § 356(d)

91) 21 U.S.C. § 356(d) Review of incomplete applications for approval of a fast track product

92) 혁신적 치료제는 2상 종료 후 회의 시 협정을 체결한다. FDA, "Guidance for Industry Expedited Programs for Serious Conditions – Drugs and Biologics", last modified May, 2014, <https://www.fda.gov/media/86377/download>, accessed Feb 18, 2024.

93) Ibid.

롤링리뷰라고 해서 초안 수준의 자료를 제출해도 되는 것은 아니다. 정식 심사가 가능한 수준의 자료를 제출해야 한다. 만약 제출 자료를 업데이트하려면 공식적으로 수정 요청해야 한다.⁹⁴⁾

완전한 허가 신청서 제출 때와 마찬가지로 모든 수수료가 모두 납부되어야 롤링리뷰가 시작된다. 또한 FDA가 허가 신청서 일부를 접수했다고 해서 이를 반드시 롤링리뷰한다는 것을 의미하지는 않는다. 업무량, 다른 우선순위 등을 종합적으로 고려해서 롤링리뷰 시작 여부가 결정된다.⁹⁵⁾

2.2.8 동물 규칙 Animal Rule

□ 제도 개요

사람에게 치명적이거나 영구적 장애를 일으킬 수 있는 생물, 화학, 방사선 또는 핵 물질 대응 예방·치료제의 개발은 공중보건, 국가 안보 측면에서 매우 중요하다.⁹⁶⁾ 그러나 이러한 독성물질에 노출되는 경우는 우발적 사고나 예상치 못한 테러인 경우가 대부분인데 이런 상황을 예측한 임상시험 디자인 설계는 매우 어려울뿐더러⁹⁷⁾ 건강한 지원자를 위험 물질에 일부러 노출시키는 행위는 비윤리적이어서 임상시험이 불가하다.⁹⁸⁾ 꼭 필요한 의약품임에도 불구하고 개발이 어렵다는 없다는 문제가 있다.

이를 해결하기 위한 것이 2002. 5. 31. 연방규정으로 제정된 ‘동물 규칙’이다.⁹⁹⁾ 동물 실험을 통해 인간에게도 효과적이라는 충분한 근거가 확보되면 이를 근거로 의약품을 허가할 수 있다는 내용이다. 이후 2013. 3월부터 시행된 「팬데믹 및 모든 위험 대비 재권한법」에 따라 「연방

94) Ibid.

95) Ibid.

96) FDA, "Animal Rule Approvals", last modified Aug 2, 2023, <https://www.fda.gov/drugs/nda-and-bla-approvals/animal-rule-approvals>, accessed Feb 20, 2024.

97) 21 CFR § 314.600

98) FDA, "Animal Rule Information", last modified Apr 20, 2023, <https://www.fda.gov/emergency-preparedness-and-response/mcm-regulatory-science/animal-rule-information>, accessed Feb 21, 2024.

99) 21 CFR § 314 Subpart I Approval of New Drugs When Human Efficacy Studies Are Not Ethical or Feasible 이 규정은 제품의 유효성에 대한 내용을 다루고 있다. 안전성은 다른 의약품에 적용되는 통상의 규정을 따른다.

식품, 의약품 및 화장품법」에 동물 규칙의 상위 법적 근거가 마련되었다.¹⁰⁰⁾

□ 심사 기준

FDA는 허가 신청자가 동물 시험 데이터를 제출하면 독성의 병태생리학적 기전이 충분히 밝혀졌는지, 동물 연구의 평가변수가 실제 유익성과 직결되는지 등 다음의 기준을 고려하여 시판 허가 여부를 결정한다.¹⁰¹⁾

- 물질의 독성에 대한 병태생리학적 기전과 제품의 예방 및 실질적 감소 효과가 합리적으로 이해될 수 있어야 함
- 사람에게서 예측되는 반응을 나타낼 둘 이상의 동물 종(種)을 통해 효과를 입증해야 함(사람의 반응을 예측할 수 있게 충분히 잘 특성화된 동물 모델을 대표하는 단일 동물 종에서 효과를 입증하는 경우는 제외)
- 동물 연구 평가변수가 생존율 향상, 주요 이환율 예방과 같은 유익성과 명확하게 연관되어야 함
- 동물과 사람에서의 제품 약동학적 및 약력학적 데이터·정보 등을 통해 사람에게 적용할 수 있는 효과적인 투여 용량을 선택할 수 있어야 함

□ 허가 조건

동물 규칙에 따른 의약품 허가 시에는 시판 후 연구, 안전 사용을 위한 제한 등 다음과 같은 일정한 조건이 붙는다.¹⁰²⁾

100) Pandemic and All-Hazards Preparedness Reauthorization Act (PAHPRA) (P.L. 113-5)에 따라 FDA는 법률 시행일(2013. 3. 13.) 이후 1년 이내에 동물 모델 개발 관련 최종 지침을 업계에 배포해야 하며, 시행일 이후 180일 이내 사람 대상 효과성 연구가 비윤리적이거나 실현 불가능한 제품을 개발하는 사람과의 동물 모델 개발 활동 논의를 위한 회의 및 중요한 동물 연구 시작 전 회의와 관련한 절차를 수립해야 한다. (21 U.S.C. 360bbb-4(c) 및 (d))

101) 21 CFR § 314.610(a)

102) 21 CFR § 314.610(a)

◇ 시판 후 연구^{postmarketing studies}

- 연구가 가능하고 윤리적일 때라면, 제품에 표시된 대로 사용했을 때의 임상적 편익을 검증·설명하고 안전성을 평가하기 위한 현장 연구^{field studies}와 같은 시판 후 연구를 수행해야 함
- 이러한 시판 후 연구는 긴급한 상황이 발생하기 전에는 실시할 수 없음. 연구가 가능한 경우, 신청자는 적절한 주의를 기울여 해당 연구를 수행해야 함. 신청자는 시판 후 연구가 윤리적이고 가능한 경우 시판 후 연구 약속에 대한 계획 또는 접근 방식을 신청서에 포함해야 함

◇ 안전사용을 위한 유통, 사용 제한

- FDA는 조건부 허가 예에서 보듯이 의약품 유통 또는 사용의 제한을 통해서만 안전 사용이 가능하다는 판단을 한 경우 (i) 특정 시설 또는 특정 교육이나 경험을 가진 의료 종사자에게만 배포 (ii) 특정 의료적 절차 실시를 전제로 유통 (iii) 특정 기록의 보관 조건으로 공급 등과 같은 제한을 둔다.

◇ 환자 제공 정보

- 라벨링을 통해 이 제품은 윤리적 또는 실현 가능성의 이유로 동물만을 대상으로 한 효능 연구에 근거해 허가받았다는 내용을 환자에게 설명해야 함
- 또한 적응증, 용량 및 투여량, 금기사항, 부작용, 유익성, 약물 상호작용 및 허가 시 FDA가 요구하는 그 외 관련 정보를 제공해야 함. 가능한 경우 이러한 정보는 환자에게 투여 또는 조제 전 제공되어야 함

□ 운영 현황

2023년 8월까지 동물 규칙에 따라 총 17개(CDER 13개, CBER 4개)가 허가되었다. 최초 제품은 2003. 2. 5. 허가된 피리도스티그민 브로마이드(pyridostigmine bromide)로, 소만 신경독 가스 중독 예방제이다. 가장 최근 제품은 2023. 7. 20. 허가된 사이펜더스(Cyfundus)로, 탄저균 노출이 의심되거나 확인된 경우 사용하는 예방 백신이다.¹⁰³⁾

103) FDA, "CDER drug and biologic animal rule approvals", last modified Aug 2, 2023, <https://www.fda.gov/media/150191/download?attachment>, accessed Feb 21, 2024.

2.2.9 우선심사 바우처 프로그램 Priority Review Voucher Program

□ 제도 개요

신약 개발에는 수천만 달러에서 수십억 달러까지의 큰 비용과 10년 이상의 오랜 시간이 소요된다. 개발하는 의약품이 모두 시판되는 것도 아니다. 만 개의 신약 후보물질 중 한 개 정도만이 미국에서 승인된다.¹⁰⁴⁾ 이러한 이유로 제약사는 수요가 많거나 높은 가격을 유지하기 쉬운 의약품 개발에 관심을 두기 쉽다. 별도의 인센티브를 부여하지 않으면 △열대성 질병 △소아 희귀질환이나 △화학적·생물학적·방사능·핵(CBRN) 물질 대응 의약품 개발에 적극 나설 가능성이 크지 않다. 환자 수가 적거나 사용 빈도가 낮아 연구 비용 환수가 쉽지 않기 때문이다.

한편, 의약품 개발 과정에서 중요한 요소 중 하나는 FDA의 심사 기간이다. 하루라도 기간을 단축할수록 조기 시장 진출이 가능해진다. 시장을 선점하여 경쟁자 대비 장기적으로 더 많은 수익 창출이 가능하다.

FDA는 통상 10개월 이상 소요되는 심사 기간을 6개월로 단축하여 허가 여부를 신속하게 결정하는 우선심사 제도를 운영하고 있다. 그런데 앞서 살펴본 것처럼 패스트트랙, 혁신 치료제 등 일부 제품만 이 제도의 적용 대상이다. 따라서 이러한 의약품이 아니어도 우선심사 제도의 혜택을 볼 수 있는 트랙이 있다면 제약사는 이를 적극 활용할 가능성이 크다.

‘우선심사 바우처’는 이러한 유인을 활용, 제약사가 투자를 기피 하는 의약품의 개발을 촉진하려는 FDA의 프로그램으로, 제약사가 ■ 열대성 질병 ■ 희귀 소아질환 의약품 또는 ■ CBRN 의료대응제품을 개발하여 허가받으면 그 보상으로 한 개의 ‘우선심사 바우처’를 발급받는다. 바우처 소지 기업은 향후 우선심사 대상이 아닌 의약품이더라도 FDA 우선심사를 보장받는다. 일종의 1회용 우선심사 권리증이다.

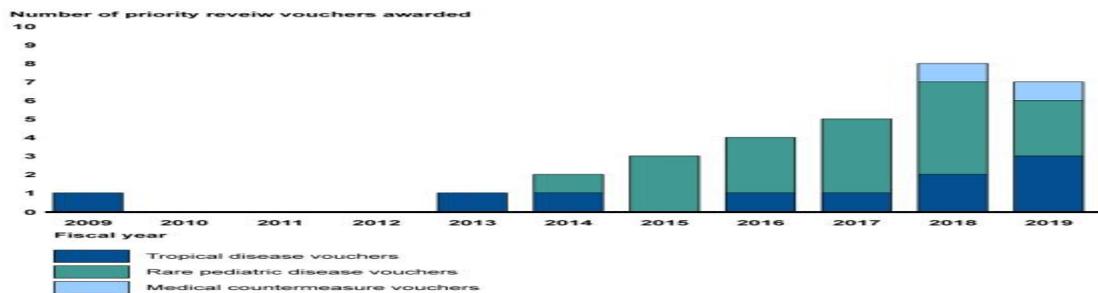
104) Michael Mezher, Zachary Brennan, Alexander Gaffney, “Regulatory Explainer: Everything You Need to Know About FDA’s Priority Review Vouchers”, last modified Feb 24, 2020, <https://www.raps.org/news-and-articles/news-articles/2017/12/regulatory-explainer-everything-you-need-to-know>, accessed Jan 16, 2024.

□ 제도 연혁

‘우선심사 바우처’ 개념은 미 듀크대의 David Ridley, Henry Grabowski 등 세 명의 교수가 2006년 발표한 논문 「개발 도상국을 위한 의약품 개발」에서 처음 제안되었다.¹⁰⁵⁾¹⁰⁶⁾ 저자들은 “감염병과 기생충 질환은 건강에 막대한 부담을 주지만, 이러한 질병을 앓고 있는 대부분의 환자가 가난해 치료법 개발에 대한 투자가 거의 이루어지지 않고 있다”면서 “바우처를 통해 치료제에 대한 접근성을 높일 수 있으며 개발도상국과 선진국 모두에게 혜택을 줄 수 있다”고 주장했다.¹⁰⁷⁾

이 주장은 미 의회의 공감을 얻게 되고 이후 2007. 9월 「FDA 개정법」에 처음 열대성 질병을 대상으로 ‘우선심사 바우처’ 제도가 신설되었다.¹⁰⁸⁾ 이후 2012. 7월 「FDA 안전 및 혁신법」에 따라 소아 희귀질환이¹⁰⁹⁾, 2016. 12월 「21세기 치료법」에 의해 CBRN¹¹⁰⁾이 추가되었다. 2009년 처음 바우처가 발급된 이래 2019. 3월 기준 총 31개가 발급되었다. 이 중 △열대성 질병 관련이 10개(32.3%), △희귀 소아질환 관련이 19개(61.3%), △CBRN 대응 관련이 2개(6.5%)로 조사되었다.¹¹¹⁾

- 연도별 바우처 발급 현황¹¹²⁾ -



105) Duke University, "Priority Review Vouchers", accessed Jan 26, 2024, <https://sites.fuqua.duke.edu/priorityreviewvoucher/>.

106) David B Ridley 1, Henry G Grabowski, Jeffrey L Moe, "Developing drugs for developing countries", *Health Affairs*, Vol. 25(2) (2006): 313-24. doi: 10.1377/hlthaff.25.2.313. PMID: 16522573.

107) Ibid.

108) Michael Mezher, Zachary Brennan, Alexander Gaffney, 앞의 자료

109) FDA, "Rare Pediatric Disease Priority Review Vouchers Guidance for Industry", last modified Jul, 2019,, <https://www.fda.gov/media/90014/download>, accessed Jan 26, 2024.

110) FDA, "21st Century Cures Act: MCM-Related Cures Provisions", last modified Jan 25, 2024, <https://www.fda.gov/emergency-preparedness-and-response/mcm-legal-regulatory-and-policy-framework/21st-century-cures-act-mcm-related-cures-provisions>, accessed Jan 26, 2024.

111) GAO, "DRUG DEVELOPMENT FDA's Priority Review Voucher Programs", last modified Jan, 2020, <https://www.gao.gov/assets/gao-20-251.pdf>, accessed Jan 26, 2024.

112) Ibid.

□ 바우처 발급 조건

바우처 지급 대상은 △열대성 질병(말라리아, 콜레라, 뎅기열 등 27종)¹¹³⁾ △희귀 소아질환(유병인구가 20만명 이하이고 사용 대상이 18세 이하) 및 △CBRN 등 세 종류이다. 특히, CBRN의 경우에는 △국토안보부가 중대한 위협으로 판단하는 CBRN 물질로 인한 피해(또는 그러한 물질에 사용된 의료대응제품으로 인한 피해)를 예방·치료하기 위한 용도 △우선심사 대상인 의약품 △2016. 12. 13. 이후에 허가하는 경우 △허가된 적이 없는 활성 모핵, 활성성분을 갖는 의약품¹¹⁴⁾이라는 조건을 모두 만족하는 경우 바우처가 발급되었다.¹¹⁵⁾

바우처를 발급받은 제약사는 이를 다른 제약사에 양도할 수 있다. 또한 바우처를 구매한 제약사는 이를 다시 판매할 수 있다.¹¹⁶⁾ 바우처는 상당히 고가에 거래된다. GAO 조사에 따르면 31개 바우처 중 17개가 다른 제약사에 판매되었는데 판매가는 6천7백5십만 달러에서 3억5천만 달러까지였다.¹¹⁷⁾

□ 논의 동향

2020년 미회계감사원 GAO가 3개의 관련 논문의 분석 결과를 발간했는데 이를 정리해 보면, 바우처 제도가 열대성 질병, 희귀 소아질환, CBRN용 의약품 개발 촉진에 유의미한 큰 영향을 주지 못한 것으로 분석되었다.¹¹⁸⁾

반면 연구자들과 달리 제약사 의견은 조금 다르다. GAO가 직접 인터뷰한 7개 제약사 모두 ‘우선심사 바우처’ 제도가 의약품 개발 결정에 영향을 미쳤다고 밝혔다. 이 중 6개 제약사에게는 바우처가 의약품 개발에 영향을 미친 여러 요인 중 하나였고, 1개 제약사에게는 중요한 요인이었다.¹¹⁹⁾

113) FDA, "Tropical Disease Priority Review Voucher Program", last modified Jul 15, 2020, <https://www.fda.gov/about-fda/center-drug-evaluation-and-research-cder/tropical-disease-priority-review-voucher-program>, accessed Jan 26, 2024.

114) FDA, 앞의 2024년 1월 25일 자료

115) 다만, CBRN 대상 바우처 발급은 2023. 9. 30.부로 종료된 상태이다. U.S.C. 360bbb-4a(g) 일몰 조항이 미 의회에 의해 연장되지 않았기 때문이다.

116) 21 U.S. Code 제360bbb-4a(b)

117) GAO, 앞의 2020년 1월 자료

118) Ibid.

이 보고서에는 제도 문제점 관련 업계의 의견도 함께 제시되었다. 외국에서 이미 개발·출시되고 있는 의약품을 미국으로 도입할 때도 바우처가 발급될 수 있다든지 의약품을 허가받고 바우처도 받았지만 정작 시장에는 공급받지 않을 때 제재 수단이 없다든지 등이다. 바우처 대안 프로그램으로 연구개발 비용 절감, 시장에서의 보상 증진 등 아래와 같은 정책이 제시되었다.¹²⁰⁾

- 의약품 개발을 위한 대안 인센티브¹²¹⁾ -

구분	인센티브	세부
Push incentives (연구개발 비용 절감)	연구개발 세금 공제	제약사가 의약품 연구 개발에 투자한 비용 일부를 과세 대상에서 공제
	직접적 연방 자금, 보조금	신약 연구개발 기업에 보조금 지급
	제품 개발 파트너십 또는 공공-민간 파트너십	공공기관과 민간 개발업자가 함께 개발의 위험과 이익을 나누는 협력 약정
Pull incentives (시장에서 보상 증진)	시장 독점	경쟁 의약품의 시장 출시 지연
	선구매	개발 완료 전 일정량을 미리 합의된 가격으로 구매 계약
	성공적 연구 대상 시상	특정 분야 의약품 개발을 장려하는 금전적 보상
	특허 연장	의약품 개발 기간만큼 특허 기간 연장

119) Ibid.

120) Ibid.

121) Ibid.

2.3 허가제도 외의 공급 프로그램

2.3.1 Emergency Use Authorization (EUA)

□ 제도 개요

공중보건 비상사태 시에 FDA의 허가를 받지 않고 예외적으로 의료제품을 공급할 수 있는 절차를 Emergency Use Authoirization (EUA)라 한다. 2004. 7월 제정된 「프로젝트 바이오셀드법」을 통해 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 신설되었다.

□ EUA 결정 및 선언

FDA가 어떤 의료제품에 EUA를 승인¹²²⁾하기 위해서는 두 개의 절차가 선행되어야 한다. 첫 번째는 국방부, 국토안보부 또는 보건부 장관의 다음과 같은 ‘결정’ 중 어느 하나가 있어야 한다.¹²³⁾

- ① CBRN 등으로 인해 미군에 군사적 비상사태가 존재하거나 발생 가능성이 높다는 국방부 장관의 결정¹²⁴⁾ 또는
- ② CBRN 공격으로 인해 국내에 비상사태가 있거나 발생 가능성이 높다는 국토안보부 장관의 결정¹²⁵⁾ 또는
- ③ 국가 안보 또는 해외 거주 미국 시민의 건강, 안전에 영향을 미칠 수 있는 중대한 위협이 존재한다는 국토안보부 장관의 결정¹²⁶⁾ 또는
- ④ CBRN 또는 이로 인한 질병 또는 상태와 관련되면서 국가 안보 또는 해외 거주 미국 시민의 건강, 안전에 영향을 미치거나 상당한 영향을 미칠 가능성이 있는 공중보건 비상사태에 존재하거나 발생 가능성이 높다는 보건부 장관의 결정¹²⁷⁾

두 번째 절차는 보건부 장관의 ‘선언’이다. 위의 결정 중 어느 하나가 있으면 이를 근거로 보건부 장관은 EUA 발급을 정당화하는 상황이

122) EUA 용어 자체에 승인이라는 내용이 이미 포함되어 있어 'EUA 승인'이라는 말은 중복적 표현이지만 긴급 사용이 승인되었다는 뜻을 명확히 나타내기 위해 'EUA 승인'이라고 기술하였다.

123) 21 U.S.C. § 360bbb-3(b)

124) 21 U.S.C. § 360bbb-3(b)(1)(B)

125) 21 U.S.C. § 360bbb-3(b)(1)(A)

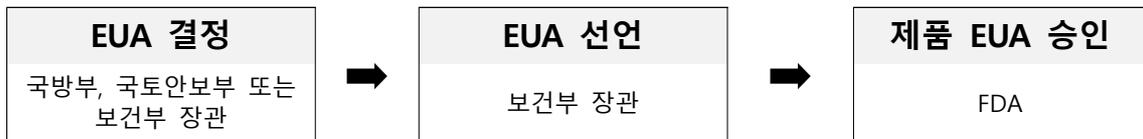
126) 21 U.S.C. § 360bbb-3(b)(1)(D)

127) 21 U.S.C. § 360bbb-3(b)(1)(C)

존재한다는 ‘EUA 선언’을 할 수 있다.¹²⁸⁾

참고로 ‘EUA 선언’은 「공중보건서비스법」 제319조에 따라 행하는 ‘공중보건 비상사태 선언’¹²⁹⁾과는 다른 독립적 선언이다. 따라서 2023. 5. 11.부로 미국의 코로나19 ‘공중보건 비상사태’ 선언은 종료되었으나 이는 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 따른 EUA 선언에는 영향을 주지 못한다. 2024. 3월 현재 보건부 장관의 EUA 선언은 여전히 유효하다.¹³⁰⁾

- EUA 결정, 선언 절차 모식도 -



□ EUA 선언 종료

EUA ‘선언’이 종료되는 경우는 △국토안보부 또는 국방부 장관과 협의하여 당초 선언의 근거가 되는 비상사태가 더 이상 존재하지 않는다고 보건부 장관이 결정하는 경우 또는 △제품의 허가 사항이 변경되어 허가되지 않은 사용이 더 이상 허가되지 않는 경우이다.¹³¹⁾ 둘 중 어느 하나가 먼저 해당하는 날을 기준으로 선언은 종료된다.

보건부 장관은 EUA 선언을 종료하려면 이를 사전 통지해야 하는데, △미허가 제품의 경우에는 제조업자가 반품 등 그 제품을 처리하는데 충분한 기간을, △허가된 제품의 미허가 용도로의 사용의 경우에는 라벨링, 기타 정보의 처리에 필요한 충분한 기간을 두고 통지해야 한다.¹³²⁾ 또한 연방관보에 EUA와 관련된 결정, 선언, 사전 통지를 신속히 공고해야 한다.¹³³⁾

128) 21 U.S.C. § 360bbb-3(b)(1)

129) <https://aspr.hhs.gov/legal/PHE/Pages/default.aspx>

130) FDA, “FAQs: What happens to EUAs when a public health emergency ends?”, last modified Nov 16, 2023, <https://www.fda.gov/emergency-preparedness-and-response/mcm-legal-regulatory-and-policy-framework/faqs-what-happens-euas-when-public-health-emergency-ends>, accessed Jan 28, 2024.

131) 21 U.S.C. § 360bbb-3(b)(2)

132) 21 U.S.C. § 360bbb-3(b)(3)

133) 21 U.S.C. § 360bbb-3(b)(4)

선언일	보건부 장관의 EUA 선언 목록	관보 게시일
2020. 2. 4.	신종 코로나바이러스(2019-nCoV) 검출 또는 진단을 위한 체외 진단기기 (in vitro diagnostics)의 EUA를 정당화하는 상황 존재	2020. 2. 7.
2020. 3. 2.	코로나19 발생 기간 개인 호흡기 보호장비 (personal respiratory protective)의 EUA를 정당화하는 상황 존재	2020. 3. 10.
2020. 3. 24.	의료기기처럼 사용되는 대체품을 포함하여 의료기기 (medical devices, including alternative products used as medical devices)의 EUA를 정당화하는 상황 존재	2020. 3. 27.
2020. 3. 27.	코로나19 대유행 기간 의약품 및 생물약품 (Drugs and Biological Products)의 EUA를 정당화하는 상황 존재	2020. 4. 1.

□ EUA 승인 대상

보건부 장관의 EUA ‘선언’이 있으면 이를 근거로 FDA는 보건부의 대비 및 대응 담당 차관보, 국립보건원장, 질병통제예방센터장¹³⁴⁾과 협의한 후 의료제품의 EUA를 승인할 수 있다.¹³⁵⁾ 제품 EUA 승인 신청은 스폰서뿐만 아니라 국방부와 같은 정부 기관도 할 수 있다.

EUA는 의약품, 생물약품 또는 의료기기를 대상으로 발급될 수 있다. EUA 승인은 두 부류로 나눌 수 있는데 △첫 번째는 FDA의 미허가 제품(unapproved medical products)이지만 사용할 수 있게 하는 것이고 △두 번째는 제품 자체는 허가를 받았으나 그 허가 범위에는 포함되지 않은 용도(unapproved uses of approved medical products)로 사용할 수 있게 하는 것이다.¹³⁶⁾

□ EUA 승인 신청

FDA는 제품 EUA 승인 신청을 고려하는 스폰서가 제품 개발 초기 단계부터 사전 협의(pre-EUA activities)할 것을 권고하고 있다.¹³⁷⁾ 또한 FDA는 제품 EUA 승인 신청 시 제품의 안전성·효과성에 관한 이용 가능한 과학적 증거를 잘 정리하여 제출할 것을 권장하고 있으며, 자료의 구체적 형태와 양은 비상사태의 종류, 위협 정도, EUA 신청

134) 각각 Assistant Secretary for Preparedness and Response, Director of the National Institutes of Health, Director of the Centers for Disease Control and Prevention

135) 21 U.S.C. § 360bbb-3(c)

136) 두 번째에 해당하는 예로는 △기 허가된 항생제의 적응증이나 사용법에 포함되지 않은 박테리아에 노출되었을 때 그 항생제를 예방용으로 사용하거나 치료용으로 사용하는 경우, △승인받은 체외진단기기의 중요 시약을 그 기기용으로 승인받지 않은 다른 시약으로 대체하는 경우가 포함될 수 있다.

137) FDA, 앞의 2023년 11월 16일 자료

제품별로 달라질 수 있다고 밝히고 있다.¹³⁸⁾ 참고 3은 FDA의 제출 권고 정보이다.¹³⁹⁾

□ EUA 승인

제품 EUA 승인을 위해서는 중대성, 효과성 등 조건이 모두 충족되어야 한다.

- **중대성** EUA 선언에 명시된 CBRN이 심각하거나 생명을 위협하는 질병 또는 상태를 유발하는 것이어야 한다.¹⁴⁰⁾
- **효과성** 위의 CBRN 또는 FDA 허가를 받은 제품으로 인해 발생한, 심각하거나 생명을 위협하는 질병.상태의 예방.진단.치료에 제품이 효과적일 수 있어야 한다(may be effective).¹⁴¹⁾ 여기서 '효과적일 수 있다'는 FDA가 제품 심사 시에 일반적으로 적용하는 것보다는 낮은 수준의 증거를 요구한다는 의미이다.¹⁴²⁾
- **위험편익** 제품의 실제적known, 잠재적potential 유익성이 실제적.잠재적 위험성을 상회하여야 한다.¹⁴³⁾ FDA는 위험편익을 분석할 때 현재의 과학 수준을 고려하여 사용할 수 있는 과학적 증거의 질과 양을 종합적으로 평가한다. 이 증거에는 국내·외 임상시험 결과, 동물 모델의 체내 효능 데이터 등이 포함될 수 있다.¹⁴⁴⁾
- **대안유무** 위의 질병.상태를 치료.예방.진단하기 위한 제품으로 이를 대체할 수 있는 적절하고 허가된 다른 제품이 없어야 한다.¹⁴⁵⁾
- **기타** 미군에 위협을 미치는 물질 등으로 인해 EUA 선언이 이루어진 경우 국방부 장관의 EUA 발급 요청이 사전에 있어야 한다.¹⁴⁶⁾ 마지막으로, 보건부 장관(FDA)이 별도로 정하는 기준을 모두 충족해야 한다.¹⁴⁷⁾

138) Ibid.

139) Ibid.

140) 21 U.S.C. § 360bbb-3(c)(1)

141) 21 U.S.C. § 360bbb-3(c)(2)(A)

142) FDA, "Emergency Use Authorization of Medical Products and Related Authorities Guidance for Industry and Other Stakeholders", last modified Jan, 2017, <https://www.fda.gov/media/97321/download>, accessed Jan 28, 2024.

143) 21 U.S.C. § 360bbb-3(c)(2)(B)

144) FDA, 앞의 2017년 1월 자료

145) 21 U.S.C. § 360bbb-3(c)(3)

146) 21 U.S.C. § 360bbb-3(c)(4)

147) 21 U.S.C. § 360bbb-3(c)(5)

제품 EUA의 유효기간은 각 EUA 승인 레터에 기술되는 데 EUA 승인이 취소되지 않는다면 일반적으로 해당 보건부 장관의 EUA 선언이 유효한 기간 유효하다.¹⁴⁸⁾

참고로, 최초의 EUA 승인 제품은 2005. 1. 27.부로 FDA의 승인을 받은 탄저병 예방 백신(AVA, Anthrax Vaccine Adsorbed)이다.¹⁴⁹⁾ 그리고 백신 중 두 번째 EUA 승인 제품은 화이자-바이오엔텍의 코로나19 백신이다.

- EUA 승인 코로나19 백신 목록¹⁵⁰⁾ -

연번	EUA 승인일	제품명	비고
1	2020. 12. 11.	Pfizer-BioNTech COVID-19 Vaccine	
2	2020. 12. 18.	Moderna COVID-19 Vaccine	
3	2021. 2. 27.	Janssen COVID-19 Vaccine	2023. 6. 1. 취소
4	2022. 7. 13.	Novavax COVID-19 Vaccine, Adjuvanted	

□ EUA 승인 시 조건

EUA 승인 시 FDA 기관장이 서명한 레터가 발급된다. 여기에는 승인된 의료 제품명 및 적응증, 금기, 승인 기준, 승인 범위, 특정 요건 면제(해당하는 경우) 및 승인된 사용 조건 등이 명시된다(참고 4). 승인 문서는 레터 외에도 보건의료 전문가용 설명서, 환자용 설명서, 사용법 등의 첨부 자료로 구성된다.¹⁵¹⁾

참고로, ‘미허가 제품’의 EUA 승인을 받은 제조업자가 유일한 제품 공급자 임에도 불구하고 제품을 공급할 의사가 없다면 합리적인 시간 내에 FDA에 미공급 의사를 알려야 한다. FDA는 EUA를 받은 제조업자가 제품을 공급토록 강제할 권한은 없지만 EUA 발급 시에 관련 조건을 붙일 수는 있다.¹⁵²⁾

148) FDA, 앞의 2017년 1월 자료

149) Federal Register, "Authorization of Emergency Use of Anthrax Vaccine Adsorbed for Prevention of Inhalation Anthrax by Individuals at Heightened Risk of Exposure Due to Attack With Anthrax; Availability", last modified Feb 2, 2005, <https://www.federalregister.gov/documents/2005/02/02/05-2028/authorization-of-emergency-use-of-anthrax-vaccine-adsorbed-for-prevention-of-inhalation-anthrax-by>, accessed Feb 3, 2024.

150) FDA, "Emergency Use Authorization" last modified Mar 4, 2024,, <https://www.fda.gov/emergency-preparedness-and-response/mcm-legal-regulatory-and-policy-framework/emergency-use-authorization#vaccines>, accessed Mar 19, 2024.

151) FDA, 앞의 2017년 1월 자료

□ EUA 승인 수정 및 취소

FDA는 승인한 EUA 현황과 적절성을 주기적으로 검토한다.¹⁵²⁾ 발급된 EUA가 다음에 해당되면 수정·취소될 수 있다.

- 국방부 장관, 국토안보부 장관, 보건부 장관이 당초 EUA '결정'을 할 때의 상황이 더 이상 존재하지 않는 경우 또는
- 해당 제품이 EUA 승인 기준을 더 이상 충족하지 않는 경우 또는
- 기타 상황으로 인해 공중보건 또는 안전보호를 위해 EUA 수정 또는 취소가 적절한 경우

FDA는 조치 사유, 사용 목적, 금기사항 등이 포함된 EUA 승인, 종료, 취소를 연방관보에 신속하게 공고해야 한다. EUA 변경 시에는 FDA 웹사이트¹⁵⁴⁾에 게시된다.¹⁵⁵⁾ 이때 기업 정보 공개로 인한 법적 논란을 없애기 위해 FDA의 정보 공개는 합법이라고 법률로 명시하고 있다.¹⁵⁶⁾

□ EUA 승인 취소·종료 시 제품 처리방법

제품 EUA 승인이 취소되거나 EUA의 근거가 되는 보건부 장관의 EUA 선언이 종료되면 '미허가 제품' 또는 '허가된 제품의 미허가 용도'의 라벨링, 제품 정보들은 적절하게 파기되어야 한다.¹⁵⁷⁾ 다만, EUA 취소 또는 선언 종료에도 불구하고 그 이전부터 치료를 시작한 환자는 주치의가 필요하다고 판단하는 경우 계속 사용할 수 있다.¹⁵⁸⁾

□ 논의 동향

EUA는 통상의 허가보다는 상대적으로 낮은 수준의 증거를 통해 제품 사용을 승인하므로 안전성과 효과성에 대한 대중의 신뢰 확보가 중요하다. 코로나19 초기 미국의 클로로퀸 논쟁을 보면 EUA에서 과학에 기반한 객관적이고 투명한 의사결정의 중요성을 알 수 있다.

152) 21 U.S.C. § 360bbb-3(l)

153) 21 U.S.C. § 360bbb-3(g)(1), 21 U.S.C. § 360bbb-3(g)(2)

154) FDA, 앞의 2017년 1월 자료

155) 21 U.S.C. § 360bbb-3(h)(1)

156) 21 U.S.C. § 360bbb-3(h)(2)

157) 21 U.S.C. § 360bbb-3(b)(2)(B), 21 U.S.C. § 360bbb-3(b)(3)

158) 21 U.S.C. § 360bbb-3(f)(2)

2020. 3. 21. 대통령 트럼프는 말라리아 치료제인 클로로퀸을 코로나19 ‘게임 체인저’라고 부르면서 이를 즉시 사용해야 한다고 주장했다. 프랑스에서 수행된 한 편의 연구가 근거였다. 시장에서는 사재기가 시작되었다. 일주일 후인 3. 28. FDA는 클로로퀸을 EUA 승인하였다.¹⁵⁹⁾ 그런데 당시 FDA는 승인의 과학적 이유를 밝히지 않았다. 단지 다른 나라의 치료 권고와 지침이 있다고만 밝혔을 뿐이다.¹⁶⁰⁾¹⁶¹⁾

의원들과 공중보건 전문가들은 트럼프 행정부가 팬데믹 기간 정부의 의료 및 과학 부문을 정치화하고, 의약품·의료기기 기준을 완화하여 시장에 더 빨리 출시하도록 FDA 등에 압력을 가한다고 비판했다.¹⁶²⁾ 보건부의 BARDA 국장은 클로로퀸에 대해 정치적 압력이 실재했다고 주장했다.¹⁶³⁾ EUA 후 클로로퀸 사용량이 급증하였다. 그러나 후속 연구에서 코로나19에 효과가 없을 뿐만 아니라 오히려 혈액 및 림프계 장애, 신장, 심장 문제가 있다는 보고가 계속되자 FDA는 2020. 6. 15.부로 해당 EUA 승인을 철회하였다. 대중의 혼란은 가중되었고 FDA에 대한 신뢰는 크게 훼손되었다.

미 회계감사원(GAO)는 2022. 4월, 보건부 산하의 FDA, CDC 등 코로나19 대응 기관을 대상으로 정치적 간섭이 있었는지 등을 조사하고 7개의 권고사항을 제시하였다. 이 중 FDA에 대해서는 △정치적 간섭을 정의하고 △정치적 간섭이 있을 때의 보고·대응 절차를 문서화하는 한편 △FDA가 직원을 대상으로 이러한 간섭을 보고하는 방법에 관한 교육을 시행토록 하였다.¹⁶⁴⁾

159) Libby Cathey, "Timeline: Tracking Trump alongside scientific developments on hydroxychloroquine", *ABC news*, last modified Aug 8, 2020, <https://abcnews.go.com/Health/timeline-tracking-trump-alongside-scientific-developments-hydroxychloroquine/story?id=72170553>, accessed Feb 26, 2024.

160) FDA, "Chloroquine phosphate and hydroxychloroquine sulfate for treatment of COVID-19 Authorization Letter", last modified Mar 28, 2020, <https://www.fda.gov/media/136534/download?attachment>, accessed Feb 26, 2024.

161) Kyle Thomson, Herschel Nachlis "Emergency Use Authorizations During the COVID-19 Pandemic: Lessons From Hydroxychloroquine for Vaccine Authorization and Approval", *JAMA*. Vol. 324(13) (2020):1282-1283. doi:10.1001/jama.2020.16253.

162) Katie Thomas, "F.D.A. Revokes Emergency Approval of Malaria Drugs Promoted by Trump", *The New York Times*, last modified June 15, 2020, <https://www.nytimes.com/2020/06/15/health/fda-hydroxychloroquine-malaria.html>, accessed Feb 26, 2024.

163) David Jackson, John Fritze, "HHS official Rick Bright says he was ousted after raising concern about coronavirus drug Trump had touted", *USA Today*, last modified May 5, 2020, <https://www.usatoday.com/story/news/politics/2020/05/05/rick-bright-files-whistleblower-complaint-against-trump-administration/3023905001/>, accessed Feb 26, 2024.

164) GAO, "Scientific Integrity HHS Agencies Need to Develop Procedures and Train Staff on Reporting and Addressing Political Interference", last modified Apr 2022, <https://www.gao.gov/assets/gao-22-104613.pdf>, accessed Feb 26, 2024.

【참고】 EUA 신청 시 제출 권고 자료

① 정보 및 데이터 요약본 Summary of Recommended Information and/or Data

- 제품 설명 및 사용 목적** ■ 제품이 효과를 발휘할 수 있는, 심각하거나 생명을 위협하는 질병 또는 상태 ■ 제품이 언제 어디에서 어떻게 사용되는지 ■ 제품 사용 인구 집단
- 제품 FDA 허가 현황** ■ 제품의 허가 여부 ■ EUA 신청 건이 기허가된 제품의 미허가 용도 사용을 위한 것인지 ■ 제품 또는 용도가 임상시험 신청 중에 있는지 (예를 들면, IND/IDE¹⁶⁵)를 받았는지 또는 제출되었는지 요청 용도가 외국에서 허가 받았는지 및 외국 정부나 WHO와 같은 국제기구의 제품 사용 관련 정보)
- 제품 필요성** ■ 허가된 대체품이 있는지 ■ 이용가능성 ■ EUA로 해결하고자 하는 미충족 수요
- 안전성, 효과성 정보**
- 위험 편익 고찰**
- CMC 정보** ■ 화학, 제조, 품질 정보 ■ EUA 제품 제조소 리스트 ■ 제조소 GMP 현황
- 제조 역량** ■ 완제품 재고량 ■ 증산 역량
- 정보 전달** ■ FDA 허가 제품의 포장, 인서트에 포함되는 정보와 유사한 수준의 정보 ■ 의료전문가, 조제자, 환자에게 제공될 Fact Sheets 초안 ■ 비상 시 정보 제공 가능성
- 제품에 표시된 유효기한을 연장하려는 경우** ■ 안정성 시험 결과 ■ 보관 및 처리 조건 ■ 영향을 받는 로트, 배치 또는 단위 ■ 이전에 연장된 유효기한 등
- 참조 권리**(해당되는 경우) ■ FDA에 제출된 데이터의 원용 권리(데이터 소유자가 아닌 경우 서면 허여서 필요)

② 안전성 정보 자료 Recommended Safety Information

- 일반** ■ EUA 승인 신청 시 FDA의 제출 권장 자료는 여러 요인(예: 그 제품이 다른 용도로써 이미 시판 허가를 받았는지, 미허가 의약품인 경우 개발 진행 단계)에 따라 다름 ■ 대조군 임상시험 데이터 ■ 상황이 허용한다면 대조군 임상시험 대신 임상적 경험 검토 고려 ■ 일부 의료기기(예: 체외진단기기)에 대해서는 임상 데이터 부재 시 벤치 테스트 결과 ■ FDA는 임상적 조건의 심각성, 대체 진단기기, 예방 또는 대체 요법, 비상사태 상황 등을 고려하여 안전성 정보 해석 ■ EUA 신청 예정자는 초기 단계부터 FDA와 사전 협의 필요
- 허가된 제품의 미허가 용도 EUA** ■ 새로운 용도가 기존에 허가된 제품과 유사한 투여량, 치료 기간, 투여 경로, 작용기전, 대상 집단 환경하에 사용되는 경우 기허가된 신청서의 참조를 권장하며 필요시 참조 권리도 포함 ■ 새로운 용도가 환자 집단에 독성 증가와 같은 다른 위험을 초래할 가능성이 있는 경우 시험관내 연구, 동물 독성 연구, 가능하다면, 임상시험 및 임상 경험 정보 등 안전성 입증 자료
- 미허가 제품 EUA** ■ 제품별로 제출 필요 자료가 다를 수 있음 ■ 시험관내 및 동물 독성 등 비임상 데이터 ■ 가능한 경우, 임상시험 및 개별 환자 경험에 따른 인체 안전성 정보 ■ EUA 신청과 함께 제출한 데이터는 의료대응제품(MCM) 노출과 관련된 선행의 비임상 데이터와 연결되는 것을 목표로 해야 함 ■ 동물 데이터 사용 시 그 결과와 사람이 의료대응제품 사용 시 예상 노출량 사이의 관계에 대한 설명 자료 ■ 제품 또는 유사 구조 화합물, 의료기기의 인체 적용 관련 안전성 자료 일체

③ 효과성 정보 Recommended Effectiveness Information

- FDA는 모든 EUA 후보 제품에 대한 종합적 유효성 데이터 확보가 쉽지 않다는 것을 알고 있음. EUA 승인에 필요한 정보는 CBRN 비상사태 상황, 안전성 프로파일 관련 기존 지식 수준에 따라 달라짐. FDA는 후보 제품의 유효성 데이터의 적절성 및 위험-편익 프로파일을 사례별로 평가할 계획임. FDA는 EUA 신청 시 다음 과학적 증거를 포함할 것을 권장함.

■ 질병·상태의 진단, 치료, 예방 작용기전 ■ 의약품의 경우, 제품이 특정 CBRN의 독성을 예방, 약화한다는 *in vitro* 증거 등 비임상시험 결과 ■ 인체에 미치는 잠재적 영향을 이해할 수 있는 동물 대상 활성 또는 유효성 자료(예: 동물 규칙에 따라 개발된 제품의 동물 유효성 연구 등) ■ 활성, 효능 및 복용량의 평가와 관련하여 사람의 경험으로 얻어진 증거(예: 발표된 사례 보고서, 무대조군 임상시험, 대조군 임상시험 및 관련 인체 사용 사례 일체) ■ 의약품의 경우, 사용 목적에 맞는 투여량을 증명하는 데이터(예: 약동학 및 약력학 데이터, 백신·항체치료제의 경우 면역원성 및/또는 관련 면역 매개변수의 보호 수준 달성 정도) ■ 체외진단기기의 경우, 분석적 민감도 및 분석적 특이도와 같은 사용 목적을 증명하는 의료기기 성능 자료

④ 기타 데이터 고려사항 Other Data Considerations

- FDA는 EUA 신청 시 다음의 데이터를 적절하고 가능한 범위 내 제출할 것을 권장함

■ **잘 구성된 연구 보고서** 통계분석을 포함하여 안전성·유효성 데이터 및 결과의 해석과 관련된 완전한 평가 및 분석 보고서. 최종 보고서가 아직 없는 경우에는 가능한 모든 중간 보고서를 제출해야 하며 중간 보고서라는 것을 명확하게 표시해야 함

■ **원본 자료** 기저 질환·상태 또는 이와 밀접하게 관련된 질환·상태를 치료하는 제품의 활성 또는 유효성 평가의 근거가 되는 임상시험, 비임상 실험실 연구 및 모든 동물 실험의 원본 자료. 여기에는 핵심 연구 관련 케이스 보고서 도표, 인과성과 관계없이 임상시험 중 사망한 사람 및 부작용 때문에 임상시험을 중도에 포기한 사람에 관한 증례기록서, 발표된 논문에서 수재된 사례, 영어가 아닌 경우 영어로 번역한 원본 자료

- 비임상 실험실 연구가 '비임상 실험실 연구 규정에 따른 GLP¹⁶⁶⁾에 맞게 수행되었는지 그리고 임상시험이 GCP에 맞게 수행되었는지 명기

- GLP 하에 수행되지 않은 동물 연구의 경우 데이터의 품질과 무결성을 보장하기 위해 사용된 방법 품질 시스템 명기

- FDA가 제품에 관한 안전성·유효성 평가 결과 변경에 사용되고 EUA 심사 도중에 제출될 수 있는, 장기 안정성 시험 등 시판 후 안정성 시험 또는 기타 데이터·정보는 그 데이터가 확보되었을 때 제출해야 함. 여기에는 비상사태 기간 EUA 신청과 병행하여 수행된 적절하게 통제된 임상시험이 포함됨. EUA 발급 조건으로 제출되어야 하는 데이터는 EUA가 지정한 대로 제출되어야 함.

⑤ 위험 편익 고찰 Discussion of Risks and Benefits

- FDA는 EUA 요청 시 제품의 실제적, 잠재적 위험-편익 고찰을 포함할 것을 권장함. 이 고찰에는 위에 기술된 데이터·정보와 아래를 포함해야 함.

■ 위험 완화 또는 편익 최적화를 위한 조치 ■ 한계, 불명확성, 데이터 부족 ■ 제품 금기 관련 설명 ■ CBRN에 의한 실제적·잠재적 위험 정보 등

165) New Drug Application (IND), Investigational Device Exemption (IDE)

166) Good Laboratory Practice for Nonclinical Laboratory Studies regulations

【참고】 EUA 승인 조건

① 승인 시 조건 1 : EUA 제품 정보(보건의료 전문가 또는 조제자용)

- FDA는 '미허가 제품' 또는 '허가된 제품의 미허가 용도' EUA 신청 시 보건의료 전문가 또는 조제자를 위해 다음과 같은 정보가 'Fact Sheet'에 포함하도록 권장한다. 또한 Fact Sheet는 긴급사용 시에 사용되므로 간결하게 작성토록 하고 있다. EUA 승인 제품의 Fact Sheet는 FDA 홈페이지에 게시된다.¹⁶⁷⁾
 - FDA가 이 제품을 EUA 승인 하였다는 사실(제품명 및 사용 목적에 관한 설명 포함)
 - 긴급사용 시 제품의 중요한 실제적·잠재적 위험-편익, 위험 편익에 대해 알려지지 않은 정도
 - 사용 가능한 대체품 및 그 제품의 위험-편익
 - 질병·상태 설명
 - 모든 금기 또는 경고 사항
 - (해당하는 경우) 투여량
 - 부작용 발생 및 추가 정보 필요시 연락처
- 비상사태 대응자의 교육 수준, 배경, 경험, 언어가 다양하므로 보건의료 전문가 또는 조제자용 Fact Sheet는 가장 기본적인 교육을 받은 사람도 이해할 수 있게끔 작성하도록 FDA는 권고한다.¹⁶⁸⁾
- 최대한 Fact Sheet는 제품과 함께 보건의료 전문가 또는 조제자에게 종이로 인쇄할 수 있는 형식으로 제공되어야 한다.¹⁶⁹⁾
- EUA 제품 정보는 승인 조건을 준수하는 범위 내에서 대중 매체(인쇄, 방송, 라디오, 위성, 인터넷 또는 기타 전자적 보급 수단), 영상/DVD 또는 공공 보건기관의 직접적인 커뮤니케이션을 통해 보건의료 전문가 또는 허가된 처방자에게 전달될 수 있다.¹⁷⁰⁾
- '미허가 제품'의 경우 스폰서는 Fact Sheet에 간략한 요약 정보 외에도 보건의료 전문가들이 FDA의 허가를 받은 설명서에서 익숙하게 찾아보던 것과 유사한 상세 정보 개발이 권장된다.¹⁷¹⁾ 또한 체외진단기기와 같은 의료기기의 경우에도 Fact Sheet에 간략한 요약 정보 외에도 스폰서가 별도로 사용 설명서 개발이 권장된다.¹⁷²⁾
- 기 허가된 제품의 라벨링이 EUA를 통해 변경되었지만 제조사가 라벨링 변경을 하지 않는 경우, 제품 유통업체나 다른 사람은 제조사의 라벨링을 변경하거나 가릴 수 없다.¹⁷³⁾ 이런 경우 FDA는 EUA에 따라 행동하는 사람(예: 제조업자)이 제조업체 라벨 외에도 Fact Sheet와 같은 적절한 정보를 제공하도록 허가해야 한다.¹⁷⁴⁾

① 승인 시 조건 2 : EUA 제품 정보(환자용)

- EUA 관련 법률¹⁷⁵⁾은 의료대응제품에 관한 정보를 환자가 제공받을 수 있도록 EUA 승인 조건을 정하도록 하고 있다.
 - FDA가 이 제품을 긴급사용승인 하였다는 사실
 - 긴급사용 시 제품의 중요한 실제적·잠재적 위험-편익 및 위험 편익에 대해 알려지지 않은 정도
 - 제품 투여를 수락 또는 거부할 선택권이 있다는 사실
 - △ 투여 거부 시의 결과
 - 사용 가능한 대체품 및 그 제품의 위험-편익
 - 제품명 및 사용 목적에 대한 설명
 - 질병·상태에 관한 설명
 - 보건의료 전문가와 상의해야 할 사항 및 부작용 정보(추가 정보 필요 시 및 부작용 보고 시 연락처를 포함한다)
 - (해당하는 경우) 투여량(가정 내 사용·조제 관련 지침을 포함한다)정보가 Fact Sheet에 포함되어야 한다.¹⁷⁶⁾

② 승인 조건 : 부작용 모니터링 및 보고

- EUA 유형에 따라 부작용 모니터링·보고가 허가 조건으로 될 수도, 아닐 수도 있다. △미허가 제품의 EUA 승인의 경우 부작용 모니터링·보고가 필수이지만¹⁷⁷⁾ △허가된 의약품의 미허가 용도 EUA는 모니터링·보고 조건 부여 여부는 FDA의 재량이다.¹⁷⁸⁾
- 부작용 모니터링·보고 기간은 EUA가 유효한 기간뿐만 아니라 그 이후에도 EUA 제품의 안전성·유효성 정보를 수집·분석할 수 있도록 합리적인 기간을 설정할 수

있다.¹⁷⁹⁾ 부작용 모니터링·보고는 중대한 부작용 발생 여부에 초점이 맞춰져 있다. 일부 보고는 종전의 MEDWatch나 VAERS(Vaccine Adverse Event Reporting System) 시스템과 연결될 수 있다. FDA는 제품 스폰서가 적극적인 데이터 수집 메커니즘을 개발토록 지원하는 한편, 스폰서가 사전 EUA 상호활동^{pre-EUA interactions} 시에 데이터 수집 및 후속조치 관련 제안을 제시할 것을 권장하고 있다.¹⁸⁰⁾

③ 승인 시 조건 : 기록

- FDA는 '미허가 제품'의 EUA 승인을 받은 제조업자의 기록 보관 및 그 제품에 대한 FDA의 자료 접근권 보장 조건을 정하여야 한다.¹⁸¹⁾ 이 기록의 예로는 EUA 하에서 운송 또는 판매된 의약품, 의료기기 수량이 될 수 있다. 또한 FDA는 그 제품의 도매상, 조제자 등에게도 기록 보관 의무를 부과할 수도 있다.¹⁸²⁾ 한편, 법적 부과 의무가 있지는 않으나 FDA는 재량으로 '허가된 제품의 미허가 용도'에 대한 EUA 승인 시 기록 보관 및 자료 접근권 조건을 설정할 수 있다.¹⁸³⁾

④ 승인 시 조건 : 추가 조건

- FDA는 공중보건을 보호하는 데 필요하거나 적절하다고 판단하는 다음과 같은 조건을 정할 수 있다.¹⁸⁴⁾
 - 유통 및 투여: 누가 어떻게 유통하고 투여할 것인지 ■ 제품을 투여받을 수 있는 사람의 범위와 사용 시기 ■ 광고 및 홍보용 설명자료 관련 조건

⑤ 승인 시 조건 : CGMP 면제 또는 제한 Waivers or Limitations

- 일반적으로 EUA 승인 제품의 생산, 저장, 유통에 대해서도 CGMP가 적용되나, 개별 상황과 접근 방식에 따라 이를 면제·제한할 수도 있다.¹⁸⁵⁾ (우리도 법률에 좀 명시하는 방안)

⑥ 승인 시 조건 : 처방 요건 면제 또는 제한

- FDA는 비상사태 상황을 고려할 때 적절한 경우에는 통상 적용되는 처방 관련 요건을 면제할 수 있다.(예: 대규모의 비상 대응 시 많은 사람이 의료제품을 가능한 한 빨리 분배받을 수 있도록 전통적 의료기관이 아닌, 중앙 집중식 위치나 특정 분배지점에서 의료제품을 수령할 수 있도록 하는 것)¹⁸⁶⁾ -> **약사법 약사 조제 범위 확대**

⑦ 승인 시 조건 : REMS 면제 또는 제한적 적용

- 통상의 경우 적용되는 REMS 요건의 일부 또는 전부가 CBRN 비상사태에 근거한 EUA에 대해서는 면제될 수 있다.¹⁸⁷⁾

167) FDA, 앞의 2017년 1월 자료

168) Ibid.

169) Ibid.

170) Ibid.

171) Ibid.

172) Ibid. 및 21 U.S.C. § 360bbb-3(e)(2)(B)(i)

173) Ibid.

174) Ibid. 및 21 U.S.C. § 360bbb-3(e)(2)(B)(ii)

175) 21 U.S.C. § 360bbb-3(e)(1)(A)(ii) 및 21 U.S.C. § 360bbb-3(e)(2)(A)

176) FDA, 앞의 2017년 1월 자료

177) 21 U.S.C. § 360bbb-3(e)(1)(A)(iii)

178) 21 U.S.C. § 360bbb-3(e)(2)(A)

179) FDA, 앞의 2017년 1월 자료

180) Ibid.

2.3.2 EUA 승인 없는 긴급 사용

□ 제도 개요

EUA 없이도 이를 승인한 것과 유사하게 FDA, CDC가 유효기한 연장, 긴급 사용 지침 발간 등 예외적 조치를 할 수 있는 메커니즘이다. 2013. 3월 제정된 「팬데믹 및 모든 위협 대비 재승인법」¹⁸⁸⁾을 통해 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 신설되었다.

□ 적격 제품

허가 여부, 용도, 사용 환경 조건을 모두 충족하는 경우 조치 대상이 된다.¹⁸⁹⁾

- FDA 허가를 받은 제품,
- CBRN 관련 질병을 예방·진단·치료할 목적의 제품 또는 이러한 제품으로 인해 발생한 심각하거나 생명을 위협하는 질병을 예방·진단·치료할 목적의 제품 및
- 국토안보부, 국방부 또는 보건부 장관의 EUA 결정이 있거나 또는 국토안보부 장관이 「공중보건서비스법」 319F-2에 따라 국가안보 또는 해외 거주 미국 시민의 건강, 안전에 영향을 미칠 수 있는 중대한 위협이 확인된 경우

□ 유효기한 연장

미국은 비상사태 시 자국민 보호를 위해 의료대응제품 등이 포함된 전략적 국가 비축(Strategic National Stockpile, SNS) 시스템을 보유하고 있다. 이때 유효기한 경과 제품은 사용할 수 없는데, 환자 안전을 위해 필요한 조치이기는 하나 안정적일 수 있는 제품을 비용을 들여 교체할 필요가 있는지 의문이라는 문제의식이 있었다.¹⁹⁰⁾ 이를 해결하기 위해 FDA는

181) 21 U.S.C. § 360bbb-3(e)(1)(A)(iv)

182) 21 U.S.C. § 360bbb-3(e)(1)(B)(iv)

183) 21 U.S.C. § 360bbb-3(e)(2)(A)

184) 21 U.S.C. § 360bbb-3(e)(1)(B) (미허가 제품), 21 U.S.C. § 360bbb-3(e)(2)(A) (허가된 제품의 미허가 용도)

185) 21 U.S.C. § 360bbb-3(e)(3)

186) FDA, 앞의 2017년 1월 자료 및 21 U.S.C. § 360bbb-3(e)(3)

187) FDA, 앞의 2017년 1월 자료

188) Pandemic and All-Hazards Preparedness Reauthorization Act (PAHPRA) (P.L. 113-5, 2013. 3. 13.)

189) 21 U.S.C. § 360bbb-3a(a)(1), 법률에서는 이 조건에 부합하는 제품을 "eligible product"라고 한다.

190) FDA, "Expiration Dating Extension", last modified Jan 29, 2024, <https://www.fda.gov/emergency-prepared>

2013년 제정법에 따라 기관이 스스로 수행하거나 자신이 승인한 과학적 평가법에 의해 뒷받침되는 경우 CBRN 비축제품의 유효기한을 연장하고 있다.¹⁹¹⁾ 기한 연장 시에는 제품 샘플링, 저장, 포장, 운송, 라벨링, 기록 보관, 제품 처분, 정기·재테스트 등의 공중보건 상 필요한 조건을 붙일 수 있다.¹⁹²⁾

□ cGMP 면제

FDA는 EUA 승인 없이도 직권 또는 CDC와 같은 정부 기관 등의 요청에 따라 적격제품의 제조·가공·포장·보관을 대상으로 cGMP 적용을 면제할 수 있다.¹⁹³⁾ 면제 요청 시에는 제품명, 제형, 함량 등 제품 정보, 제조업체 현황, 제품이 어떠한 비상상황에 사용되는지, 면제가 필요한 단계(예: 포장, 보관 등), 제품 안전성·효능에 미칠 영향 등을 제출해야 한다.¹⁹⁴⁾

□ 긴급 조제

2013년 제정법에 따라 장관들의 EUA 결정이 있거나 중대한 위협이 확인되었다면 주(州) 법 또는 FDA의 긴급 조제 명령에 따라 처방전 없이 적격제품을 조제할 수 있다.¹⁹⁵⁾ FDA의 긴급 조제 명령은 직권 또는 다른 기관의 요청이 있을 때 발령되며, 이때 요청기관은 적격제품 정보, 사용 용도, 대상 지역(전국, 주, 지역), 적격제품 출처(국가 또는 주), 명령 기간 등의 정보를 제출해야 한다.¹⁹⁶⁾

□ 긴급 사용 지침

과거 공중보건 비상사태 시 FDA가 허가한 라벨에서 벗어난 의료대응제품 투여 지침(예: 독시사이클린은 흡입성 탄저균 노출 후 예방을 위해

ness-and-response/mcm-legal-regulatory-and-policy-framework/expiration-dating-extension, accessed Feb 26, 2024.

191) 21 U.S.C. § 360bbb-3a(b)(1)

192) 21 U.S.C. § 360bbb-3a(b)(2)(C)

193) 21 U.S.C. § 360bbb-3a(c)(1)

194) FDA, 앞의 2017년 1월 자료

195) 21 U.S.C. § 360bbb-3a(d)

196) FDA, 앞의 2017년 1월 자료

투여)이 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」 위반이라는 문제가 제기된 바 있다.¹⁹⁷⁾ 이를 해소하기 위해 2013년 제정법은 보건부 장관(실제로는 CDC)이 적격제품 긴급 사용 지침(Emergency Use Instruction, EUI)을 작성·배포할 수 있다고 명문화했다.¹⁹⁸⁾ EUI는 EUA의 “팩트 시트”와 유사한 것으로 의료전문가와 조제자, 적격제품 수령자에게 전달된다. EUI는 의약품 허가 시에 적용된 질병에 대해 어떻게 사용할 수 있는지에 대한 지침으로 다른 질병에 관한 내용까지 포함할 수는 없다.¹⁹⁹⁾

□ 긴급 사용을 위한 사전 배치

공중보건 비상사태 시 의료대응제품을 신속하게 배포하기 위해 시판 허가를 받거나 받지 않은 제품 등을 정부, 정부 대리인이 사전에 배치할 수 있다. 다만, 제품은 보관만 하고 사용하지 않는 것을 전제로 한다.²⁰⁰⁾

2.3.3 치료 목적 사용 Expanded Access

□ 제도 개요

‘치료 목적 사용’²⁰¹⁾ 제도는 심각하거나 즉각적으로 생명을 위협하는 질병을 앓고 있는 환자가 유사 또는 만족스러운 대체 치료법이 없는 경우, 그 질병을 진단, 모니터링, 치료할 수 있는 임상시험용 의료제품(의약품, 생물약품 또는 의료기기) 등을 사용할 수 있게 하는 제도이다. 동정적 사용(compassionate use)으로도 불리며²⁰²⁾ 우리나라의 임상시험용 의약품의 치료목적 사용 제도와 유사하다.

‘치료 목적 사용’은 임상시험용 제품만 대상으로 하지는 않는다. 환자에게 위험보다 편익이 큰 경우에는 안전성 이슈로 허가가 철회된

197) Ibid.

198) 21 U.S.C. § 360bbb-3a(e)

199) FDA, 앞의 2017년 1월 자료

200) 앞의 내용과 section을 달리해 규정하고 있다, 21 U.S.C. § 360bbb-3b, 이 규정을 적용받는 제품은 ■허가된 의약품, 생물약품, 의료기기 ■임상시험용으로 승인된 제품 또는 ■EUA 승인 제품이다.

201) Expanded Access를 직역하면 ‘확장 접근’이 되나 이 경우 제도의 의미가 불명확하게 전달될 수 있어 ‘치료 목적 사용’이라고 번역했다. FDA 역시 치료적 사용(treatment use)으로 불린다고 설명하고 있다.

202) FDA, “Expanded Access”, last modified Feb 28, 2024, <https://www.fda.gov/news-events/public-health-focus/expanded-access>, accessed Mar 19, 2024.

의약품도 이 프로그램에 따라 사용될 수 있다. 또한 의약품이 부족한 상황을 전제로, 외국에서는 허가되었으나 미국에서는 아직 허가되지 않은 의약품이나 REMS 하에서는 사용이 어려운 의약품 역시 '치료 목적 사용' 하에서 투여될 수 있다.²⁰³⁾

연혁적으로 보면, '치료 목적 사용' 제도는 1987. 5월 연방규정 21 CFR 312 Subpart I에 처음 공고된²⁰⁴⁾ 이후, 1997 11월의 「FDA 현대화법」을 통해 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 법률화되었다.²⁰⁵⁾

□ 운영 절차

패스트트랙, 우선심사 등 다른 제도가 주로 제약사와 FDA의 양자 간에 이뤄지는 절차인 것에 비교해보면 '치료 목적 사용'은 임상시험처럼 환자, 의사, 제약사, FDA, 의료기관 IRB(institutional review board) 등 많은 주체가 상호 관여한다.

스폰서(제약사 또는 의사)가 '치료 목적 사용'을 위해서는 먼저 FDA에 서면 등으로 신청해야 하고 FDA의 승인과 IRB의 승인이 있는 후에 의사가 환자에게 의약품을 투여한다. 이때 제약사의 의약품 제공은 제약사의 재량으로 다른 사람을 이를 제약사에 강제하지 못한다.

□ 공통 승인 기준

FDA는 '치료 목적 사용' 신청을 받으면 환자의 상황, 위험-편익, 현재 진행 중인 임상시험에 미칠 영향을 고려하여 승인 여부를 결정한다.²⁰⁶⁾ 즉,

- 환자가 심각하거나 즉각적으로 생명을 위협하는 질병이 있고, 해당 질병을 진단, 모니터링, 치료할 수 있는 유사 또는 만족스러운 대체 치료법이 없는 경우

203) FDA, "Expanded Access to Investigational Drugs for Treatment Use - Questions and Answers", last modified June, 2016, <https://www.fda.gov/media/85675/download>, accessed Feb 15, 2024.

204) Federal Register, "Expanded Access to Investigational Drugs for Treatment Use", last modified Dec 14, 2006, <https://www.federalregister.gov/documents/2006/12/14/06-9684/expanded-access-to-investigational-drugs-for-treatment-use>, accessed Feb 14, 2024.

205) 21 U.S.C. § 356bbb - Expanded access to unapproved therapies and diagnostics

206) 21 CFR § 312.305(a)

- 치료 목적 사용으로 환자가 얻는 잠재적 편익이 그 위험을 정당화하고, 그 질병의 관점에서 볼 때 잠재적 위험이 비합리적이지 않은 경우
- 임상시험용 의약품 제공이 치료 목적 사용의 효능·효과로 시판 허가를 받으려는 임상시험의 개시·수행·완료에 방해하지 않고, 치료 목적 사용을 활용하는 잠재적 개발을 저해하지 않는 경우를 모두 만족해야 한다.

□ 공통 제출 자료

신청 양식 1571과 함께 다음에 관한 자료를 제출해야 한다.²⁰⁷⁾ 아래에서 다시 설명하는 ‘치료 목적 사용’의 세부 분류에 따라 자료가 추가된다.

- 의약품 사용 목적(임상시험용 의약품 사용 전에 통상 시도되는 치료 옵션 목록, 임상시험용 의약품 사용이 이 옵션보다 왜 더 나은지 이유를 포함한다)
- 환자 선정 기준 또는 환자가 한 명이면 환자의 질병에 관한 설명(최근 병력 및 종전 치료 관련 내용을 포함한다)
- 의약품 투여 방법, 용량 및 치료 기간
- 의약품 제조 시설에 관한 설명
- 임상시험용 의약품의 확인, 품질, 순도 및 강도를 확인할 수 있는 화학, 제조 및 품질 정보
- 치료 목적 사용의 용량 및 치료 기간 내에서 의약품이 안전하다고 합리적으로 결론 내리는 데 적합한 약리학, 독성학 정보
- 의약품의 효과를 평가하고 위험을 최소화하는데 필요한 임상 절차, 실험실 테스트 또는 기타 모니터링에 관한 설명

□ 제도 분류

‘치료 목적 사용’ 제도는 치료 계획(프로토콜)을 어떠한 방식으로 IND에 포함하느냐에 따라 ① 치료 목적 사용 프로토콜(expanded access protocol)과 ② 치료 목적 사용 IND(expanded access IND)로 나눈다.²⁰⁸⁾ 즉, ① ‘치료

207) 21 CFR § 312.305(b)

208) FDA, 앞의 2016년 6월 자료

목적 사용 프로토콜'은 스폰서(이 경우 통상 제약사) 자신이 수행 중인 임상시험 계획서에 새로운 치료 계획(프로토콜)을 추가하여 FDA에 '치료 목적 사용'을 신청하는 것을 말하고, ② '치료 목적 사용 IND'는 의사가 치료 계획이 담긴 새로운 IND를 작성하여 FDA에 사용 신청하는 것을 말한다. 각각은 다시 투여 환자 수에 따라 ① 개별 환자(응급 포함, individual patient) ② 중간 규모 환자(intermediate-size patient populations) ③ 대규모 환자(widespread treatment)로 분류된다. 신청 대상, 요건 등이 조금씩 다르다.

- 치료 목적 사용 제도 세부 분류 -

구분	① 프로토콜	② IND
① 개별 환자	① Individual patient expanded access protocol(non-emergency) ①-1 Individual patient expanded access protocol for emergency use	② Individual patient expanded access IND(non-emergency) ②-1 Individual patient expanded access IND for emergency use
② 중규모 환자	③ Intermediate-size patient population expanded access protocol	④ Intermediate-size patient population expanded access IND
③ 대규모 환자	⑤ Treatment protocol	⑥ Treatment IND

① 개별 환자

위 표 ①은 통상 제약사가 스폰서가 되어 FDA에 신청을 하는 절차이다. 반면 제약사가 비록 스폰서 역할은 거절하지만 의약품을 환자에게 공급할 의향은 있는 경우에는 의사는 직접 스폰서가 되어 ②의 절차에 따라 FDA에 치료 목적 사용 승인을 신청한다.²⁰⁹⁾

이때, ②의 경우 치료 목적 사용 신청을 위해 제출해야 하는 자료 중 의약품 제조시설, 화학·제조·품질 정보 등은 제약사가 보유하고 있는 고유 정보이므로 의사가 이를 확보해 FDA에 제출하기 쉽지 않다. 이 경우 의사는 제약사로부터 제약사 자신의 IND에 포함된 정보를 FDA가 참조해도 좋다는 허여서를 받아 FDA에 제출해야 한다.

FDA는 환자의 상황, 위험-편익, 진행 중인 임상시험에 미칠 영향 등 승인 기준을 충족하고 △임상시험용 의약품 사용으로 인해 발생할 수 있는 위험이 그 질병으로 인한 위험보다 크지 않고 △환자가 다른 IND

209) 21 CFR § 312.310

또는 포토토크로부터는 의약품을 얻을 수 없다는 결론에 도달하면 사용 승인을 한다.²¹⁰⁾

사용 승인 여부는 FDA가 신청을 받은 후 30일 이내에 결정된다. 이는 중간, 대규모 환자 승인 시에도 마찬가지이다. ①-1, ①-2와 같은 비상시에는 전화 등을 통해 보다 신속하게 신청과 승인이 이루어진다.²¹¹⁾

2 중간 규모 환자

대규모 환자보다는 적은 수의 환자를 대상으로 하는 치료 목적 사용이다. 아직 개발되지 않은 의약품²¹²⁾, 개발 중인 의약품²¹³⁾ 또는 허가된 의약품²¹⁴⁾을 사용 대상으로 한다.

앞의 공통 승인 기준²¹⁵⁾을 충족하면서 △‘치료 목적 사용’ 대상 환자 집단에서 ‘치료 목적 사용’ 관련 용량과 투여 기간이 안전하다는 충분한 증거가 있고 △의약품의 유효성에 관한 최소한의 예비 임상 증거 등이 있다고 판단하는 경우 사용 승인이 이루어진다.²¹⁶⁾

공통 제출 자료 외에 스폰서는 △치료 대상 환자 집단에 관한 설명 △의약품이 개발되고 있는지 아닌지 △의약품이 적극적으로 개발되지 않는 경우, 해당 의약품이 치료 목적 사용의 적응증과 동일한 용도로 개발될 수 없는 이유, 어떤 상황에서 해당 의약품이 개발될 수 있는지 △해당 의약품이 임상시험 중이라면 치료 대상 환자가 해당 임상시험에 등록할 수 없는 이유 등을 FDA에 제출해야 한다.²¹⁷⁾

210) 21 CFR § 312.310

211) 이때 스폰서는 FDA와 IRB에 각각 승인 15일, 5일 이내에 원래 제출해야 했던 서류를 사후적으로 제출해야 한다.

212) 21 CFR § 312.315(a)(1) 질병이나 상태가 너무 희귀해서 스폰서가 임상시험을 위한 환자를 모집할 수 없어 의약품이 개발되지 않는 경우

213) 21 CFR § 312.315(a)(2) 해당 의약품이 임상시험에서 연구되고 있지만, 해당 의약품의 치료 목적 사용을 요청한 환자가 임상시험에 참여할 수 없는 경우. 예를 들어, 환자의 상태가 연구 중인 질병이나 질병 단계와 다르거나 등록 기준을 충족하지 못하거나, 임상시험 등록이 마감되었거나, 임상시험 기관이 지리적으로 접근하기 어렵기 때문에 임상시험에 참여할 수 없는 경우

214) 21 CFR § 312.315(a)(3) (i) 해당 의약품이 안전상의 이유로 더 이상 시판되지 않거나 허가 조건을 충족하지 못하여 시판할 수 없는 기 허가 의약품인 경우 (ii) 의약품이 허가 조건을 충족하지 못하거나 의약품 부족으로 인해 사용할 수 없는 기 허가 의약품과 동일한 활성 성분을 함유하고 있는 경우

215) 21 CFR § 312.305(a)

216) 21 CFR § 312.315(b)

217) 21 CFR § 312.315(c)

3 대규모 환자

공통 승인 기준 외에 임상시험 상태, 시판 허가, 안전성·유효성 증거가 다음과 같을 때²¹⁸⁾ 대규모 환자를 대상으로 하는 치료 목적 사용 승인을 받을 수 있다.

□ 임상시험 상태

- 치료 목적 사용의 적응증으로 시판 허가를 받기 위해 IND를 통해 임상시험 중에 있는 경우 또는
- 모든 임상시험이 완료된 경우

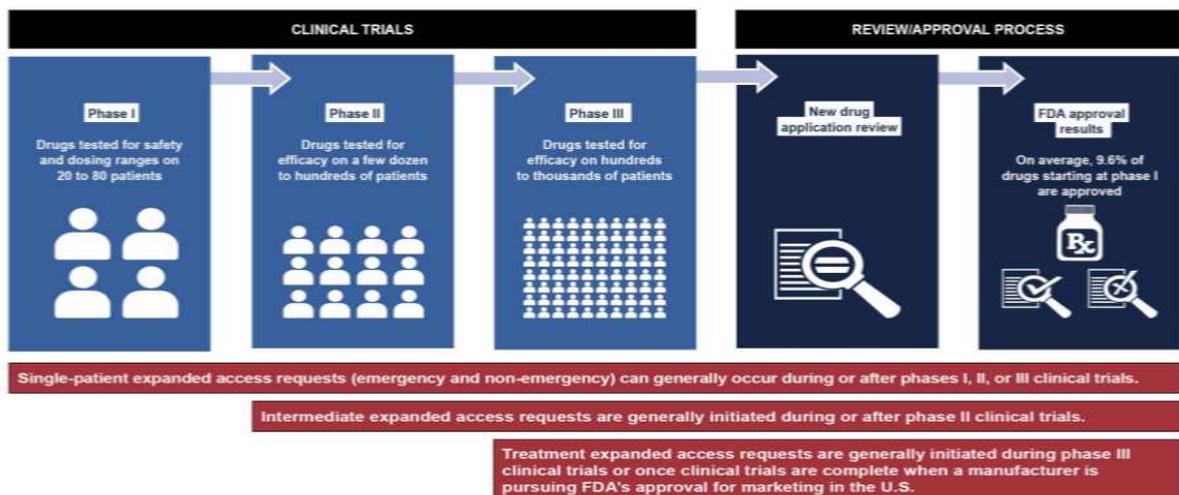
□ 시판 허가

- 스폰서가 치료 목적 사용과 관련된 적응증에 관한 시판 허가를 받기 위해 적극적으로 노력하고 있는 경우

□ 안전성·유효성 증거

- 치료 목적 사용이 중대한 질병과 관련된 경우, 그 사용을 뒷받침하는 충분한 안전성·유효성 관련 임상 증거가 있는 경우(통상 3상 데이터, 그러나 설득력 있는 2상 데이터도 가능) 또는
- 치료 목적 사용이 즉각적으로 생명을 위협하는 질병과 관련된 경우, 전체적으로 볼 때 현재 이용할 수 있는 과학적 증거가 임상시험용 의약품이 의도된 용도에 효과적일 수 있고, 환자를 비합리적이고 중대한 질병이나 부상의 위험에 노출시키지 않는다는 합리적인 근거를 제시하는 경우(통상 3상, 2상 데이터, 그러나 예비 임상 증거도 가능)

- 의약품 개발, 허가 프로세스별 치료 목적 사용 적용 시기²¹⁹⁾ -



218) 21 CFR § 312.315(a)

219) GAO "INVESTIGATIONAL NEW DRUGS: FDA Has Taken Steps to Improve the Expanded Access Program but Should Further Clarify How Adverse Events Data Are Used", last modified Jul, 2017, <https://www.gao.gov/assets/gao-17-564.pdf>, accessed Feb 22, 2024.

□ 치료 목적 사용 정책 수립

심각한 질병을 진단·모니터링·치료할 목적의 임상시험용 의약품은 한 개 이상 제조·유통하는 자는 해당 의약품을 제공하기 위해 치료 목적 사용 요청을 평가·대응하는 정책을 수립하고 이를 대중이 쉽게 볼 수 있게 공개해야 한다.²²⁰⁾ 이 정책에는 △제조·유통업체 연락처 정보 △치료 목적 사용 관련 요청 절차 △제조·유통업자가 개별 환자의 요청을 평가·대응하는 기준 △제조·유통업자가 해당 요청이 접수된 것을 확인하는데 필요한 예상 기간 △치료 목적 사용 관련 정보가 포함된 임상시험 관련 하이퍼링크 또는 기타 참고문헌 등이 포함되어야 한다.²²¹⁾

□ 운영 현황

3년 누적 ‘치료 목적 사용’ 신청 건수는 총 14,278건으로 그중 99%인 14,079건이 승인을 받았다. 가장 많은 비율의 신청은 1인 환자 치료 목적 사용 IND(②, ②-1)으로 전체 승인 건수의 98%이다.²²²⁾

- 치료 목적 사용 분류별 통계²²³⁾ -

* 승인건수/신청건수

구분		프로토콜				IND			
		① Individual (non-emergency)	①-1 Individual (emergency)	③ Intermediate	⑤ treatment	② Individual (non-emergency)	②-1 Individual (emergency)	④ Intermediate	⑥ treatment
2020	CDER	10/10	10/10	26/26	18/19	1014/1034	1776/1779	4/6	2/5
	CBER	23/23	40/41	9/12	0/1	126/137	6285/6292	24/25	12/14
2021	CDER	16/16	20/20	16/17	11/11	876/880	1035/1040	4/6	2/2
	CBER	18/18	49/49	1/3	1/1	125/125	212/216	5/5	0/0
2022	CDER	25/25	8/8	16/16	10/10	1133/1143	789/789	25/27	7/7
	CBER	26/28	29/29	4/6	0/0	166/181	265/283	4/5	1/1
총계	14079/ 14278	118/120	156/157	72/77	40/42	3440/ 3500	10362/ 10399	66/74	24/29

220) 21 U.S.C. § 360bbb-0(a) 및 (b)

221) 21 U.S.C. § 360bbb-0(c)

222) FDA, "Expanded Access (Compassionate Use) Submission Data", last modified May 17, 2023, <https://www.fda.gov/news-events/expanded-access/expanded-access-compassionate-use-submission-data#CDRH>, accessed Feb 17, 2024.

223) Ibid.

□ 논의 동향

이 제도가 환자의 의약품 접근성을 확대했다는 긍정적 의견도 있지만 제도와 안전 측면의 비판도 있다. 먼저, 제도가 복잡해서 쉽게 이용하기 어렵다는 것이다.²²⁴⁾ FDA가 환자 규모, 프로토콜/IND, 응급/비응급을 기준으로 8개의 카테고리를 운영하고 각 절차나 제출자료도 조금씩 다르기 때문이다. 또 다른 비판은 환자 사전 동의를 기반으로 의약품이 사용되지만 환자가 충분한 제품 정보를 가지고 동의 하였는지는 미지수라는 것이다. 치명적 부작용 시 누가 책임을 지는지 역시 명확하지 않다.

2.3.4 치료받을 권리 Right to try

□ 제도 개요

생명을 위협하는 질병에 걸린 환자가 아직 FDA의 시판 허가를 받지 않은 임상시험용 의약품을 사용할 수 있게 하는 프로그램이다. 종전에는 개별 주(州) 차원에서 법률을 제정하여 시행하였으나²²⁵⁾ 2018. 5. 30.부로 연방 차원의 「치료받을 권리법」(Trickett Wendler, Frank Mongiello, Jordan McLinn, and Matthew Bellina Right to Try Act of 2017, P.L. 115-176)을 제정, 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 법적 근거를 신설하였다.

치료받을 권리는 치료 목적 사용과 유사해 보이는 제도이다. 그러나, 치료 목적 사용과 달리 FDA와 IRB의 승인이 필요하지 않아 환자, 의사, 제약사 간 협의를 통해 임상시험용 의약품을 사용할 수 있다.

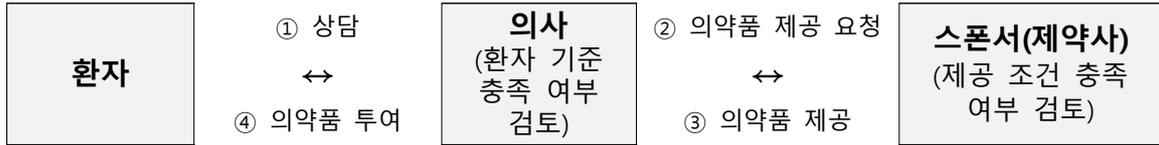
□ 운영 절차

환자가 의사와 상담을 하면 의사는 임상시험용 의약품 제약사와 협의를 한다. 이때 의사는 환자의 기준 적합 여부를, 제약사는 임상시험용 의약품의 제공 의향과 제공 조건 부합 여부를 판단한다.

224) GAO, 앞의 2017. 7월 자료

225) 2014. 5월 콜로라도주가 처음 주(州) 법률로 도입한 이래 연방 법률 제정 직전까지 총 38개 주(州)가 입법하였다. [PBS, "Right to try' law gives terminal patients access to drugs not approved by FDA", last modified June 21, 2014, <https://www.pbs.org/newshour/show/right-try-law-gives-terminal-patients-access-non-fda-approved-drugs>, accessed Feb 20, 2024.] [Jacqueline Howard, , "What you need to know about right-to-try legislation", *CNN*, last modified May 29, 2018, <https://www.cnn.com/2018/03/22/health/federal-right-to-try-explainer/index.html>, accessed Feb 20, 2024.]

모든 기준이 충족되고 제약사의 공급 의사도 있다면 환자는 의사를 통해 의약품 투여받을 수 있는데 다만, 제약사가 임상시험용 의약품 제공 요청을 받았을 때 반드시 응할 법적 의무는 없다.²²⁶⁾



□ 대상 환자

치료받을 권리를 행사할 수 있는 사람은²²⁷⁾ 질병 조건, 환자 상황, 동의 여부 등 다음의 조건을 모두 만족하는 환자이다.

- 생명을 위협하는 질병에 걸렸다고 진단받은 환자²²⁸⁾
- 허가받은 모든 치료제를 다 사용해 보았고 '적격의 임상시험용 의약품' 관련 임상시험에 참여할 수 없다고 의사가 인정한 환자²²⁹⁾
- 의사에게 '적격의 임상시험용 의약품' 관련 임상시험 서면 동의서 제출 환자 또는 환자의 법률 대리인이 동의한 환자(해당되는 경우)²³⁰⁾

□ 대상 의약품

1상 임상시험을 완료하는 등 다음의 조건을 만족하는 의약품이 사용 대상이다. 법률에서는 이를 적격의 임상시험용 의약품(eligible investigational drug)으로 정의한다.

- 1상 임상시험이 완료된 제품
- 아직 시판 허가를 받지 않은 제품
- 신약 허가 신청서를 제출한 제품 또는 아직 임상시험 중인 제품
- 개발·생산이 진행 중이며, 제조업자에 의해 중단되거나 FDA가 임상 보류 조치를 하지 않은 제품²³¹⁾

226) FDA, "Right to Try", last modified Jan 23, 2023, <https://www.fda.gov/patients/learn-about-expanded-access-and-other-treatment-options/right-try>, accessed Feb 20, 2024.

227) 21 U.S.C. § 360bbb-0a(a)(1)에서는 '적격 환자'(eligible patient)란 용어로 정의하고 있다.

228) 21 U.S.C. § 360bbb-0a(a)(1)(A)

229) 21 U.S.C. § 360bbb-0a(a)(1)(B)에 따르면 의사는 (i) 의사 면허 기관 또는 위원회로부터 의사 자격을 유지하고 있는 의사이면서 환자를 인증한 것과 관련해서 제조업자로부터 직접 보상을 받지 않는 자이어야 한다.

230) 21 U.S.C. § 360bbb-0a(a)(1)(C)

□ 연례 보고 및 운영 현황

‘적격의 임상시험용 의약품’ 제조업자 또는 스폰서는 해당 의약품 사용 관련 연례 요약서를 FDA에 제출해야 한다. 요약서에는 공급 수량, 제공 목적, 알려진 모든 심각한 부작용이 포함되어야 하고²³²⁾ FDA는 제출받은 요약서를 인터넷 웹사이트에 게시해야 한다.²³³⁾ 2018년 5월부터 2022년 12월까지 총 12건의 사용이 보고되었다.²³⁴⁾

□ 이슈 동향

이 제도를 지지하는 사람은 △다른 치료 옵션이 없는 환자가 생명을 구할 수 있는 의약품을 투여받을 수 있는 심플한 방법이고 △환자의 참여도를 높이며 △환자 스스로 자신의 건강, 삶의 질을 결정할 수 있고 △해외가 아닌 미국 내에서 쉽게 치료받을 수 있다고 주장한다.²³⁵⁾

즉, 치료 목적 사용과 달리, 긴급한 환자가 FDA 승인에 필요한 서류 작업과 시간 지연 없이 의약품을 신속하게 투여받을 수 있는 장점이 있고, 무엇보다도 자신의 건강 문제는 연방 정부의 관여 없이 스스로 결정하는 것이 합리적이라는 것이다.

반면, 비판하는 사람은 △FDA의 치료 목적 사용 승인율이 99%에 달하고²³⁶⁾ 응급 시에는 몇 시간 내에 신청과 승인이 이루어지는 등 접근성에 큰 문제가 없으며 △임상시험용 의약품은 엄격한 테스트를 거치지 않았기 때문에 편익보다 위험이 더 크고 △FDA의 감독 대상에서 벗어나는 등 최소한의 안전장치도 없다고 강조한다.²³⁷⁾

231) 21 U.S.C. § 360bbb-0a(a)(2)

232) 21 U.S.C. § 360bbb-0a(d)(1)

233) 21 U.S.C. § 360bbb-0a(d)(2)

234) FDA, "Right to Try Annual Reporting Summary", last modified Sep 29, 2023, <https://www.fda.gov/patient-s/learn-about-expanded-access-and-other-treatment-options/right-try-annual-reporting-summary>, accessed Feb 20, 2024.

235) Vijay Mahant, 2020, ""Right-to-Try" experimental drugs: an overview.", *JJournal of Translational Medicine*, 18, Vol. 253 (2020). <https://doi.org/10.1186/s12967-020-02427-4>

236) Jacqueline Howard, "What you need to know about right-to-try legislation", *CNN*, last modified May 29, 2018,, <https://www.cnn.com/2018/03/22/health/federal-right-to-try-explainer/index.html>, accessed Feb 20, 2024.

237) Vijay Mahant, 앞의 자료

치료 목적 사용 제도가 이미 작동하고 있고 이를 통해 신속하게 임상시험용 의약품을 공급받을 수 있는데 환자가 위험해질 수도 있는 별도의 의약품 접근 트랙을 굳이 만들 필요가 있냐는 것이다.

제도 도입 이후 2022년까지 사용 실적이 총 12건에 그치는 점을 고려해보면 치료받을 권리는 치료 목적 사용 제도의 보조적 역할에 그치는 것으로 보인다.

□ 입법 동향

2023. 3. 28. 「치료받을 권리 명확화법」이 하원에 발의되었다.²³⁸⁾ 「통제물질법」(Controlled Substances Act) 스케줄 I 물질²³⁹⁾도 1상 임상시험이 완료되었다면 치료받을 권리 대상으로 포함한다는 내용이다. 현재 의회 계류 중이다.

2.3.5 맞춤형 제조 의약품 Compounding Drug

□ 제도 개요

맞춤형 제조(compounding)란 △약사 △약사의 감독하에 있는 사람 △의사 또는 △외주시설(outsourcing facility) 에서 의약품 원료를 결합, 혼합, 변경하여 개별 환자 맞춤형 완제의약품을 제조하는 행위를 말한다.²⁴⁰⁾ 색소 알레르기로 시판 의약품을 투여할 수 없거나 노인·어린이 등 기존의 의약품을 삼킬 수 없는 경우와 같이 FDA 허가를 받은 유통 제품으로는 충족되지 않는 의료수요 해소를 목적으로 한다.²⁴¹⁾ 우리나라의 의료기관 조제실제제 또는 약국제제와 유사하다.²⁴²⁾

238) Right to Try Clarification Act (H.R.1825)

239) LSD, 대마초, 엑스터시와 같이 의학적 용도가 없고 남용 가능성이 높은 약물이다. (DEA, "Drug Scheduling", <https://www.dea.gov/drug-information/drug-scheduling>, accessed Feb 20, 2024.)

240) FDA, "Human Drug Compounding", last modified Jan 26, 2024, <https://www.fda.gov/drugs/guidance-compliance-regulatory-information/human-drug-compounding>, accessed Feb 28, 2024.

241) Ibid.

242) 환자에게 필수적이지만 제약업체가 생산·수입하지 않아 의료기관이나 약국에서 직접 제조하여 공급하는 의약품을 말한다.

□ 관리 체계

맞춤형 제조 의약품은 누가 제조하는지 어디서 제조하는지에 따라 두 분류로 나뉜다. 첫 번째는 주(州) 정부 면허 약국이나 연방시설의 약사가 환자별 처방전에 기초하여 생산하는 경우이다. 이때 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 따른 △FDA의 시판 허가 △사용방법 라벨링 부착 요건 △GMP 적용 의무가 면제된다.²⁴³⁾

두 번째는 외주시설에서 처방전 환자뿐만 아니라 의료기관의 일반적 수요에 응하기 위해 맞춤형 제조를 하는 경우이다.²⁴⁴⁾ 「식품, 의약품 및 화장품법」에 따른 △FDA의 시판 허가 △사용법 라벨링 부착 요건이 면제된다. 그러나 △GMP 적용 △FDA에 시설 등록 표부작용 보고 의무는 적용된다.²⁴⁵⁾ 공중보건 위기 시에 필수적 의약품을 생산·공급하는 대안적 메커니즘 역할을 한다.

약국에 대해서는 주로 주(州) 정부가, 외주시설에 대해서는 FDA가 시설 점검, 리콜, 경고서한 발송 등 감독 업무를 수행한다. 이중 FDA 등록 외주시설은 2024. 2월 기준 총 75개이다.²⁴⁶⁾ 아울러 약국과 외주시설에서 사용할 수 있는 원료의약품 요건에 차이가 있다. 약국의 경우 △사용 원료가 만약 미국약전(USP) 또는 국가처방집(NF)에 수재되어 있다면 이 기준에 부합해야 하고 USP의 약국 맞춤형 조제 규정에도 합치해야 한다. △만약 USP, NF에 없는 성분이라면 FDA 허가를 받은 의약품의 성분이어야 한다. 또한 △USP, NF 그리고 FDA 허가 의약품의 성분도 아니라면 FDA가 맞춤형 제조를 위해 별도로 정한 원료의약품 목록에 수재된 성분이어야 한다.

외주시설의 경우에는 △제조, 공급 당시 FDA의 부족 의약품 목록에 있는 의약품 성분이거나 △FDA가 맞춤형 제조를 위해 정한 원료의약품 목록에 수재된 성분이어야 한다.²⁴⁷⁾

243) 21 U.S.C. § 353a

244) 외주시설 제도는 「Drug Quality and Security Act」 (DQSA) (P.L. 113-54, 2013. 11. 27.)에 따라 신설되었다.

245) 21 U.S.C. § 353b

246) FDA, 앞의 2024년 1월 26일 자료

247) Ibid.

2.3.6 캐나다 처방약 수입 프로그램 Section 804 Importation Programs

□ 제도 개요

FDA의 시판 허가를 받지 않은 채 미국 이외의 국가에서 생산된 의약품은 미국으로 수입하는 행위는 엄격하게 금지된다. 다만, FDA의 승인을 받으면 FDA 미허가 의약품이더라도 특정 국가의 처방약을 수입할 수 있는 예외적인 메커니즘이 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 규정되어 있다. 이를 도입한 이유는 미국의 처방약이 다른 나라 대비 고가(高價)인 문제를 해소하기 위함인데, 가격이 상대적으로 저렴한 국가로부터의 의약품 수입을 허용함으로써 자국민 건강을 확보하려는 것이다. 2003년 「메디케어 처방약, 개선 및 현대화법」(Medicare Prescription Drug, Improvement, and Modernization Act of 2003)을 통해 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 신설되었다.²⁴⁸⁾

□ 수입 가능 제품

△처방약 중에서 △통제물질, 생물약품, 복막 투석액과 같은 수액제, 정맥 주사제, 척수강 또는 안구 내 주입 약물, 수술 시 흡입제 및 보건부 장관이 공중보건에 위협이 된다고 결정한 의약품이 아닌 의약품이면서 △미국 FDA의 NDA, ANDA에 따라 미국 내 시판 허가를 받은 제품이고 △캐나다 보건부(Health Canada) 의료제품 및 식품국(Health Product and Food Branch) 허가 제품이어야 한다.²⁴⁹⁾ 즉 미국에서 시판 중인 처방약의 캐나다 생산 버전을 의미한다.²⁵⁰⁾ 캐나다 이외 국가의 처방약은 이 프로그램에 따라 수입할 수 없다.

□ 스폰서 등 요건

스폰서 처방약 수입 제안서(SIP proposal)를 작성하여 FDA에 제출하는

248) 21 U.S.C. § 384 Importation of prescription drugs

249) FDA "Importation of Prescription Drugs Final Rule Questions and Answers Guidance for Industry", last modified May, 2020, <https://www.fda.gov/media/158659/download>, accessed Mar 4, 2024.

250) 캐나다의 PMPRB(Patented Medicine Price Review Board)는 1987년부터 캐나다 내 특허 의약품 가격이 과도하지 않도록 규제하고 있다. PMPRB는 의약품 가격을 검토한 후 과도하다고 판단하면 특허권자에게 의약품으로 얻은 초과 수익에 대한 금전적 요구를 포함하여 의약품 가격을 낮추도록 명령할 수 있다. 이에 따라 캐나다 의약품은 가격은 미국의 28% 또는 46% 수준인 것으로 조사되었다.(<https://www.kff.org/medicare/issue-brief/10-faqs-on-prescription-drug-importation>)

자로 주(州) 정부 또는 인디언 부족 정부이다.²⁵¹⁾

수입자 제안서가 FDA 승인을 받은 이후 실제 처방약을 수입하는 자로 약사 또는 도매상(wholesale distributor)이다. 수입자는 해당 의약품의 미국 내 소유권을 갖고 있어야 하며 아래의 해외 판매자로부터 의약품을 직접 구매해야 한다.²⁵²⁾

해외 판매자 캐나다 보건부의 도매상 허가를 받고 FDA에 해외 판매자(foreign seller)로 등록된 자로, 캐나다의 의약품 제조업체로부터 처방약을 직접 구매하여 수입자에게 직접 판매하는 자이다. FDA로부터 처방약 수입 제안 승인을 받기 위해서는 수입자, 해외 판매자, 제조업자 모두 각 1개소씩만 지정되어야 한다.

□ 수입 절차²⁵³⁾

스폰서가 먼저 처방약 수입 제안서를 FDA에 제출해야 한다. 제안서가 △공중보건과 안전에 별도의 위협을 주지 않으면서도 △의약품 구매 비용을 의미 있게 감소시킬 수 있다는 것을 입증하는 경우 제안서가 승인될 수 있다. 제안서가 승인(유효기간은 2년이다)되면 수입자는 처방약이 미국 도착하기 30일 전까지 다시 사전 수입 요청서(pre-import request)를 FDA에 제출해야 하고 이 요청서가 승인되면 처방약 통관이 가능하다.

처방약 수입 제안서에는 스폰서명, 책임자, 수입하려는 처방약 이름과 캐나다 보건부의 의약품 식별 번호, 해외 판매자명 및 수입자명, 리콜·반품·규정 준수 계획 그리고 법정 테스트·라벨링 준수 방법 및 미국 소비자의 처방약 비용 절감 계획 등이 포함되어야 한다.

□ 준수 사항²⁵⁴⁾

제조업체 또는 수입자는 수입 처방약을 대상으로 진위(authenticity),

251) FDA, 앞의 2020년 5월 자료

252) Ibid.

253) Ibid.

254) Ibid.

분해(degradation) 여부 및 기준·규격 적합 여부 등을 확인하기 위해 테스트를 해야 하고 그 결과는 FDA의 검토와 승인을 받아야 한다. 수입자의 경우 ISO 17025 인정 실험실에서 검정해야 한다.

수입 처방약은 미국 규정에 따라 다시 라벨링되어야 한다. 이때 제품에는 Section 804 수입 프로그램에 따라 캐나다로부터 이 제품을 수입했다는 내용이 함께 표시되어야 한다.²⁵⁵⁾ 아울러 수입자는 부작용 정보 등을 FDA와 제조업체에 통보해야 하며, 스폰서는 품질 이슈 등이 발생한 경우 수입품을 리콜해야 한다.

□ 운영 사례

법률 신설 이래 실제 적용된 사례는 2024. 1. 5.부로 플로리다 주(州) 정부가 FDA로부터 받은 승인 1건이다.²⁵⁶⁾ 어떠한 처방약을 언제 얼마나 수입하려는 것인지 등 세부 정보는 FDA와 주(州) 정부 모두 아직 공개하지 않고 있다.

비록 FDA 승인을 받았지만, 플로리다 주(州)가 실제 의약품 수입할 수 있을지 회의적 의견도 있다. 먼저, 미국 제약협회(PhRMA)가 미국 제약기업의 연구·개발 의욕 저하를 이유로 이 정책 자체에 반대, 소송을 제기했으며²⁵⁷⁾, 캐나다 정부 역시 타국의 대량 수입 등으로 인해 자국 의약품 수급 체계가 영향을 받을 가능성이 있을 때는 의약품 반출을 엄격하게 금지하기 때문이다.²⁵⁸⁾²⁵⁹⁾

255) “[This drug was/These drugs were] imported from Canada without the authorization of [Name of Applicant] under the [Name of SIP Sponsor] Section 804 Importation Program.”

256) FDA, “FDA Authorizes Florida’s Drug Importation Program”, last modified January 5, 2024, <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-authorizes-floridas-drug-importation-program>, accessed Mar 4, 2024.

257) Foley, “FDA: Major Policy Shift Authorizes Florida’s Plan to Import Drugs from Canada” last modified Jan 11, 2024, <https://www.foley.com/insights/publications/2024/01/fda-policy-florida-plan-import-drugs-canada/>, accessed Mar 4, 2024.

258) Cooley, “FDA Greenlights Florida’s Proposal for Importing Prescription Drugs From Canada”, last modified Jan 11, 2024, <https://www.cooley.com/news/insight/2024/2024-01-11-fda-greenlights-floridas-proposal-for-importing-prescription-drugs-from-canada>, accessed Mar 4, 2024.

259) Health Canada, “Interim Order Respecting Drug Shortages (Safeguarding the Drug Supply)”, last modified Nov 28, 2020, <https://www.canada.ca/en/health-canada/services/drugs-health-products/compliance-enforcement/importation-exportation/interim-order-drug-shortages-protecting-supply.html>, accessed Mar 5, 2024.

3. 미국의 의료제품 부족 대응

3.1 의료제품 부족 대응 프로그램

3.1.1 생산 중단 사전 통지

□ 제도 개요

제조업자가 의약품 생산을 중단하려면 사전에 이를 FDA에 통지하는 제도로 의약품 부족 이슈에 선제적으로 대응하려는 것을 목적으로 한다. 우리나라의 생산·수입·공급 중단 보고제도와 유사하다.

의약품 생산 중단 사전 통지 제도가 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 규정된 계기는 1997. 11월 입법된 「FDA 현대화법」이다. 미국 내 의약품 부족 문제를 해결하기 위해 이 법은 통지 대상 의약품과 통지 시기 및 생산 중단 정보의 이해 관계자 배포에 관한 내용을 담고 있다. 그러나 이 법은 통지 의무를 갖는 제조업자를 그 의약품의 '유일한' 제조업자로 제한하고 있을 뿐만 아니라 미통지 시 제재 수단도 없었기 때문에 실효성 확보를 위해 보완이 필요했다.²⁶⁰⁾

이를 보완한 것이 2012. 7월 제정된 「FDA 안전 및 혁신법」이다. 앞에서 설명한 '유일한'의 조건이 삭제되는 등 통지 대상 의약품이 확대되었고, 제조업자가 미통지 한 경우 FDA의 경고 서한 발송 및 제조업자의 미통지 사유 FDA로 회신 의무 그리고 의약품 부족을 해결하기 위한 신속 허가 심사 규정 등이 포함되었다.²⁶¹⁾

또한 2020. 3월 제정된 「코로나바이러스 지원, 구호 및 경제안보법」(Coronavirus Aid, Relief, and Economic Security Act, CARES Act, P.L. 116-136)에 따라 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」이 다시 개정되었는데, 제조업자가 통지할 대상에 원료의약품(API), 공중보건 비상사태 대응에 중요한 의약품 등이 추가되었고, 제조업자의 위험 관리 계획(Risk Management Plans) 개발 및 실행 의무가 신설되었다.

260) C Lee Ventola, "The drug shortage crisis in the United States: causes, impact, and management strategies." *P & T: a peer-reviewed journal for formulary management*, Vol. 36(11) (2011): 740-757.

261) 특히 이 법에는 통지 외에도 FDA가 의약품 부족에 관한 보고서를 매년 3월 31일까지 상원 보건·교육·노동·연금 위원회와 하원 에너지·상업 위원회에 보고토록 하는 규정이 담겨 있다.

- 생산 중단 통지 제도 관련 주요 법률 제·개정 연혁 -



□ 통지 주체 및 대상

통지 주체는 의약품 제조업자로²⁶²⁾, FDA 가이드스에서는 이를 좀 더 구체화해 아래와 같이 NDA, ANDA 신청자 등으로 제시하고 있다.²⁶³⁾

- 특정 완제 의약품의 허가를 받은 NDA 신청자 또는 ANDA 신청자
- 혈액, 혈액 성분을 제외한, 완제 생물약품의 허가를 받은 BLAs 신청자
- 미국 내 혈액 공급량의 상당 비율을 생산하는 자로 혈액 또는 수혈용 혈액 성분의 허가를 받은 BLAs 신청자
- NDA 또는 ANDA 없이 완제품을 생산하는 자

통지 대상 의약품은 다음의 의약품 중 처방약과 생물약품(혈액과 수혈용 혈액 성분 포함)이다.²⁶⁴⁾

- 생명 유지용(life-supporting) 또는 생명 연장용(life-sustaining) 의약품²⁶⁵⁾
- 심각한 질병·상태의 예방·치료 목적²⁶⁶⁾ 의약품(응급의료 또는 수술 시에 사용하는 의약품 또는 보건부 장관이 선언한 공중보건 비상사태 동안 공중보건에 중요한 의약품을 포함)
- FDA가 지정한 의약품
- 방사성 의약품은 제외

□ 통지 사항

법령에 따른 △필수 사항과 △FDA 권장 사항으로 구분된다.

262) 21 U.S.C. § 356c(a)

263) FDA, "Notifying FDA of a Discontinuance or Interruption in Manufacturing of Finished Products or Active Pharmaceutical Ingredients Under Section 506C of the FD&C Act Guidance for Industry: DRAFT GUIDANCE", last modified Feb, 2024, <https://www.fda.gov/media/166837/download>, accessed Feb 5, 2024.

264) Ibid.

265) 생명 유지용 또는 생명 연장용 의약품이란 생명의 연속성에 중요한 신체 기능을 유지하거나 회복에 필수적이거나 필수적인 정보를 제공하는 제품을 말한다.

266) 일상 기능에 상당한 영향을 미치는 사망률 또는 이환율과 관련된 질병을 예방, 치료하는 것을 의미한다.

□ 법정 필수사항²⁶⁷⁾

- 제품명과 국가의약품코드(National Drug Code)
- 허가된 의약품의 경우 신청자명, 미허가 의약품의 경우 제조업자명
- 영구적 또는 일시적 생산 중단인지
- 중단 이유
- API가 영구적·일시적 생산 중단의 이유이거나 위험 요인이면 API 출처와 제조업자가 파악하고 있는 대체 API 출처
- 완제의약품에 함께 포함되어 조제 또는 투여에 사용되는 장치가 영구적·일시적 생산 중단의 원인 또는 위험 요소인지에 관한 정보
- 일시적 중단의 예상 기간

□ FDA 권장사항²⁶⁸⁾

- 통지가 불가피한 또는 예방할 수 있는 공급 중단인지
- 왜 통지하게 되었는지에 대한 근본적인 원인 또는 주된 이유(단순히 '생산 지연'이라는 설명이나 광범위한 이유 제시로는 부족하고 FDA가 가장 적절하고 효과적인 완화 조치를 파악하고 사용할 수 있도록 상세하고 철저한 설명 필요)
- 생산 중단 또는 공급 중단의 예상 시작일, 공급 중단이 이미 발생했다면 예상 기간
- 영구적 중단 통지인 경우 현존 제품(재고 및 유통 채널에 있는 제품)의 예상 소진 시간
- 제품 추정 시장점유율 및 이 문제로 전체 시장점유율이 영향을 받는지 여부
- 가능한 경우, 제품의 과거 월간 판매·사용 또는 수요 추정량
- 제품이 복수의 라인 또는 공장에서 생산되는지
- 공장 또는 창고에 보관 중인 제품량
- 일시적 중단 통지인 경우, 마지막 남은 완제품 배치가 출고된 날 또는 출고 예상일 및 현재 수요에 근거해 볼 때 추가 출고가 없을 경우 그 제품이 시장에서 얼마나 오래 지속될 것인지
- 제품의 긴급 또는 비축 공급 여부 및 비축 공급 또는 예비 공급 할당이 가능한지
- 공급의 위험을 식별·평가하는 중복 위험 관리 계획이 마련되어 있는지
- 이해 관계자 및 환자에게 실제적·잠재적 부족 정보를 공개했는지 또는 제공 예정인지 (예: 의료진에게 보내는 서한, 제조업자 웹사이트에 공급 또는 의약품 부족 정보 게시)
- 공급 중단, 의약품 부족 예방·완화에 도움이 될 FDA의 조치 관련 제안

□ 통지 절차

영구적·일시적 생산 중단일로부터 최소 6개월 전에 통지해야 한다.²⁶⁹⁾

267) 21 U.S.C. § 356c(a); §§ 310.306(b), 314.81(b)(3)(iii)(c) 및 600.82(c)

268) FDA, 앞의 2024년 2월 자료

만약 6개월 전 통지가 불가능한 경우에는 가능한 신속하게 해야 하는데²⁷⁰⁾ 연방규정에서는 이를 '5일 이내'로 정하고 있다.²⁷¹⁾ 또한 FDA는 상황이 해결될 때까지 특별한 상황 변화가 없더라도 최초 통지 후 약 2주마다 정보를 업데이트해서 계속 통지할 것을 권장하고 있다.²⁷²⁾

□ 미통지 시 조치

FDA는 통지하지 않은 기업에 법률 미준수 서한을 발송한다. 이 서한을 받은 사람은 서한 발송일로부터 30일 이내에 법률 미준수의 근거와 당초 FDA에 통지했어야 하는 정보를 담은 서면 답변서를 제출해야 한다.²⁷³⁾ FDA는 서한이 발송된 날로부터 45일 이내에 서한과 제조업자로부터 받은 회신을 FDA 웹사이트에 공개해야 하는데 이때 영업 비밀이나 기밀 정보는 적절한 편집을 거친다.²⁷⁴⁾ FDA는 2014년 처음 2건 이후 2022년까지 총 10건을 발송했다.²⁷⁵⁾

□ 부족 의약품 목록 및 정보 배포

FDA는 부족하다고 기관이 판단하는 의약품의 최신 목록을²⁷⁶⁾ 정기적으로 업데이트한다.²⁷⁷⁾ 이 목록에는 의약품명, 제조업자명 등 아래 박스에 열거된 정보를 포함한다.²⁷⁸⁾ 그런데 의약품 생산 중단 통지를 받았다고 해서 바로 이 목록에 등재하지 않는다. 부족이 아직 발생하지 않았거나 FDA 등의 개입으로 부족이 예방된 의약품이라면 목록에 등재하지 않는다.²⁷⁹⁾

269) 21 U.S.C. § 356c(b)(1)

270) 21 U.S.C. § 356c(b)(2)

271) 21 CFR § 314.81(b)(3)(iii)(b)(2)

272) FDA, 앞의 2024년 2월 자료

273) 21 U.S.C. § 356c(f)

274) 21 U.S.C. § 356c(f)(3)

275) FDA, "Report to Congress Drug Shortages CY 2022", last modified June 17, 2023, <https://www.fda.gov/media/169302/download>, accessed Feb 1, 2024.

276) 21 U.S.C. § 356e(a)

277) FDA, 앞의 2023년 6월 7일 자료

278) 21 U.S.C. § 356e

279) Ibid.

- 부족 의약품명 및 국가의약품코드 번호
- 의약품 제조업자명
- FDA가 다음 범주 중에서 선택·결정한 의약품 부족 이유: ■GMP 준수 관련 요건 ■규제로 인한 지체 ■활성 성분 부족 ■비활성 성분 부족 ■의약품 제조업자의 영구적 생산 중단 ■의약품 배송 지연 ■의약품 수요 증가
- FDA가 결정한 의약품 부족 추정 기간

FDA는 위의 정보를 포함한 영구적·일시적 생산 중단 정보를 의사, 의료 제공자, 환자단체 등 적절한 조직에 배포한다.²⁸⁰⁾ 그런데 모든 정보가 공개되는 것은 아니다. 영업 비밀이나 기밀 정보 그리고 공개 시 오히려 사재기 등 공중 보건에 부정적 영향을 미칠 수 있다고 판단하는 정보는 공개하지 않는다.²⁸¹⁾

□ FDA 예방·완화 조치

의약품 부족이 확인되거나 발생할 가능성이 있는 경우 FDA는 예방·완화 조치에 착수한다. FDA가 밝히 조치 예시는 다음과 같다.²⁸²⁾

- 의약품 부족 규모를 확인하고 다른 제조업체가 부족분을 채울 의향이 있거나 채울 수 있는지 결정
- 의약품을 다시 생산하려는 제조업자가 제출한 신청서의 FDA 실사·심사 가속화
- 부족 상태에 있는 의약품의 신규 생산 또는 증산에 관심이 있는 경쟁 회사가 제출한 신청서의 FDA 실사·심사 가속화
- CBER, CDER가 규제하는 특정 생물약품의 출하 승인 가속화
- 유효기간 연장 요청건 검토
- 의학적으로 필수적인 의약품의 신규 공급자를 대상으로 일시적 규제 유연성 temporary regulatory flexibility 시행
- 관련 제조업체와 부족의 근본 원인을 충분하게 조사하기 위한 협력
- ASPR²⁸³⁾과 협력하여 방위생산법 Defense Production Act에 따라 코로나19 백신 및 치료제 개발 노력과 공급망 활동
- 품질 보증 요건 quality assurance requirements 미 충족 시에도 개별 배치의 의약품을 출시할 수 있는 리스크 완화 조치 개발
- 이해당사자 및 기타 관계자들과의 의사소통 채널 구축

280) 21 U.S.C. § 356c(c)

281) 21 U.S.C. § 356e(c)(3)

282) FDA, 앞의 2023년 6월 7일 자료

특히 FDA는 의약품 부족을 예방, 완화하기 위해 법적 권한 내에서 적절한 수단을 사용하는 것이 중요하다고 강조하고 있다. 특정 부족 상황에서 규제 유연성과 재량을 일시적으로 행사하는 것이 의약품 부족을 완화하고 위중한 환자들이 치료 수단에 접근하는 데 중요한 수단임이 입증되었다고 밝히고 있는 것이다.²⁸⁴⁾

2022년 FDA는 76개 의약품에 영향을 미치는 87건에 대해 규제 유연성과 재량을 행사하였는데 구체적 사례는 다음과 같다.²⁸⁵⁾

- 의학적으로 필요한 제품에서 품질 문제가 발생한 경우, FDA는 일시적으로 규제 유연성과 재량을 행사
 - 입자를 제거하기 위해 제품과 함께 필터 제공
 - 제품 출시 전 품질 또는 제품 확인을 위해 추가 테스트 완료
 - 품질 이슈 모니터링을 위해 제3자 감독^{third-party oversight} 도입
 - 의료 전문가와 환자에게 특별 지침 제공
- FDA는 일시적 규제 유연성과 재량을 행사하여 변경 신청 서류를 검토하는 동안에도 지속적인 의약품 유통을 허용
- 모든 대안이 없는 경우에는 FDA 등록 외국의 공급원을 포함하여 의료적 필수 의약품 신규 공급원 허가

□ 기타

의약품 부족을 완화·예방하기 위해 FDA는 NDA, ANDA 등의 심사와 시설에 대한 실사를 우선 신속 실시할 의무가 있다.²⁸⁶⁾ 아울러 제조업자는 생산 시설에 대해 의약품 공급에 대한 위험을 식별하고 평가하는 위험 관리 계획을 개발, 유지 및 실행해야 한다.²⁸⁷⁾

283) HHS의 Assistant Secretary for Preparedness and Response

284) FDA, 앞의 2023년 6월 7일 자료

285) FDA, 앞의 2023년 6월 7일 자료

286) 21 U.S.C. § 356c(g)

287) 21 U.S.C. § 356c(j), <https://www.fda.gov/media/158487/download>

3.1.2 의약품 생산량 보고

□ 제도 개요

미국 내 유통을 목적으로 의약품을 제조하는 자는 제품 생산시설 모두를 FDA에 등록해야 한다. 또한 이 등록자는 해당 시설에서 생산된 모든 의약품의 목록도 FDA에 등재해야 한다. 의약품 생산량 통지 제도는 이렇게 등재된 의약품의 생산량을 매년 FDA에 보고케 하는 제도이다. 우리나라의 생산·수입·수출실적 보고제도와 유사하다.

이 제도는 FDA가 의약품 생산과 관련된 다양한 정보를 확보함으로써 의약품 공급망에 대한 폭넓은 시야를 확보하고 의약품 부족을 완화·예방할 수 있는 조치를 하게 할 목적으로 2020. 3월 「코로나바이러스 지원, 구호 및 경제안보법」에 따라 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 신설되었다.

□ 보고 방법

의약품 목록 등재자²⁸⁸⁾는 상업적 유통²⁸⁹⁾을 위해 1년간 생산²⁹⁰⁾한 수량을 다음 해까지 보고한다. 2023년 생산분은 2024. 7. 31.까지 제출하고 2024년 이후부터는 다음 연도 3. 31.까지 통지한다. 연단위 정기 보고 외에도 보건부 장관이 공중 보건 위기를 선언하면 FDA는 수시 보고를 요구할 수 있다.²⁹¹⁾ 보고 대상 의약품은 완제의약품, 원료의약품(API), 기타 의약품²⁹²⁾이다. 화학 의약품뿐만 아니라 별도로 면제되지 않는 한 생물학의약품도 보고 대상이다.²⁹³⁾ 정보는 제품별, 월별로 정리하여 국가의약품코드 구분에 따라 NextGen Portal을 통해 제출한다.

□ 정보 관리

제조 시설별 생산량 정보는 일반적으로 기업의 비밀 상업정보로 간주되어 해당 정보의 원소유자가 공개하지 않는 한 FDA가 공개하지 않고 있다.

288) 위탁제조업자(contract manufacturers), 재포장자(repackers) 및 재포장자(relabelers)도 포함된다. (FDA, "Reporting Amount of Listed Drugs and Biological Products Under Section 510(j)(3) of the FD&C Act Guidance for Industry", last modified Feb, 2024, <https://www.fda.gov/media/175933/download>, accessed Feb 27, 2024.)

289) 임상시험용 의약품 또는 동물용 의약품의 유통은 제외한다.

290) that was manufactured, prepared, propagated, compounded, or processed (21 U.S.C. § 360(j)(3)(A))

291) 21 U.S.C. § 360(j)(3)(A)

292) API가 단독 또는 하나 이상의 다른 성분과 섞여 있으나 아직 완제품이 아닌 의약품을 말한다.

293) 생물학의약품 중 (1) 혈액과 수혈용 혈액성분 (2) 환자 한 명을 위한 한 로트의 유전자치료제는 생산량 보고 대상에서 제외된다.

3.1.3 필수약품 등 목록 Essential Medicines List

□ 제도 개요

2020. 8월 트럼프 대통령은 코로나19와 같은 새로운 감염병과 화학적·생물학적·방사능·핵(CBRN) 위협 발생 시 자국민 보호에 필요한 ■ 필수약품(Essential Medicines) ■ 의료대응제품(Medical Countermeasures) ■ 중요 물품(Critical Inputs)(이하 필수약품 등)의 국내 생산·공급 기반을 확보하고 외국에 대한 의존도를 줄이기 위해 행정명령²⁹⁴⁾을 발하였는데 여기에는 FDA의 필수약품 등 목록 작성이 포함되었다. 이에 2020. 10월 FDA는 환자가 항상 적절한 양과 적절한 복용량으로 사용할 수 있게 의학적으로 필요한 의약품·의료기기 등 323개를 선정·발표하였다.²⁹⁵⁾ 우리나라의 국가필수약품 지정 제도와 유사하다.

- FDA 필수약품 등 목록 예시 -

DRUG NAME*	DOSEAGE FORMS	CRITICAL INPUTS	IN MCM USE ONLY
Drug Category: Gastrointestinal Agents			
Famotidine	oral / IV	API only	
Lactulose	liquid	API only	
Loperamide	oral	API only	
Pantoprazole	IV	API only	
Drug Category: Anticonvulsants			
Phenytoin	IV	API only	
Levetiracetam	oral / IV	API only	

□ 수재 기준²⁹⁶⁾

‘필수약품’은 응급실에서 일어나는 즉각적으로 생명을 위협하는 상황을 해소하고, 환자를 안정시켜 외래로 퇴원시킬 수 있는 의약품으로 FDA 허가를 받은 제품이 포함되었으나 장기적 만성 관리·예방 의약품은 제외되었다. 대부분의 필수약품이 제네릭이다.²⁹⁷⁾ ‘의료대응제품’은 적격

294) White House, “Executive Order 13944—Combating Public Health Emergencies and Strengthening National Security by Ensuring Essential Medicines, Medical Countermeasures, and Critical Inputs Are Made in the United State”, last modified Aug 6, 2020, <https://trumpwhitehouse.archives.gov/presidential-actions/executive-order-ensuring-essential-medicines-medical-countermeasures-critical-inputs-made-united-states/>, accessed March 5, 2024.

295) FDA, “FDA Publishes List of Essential Medicines, Medical Countermeasures, Critical Inputs Required by Executive Order”, last modified Oct 30, 2020, <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-publishes-list-essential-medicines-medical-countermeasures-critical-inputs-required-executive>, accessed March 5, 2024.

296) FDA, “Criteria For Identifying Human Drug and Biologic Essential Medicines, Medical Countermeasures, and Critical Inputs for the List Described in Section 3(c) of the Executive Order (EO) 13944”, last modified Oct 30, 2020, <https://www.fda.gov/media/143407/download?attachment>, accessed March 5, 2024.

297) HHS, “Essential Medicines Supply Chain and Manufacturing Resilience Assessment”, last modified May 2

대응책(Qualified Countermeasures), 적격 전염병 또는 유행성 제품(Qualified Pandemic or Epidemic Products), 보안 대응책(Security Countermeasures)에 해당하는 FDA 허가 의약품이 포함되었다. '중요 물품'은 필수약품과 의료대응제품 제조에 필요한 활성 성분, 출발 물질, 기타 성분으로, 의약품의 효능과 안전성에 직접 영향을 미치는 고유 특성을 갖는 물품이 수재 되었다.

□ 수재 효과

필수약품 등 목록 작성만으로 저절로 생산·공급이 증가하지 않는다. 따라서 행정명령은 FDA가 목록 수재 물품의 획득 전략, 국내 생산 가속화, 공급망 취약성 해결을 위해 연방의 다른 기관과 협력하도록 하고 있으며 연방정부가 필수약품 등 조달 시 미국 생산된 제품을 조달토록 하는 한편, 미국 기업과 장기 구매 계약을 체결할 것 등을 지시하였다.²⁹⁸⁾

【참고】 필수약품 등 목록²⁹⁹⁾

Gastrointestinal Agents	Famotidine, Lactulose, Loperamide, Pantoprazole
Anticonvulsants	Phenytoin, Levetiracetam
Antiemetics	Ondansetron
Anticoagulants / Antiplatelet	Alteplase, Apixaban, Aspirin, Ticagrelor, Enoxaparin, Heparin, Protamine, Vitamin K, Andexanet alfa injection, Argatroban
Antimetabolite	Hydroxyurea
Chemotherapeutic	Cyclophosphamide
Antihistamines	Diphenhydramine
Antihypertensives / Cardiovascular	Adenosine, Atropine, Amiodarone, Amlodipine, Diltiazem, Esmolol, Furosemide, Hydrochlorothiazide, Hydralazine, Labetalol, Mannitol, Metoprolol, Nitroglycerin, Nitroprusside, Dobutamine, Phenoxymethamine
Anti-malarial	Artesunate
Anti-Microbial	Amikacin, Amphotericin B, Ampicillin, Azithromycin, Cefepime, Ceftazidime, Ceftazidime-Avibactam, Ceftriaxone, Clindamycin, Daptomycin, Doxycycline, Fluconazole, Micafungin, Linezolid, Levofloxacin, Meropenem, Metronidazole, Piperacillin / Tazobactam, Penicillin G, Rifampin, Trimethoprim/Sulfamethoxazole, Vancomycin, Voriconazole, Tobramycin Ophthalmic solution 0.3%
Psychiatric Agents	Haloperidol, Benzotropine, Olanzapine
Antipyretics	Acetaminophen, Ibuprofen
Analgesics	Codeine, Fentanyl Hydromorphone, Morphine, Lidocaine/Epinephrine
Antiseptics / Disinfectants	Chlorhexidine, Povidone-Iodine 10% Solution, Topical/surface alcohol-based sanitizers
Antivirals	Acyclovir, Valganciclovir, Foscarnet, Oseltamivir, Peramivir, Darunavir/cobicistat
Ophthalmic /Glaucoma	Timolol Maleate Ophthalmic Solution 0.5%
Pulmonary	Albuterol, Ipratropium Bromide, N-acetylcysteine, Surfactant
Chemotherapy / Immunosuppressants / Immunomodulators	Tacrolimus, Mycophenolate Mofetil
human granulocyte colony-stimulating factor	Filgrastim

022, <https://aspr.hhs.gov/newsroom/Pages/Essential-Medicines-May22.aspx>, accessed March 5, 2024.

298) White House, 앞의 2020년 8월 6일 행정명령

299) FDA의 필수약품 등 목록을 재정리한 것으로 대부분의 의약품은 원료의약품(API)이다. 아울러 이 목록에는 진단키트, 개인보호장비 등과 같은 의료기기도 포함되어 있는데 참고 5에서는 이를 제외하고 정리하였다.

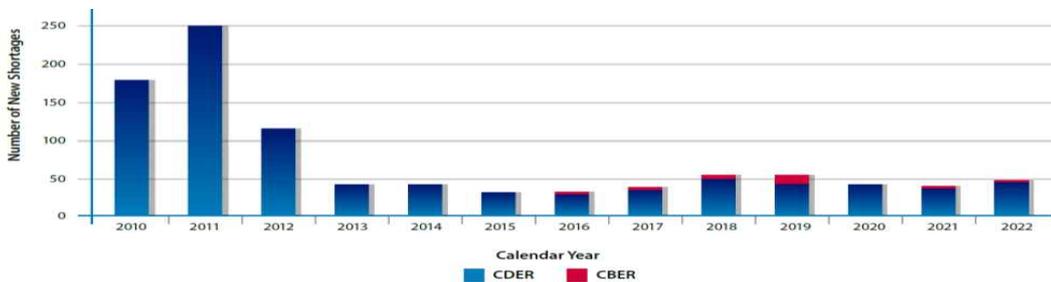
Anticholinergic Secretions	Glycopyrrolate
Dialysis Agents	Continuous Renal Replacement Solution
Glycemic Control	Glargine, Insulin regular, Dextrose 50% Injection
Paralytics	Cisatracurium, Rocuronium, Vecuronium, Succinylcholine
Reversal Agents	Glucagon, Flumazenil, Methylene Blue, Naloxone, Sugammadex, Fomepizole
Sedatives / Hypnotics	Dexmedetomidine, Etomidate, Ketamine, Lorazepam, Midazolam, Propofol
Anesthetic	Isoflurane
Malignant Hyperthermia	Dantrolene
Steroids	Dexamethasone, Hydrocortisone, Methylprednisolone
Endocrine	Levothyroxine, Propylthiouracil, Zoledronic acid, Desmopressin acetate
Vaccines	Rabies Vaccine, Tetanus Vaccine
Vasopressors	Epinephrine, Norepinephrine, Phenylephrine, Vasopressin,
Volume Expanders	Dextrose 5% Water, Dextrose 10% Water, Lactated Ringers (LR), Sodium Chloride 0.45%, Sodium Chloride 0.9%, Sodium Chloride 3%,
Additives	Calcium Gluconate, Magnesium Sulfate, Potassium Chloride, Sodium bicarbonate 5% injection, Thiamine, Cyanocobalamin 1000 mcg ml, Sodium Phosphate
Nutrition	Intralipid 20%, Trophamine (AA for infants), Zinc, Cupric Chloride
Other	Octreotide, Hemin for injection, Anticoagulants in Blood Bags and storage solutions
Blood and Blood Products	Source plasma, Transfusable Blood Components: WB, RBC, Platelets, Plasma, Cryo, S/D Plasma (Octaplas)
Fractionated Plasma Products	Albumin, C-1 esterase inhibitor, Factor VII, VIII, X, XIII products, Activated Factor VII, von Willebrand Factor, Protein C, Antithrombin, Anti-inhibitor coagulant complex, Fibrin sealant products, Prothrombin complex concentrate, Fibrinogen products, Thrombin products
Immune Globulins	Immune Globulin
Hyperimmune Globulins	Botulism immune globulin, Rabies immune globulin, Tetanus immune globulin
Animal-Derived IG Products	Anti-thymocyte globulin products, Black widow spider anti-venin (Latrodectus mactans), Botulism Antitoxin Heptavalent (A, B, C, D, E, F, G) Equine, Centruroides Immune Fab (scorpion), Crotalidae Immune Fab (North American rattlesnakes), Crotalidae Polyvalent Immune Fab (rattlesnake, water moc, cottonmouth), Coral Snake Antivenom (antivenin) (Micrurus fulvius), Digi Immune Fab (digoxin)
Unapproved Drugs Initiative	Potassium Iodide - OTC for Radiation Emergency but also could be used thyroid storm, Activated charcoal - not approved, Selenium
Chemical Threat MCMs	Atropine AI, Diazepam, Dual chamber atropine/pralidoxime AI - See Antidote Treatment Nerve Agent, Autoinjector (ATNAA - DoD) and DuoDote (civilian), Hydroxocobalamin, Naloxone HCl AI, Pralidoxime chloride & AI, Pyridostigmine bromide, Sodium nitrite, Sodium thiosulfate
Radiologic-Nuclear Threat MCMs	Calcium diethylenetriamine pentaacetate (DTPA), Ferric Hexacyanoferrate (Prussian blue; Radiogardase), Pegfilgrastim (Neulasta), Sargramostim (Leukine), Zinc diethylenetriamine pentaacetate (DTPA), Hematopoietic Progenitor Cells- Cord Blood (HPC-C)
Biological Threat MCMs	Amoxicillin, Ciprofloxacin HCl, Imipenem, Levofloxacin, Moxifloxacin HCl, Obiltoximab, Omadacycline, Raxibacumab, Tecovirimat, Adenovirus Type 4 and Type 7 Vaccine, Live, Oral, Anthrax Immune Globulin Intravenous, Anthrax Vaccine, Adsorbed, Botulism Antitoxin Heptavalent (A, B, C, D, E, F, G) Equine, Botulism Immune Globulin, Cholera Vaccine, Live Oral, Dengue Tetravalent Vaccine, Live, Ebola Zaire Vaccine, Live, Japanese Encephalitis Vaccine, Smallpox and Monkeypox Vaccine, Live, Non-Replicating, Plague Vaccine, Smallpox (Vaccinia) Vaccine, Live, Typhoid Vi Polysaccharide Vaccine, Typhoid Vaccine Live, Oral Ty21a, Vaccinia Immune Globulin Intravenous (Human), Yellow Fever Vaccine, Inmazeb
Pandemic Influenza MCMs	Baloxavir marboxil, Zanamivir, Influenza A (H5N1) Monovalent Vaccine Adjuvanted, Influenza A (H5N1) Virus Monovalent Vaccine Adjuvanted, Influenza Virus Vaccine, H5N1
Burn and Blast Injuries	Bacitracin, Bacitracin / Polymyxin B, Oxycodone HCl, Silvadene (silver sulfadiazine), Transfusable blood and blood components, Anticoagulants in Blood Bags and storage solutions
COVID-19 (Material Threat Determination in place)	Tigecycline

3.2 의약품 부족 현황

3.2.1 FDA

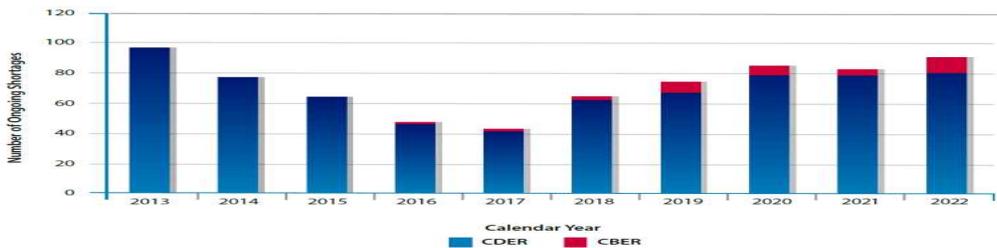
FDA CDER가 파악한 신규 의약품 부족 건수는 2005년 약 61건에서 2011년 251건으로 4배 이상 증가했다.³⁰⁰⁾ 그러나 앞서 설명한 바와 같이 2012년 의약품 생산 중단 시 조기 통보 범위 확대 입법(FDA 안전 및 혁신법) 이후에는 전체적으로 신규 발생 건수가 감소했다.³⁰¹⁾ 다만 최근에는 다시 증가 추세에 있다. 2020년 43건, 2021년 41건, 2022년 49건 등 의약품 부족이 새롭게 발생했다. 특히 FDA는 특히 항암제, 정맥 영양제, 항생제 부족이 건강 측면에서 심각한 문제라고 평가하였다.³⁰²⁾

- 연도별 의약품 부족 발생 건수³⁰³⁾ -



FDA가 주목하는 것은 지속적 부족 상황에 있는 의약품 수이다. 2021년 83개, 2022년에는 총 86개로 그 수가 증가하고 있다.³⁰⁴⁾

- 연도별 지속적 부족 의약품 현황³⁰⁵⁾ -



COVID-19, RSV(respiratory syncytial virus), 계절성 인플루엔자 등 감염성 질환 치료에 사용되는 일부 제품의 수요가 급격히 변화하면서 의약품 공급망에 추가적 부담을 주고 있으며 FDA와 제조업체가 의약품 부족을 방지하는 것을 더욱 어렵게 만들었다고 분석했다.³⁰⁶⁾

300) FDA, 앞의 2023년 6월 7일 자료

301) Ibid.

302) Ibid.

303) Ibid.

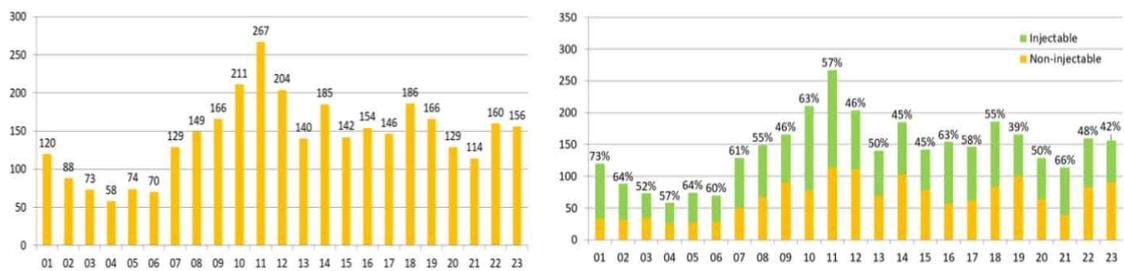
304) Ibid.

305) Ibid.

3.2.2 미국보건약사회 American Society of Health-System Pharmacist

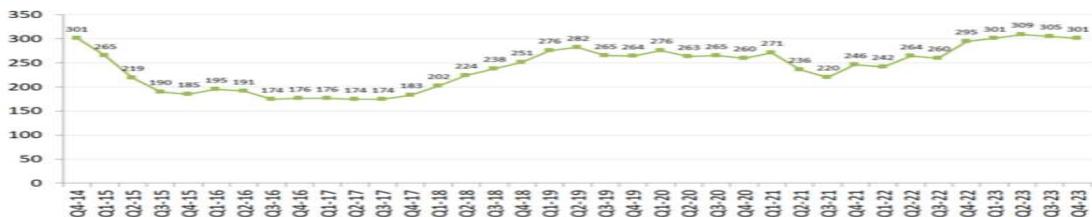
미국보건약사회는 유타대학과 협력하여 민간의 병원, 약국, 환자, 제약업체 등이 자발적으로 보고한 의약품 부족 현황을 자체 홈페이지³⁰⁷⁾를 통해 공개하고 있다. 공개된 자료에 따르면 2023년에 신규로 발생한 의약품 부족 건수는 156건으로 FDA의 49건과는 약 3배의 차이를 보인다. 2011년 이후 감소 중이나 매년 114~204건 지속 발생하였다. 이 중 절반가량은 주사제이다.³⁰⁸⁾

- 연도별 의약품 부족 발생 건수³⁰⁹⁾ -



ASHP가 약사 등 1,123명을 대상으로 조사한 결과 99% 이상이 1건 이상의 의약품 부족을 경험했다고 답했다. 응답자의 32%가 현재 의약품 부족으로 인해 치료·수술이 지연 또는 취소되는 심각한 상황이라고 답했다.³¹⁰⁾ 중요 통계 중 하나가 미해결 부족 의약품 숫자이다. 2022년말 295개³¹¹⁾, 2023년말 총 301개 제품이 만성적 부족 상태에 있으며 최근 숫자가 증가 추세에 있다.

- 분기별 만성적 의약품 부족 현황³¹²⁾ -



306) Ibid.

307) <https://www.ashp.org/drug-shortages/current-shortages/drug-shortages-list?page=CurrentShortages>

308) ASHP, "Drug Shortages Statistics", accessed Mar 1, 2024, <https://www.ashp.org/drug-shortages/shortage-resources/drug-shortages-statistics>,

309) Ibid.

310) ASHP, "SEVERITY AND IMPACT OF CURRENT DRUG SHORTAGES", last modified June, 2023, <https://www.ashp.org/-/media/assets/drug-shortages/docs/ASHP-2023-Drug-Shortages-Survey-Report.pdf>, accessed Mar 1, 2024.

311) FDA의 경우 2022년말 지속적 부족 의약품 수가 86개로 ASHP와 3배 차이를 보인다.

312) ASHP, 앞의 자료

3.3 의약품 부족 원인 및 대안

3.3.1 FDA 주관 연방정부 의약품 부족 태스크포스 보고서 (2019. 9월)

□ 개 요

2018. 6월 미국 상원 31명, 하원 104명의 의원 요청에 따라 FDA는 의약품 부족의 근본 원인을 분석하고 해결방안을 모색하기 위해 보건부, 국방부 등 다양한 기관이 참여하는 의약품 부족 태스크포스를 설치하였다. 다양한 이해관계자 의견 등을 청취한 후 2019. 10월 「의약품 부족: 근본 원인과 잠재적인 해결책」을 발표하였다.³¹³⁾

□ 부족 원인

① 수익성 낮은 의약품 생산 동기 부족

FDA는 의약품 부족의 근본 원인을 경제적 이유로 분석하였다. 먼저, 의약품 시장은 공급이 탄력적이지 않다. 상품 공급이 중단되면 가격이 상승하고 기존 또는 새로운 업체가 수요를 충족시킬 수 있을 만큼의 제품을 공급하는 것이 일반적이지만 의약품 시장은 이러한 패턴을 보이지 않는다.³¹⁴⁾

제약사는 수익성이 낮아지면 기존 시장에 신규 진입하거나 잔류하려는 동기와 품질과 생산량 확대에 투자하려는 의지가 감소한다. 특히, 출시된 지 오래된 제네릭 제조업체는 치열한 가격경쟁, 불확실한 수익 흐름, 높은 투자 요구 등으로 인해 수익이 악화하고 있다. 또한 현재의 의약품 공급계약 관행이 의약품 가격이 바닥 수준까지 하락하도록 유도한다고 분석했다.³¹⁵⁾

② 성숙한 품질관리 제조업체 인정 보상 체계 부재

313) FDA, "Drug Shortages: Root Causes and Potential Solutions", last modified Oct, 2019, <https://www.fda.gov/media/131130/download?attachment>, accessed Feb 15, 2024.

314) Ibid.

315) Ibid.

미국으로 의약품을 공급하기 위해서는 제조업체는 cGMP를 준수해야 한다. 그러나 이는 최소한의 법적 기준으로 cGMP를 토대로 의약품 안정 공급을 보장하기 위한 성숙한 품질관리(mature quality management) 체계를 도입·적용할 필요가 있다고 강조했다.³¹⁶⁾

그런데 시장은 제조업체가 품질관리 시스템을 강화하고 안정적인 공급을 위해 노력하더라도 이러한 노력을 인정하거나 보상하지 않고 있다. 따라서 제조업체들은 비용 절감을 위해 품질관리 투자를 줄이는 경향이 있고 이러 인해 품질 문제가 초래되고 공급 차질과 부족이 발생한다고 분석했다.³¹⁷⁾

③ 물류 및 규제로 인한 시장 회복의 어려움

지난 20년 동안 제약기업이 해외 생산량을 늘리고 위탁 제조를 확대함에 따라 의약품 공급망이 더 길어지고 복잡·분산화되었다고 평가하면서, 통상의 시장은 물품이 부족한 경우 제조·공급량 증가로 대응하지만, 의약품의 경우 물류 및 규제 문제, 복잡한 공급망으로 인해 생산 증가 능력이 제한된다고 보았다.³¹⁸⁾

즉, 회사가 기존 시설의 개선 또는 신규 시설의 건설을 통해 생산량을 늘리기 위해서는 여러 국가의 규제기관으로부터 허가를 받거나 새로운 원료의약품 공급원을 찾아야 하는 등 의약품 시장은 복잡한 규제 환경과 물류 문제 문제로 새로운 공급원이나 제조업체가 진입하기 쉽지 않다고 평가했다.³¹⁹⁾

□ 권고 대안

① 의약품 부족의 영향과 이를 유발할 가능성이 있는 계약 관행 이해

미국 의료에 심각한 영향을 미치는 의약품 부족에 관한 인식이 의료공급자들 사이에 널리 있음에도 불구하고, 의약품 부족의 특성과

316) Ibid.

317) Ibid.

318) Ibid.

319) Ibid.

영향 측정, 그 원인이 될 수 있는 민간의 계약 관행(contracting practices)을 면밀하게 관찰할 수 있는 정보 수집·분석 노력은 거의 이루어지지 않고 있다고 보았다. 가장 주목할 영역으로 아래의 의약품 부족 피해 정량화, 피해 특성 분류 등을 선정했다.³²⁰⁾

□ **의약품 부족 피해 정량화(특히 환자의 건강 악화, 의료 서비스 제공자의 비용 증가)**

- 종전의 연구는 의약품 부족이 미치는 총 국가적 영향이 매우 클 수 있음을 시사한다. 수억 달러에 달하는 종전 추정치는 피해를 과소평가했을 가능성이 있다. FDA가 웹사이트에 100개 이상의 의약품 부족 현황을 공개하고 있지만 이외에도 의약품 부족이 환자, 보건의료 전달 체계와 보건의료 시스템 비용에 미치는 전체 영향 평가를 위한 추가적 연구가 필요하다.

□ **의약품 부족의 특성 분류 개선**

- 현재 민간, 공공 영역 모두 의약품 부족의 빈도, 지속성, 강도를 정량적으로 특성화하지 않고 있으며 의약품 부족이 치료 영역에 미치는 영향을 정량화하지도 않고 있다. 이러한 정보를 대중에게 공개하면 모든 이해 관계자가 의약품 부족이 국가 보건의료에 미치는 영향을 더 잘 이해하고 의약품 부족 예방 및 완화를 위한 공공 및 민간의 전략들을 지원하는 데 도움이 될 것이다.

□ **민간 부문의 계약 관행 투명성 강화**

- 제네릭 제조업체들은 현재의 계약 관행이 사업의 불확실성과 및 하향 가격 경쟁(race to the bottom)의 원인이라고 지적하고 있다. FDA는 이해 관계자들로부터 일부 계약에는 다른 경쟁 제조업체가 더 낮은 가격에 동일한 제품이나 제품 패키지를 공급할 의사가 있을 때 그룹 구매 조직(Group Purchasing Organizations, GPO)이 일방적으로 계약을 파기할 수 있도록 허용하는 "저가격 조항(low-price clauses)"이 포함되어 있다는 사실을 확인했다. 계약 관행에 관한 체계적인 연구가 필요하며, 이 연구는 안전하고 효과적이며 저렴한 의약품에 대한 안정적인 접근성을 촉진하도록 설계된 계약 모델 개발을 지원할 수 있다.

② 의약품 제조업체의 품질관리 시스템 성숙도 투자 유도를 위한 평가 시스템 구축

보고서는 시장이 성숙한 품질관리 시스템을 인정하고 보상하지 않는 것이 두 번째 의약품 부족 원인이라고 분석했다. 따라서 이 권고는 특정한 객관적 지표를 기반으로 개별 제조시설의 품질관리 시스템 성숙도를 측정하고 평가하는 시스템을 개발하여 부족 문제를 해결하는 것을 목표로 한다. 이 평가는 제조시설 품질 시스템의 견고함을 평가하고 높은 수준의 품질관리 시스템 성숙도를 달성한 시설에 보상을 제공해야 한다고 강조했다.

320) Ibid.

평가 시스템은 구매자, GPO, 소비자에게 의약품 생산시설의 품질관리 시스템 성숙도와 노력에 관한 정보를 제공하는 데 사용될 수 있다. 제약회사는 재량에 따라 의약품 생산시설 등급을 공개할 수 있으며 GPO와 구매자는 제조업체와의 계약에서 등급 공개를 요구할 수도 있다. 이러한 노력은 시장에 투명성을 도입하고 품질관리 성숙도에 집중하는 제약기업이 지속 가능한 가격을 확보하고 시장점유율을 확대할 수 있다고 평가했다.³²¹⁾

③ 지속 가능한 민간 부문 계약 촉진

계약 관행에 관한 보다 완전한 정보와 특정 제조 현장의 품질관리 성숙도에 대한 투명성이 결합한다면 지불자(payers), 구매자 및 GPO는 중요 의약품의 안정적인 공급을 보장할 수 있는 아래와 같은 새로운 계약 접근 방식을 고려할 수 있다.³²²⁾

□ 금전적 인센티브 제공

- 계약은 제조업체가 처방약, 특히 의료 현장에서 중요한 오래된 제네릭을 출시하거나 계속 판매하는 데 투자하는 경우 지속 가능한 리스크 조정 수익(sustainable risk-adjusted returns)을 확보하는 것을 보장해야 한다.

□ 성숙한 품질관리에 대한 제조업체 보상

- 계약은 제조업체의 품질관리 성숙도를 인정하고 보상해야 한다. 이는 최고 수준의 시설에서 제조된 의약품에 더 높은 가격을 지불하거나 계약 조건으로 특정 품질 성숙도 등급을 요구하거나 특정 품질 성숙도 등급을 달성한 제조업체로부터 일정량의 제품을 구매하는 것과 같은 여러 다양한 기전을 통해 이루어질 수 있다.

321) Ibid.

322) Ibid.

【참고】 2022년 FDA 의약품 부족 대응 사례³²³⁾

① Quality Management Maturity (QMM) 유도

FDA는 의약품 제조업체의 QMM 투자 유도 프로그램을 마련하였다. QMM 시행으로 의약품 제조업체는 공급 감소 또는 수요 증가로 인한 공급망 붕괴 가능성 감소, 비용 절감, 고객 만족 향상, 운영 효율화 등 이점을 얻을 수 있다고 밝혔다. 2022년도 QMM 관련 세부 성과는 다음과 같다.

- 1) **두 개의 파일럿 프로그램 완료:** 우수 기준(best practices) 평가 및 QMM 레벨 구별 프레임워크 개발 등
- 2) **QMM 백서 발표:** 환자, 의료 제공자, 지불자, 구매자, 약국, 의약품 제조업체 등 다양한 이해관계자에게 프로그램의 이점을 강조하고 프로그램 개발에 영향을 미치는 주요 고려사항 제시
- 3) **QMM 공개 워크숍 개최:** (전 세계 참가자 2,000명 이상) 파일럿 프로그램 학습 및 FDA가 피드백을 얻을 기회 제공. 워크숍 투표에 응답한 400명 중 99%는 의약품이나 API 구매자들이 "제조시설의 QMM을 고려해야 한다"고 답변
- 4) **학술 논문 발표:** 대학과의 협력을 통한 품질 벤치마킹 연구 및 QMM 파일럿(국내 완제의약품 및 해외 API 파일럿)으로 얻은 교훈
- 5) **FDA 자문위원회 회의:** FDA 자문위원회에서 CDER의 QMM 프로그램 구축을 만장일치로 찬성. 관련 작업이 활발히 진행 중

② 원숭이 두창 mpox 백신 신속 심사

2022. 5월 말 미국에서 mpox가 보고되자 FDA는 보건부와 협력하여 당초 가을로 계획된 JYNNEOS 백신 제조 변경 신청서를 5월에 제출하도록 하고 즉시 심사에 착수했다. 7월 초 덴마크 생산시설 실사도 신속하게 마무리한 후 mpox가 확인된 지 2개월 만인 2022. 7. 26.에 JYNNEOS 백신을 허가하였다.

③ 코로나19 관련 부족 리스크 대응

코로나19로 환자, 특히 중증 환자용 의약품 수요가 갑작스럽게 증가하여 의약품 부족 위험이 커졌다. 2022년에 부족이 발생한 의약품 유형 평가를 바탕으로 FDA는 코로나19 및 감염성 질환에 사용되는 의약품, 특히 어린이에게 사용되는 의약품의 수요 증가를 발견하였다.

이러한 리스크에 대응하기 위하여 2022년 FDA는 제조업자들에게 자신들의 전체 공급망(주요 출발물질, API, 포장 재료, 완제의약품 포함)을 평가하고, 새롭게 부상하고 있는 이슈에 대해 FDA와 소통할 것을 요청하였다.

또한 FDA는 의약품 공급망을 더 잘 이해할 수 있도록 제조업체가 자발적으로 재고 수준, 생산 계획, 유통량 등의 추가 정보를 제공토록 요청하였다.

323) Ibid.

④ 의약품 부족 대응 지침 발간

FDA는 부족 상황에 있다고 판단한 의약품 및 생물약품 관련 지침을 발간하고 최신 현황을 게시함으로써 의약품 부족에 따른 영향을 완화하였다.

□ 「부족 상황에 있는 베타락탐 제제의 연방 식품, 의약품 및 화장품법 503A에 따른 조제 지침」

- 2022. 11월 발표되었다. 이 업계용 지침은 아목시실린 경구 현탁액 부족 상황을 완화하기 위한 것으로, 베타락탐 경구 항생제 현탁액 조제 시 ■벌크 원료 대신 FDA 승인 베타락탐 정제·캡슐 사용 ■베타락탐 전용 시설에서 조제 ■알레르기 반응 모니터링 등의 내용이 포함되어 있다. 제조업자가 전체 수요에 대응할 수 있을 때까지 아목시실린과 같은 부족 항생제 공급을 늘리려는 것에 목적이 있다.

□ 「일회용 제조 재료 변경에 관한 질문 답변」

- 2022. 7월 배포되었다. 이 업계용 지침은 살균 필터, 단회 시스템^{single use systems}과 같은 일회용 제조 재료의 변경을 신청서에 반영하는 방법을 다룬다. 공중보건 비상사태 또는 자연재해 등 수요가 급증하는 동안 이러한 재료의 가용성^{availability}이 제한되면 무균 의약품 및 생물약품의 가용성에도 영향을 미칠 수 있다. 이 지침은 일회용 제조 재료 변경 사항을 보고하기 위한 적절한 보고 범주를 결정하는 데 도움이 되는 권고를 신청자에게 제공한다.

□ 「잠재적 의약품 부족을 완화하기 위한 위해성 관리계획 지침」

- 2022. 5월 발간되었다. 아직 초안인 이 지침은 인체용 의약품, 생물약품 부족을 전향적으로 예방할 수 있는 위해성 관리 계획^{risk management plans}을 제조업자가 개발, 유지, 시행하는 데 도움을 주기 위해 작성되었다.

□ 부족 의약품 목록 공개

- 가장 최신의 정보를 환자와 보호자에게 제공하기 위해 FDA는 코로나19 관련 의약품을 포함하여 부족 상황에 있다고 FDA가 결정한 의약품, 생물약품 최신 목록을 대중에게 공개하고 있다.

⑤ 의약품 신속 심사

FDA CDER는 ■약 80건의 오리지널 ANDA 및 70건 이상의 ANDA 변경신청에 대해 신속 심사 ■코로나19 치료용 생물약품의 제조 용량 확대를 위한 제조 변경신청 신속 평가 ■극히 필수적인 의약품의 공급 증대를 위한 85건의 규제 유연성 및 재량권 발휘 등을 통해 의약품 부족 이슈에 대응했다.

3.3.2 2023년 상원 국토안보 및 행정위원회 보고서 (2023. 3월)

□ 개요

상원 국토안보 및 행정위원회³²⁴⁾ 의장 Peters 의원의 지시에 따라 미국의 의약품 부족 상황을 평가하고 필요한 개혁을 파악하기 위해 2023. 3월 「공급 부족: 의약품 부족으로 인한 건강 및 국가 안보 위협」³²⁵⁾을 발간하였다. 이 보고서는 의약품 부족이 환자, 병원 및 의료제공자에게 지속적으로 미치는 영향과 연방 및 민간 부문의 노력을 평가하고, 미국이 해외 및 지리적으로 집중된 주요 의약품 공급원에 과도하게 의존함으로써 발생하는 지속적인 위협 등을 조사하였다.

□ 부족 원인

① 해외와 지리적 편향된 공급원에 핵심의약품 및 주요 출발물질을 과도하게 의존, 축소된 국내 제조역량이 건강과 국가 안보에 위협 초래

FDA 등록 중국 기반 API 제조업체 수가 2010년 188개에서 2015년 445개로 두 배 이상 증가하였다. USP는 2021년 기준 인도가 FDA 승인 API 시설 대부분을 차지하고 있다고 보고하였다. 또한 미국에서 중증 급성 치료를 위한 일반 멸균 주사제의 90~95%가 중국과 인도의 주요 출발 물질과 주성분에 의존하는 것으로 분석되었다.³²⁶⁾

② FDA에는 의약품 부족 완화에 도움이 될 수 있는 중요 정보가 여전히 부족

코로나19가 시작되면서 외국 정부가 다수 중요 의료제품을 수출 금지함으로써 공급 차질과 부족 현상이 초래되고 수요 증가로 의약품 부족도 발생한 것으로 평가되었다. 현행법에 따르면 제조업체는 생명 유지 및 생명 연장 의약품의 수요 증가나 수출 제한 현황을 FDA에 보고할 의무가 없는 것으로 파악되었다. 또한 GPO 및 유통업체도 병원 회전을(hospital fill rates, 예: 주문한 내용과 받은 내용)과 같은 잠재적으로 도움이

324) Homeland Security and Governmental Affairs Committee

325) Homeland Security Digital Library, "Short Supply: The Health and National Security Risks of Drugs Short ages", last modified Mar 2023, <https://www.hsdl.org/c/abstract/?docid=876660>, accessed Feb 15, 2024.

326) Ibid.

되는 데이터를 FDA에 보고할 의무가 없는 것으로 확인되었다.³²⁷⁾³²⁸⁾

③ FDA는 제조업체의 특정 데이터(예: 주요 출발 물질 등)를 보유하고 있지만 해당 데이터는 사용 가능한 형식으로 제공되거나 저장되지 않음

FDA는 API 제조에 사용되는 주요 출발 물질과 같은 의약품 제조에 필요한 원자재에 대한 정보를 보유하고 있으나 이러한 정보는 비구조적이고 DMF 신청서와 같은 PDF 파일에 묻혀 있어서 이를 활용해 분석이나 예측 모델링을 수행할 수 없는 것으로 조사되었다.³²⁹⁾

④ 업계와 연방 정부의 의약품 공급망 종단간 가시성(end-to-end visibility) 부족 및 불충분한 공급망 매핑

의약품 공급망 각 단계를 추적할 만큼 충분한 데이터가 없고, 가시성 부족 특히 생산 과정에 필요한 핵심 원료 및 참여 제조업체에 대한 투명성 부족이, 기관 간 제한적인 데이터 공유 및 통합과 함께 연방 정부와 업계 모두 포괄적인 위험평가를 수행하고 예측 모델링을 활용하여 잠재적인 부족 발생을 예방하거나 그 영향을 완화하는 능력을 저해하는 것으로 평가되었다.³³⁰⁾

⑤ 모든 의약품을 대상으로 리콜을 요구할 수 있는 FDA의 권한 부재

FDA는 식품, 생물 의약품, 의료기기, 통제 물질(controlled substances)에 대한 리콜 권한이 있지만, 의약품 전체에 대한 리콜 권한은 없어 회사에 자발적 리콜만 권고할 수 있는 것으로 파악되었다. 2020년 FDA가 회사들에 독성 물질을 함유한 손소독제 리콜을 요청했을 때, 일부 회사들은 이를 따르지 않았고, 일부는 즉각적인 조치를 취하지 않은 것으로 조사되었다.³³¹⁾

327) Ibid.

328) 제조업체는 FDA에 영구 또는 일시적 제조 중단을 통보해야 하고, 회사는 매년 제조하는 의약품의 양을 보고해야 한다. 그러나 상당한 부족(shortfall)이나 공급 지연을 초래할 수 있는 수요 증가가 있어도 이를 FDA에 통보할 의무는 없다.

329) Homeland Security and Governmental Affairs Committee, 앞의 2023년 3월 자료

330) Ibid.

331) Ibid.

□ 권고 대안

① 부족 위험이 높은 중요 제네릭의 국내 제조역량 강화 투자

정부는 민-관 파트너십을 통해 산업계, 학계 파트너와 협력하고, 중요 제네릭의 전략적 국내 생산과 선진 제조 기술 도입을 장려하는 유인책을 제공해야 한다고 제안했다.³³²⁾

이러한 파트너십은 부족 위험이 큰 중요 의약품 제조에 최첨단 기술 도입을 권장하고, 연구개발에서 상용화까지 이어지는 인력 양성 프로그램 기회를 확대하기 위해 학계와 산업계 간 지속적인 협력을 촉진해야 한다고 강조했다. 또한 정부는 중요 제네릭 공급업체와 장기 계약 체결도 검토해야 한다고 권고했다.³³³⁾

② 정기적인 기관 간 의료 공급망 위험 평가 수행

연방정부가 의료 공급망의 취약성을 식별하고 완화할 수 있도록 적절하게 준비하려면 보건부, 국방부 및 국토안보부가 공동으로 정기적인 위험평가를 수행하도록 의회가 요구해야 한다고 강조했다.³³⁴⁾

이러한 평가 시에는 사이버 보안 위협도 고려해야 하고 연방 정부는 업계 파트너와 협력하여 필수 의약품 목록을 정기적으로 업데이트하는 한편, 이를 미국의 중요한 의약품에 대한 투자 지침으로 사용해야 한다고 제안했다.³³⁵⁾

③ 생명 유지 및 연장에 필수적인 의약품 제조업체의 수요 증가 및 수출 제한 사항 FDA 보고 의무화

잠재적인 의약품 부족을 예측하고 예방하기 위해 의회는 제조업체가 수요 증가나 수출 제한을 경험할 때 이를 FDA에 보고하도록 요구해야 한다고 강조했다.³³⁶⁾

332) Ibid.

333) Ibid.

334) Ibid.

335) Ibid.

336) Ibid.

또한 의회는 GPO와 유통업체에게 병원이 제품을 주문한 양 대비 실제로 받은 양이 80% 미만인 경우와 같이 낮은 병원 충족률을 보고하도록 요구해야 한다고 주장했다. 이는 FDA가 하류 공급망(downstream supply chain) 유통업체 및 제공업체에 대한 더 많은 가시성을 얻고 공급과 수요 간 격차를 최소화하는 데 도움이 될 것이라고 제안했다.³³⁷⁾

④ FDA는 공급망 취약성을 모니터링하고 예측 모델링을 수행하기 위해 공급망 데이터를 활용할 수 있도록 조치해야 함

FDA는 주요 출발물질 데이터베이스 개발을 우선적으로 진행하고 기관 간, 산업 파트너와의 조화를 향상시켜 종단간 공급망 가시성을 평가해야 한다고 권고했다. 지속적인 데이터 현대화 노력의 일환으로, FDA는 제조업체의 생산량 데이터를 어떻게 활용하여 공급망 리스크를 선제적으로 식별하고 의약품 부족을 예측할 것인지 문서로 작성해야 한다고 조언했다.³³⁸⁾

⑤ 잠재적 공급망 취약성을 예측, 완화하기 위해 민간 및 공공 노력의 효율적 통합

연방정부는 중요 출발 물질 및 API 공급원부터 유통 정보까지 의약품 공급망 전체를 완벽하게 매핑하는 것을 목표로 하는 단일 이니셔티브를 통해 기관 간 및 업계 파트너 간 데이터를 통합해야 한다고 제안했다. 또한 이 이니셔티브를 통해 디지털 기술을 활용, 정기적 예측을 실시하고 사전에 취약성을 식별해야 한다고 강조했다.³³⁹⁾

⑥ 모든 의약품에 대한 FDA의 회수 권한 확보

의회는 개인의 건강에 심각한 위협을 끼치는 의약품에 대한 강제 회수 권한을 FDA에 부여해야 한다고 강조했다.³⁴⁰⁾

337) Ibid.

338) Ibid.

339) Ibid.

340) Ibid.

4. 미국의 포스트 코로나 대비 입법 동향

4.1 PREVENT 팬데믹법 주요내용 (2022. 12. 29. 제정)

□ 법률 개요

「PREVENT 팬데믹법」(기존 바이러스, 새로운 위협 및 팬데믹 준비 및 대응을 위한 법률)³⁴¹⁾은 2023년 통합예산법(Consolidated Appropriations Act)의 일부로 2022. 12. 29. 제정되었다. 이 법은 코로나19 이후 팬데믹 준비 및 대응 정책을 다루는 최초의 종합적인 입법 개혁으로 일반 공중 보건, 의료제품 공급망, 바이오메디컬 혁신, 연구 안보 등 팬데믹 준비와 대응에 영향을 미치는 다양한 분야를 다루고 있다.³⁴²⁾ 관련 보도자료에 따르면 취약한 공급망, 부족한 정보 시스템 등을 개선하기 위해 법안이 발의되었다고 설명하고 있다.

“코로나19는 미국 공중보건 준비 시스템이 오랫동안 직면했던 몇 가지 중요한 문제를 적나라하게 들춰냈고 예상치 못한 문제점들을 드러냈음. 망가진 공급망과 부족한 비축으로 마스크, 인공호흡기 및 기타 의료제품이 부족하게 되었음. 대응 과정 동안 (코로나) 검사는 심각하게 지연되거나 부족하여 근로자, 학교, 지역사회가 자신과 주변 사람들의 안전을 위해 정보에 입각한 시의적절한 결정을 내릴 수 없었음. 시대에 뒤떨어지고 일관성 없는 공중보건 데이터 시스템은 연방, 주, 지방, 부족 및 지역의 공중보건 부서가 위기 상황의 큰 그림을 파악하고 대응에 필요한 정보 획득을 어렵게 만들었음. 미국 공중보건 및 의료 서비스 종사자에게 과도한 부담이 부과되었음. 기존에 이미 많은 지역사회에 심각한 피해를 주고 있던 정신 건강, 약물 남용, 건강 불평등은 이 위기 동안 더욱 악화되었음.”

이 법은 팬데믹 준비와 대응에 관여하는 CDC, ASPR, NIH, FDA 등과 같은 보건부 산하 주요 기관의 프로그램을 다루고 있으며 연방정부 전체 팬데믹 준비 및 대응 활동을 조정하기 위해 백악관에 ‘팬데믹 준비 및 대응 정책실’을 신설토록 하였다.³⁴³⁾³⁴⁴⁾ 또한 2022년 처음 자금이 지원된 ‘고등연구계획국’(ARPA-H)³⁴⁵⁾의 공식 승인 규정도 포함하고 있다.³⁴⁶⁾

341) The Prepare for and Respond to Existing Viruses, Emerging New Threats, and Pandemics Act (P.L. 117-328, 2022. 12. 29.).

342) CRS, “PREVENT Pandemics Act (P.L. 117-328, Division FF, Title II)”, last modified Aug 15, 2023, <https://crsreports.congress.gov/product/pdf/R/R47649>, accessed Jan 15, 2024.

343) Ibid.

344) 2023. 7. 21.부로 OPRP (Office of Pandemic Preparedness and Response Policy)이 정식 출범하였다.

345) Advanced Research Projects Agency for Health

346) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

□ 법률 구성

「PREVENT 팬데믹법」은 총 5개의 서브타이틀로 구성되어 있다. 서브타이틀 A와 B는 감염병 대비·대응을, C는 감염병 연구·개발을, D와 E는 의료대응제품을 다루고 있다. 이 보고서에서는 의료제품 공급망 강화와 FDA의 역할을 규정하고 있는 서브타이틀 D와 E 중심으로 설명하고자 한다.

- **서브타이틀 A 연방 및 주(州)의 대비 강화** 백악관 OPPR³⁴⁷⁾, CDC, ASPR을 포함하여 감염병 대비 및 대응에 관여하는 연방기관 및 부서의 역할과 책임, 주(州) 정부의 감염병 비상 상황 대비에 대해서 다룬다.
- **서브타이틀 B 공중보건 대비력 및 대응 역량 향상** 공중 보건 데이터 공유 및 현대화, 건강 격차, 공중 보건 직원 프로그램 및 감염병 긴급 대응과 관련된 특정 프로그램 등 다양한 공중 보건 문제를 다룬다.
- **서브타이틀 C 연구 및 대책 발견 가속화** 감염병 병원체 및 기타 생물학적 위협과 관련된 연방 과학 및 R&D 프로그램을 규정한다. 주로 연구 안전 문제, 실험실 생물 안전·안보, 외부 영향, 연구분에서 민감하거나 소유권이 있는 데이터 및 정보 보호에 중점을 둔다.
- **서브타이틀 D 필수 의료제품 공급망 현대화 및 강화** 공중보건 비상 시 의료 공급 가능성^{availability} 및 분배에 중점을 두고 있다. 몇 개의 규정은 ASPR이 생물 테러 공격 및 기타 공중보건 비상사태를 위해 유지하는 연방 의료제품 비축물인 전략적 국가 비축 물품에 대해 다룬다. 또한 주(州) 비축 물품뿐만 아니라 제네릭, 항생제와 같은 중요한 의료제품의 국내 제조를 위한 프로그램 및 인센티브도 포함한다.
- **서브타이틀 E 의료제품 부족 대응과 개발 촉진** FDA의 감염병 대비 및 대응 역할을 규정하고 있는데 첫째는 FDA가 비상 상황을 위해 의료제품을 심사, 규제하는 것이고, 둘째는 FDA가 의료제품 부족을 완화하고 미국 의료공급망의 품질을 보장하는 것이다.

서브타이틀 D 필수 의료제품 공급망 현대화 및 강화³⁴⁸⁾

코로나19 대유행은 전 세계와 미국 의료제품 공급망에 영향을 미쳤다. 미국의 의료제품 공급망에 대한 우려는 코로나19 이전부터 존재했지만, 대유행으로 인해 공급망의 이해, 개발과 보호의 중요성이 강조되었다. 이 서브타이틀의 규정들은 대유행 기간 이해관계자들이 언급한 여러 우려, 즉 의료제품의 외국 의존도 감소, 공급망을 감독하며 미래의 혼란을

347) White House Office of Pandemic Preparedness and Response

348) Subtitle D—Modernizing and Strengthening the Supply Chain for Vital Medical Products

완화하고 전략적 국가 비축을 개선하는 한편 중요 의료제품의 증산에 관한 내용을 다루고 있다.³⁴⁹⁾

◆ 2401조 의료대응제품의 준비된 제조 능력³⁵⁰⁾

도입 배경 ASPR 내 ‘생물의학첨단연구개발국’(BARDA)³⁵¹⁾은 비상 상황 때 사용하는 의료대응제품의 첨단 연구·개발·생산 및 초기 구매를 조정·지원한다. 2006년 「팬데믹 및 모든 위험 대비법」³⁵²⁾에 따라 설립된 BARDA는 미션 달성을 위해 공공 및 민간의 이해관계자들과 협력하고 있다. 준비된 제조능력(warm-base manufacturing)은 제조시설이 공중보건 위기 시 중요한 의료수단을 신속하게 생산할 수 있는 능력을 뜻한다. 이 능력을 향상하려면 종전 또는 새로운 생산시설에서의 첨단 제조 및 플랫폼 기술이 연구, 활용, 통합되는 것이 필요하다.³⁵³⁾

주요 내용 특정 제품의 내수 급증에 대응할 수 있도록 생산 역량과 수용량 향상에 중점을 두고 있는 「공중보건서비스법」 제319L조를 수정하여 BARDA가 다음과 같이 조치하도록 규정하였다.³⁵⁴⁾

- 공중 보건 위기 시 사용되는 의료대응제품의 이용가능성을 높이기 위해 국내 급증 생산역량 및 수용량을 지원, 유지, 개선
- 다양한 의료대응제품과 관련하여 국내 제조 역량 개발에 대한 민간 및 공공 이해관계자 간 의사소통을 촉진
- BARDA가 첨단 제조 기술 사용을 통해 국내 급증 생산역량 및 수용량을 지원하기 위한 계약, 보조금 수여, 기타 협력 약정을 체결하거나 기타 거래 (OT)를 할 수 있도록 허가함. 수혜자는 이러한 생산 역량의 유지 보수에 관한 연례 보고서를 제출하여야 하며 장관이 요구할 때는 신속하게 의료대응제품을 제조할 수 있는 역량을 보유하여야 함
- BARDA가 보조금을 받은 제조시설이 우수제조기준(cGMP)을 따르는지 확인하기 위해 FDA와 협의하도록 함

349) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

350) Section 2401: Warm-base manufacturing capacity for medical countermeasures

351) Biomedical Advanced Research Development Authority

352) Pandemic and All-Hazards Preparedness Act (PAHPA) (P.L. 109-417)

353) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

354) Ibid.

◆ 2402조 전략적 국가 비축물 공급망 고려사항³⁵⁵⁾

도입 배경 전략적 국가 비축은 비상사태 시 기존 공급이 소진되거나 이용할 수 없을 때 주(州), 지방, 부족, 지역의 관할구역에 배치되는 의료대응제품 보유재고이다. 전략적 국가 비축 목록에는 다양한 위험에 대응하기 위한 물품이 광범위하게 포함된다. 보건부 장관은 전략적 국가 비축 물품에 대한 연례 위협 검토^{annual threat-based review}를 실시하여야 하는데 이는 그 물품이 ‘공중보건 비상사태 의료대응제품 협의체’³⁵⁶⁾가 발표한 권고와 일치하는지 평가하기 위한 것이다. 또한 보건부 장관은 전략적 국가 비축 물품의 내용물, 보안, 안전 배포를 보장하는 절차를 준수해야 한다.³⁵⁷⁾

전략적 국가 비축은 공급업체 관리 재고(VMI)³⁵⁸⁾ 등 비축 자산을 관리하기 위한 몇 가지 방법을 사용하고 있다. VMI 프로그램 하에서 일부 전략적 국가 비축물의 저장·관리를 위한 비용을 공급업체에 지불한다. 이를 통해 공급업체는 물품의 유효기간 만료를 방지하기 위해 다른 상업적 마켓으로 비축물을 이동시킴으로써 물품을 순환시킬 수 있다.³⁵⁹⁾

주요 내용 보건부 장관이 전략적 국가 비축에 의료대응제품을 추가, 수정, 보충하는 것이 해당 제품의 이용가능성에 미칠 수 있는 영향을 고려하도록 하는 한편 장관이 이러한 제품의 전체 공급망을 평가토록 규정하였다.³⁶⁰⁾

◆ 2403조 전략적 국가 비축물 장비 유지 관리³⁶¹⁾

주요 내용 「공중보건서비스법」 제319F-2조(a)(3)를 수정하여 보건부 장관이 비축물의 내용물이 작동 가능한 상태이고 배치 준비가 되어 있는지 검토토록 규정하였다.³⁶²⁾

355) Section 2402: Supply chain considerations for the Strategic National Stockpile

356) Public Health Emergency Medical Countermeasures Enterprise (PHEMCE), 보건부 장관이 설치한 부처 간 위원회이다. 42 U.S. Code §300hh-10a

357) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

358) vendor-managed inventory

359) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료, 2402조의 도입 배경은 2403조부터 2411조까지에도 적용된다.

360) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

361) Section 2403: Strategic National Stockpile equipment maintenance

362) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

◆ 2404조 전략적 국가 비축 프로세스의 투명성 및 예측 가능성 개선³⁶³⁾

주요 내용 입법일로부터 60일 이내 보건부 장관이 전략적 국가 비축물 배치 절차 관련 지침을 배포토록 규정하였다. 이 지침에는 비축물 요청 절차, 배포 결정 시 장관의 고려사항, 그리고 비축물 요청과 수령 관련 정보를 얻기 위해 사용될 수 있는 연락처 정보가 포함되도록 하였다.³⁶⁴⁾

◆ 2405조 전략적 국가 비축을 위한 공급망 유연성 개선³⁶⁵⁾

주요 내용 「공중보건서비스법」 제319F-2조를 수정하여 보건부 장관이 비축 물품 관련 공급업체 관리 재고를 위한 계약 또는 협력 약정을 체결할 수 있는 권한을 부여하였다. 개정 규정은 장관에게 비축 물품의 조달·유지·관리·보관 및 배송, 그리고 그 제품의 국내 제조 능력 유지와 관련한 계약 조건을 붙일 권한을 부여하였다. 또한 보건부 장관이 법 시행일로부터 2년 이내에 VMI 계약 및 협력 약정에 관한 보고서를 의회에 제출토록 하였다. 이 보고서에는 각 계약 금액 및 계약자, 해당 계약이 다루는 제품, 해당 물품의 생산 용량과 재고에 대한 정확한 상황인식을 보장하기 장관이 계약자와 어떻게 협력하는지에 대한 정보가 포함되어야 한다.³⁶⁶⁾

◆ 2406조: 특정 물품에 대한 상환³⁶⁷⁾

주요 내용 「공중보건서비스법」 제319F-2조(a)를 개정하여 과잉 또는 유효기간이 만료된 전략적 국가 비축 물품의 판매 절차를 수정하였다. 보건부 장관은 (1) 해당 물품이 비축 유지에 적합한 수량을 초과한 경우 (2) 과잉상태를 유지하는 비용이 필요성에 비해 적절치 않은 경우 (3) 해당 물품을 판매해도 국가 안보가 저해되지 않는 때에만 전략적 국가 비축 물품을 판매할 수 있도록 하였다. 또한 물품 취득·유지 비용을 상환하기 위해 보건부 장관이 시행할 수 있는 상환 및 징수 메커니즘을 지시하였다. 보건부 장관은 법률 시행 후 2년 이내에, 그리고 그 후

363) Section 2404: Improving transparency and predictability of processes of the Strategic National Stockpile

364) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

365) Section 2405: Improving supply chain flexibility for the Strategic National Stockpile

366) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

367) Section 2406: Reimbursement for certain supplies

매년 이 권한의 집행에 관한 보고서를 의회에 제출하여야 한다. 이 권한은 2028. 9. 30.부로 만료되도록 규정하였다.³⁶⁸⁾

◆ 제2407조 비축물 고갈 보고³⁶⁹⁾

주요 내용 「공중보건서비스법」 제319조를 수정하여 보건부 장관이 비상사건 대응을 위하여 전략적 국가 비축 물품을 배치한 후 30일 이내에, 그리고 이후 그 사건이 만료될 때까지 30일마다 의회에 보고서를 제출토록 하였다. 이 보고서에는 비축물의 배치, 배치 후 비축물에 남아 있는 물품, 비축물 보충 계획이 포함되어야 한다.³⁷⁰⁾

◆ 2408조 인디언 프로그램 및 시설에 대한 의료대응제품 제공³⁷¹⁾

주요 내용 「공중보건서비스법」 제319F-2조(a)(3)을 개정하여 보건부 장관이 전략적 국가 비축과 관련하여 주(州) 및 지방 공무원뿐만 아니라 부족의 공무원과 협의하고 지원하도록 명시하였다. 또한 보건부 장관이 전략적 국가 비축 물품을 인디언 부족 및 조직에게 제공할 수 있도록 「공중보건서비스법」 제319F-5를 신설하였다.³⁷²⁾

◆ 2409조 주(州) 전략 비축물에 대한 보조³⁷³⁾

주요 내용 「공중보건서비스법」 제319F-2조를 개정하여 주(州) 의료대응제품 비축 지원 파일럿 프로그램을 신설하였다. 이 보조금은 ASPR 및 CDC 센터장과 협의하여 보건부 장관이 관리한다. 또한 보조금은 공중보건 비상사태, 응급상황 또는 주요 재난 대응에 필요하다고 수혜대상자가 결정한 의약품, 백신, 생물의약품, 의료기기 및 기타 의료 물품의 비축을 구축, 확장, 유지하려는 5개 이상의 주(州) 또는 주 컨소시엄을 지원한다.³⁷⁴⁾

368) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

369) Section 2407: Action reporting on stockpile depletion

370) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

371) Section 2408: Provision of medical countermeasures to Indian programs and facilities

372) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

373) Section 2409: Grants for State strategic stockpiles

374) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

◆ 2410조 제네릭 국내 생산 유인책 연구³⁷⁵⁾

주요 내용 보건부 장관은 법 제정 후 1년 이내에 기획 및 평가 담당 차관보(Assistant Secretary for Planning an Evaluation)를 통해 특정 제네릭 및 해당 API의 국내 생산과 생산량 증대를 위한 인센티브 제공의 실현 가능성, 지속 가능성, 잠재적인 효과 및 유용성에 관한 연구를 수행해야 한다.³⁷⁶⁾

◆ 2411조 특정 중요 항생제의 생산 능력 증대³⁷⁷⁾

주요 내용 보건부 장관이 ASPR 및 FDA와 협의하여 공급망이 취약한 것으로 확인된 특정 중요 항생제(또는 해당 약품의 활성 성분 또는 주요 출발 물질)의 국내 생산능력을 증대시키기 위한 계약을 체결할 수 있게 한다. 보조금은 제조업체가 생산시설 증설, 유지, 지속에 관한 전략 계획 제출 후 받을 수 있다. 수혜 대상자는 보건부 장관이 요구하는 후속 보고서를 제출해야 한다.³⁷⁸⁾

□ 서브타이틀 E 의료제품 부족 대응과 개발 촉진³⁷⁹⁾

◆ 2501조 대응제품의 개발과 심사 가속화³⁸⁰⁾

도입 배경 종전 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」 제565조는 보건부 장관이 ASPR과 협의하여 FDA가 의료대응제품의 개발, 비축, 허가, 면허, 승인에 적절하게 참여하게 할 책임을 개략적으로 규정하고 있었다. 여기에는 ■FDA의 전문 지식과 상황인식 증진 ■FDA에 의료대응제품 전문성 보유 특별팀 구성 ■제조업체 등에게 기술적 지원 제공 등이 포함되어 있다. 「PREVENT 팬데믹법」 이전 FDA는 이러한 대응제품의 개발, 심사를 신속하게 처리할 구체적 권한이 없었으나, 팬데믹 기간 FDA는 기존의 규제 메커니즘 중 일부를 활용해 코로나19 제품을 신속히 심사했다.³⁸¹⁾

375) Section 2410: Study on incentives for domestic production of generic medicines

376) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

377) Section 2411: Increased manufacturing capacity of certain critical antibiotic drugs

378) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

379) Subtitle E—Enhancing Development and Combating Shortages of Medical Products

380) Section 2501: Accelerating countermeasure development and review

주요 내용 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」 제565조를 수정하여 보건부 장관의 재량과 대응제품 스폰서의 요청에 따라 제품의 대응제품 개발과 심사를 신속하게 할 수 있는 일련의 조치를 할 수 있게 되었다. 이 조치에는 스폰서가 제출한 자료의 신속심사, 신속하고 강화된 허가신청자 참여, 업계 관계자에게 신속하게 지침 발행 등이 포함될 수 있다.³⁸²⁾³⁸³⁾

◆ **2502조 비상사태 시 제3자 시험평가**³⁸⁴⁾

도입 배경 코로나19 대유행 기간 FDA는 EUA³⁸⁵⁾를 활용하여 의료제품 접근성을 확대하였다. 이 제도를 통해 수많은 의료제품, 특히 코로나19 검사에 대한 접근성을 높이고 시판 허가 요건을 간략히 하여 신속하게 승인할 수 있었다.³⁸⁶⁾ 대유행 중 분자 진단 검사, 항원 검사, 면역 검사 등 400개 이상의 코로나19 진단기기가 EUA 승인을 받았다. FDA가 다양한 코로나19 관련 제품의 심사를 우선 처리하고 있는 시기에 많은 수의 EUA 신청이 동시 접수되어 큰 어려움을 겪었다.³⁸⁷⁾

주요 내용 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 제565(i)조가 신설되어 보건부 장관은 EUA 신청 대상인 체외진단기기를 평가할 때 동 건이 EUA 승인 조건에 부합하는지를 결정하기 위해 전문가와 협의하거나 협력 약정을 체결할 수 있게 되었다. 전문가들은 평가를 수행하고 승인 범위와 조건과 관련된 권고를 할 수 있다. 이때 전문가들은 진단기기가 EUA 발급을 위한 위 법률 제564조(c)(2) 조건³⁸⁸⁾을 충족하는지를

381) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

382) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

383) 15 U.S.C. §360bbb-4(h)(2)(B)(v)를 더 구체적으로 보면 본문에서 언급되지 않은 조치에 1) 대응제품의 허가, 승인에 필요한 임상, 비임상 데이터 확보를 위한 i) 허가신청자 및 심사팀 간 회의 개최 ii) 허가신청자에게 적시 조언 제공 iii) 대화식 상호 소통 2) 협력적, 다학제적 심사 시 고위 관리자 및 숙련된 심사자 참여 3) 심사팀에 다학제적 프로젝트 리더 지정 4) 과학적으로 적절한 경우 잠재적으로 덜 효과적인 치료에 노출되는 환자수의 최소화 같은, 가능한 효율적인 임상시험 설계 5) 신중 또는 출현 중인 위협을 치료, 예방하기 위해 기 허가, 승인된 대응제품 심사 간소화 등이 있다.

384) Section 2502: Third-party test evaluation during emergencies

385) 21 U.S.C. §360bbb-3

386) The criteria for issuing an EUA are found at FFDC §564(c)(2) and include, for example, that based on the totality of scientific evidence, the product being evaluated may be effective in treating or preventing the disease that is the subject of the emergency, and that the known and potential benefits of the product outweigh the known and potential risks of the product.

387) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

388) FFDC §564(c)(2)조에서는 ■과학적 증거를 바탕으로 제품이 질병 또는 상태를 진단, 치료 또는 예방하는

고려해야 하며, 권고사항은 서면으로 장관에게 제출되어야 한다.³⁸⁹⁾ 「PREVENT 팬데믹법」 제정 1년 이내에 보건부 장관은 제565조(i)에 따른 협의와 관련된 지침 초안을 배포해야 하고 여기에는 지급 보수와 이해충돌 등에 관한 내용을 포함해야 한다. 초안에 대한 공개 의견수렴이 끝난 후 1년 안에 개정 지침 또는 최종 지침을 배포해야 한다.³⁹⁰⁾

◆ 2503조 플랫폼 기술³⁹¹⁾

도입 배경 플랫폼 기술은 의약품, 백신 및 진단기기 등 다양한 의료제품을 개발하기 위해 적용하고 재사용할 수 있는 도구이다. 이러한 기술을 사용하면 후속 제품 개발에 필요한 시간과 비용을 줄일 수 있다. FDA는 의약품 개발에서 플랫폼 기술의 잠재적 이점을 인식하고 다양한 이니셔티브와 정책을 통해 플랫폼 기술 사용을 장려하고 있다.³⁹²⁾

주요 내용 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 제506K조가 추가되어 다음과 같은 특정 조건을 만족하는 경우 특정 기술을 플랫폼 기술로 지정하는 프로그램이 마련되었다.

- 해당 기술이 특정 의약품의 개발에 사용되는 경우
- 해당 기술이 다수 의약품에 적용될 가능성을 시사하는 예비적 증거가 있는 경우
- 해당 기술이 의약품 개발·제조·심사 절차에 있어 상당한 효율성을 가져올 가능성이 있다는 것을 보여주는 데이터가 있는 경우

개인 또는 스폰서는 이 기술을 사용하는 의약품 신청서를 제출할 때 또는 언제든지 플랫폼 기술 지정을 요청할 수 있고 요청받은 보건부 장관은 해당 기술이 지정 기준을 충족하는지 결정해야 한다. 보건부 장관은 이 기술을 사용한 신청과 관련한 개발과 심사를 가속하기 위해 후원자와의 초기 소통, 의약품 스폰서에게 적시 조언, 해당 기술 사용이 포함된 실사 결과 고려 등 일정한 조치를 취할 수 있다.³⁹³⁾ 보건부

데 효과적일 가능성이 합리적으로 있고 ■제품 사용으로 인한 알려진 및 잠재적인 이점이, 알려진 및 잠재적인 위험보다 더 크다는 조건을 요구하고 있다.

389) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

390) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

391) Section 2503: Platform technologies

392) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

장관은 이를 시행하기 위한 지침 초안을 「PREVENT 팬데믹법」 제정 1년 이내에 발표해야 하며, 2026. 9. 30.까지 그리고 향후 3년간 매년 플랫폼 기술 지정 건수, 사용된 자원, 효율성 개선 등 프로그램 지표에 관한 보고서를 발표해야 한다.³⁹⁴⁾

◆ 2504조 EUA 결정의 투명성 증진³⁹⁵⁾

도입 배경 코로나19 대유행 기간 FDA는 EUA를 통해 다양한 의료제품을 공급하였다. GAO는 비록 FDA의 EUA 결정이 승인 서한과 이후 공개적으로 접근 가능한 데이터를 통해 대중에게 전달되었지만, EUA 승인을 뒷받침하는 근거 자료가 항상 투명하지는 않았다고 지적한 바 있다. FDA는 EUA 승인 관련 투명성을 향상하기 위해 노력했지만 연방 법률로 인해 FDA가 공유하려는 정보가 제한되었다고 밝혔다. 「PREVENT 팬데믹법」 이전 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」 제564조(h)³⁹⁶⁾는 특정 물품에 한정하여 EUA 승인·종료·철회 관련 공지를 연방관보에 게시토록 하고 있었다.³⁹⁷⁾

주요 내용 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」 제564(h)조를 개정하여 FDA가 EUA 승인·종료·철회 내용을 게시해야 할 제품 유형을 확대하였다.³⁹⁸⁾ 또한 개정을 뒷받침하는 데이터와 정보의 요약을 포함하여 발급된 모든 EUA의 개정 내용을 연방 관보뿐만 아니라 FDA 웹사이트에도 게시토록 하였다. 아울러 EUA의 개정 내용과 관련 문서 게시가 연방법에 따라 허용된 공개라는 것을 명확히 하였다.³⁹⁹⁾⁴⁰⁰⁾

◆ 2505조 FDA의 지침과 소통 증진⁴⁰¹⁾

393) Ibid.

394) Ibid.

395) Section 2504: Increasing EUA decision transparency

396) 21 U.S.C. §360bbb-3(h)

397) Ibid.

398) 종전의 임상시험용 의약품(505(i)), ANDA(505(j)), 임상시험용 의료기기(520(g))에서 → 동물의약품, class III 의료기기, 허가특허연계 대상 의약품 등 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」의 505(b), 512(b), 512(j), 512(n), 515, 510(k), 513(f)(2), 520(m), 571, 572 및 「PHSA법」의 351(a) or 351(k)이 추가되었다.

399) 18 U.S.C. § 1905

400) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

401) Section 2505: Improving FDA guidance and communication

도입 배경 FDA는 지침 문서, 이해관계자와의 소통 그리고 다양한 출판물을 통해 정기적으로 소통하고 있다. 2021년 정책 브리프에서 Burr 상원의원은 “코로나19 공중보건 비상사태 기간 FDA의 지침과 규제 문서 발간이 의료대응제품의 개발과 가용성을 가속함으로써 팬데믹 대응 흐름을 뒤집는 데 도움이 되었다”라고 언급하였다.⁴⁰²⁾ 또한 정책 브리프는 FDA가 팬데믹 기간 보여준 지침 제공, 상호 소통 등 최적의 사례를 채택하여 향후 규제 수용성을 강화하고 커뮤니케이션 속도와 투명성을 높일 것을 권고하였다.⁴⁰³⁾

주요 내용 보건부 장관은 FDA와 다른 관련 기관에 걸쳐 적용되는 지침의 ■ 우선 순위 결정·개발 ■ 발행 ■ 사용에 관한 모범 사례를 개발·발표해야 한다. 또한 ■ 지침 문서 작성 및 FDA의 인허가 규제 프로세스 간소화 ■ 혁신적 지침 도입 ■ 코로나19 기간 중 발표된 적절한 지침의 개선 또는 전환에 대한 시행계획을 개발·발표해야 한다.⁴⁰⁴⁾ 또한 FDA가 가이드라인 외의 방법으로 외부 이해관계자와의 소통 방식에 관한 보고서를 작성·발표해야 하며, 이 보고서에는 소통의 유형과 방법, 모범 사례에 관한 검토가 포함되어야 한다. 「PREVENT 팬데믹법」 시행 1년 이내에 장관은 보고서와 계획의 초안을 발표해야 하며, 이후 180일 이내에 최종 보고서와 계획을 발표해야 한다.⁴⁰⁵⁾

◆ 2511조 해외 의약품, 의료기기 제조업체 등록 보장⁴⁰⁶⁾

도입 배경 FDA는 소관 의료제품 제조업체의 등록 요건을 가지고 있다. 이 요건으로 인해 FDA는 의료제품 공급망에 대한 통찰력을 일부 갖고 있지만, 다양한 이해관계자들은 데이터 사이에 격차가 있다고 보고하고 있다. 이 갭으로 인해 제조 라이프 사이클 전반에 걸친 제품 개발 모니터링이 어려워졌다.⁴⁰⁷⁾

주요 내용 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」 제510조(i)를 개정하여 특정 외국 의약품 및 의료기기 제조업체의 미국 등록 시 요건을

402) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

403) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

404) Ibid.

405) Ibid.

406) Section 2511: Ensuring registration of foreign drug and device manufacturers

407) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

강화하였다. 예를 들면 미국으로 수입 또는 수입 제안(offer for importation) 전에 별도의 외국 시설에서 추가 가공, 증식, 조제 또는 처리를 거쳤는지 관계없이 여기에 명시된 등록 요건이 적용된다는 것을 명확히 하였다.⁴⁰⁸⁾ 또한 보건부 장관은 개정된 요건 시행을 위해 법률 시행일로부터 2년 이내에 관련 규정을 개정해야 한다.⁴⁰⁹⁾

◆ 2512조 특정 의약품의 유효기한 연장⁴¹⁰⁾

도입 배경 연방규정에 따라 의약품 유효기한 만료일은 적절한 안정성 시험에 따라 결정된다.⁴¹¹⁾ 경우에 따라 허가된 의약품의 제조업체는 FDA에 사용 가능한 데이터에 근거하여 유효기한 연장을 신청할 수 있다.⁴¹²⁾ 또한 FDA는 의약품 부족에 대응하여 특정 제품의 유효기한 연장을 일부 승인해 왔다.⁴¹³⁾

주요 내용 제정 법률에 따라 보건부 장관은 특정 의약품 및 생물학의약품 신청 시 유효기한 관련 지침을 발표하거나 개정해야 한다. 이 지침에는 ■보다 긴 유효기한에 대한 빠른 심사를 위해 안전성 데이터 요구 간소화 ■데이터가 뒷받침하는 가장 긴 유효기한을 의약품에 라벨링 ■제품 안정성 모델링을 위한 혁신적인 접근법이 포함되어야 한다.⁴¹⁴⁾

◆ 2513조 위조 의료기기 대응⁴¹⁵⁾

도입 배경 코로나19 대유행 전후로 코로나19 자가진단 테스트기와 같은 위조 의료기기 수입·판매에 대한 우려가 있지만, 의약품과 달리 팬데믹 이전에는 위조 의료기기를 대응하는 기관이 없었다. 2021. 1월 시행

「치료제 보호법」(Safeguarding Therapeutics Act)은 미국 입국이 거부된 특정

408) 21 U.S.C. § 360(i)

409) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

410) Section 2512: Extending expiration dates for certain drugs

411) 21 CFR § 211.137 및 21 CFR § 211.166

412) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

413) Ibid.

414) Ibid.

415) Section 2513: Combating counterfeit devices

위조 의료기기 파기 권한을 FDA에 부여하였고 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」에 ‘위조 의료기기’ 정의를 추가하였다.⁴¹⁶⁾

주요 내용 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」 제301조를 개정하여 위조 의료기기와 관련된 다음의 세 가지 행위를 금지하였다. 또한 제303조를 수정하여 금지 행위 일부에 대한 벌칙을 신설하였다.⁴¹⁷⁾

- 어떠한 장치나 용기, 포장, 라벨에 표시된 마크, 스탬프, 태그, 라벨 또는 다른 식별물을 변조, 위조, 모방, 허위 표시하거나 적절한 권한 없이 부착·사용하는 행위
- 다른 사람의 상표·상호·기타 식별 표시물을 인쇄·각인·복제하기 위해 만들어진 펀치, 다이, 플레이트, 돌 또는 기타의 물건을 제작·판매·처분·소지·통제·보관하거나 위조 의료기기로 만들기 위해 은닉하는 행위
- 의료기기를 위조 의료기기로 만들거나 위조 의료기기를 판매·유통하거나 이를 위해 보관하는 행위

◆ 2514조 의료기기 부족 예방⁴¹⁸⁾

도입 배경 의약품과 달리 2020. 3월 시행된 「CARES법」⁴¹⁹⁾ 이전에는 의료기기 제조업체가 의료기기 공급에 중대한 차질을 초래할 가능성이 있는 영구적·일시적 생산 중단을 FDA에 통지할 의무가 없어 FDA는 제조업체의 자발적 통지에 의존하였다. FDA는 코로나19 상황에서 제조업체가 이 규정을 시행하는 데 도움이 되도록 지침⁴²⁰⁾을 발표했으며, 이 지침은 공중보건 비상사태(PHE)가 종료되면서 만료되었다.⁴²¹⁾

이 지침에는 법정 통지 사항뿐만 아니라 FDA가 부족을 확인하는 데 도움이 되는 자발적 제공 필요 정보도 추가되었다.⁴²²⁾ 2022. 1월, FDA는 모든 공중보건 비상사태에 적용되는 생산 중단 보고 시 요구사항 지침 초안을 발표했다.⁴²³⁾ 이 지침은 앞으로 계속 유지되지만 주목할 점은

416) Ibid.

417) Ibid.

418) Section 2514: Preventing medical device shortages

419) Coronavirus Aid, Relief, and Economic Security Act (CARES) (P.L. 116-136, 2020. 3. 28.)

420) "Notifying CDRH of a Permanent Discontinuance or Interruption in Manufacturing of a Device Under Section 506J of the FD&C Act During the COVID-19 Public Health Emergency"

421) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

422) "Notifying CDRH of a Permanent Discontinuance or Interruption in Manufacturing of a Device Under Section 506J of the FD&C Act During the COVID-19 Public Health Emergency"

공중보건 비상사태 시에만 유효하다는 것이다.⁴²⁴⁾

주요 내용 「연방 식품, 의약품 및 화장품법」 제506J조를 개정하여 FDA가 특정 의료기기의 영구적, 일시적 생산 중단 사실과 그 사유를 자발적으로 통지를 받을 수 있도록 하였다.⁴²⁵⁾

423) "Notifying FDA of a Permanent Discontinuance or Interruption in Manufacturing of a Device Under Section 506J of the FD&C Act"

424) CRS, 앞의 2023년 8월 15일 자료

425) 21 U.S.C. § 356c

5. 결론

5.1 한-미 제도 비교

이 보고서는 공중보건 위기대응 의료·방역제품의 안전성 확보와 신속 공급과 관련된 미국의 제도를 선정한 후 ①신속허가 프로그램 ②허가제도 외 공급 프로그램 ③의료제품 부족 대응 프로그램으로 분류하여 분석하였다. 이를 우리나라와 비교한 결과 각각의 법적 지위나 세부적인 운영 방법은 조금씩 차이가 있지만 미국의 제도 대부분은 이미 국내에서 시행 중이었음을 알 수 있다.

예를 들면 ①신속허가 프로그램 9개 중 조건부 허가, 우선심사 지정, 패스트트랙 지정, 혁신 치료제 지정, 재생첨단치료제, 롤링리뷰, 동물규칙 등 7개는 우리나라에 동일·유사 제도가 있다. 다만, △항균제·항진균제 특정 인구집단 경로와 △우선심사 바우처 프로그램은 국내 도입 사례를 찾기 어려웠는데 첫 번째의 경우에는 조건부 품목허가 제도, 수시동반심사, 우선심사 등 기존의 국내 제도를 활용하면 충분히 미국과 같은 정책 효과를 낼 수 있다는 판단이 있었기 때문에 별도 제도를 두지 않은 것으로 보인다. 이와 달리 두 번째의 우선심사 바우처 프로그램은 도입 필요성이 있어 보이는 바 뒤에서 다시 논의하겠다.

총 6개의 ②허가제도 외 의료제품 공급 프로그램의 경우에도 EUA, EUA 승인 없는 긴급 사용, 치료 목적 사용, 치료받을 권리, 맞춤형 제조 의약품 등 5개 제도는 국내에서 시행 중이다. 다만, △캐나다 처방약 수입 프로그램은 우리나라에 없는 독특한 제도인데 이는 정부의 의약품 가격 통제 시스템이 없는 미국의 특수성이 반영된 제도로 우리나라로의 도입 검토 필요성은 크지 않은 것으로 보인다.

③의료제품 부족 대응 프로그램 생산 중단 사전 통지, 의약품 생산량 보고, 필수약품 목록 제도 모두 각각 우리나라의 생산·수입·공급·중단 보고, 생산·수입·수출 실적 보고, 국가필수약품 지정제도와 매우 유사하였다.

- 한미 의약품 제도 비교 -

구분	연번	미국 제도	우리나라 제도	
① 신속 허가 프로 그램	1	조건부 허가	조건부 품목허가	<p>■ 개요 △감염병 발생, 생화학·방사능 위협과 같은 긴급한 공중보건 위기상황에 사용되는 의약품 △항암제나 생명을 위협하는 희귀질환에 사용하는 의약품 △3상 임상시험 결과가 없더라도 임상적 효과가 예측되는 의약품 또는 △임상시험 대상자 수가 적더라도 임상적 효과가 예측되는 의료기기는 허가 후 일정 기간 내에 3상 임상시험 결과 제출을 조건으로 허가하는 제도</p> <p>■ 근거 「위기대응의료제품법」 제11조, 「약사법」 제35조, 「의료기기법」 제7조</p>
	2	우선심사 지정	우선심사, 신속처리	<p>■ 개요 의약품의 경우 품목허가 심사에 드는 기간은 약 120일이나 예비 위기대응 의료제품은 40일, 중증질환, 희귀질환 등에 사용되는 의약품은 90일 이내에 신속하게 허가 여부를 결정하는 제도</p> <p>■ 근거 「위기대응의료제품법」 제7조 우선심사, 「약사법」 제35조의4 우선심사, 「첨단재생바이오법」 제37조 신속처리, 「의료기기산업법」 제22조 우선심사</p>
	3	패스트트랙 지정	글로벌 혁신제품 신속심사 지원체계 (GIFT)	<p>■ 개요 생명위협질환이나 중대한 질환 치료제 등의 혁신성이 뛰어난 의약품을 신속하게 시장에 출시하고 환자에게 빨리 공급하기 위한 식품의약품안전처의 글로벌 혁신제품에 대한 신속심사 활성화 지원 프로그램으로 2024. 3월 현재 총 23개 제품이 지정되어 있다.⁴²⁶⁾</p> <p>■ 근거 「의약품의 품목허가·신고·심사 규정」 제58조 등</p>
	4	혁신 치료제 지정		
	5	재생첨단치료제 지정	첨단바이오의약품	<p>■ 개요 통상의 의약품과 달리 세포치료제, 유전자치료제 등을 첨단바이오의약품으로 별도로 분류한 후 식품의약품안전처로부터 이들이 조건부 허가, 맞춤형 심사, 신속처리 등 규제 지원을 받을 수 있게 하는 메커니즘</p> <p>■ 근거 「첨단재생바이오법」</p>
	6	항균제·항진균제 특정 인구집단 경로	-	-

구분	연번	미국 제도	우리나라 제도	
	7	롤링리뷰	수시동반심사, 맞춤형 심사, 단계별 심사	<p>■ 개요 △예비 위기대응 의료제품 △신속처리 지정 첨단바이오횰약품 △혁신의료기기 등에 대해서는 제약사가 허가 신청 전이라도 신청에 필요한 서류의 전부 또는 일부를 수시로 제출하여 식품의약품안전처의 심사를 받을 수 있게 하는 제도</p> <p>■ 근거 「위기대응의료제품법」 제8조 수시동반심사, 「첨단재생바이옰법」 제37조 맞춤형 심사, 「의료기기산업법」 제22조 단계별 심사</p>
	8	동물 규칙	동물 규칙	<p>■ 개요 핵물질·생화학무기 등에 대한 유효성을 연구하기 위한 임상시험을 실시할 수 없음이 명백하다고 인정하는 예비 위기대응 의료제품에 대해 일정한 조건을 충족하는 동물시험 자료가 제출된 경우 해당 의료제품의 안전성과 유효성을 확증할 수 있는 임상시험 자료 등을 별도로 정하는 기간 내에 제출할 것을 조건으로 하여 품목허가하는 제도</p> <p>■ 근거 「위기대응의료제품법」 제11조 제3항</p>
	9	우선심사 바우처 프로그램	-	-
② 허가제도 외의 공급 프로그램	1	EUA	긴급사용승인	<p>■ 개요 의약품, 의료기기를 판매하려면 사전에 식품의약품안전처의 허가를 받는 것이 원칙이나 예외적으로 공중보건 위기 시에는 허가받지 않은 의료제품을 제조·수입하게 하거나, 당초 허가된 효능·효과나 용법·용량과 다르게 제조·수입할 수 있게 하는 제도</p> <p>■ 근거 「위기대응의료제품법」 제12조</p>
	2	EUA 승인 없는 긴급 사용	유효기간 연장, 유통개선조치 등	<p>■ 개요 공중보건 위기대응을 위해 비축한 의료제품의 유효기간을 연장하거나 의료 제품의 공급이 현저하게 지장을 받을 경우 판매처, 판매량, 판매조건 등을 조절하는 제도</p> <p>■ 근거 「위기대응의료제품법」 제19조, 「약사법」 제85조의2</p>
	3	치료 목적 사용	임상시험용 의약품 치료목적 사용	<p>■ 개요 임상시험용 의료제품을 식품의약품안전처장의 승인에 따라 말기암, AIDS 환자 등을 치료할 목적으로 사용할 수 있게 하는 제도</p> <p>■ 근거 「약사법」 제34조의6, 「의료기기법」 제10조</p>

구분	연번	미국 제도	우리나라 제도	
	4	치료받을 권리	위기대응 의료제품의 무상 제공	<p>■ 개요 위기대응 의료제품의 품목허가를 받은 자가 해당 의료제품을 필요로 하는 자에게 무상으로 제공할 수 있게 하는 제도</p> <p>■ 근거 「위기대응의료제품법」 제26조</p>
	5	맞춤형 제조 의약품	의료기관조제실·약국제제	<p>■ 개요 환자에게 필수적이지만 제약업체가 생산·수입하지 않아 의료기관이나 약국에서 직접 제조하여 공급할 수 있게 하는 제도</p> <p>■ 근거 「약사법」 제41조</p>
	6	캐나다 처방약 수입 프로그램	-	-
③ 의료제품 부족대응 프로그램	1	생산 중단 사전 통지	생산·수입·공급·중단 보고	<p>개요 ■ 정부가 의료제품 부족 이슈에 사전적으로 대처할 수 있도록 제조업자 등이 의약품, 의료기기 등의 생산·수입·공급의 중단 계획을 미리 식품의약품안전처에 보고하는 제도</p> <p>근거 ■ 「약사법」 제38조, 「의료기기법」 제13조</p>
	2	의약품 생산량 보고	생산·수입·수출 실적 보고	<p>개요 ■ 의약품, 의료기기 등의 생산, 수입, 수출실적을 분기 또는 연 단위로 식품의약품안전처장 등에게 보고하는 제도</p> <p>근거 ■ 「약사법」 제38조, 「의료기기법」 제13조</p>
	3	필수의약품 등 목록	국가필수의약품 지정	<p>개요 ■ 질병 관리, 방사능 방재 등 보건의료상 필수적이지만 시장기능만으로는 안정적 공급이 어려운 의약품을 보건복지부장관과 식품의약품안전처장이 국가필수의약품으로 지정함으로써 행정적, 재정적, 기술적 지원 등을 행할 수 있게 하는 제도로 2023.11월 현재 448개 품목을 지정하였다.⁴²⁷⁾</p> <p>근거 ■ 「약사법」 제2조, 제83조의4</p>

426) 식품의약품안전처, "GIFT 소개", 2024. 3. 13. 접속, https://www.mfds.go.kr/wpge/m_1113/de08010110001.do,

427) 김정일, "국가필수의약품 공급망 안정화 방안은?", *의학신문*, 2024년 1월 4일 기사, <http://www.bosa.co.kr/news/articleView.html?idxno=2215338>, 2024. 3. 1. 접속

5.2 포스트 코로나 대비 정책 제언

5.2.1 의료·방역제품 공급망 정보 수집 능력 확대

① 제약사가 생산·수입·공급 중단 계획을 더 일찍 보고케 할 필요가 있다. 현재는 생산·수입·공급 중단 계획을 중단일의 60일 전까지 식품의약품안전처에 보고해야 한다. 그러나 의약품 안정적 공급을 위한 대체 의약품 공급선 확보, 신규 의약품 허가 및 제조소 정비·실사 등에 상당한 시간이 소요되는 점을 고려해 보면 중단 계획 보고 시점을 공급 중단일로부터 최소 180일 전까지로 조정할 필요가 있다. 우리나라 의료기기 분야와 미국에서는 공급 중단일 180일 전에 보고토록 이미 규정하고 있다.

② 최초 중단 계획 보고 후 주기적 업데이트가 요구된다. 현재는 60일 전에 한 번만 보고한 후 추가로 더 보고할 의무는 없다. 그러나 시장의 상황은 계속해서 변하기 마련인데 정부가 종전에 제약사로부터 1회 보고받은 내용을 근거로 계속 행정조치를 취하는 것은 현실과 정책 간 괴리가 발생할 가능성이 크다. 따라서 FDA 운영 사례에서 보듯이 기업이 당초 보고 사항의 변경 유무, 변경 내용 등도 일정 주기로 보고토록 하는 것이 제도 취지에 부합한다. 다만, 미국은 2주 간격으로 보고케 하고 있으나 행정적 부담 완화, 효율성 제고 측면에서 볼 때 30일 간격으로 보고하되 그사이 변경 사항이 있는 경우 수시 보고하는 것이 적절하다고 본다.

③ 생산·수입·공급 중단 보고 시 제출 정보 확대가 필수적이다. 현재는 △중단 사유 △중단 일자 △재고량 △중단으로 인한 환자 치료에 미치는 영향 등 시장 공급 부족 발생 가능성 △공급 원활화 대책 및 향후 추진 계획 △공급 중단 의약품 정보 공개 동의 여부를 보고케 하고 있다. 그러나 정부가 해당 공급 중단이 환자와 의약품과 의료기기 시장에 미치는 영향을 정확하게 예측하고 실효성 있는 대책을 수립하기 위해서는 미국의 사례에서 보듯이 ① 해당 제품과 유사·경쟁 제품의 시장 점유율 ② 과거 월별 생산·수입·공급량 ③ 시중 제품의 부족 및 소진 예상 시점 ④ 공급 중단으로 인한 문제 예방·해소 관련 정책 건의 등의 정보를 추가 보고토록 하는 것이 필요하다.

④ 공급 중단뿐만 아니라 “공급 부족” 정보 보고 의무화가 시급하다. 현재 생산·수입·공급 중단 계획과 달리 공급 부족 정보는 제약사가 자발적으로 보고토록 하고 있다.⁴²⁸⁾ 그러나 의료제품 안정 공급을 위해서는 의약품 부족 정보를 정부가 사전에 확보하여 원인을 규명하고 해소방안을 마련할 필요성이 매우 크므로 공급 부족에 관한 정보도 의무적으로 보고토록 법제화 작업을 제언한다.

법령 개정(안)

현 행	개 정 안
<p>의약품 등의 안전에 관한 규칙(총리령) 제49조(의약품등의 생산·수출·수입 실적 등의 보고 등) ③ 의약품의 제조판매·수입 품목허가를 받은 자는 보건복지부장관이 식품의약품안전처장과 협의하여 고시하는 완제의약품의 생산·수입·공급을 중단하려면 중단일의 <u>60일 전까지 그 사유를 식품의약품안전처장이 정하여 고시하는 바에 따라</u> 식품의약품안전처장에게 보고하여야 한다. 다만, 천재지변이나 갑작스런 원료수급 중단 등 부득이한 사유로 생산·수입·공급이 중단되는 경우에는 중단일부터 10일 이내에 그 사유를 식품의약품안전처장에게 보고하여야 한다.</p> <p>< 신 설 ></p>	<p>의약품 등의 안전에 관한 규칙(총리령) 제49조(의약품등의 생산·수출·수입 실적 등의 보고 등) ③ ----- ----- ----- ----- <u>180일 전까지와 그 이후 매 30일마다</u> 및 <u>식품의약품안전처장이 정하는 시점에 그 사유와 경과 등을</u> ----- ----- ----- ----- ----- ----- -----.</p> <p>⑤ <u>의약품의 제조판매·수입 품목허가를 받은 자는 완제의약품, 원료의약품의 공급 부족이 발생하고 있거나 발생할 가능성이 있어 환자의 조제·투약, 의약품의 공급에 지장이 예상되는 경우 그 사유 및 향후 공급 계획 등을 그 사실을 인정한 날로부터 3일 이내에 식품의약품안전처장에게 보고해야 한다.</u></p>
<p>생산·수입·공급 중단 보고대상 의약품 보고 규정(고시) 별표 1</p>	<p>생산·수입·공급 중단 보고대상 의약품 보고 규정(고시) 별표 1</p>

428) 생산·수입·공급 중단 보고대상 의약품 보고 규정 (식품의약품안전처고시 제2018-66호, 2018. 8. 29.) 제3조 제3조(보고서식) ③ 의약품의 품목허가를 받은 자와 수입자는 제2조에 따른 완제의약품의 공급 부족이 발생하고 있거나 발생할 가능성이 있어 환자의 조제·투약에 지장이 예상되는 경우 별지 제2호 서식에 따라 그 사유 및 향후계획 등을 식품의약품안전처장에게 보고할 수 있다.

<p>제38조(의약품등의 생산 관리의무 및 보고) ①의약품등의 제조업자 또는 의약품의 품목허가를 받은 자는 자가(自家) 시험을 포함한 의약품등의 제조 및 품질관리 기준(이하 “제조 및 품질관리기준”이라 한다), 그 밖의 생산 관리에 관하여 총리령으로 정하는 사항을 지켜야 한다. <단서 신설></p>	<p>공급 또는 신속한 유통이 필요하다고 정하는 경우는 제외한다.</p> <p>제38조(의약품등의 생산 관리의무 및 보고) ①의약품등의 제조업자 또는 의약품의 품목허가를 받은 자는 자가(自家) 시험을 포함한 의약품등의 제조 및 품질관리 기준(이하 “제조 및 품질관리기준”이라 한다), 그 밖의 생산 관리에 관하여 총리령으로 정하는 사항을 지켜야 한다. 다만, 식품의약품안전처장이 의약품의 안정적 공급 또는 신속한 유통이 필요하다고 정하는 경우는 제외한다.</p>
---	--

5.2.3 의료·방역제품 수급 조절 기능 강화

공중보건 위기상황에서는 특정 의료제품의 수요 급증이나 생산 감소 등으로 수급 불안정이 빈번하게 발생할 수 있다. 이를 해소하기 위해 「위기대응의료제품법」에서는 한정된 자원이 효율적으로 분배·사용될 수 있도록 식품의약품안전처장이 위기대응 의료제품의 판매처, 판매 절차, 판매량, 판매조건 등 유통과 관련된 개선 조치를 할 수 있도록 규정하고 있다.

그러나 정작 의료제품이 환자에게 공급되는 주요 경로인 처방·조제에 대해서는 이 규정이 적용되지 않아 아세트아미노펜과 같이 수급 상황이 불안정한 해열제를 특별한 이유 없이 병·의원에서 3개월 또는 6개월 분씩 장기간 처방·조제 하여도 이를 통제할 수 없는 한계점이 있다.⁴²⁹⁾ 따라서 환자의 안전과 건강이 훼손되지 않는 범위 안에서 의료제품의 처방·조제에 대해서도 정부가 수급 조절 조치를 할 수 있도록 「위기대응의료제품법」을 개정할 필요가 있다.

법령 개정(안)

현 행	개 정 안
<p style="text-align: center;">위기대응의료제품법</p> <p>제19조(유통개선조치 등) ① 식품의약품안전처장은 공중보건 위기상황에 따라 지</p>	<p style="text-align: center;">위기대응의료제품법</p> <p>제19조(유통·처방·조제조치 등) ① ----- -----</p>

429) 감성균, 김이슬, “조제용 AAP 6개월 처방 어찌나...일반약 판매만 제한?!", *약사공론*, 2023년 1월 3일 게시, <http://www.kpanews.co.kr/article/show.asp?idx=239065&category=B>, 2024. 3. 13. 접수

<p>정된 위기대응 의료제품의 공급이 현저하게 지장을 받는다고 판단되거나 관계 중앙행정기관의 장의 요청이 있는 경우에는 위원회의 심의를 거쳐 조치 대상이 되는 의료제품과 그 <u>판매처·판매절차·판매량·판매조건</u> 등에 대하여 필요한 <u>유통개선조치</u>를 할 수 있다. 이 경우 다음 각 호에 해당하는 자는 정당한 사유가 없으면 이에 따라야 한다.</p>	<p>----- ----- ----- ----- ----- 판매처, 판매 절차, 판매·처방·조제량, 판매조건 ----- -----<u>조치</u>-----.</p>
---	---

5.2.4 필수적 원료의약품 생산 지원 근거 명문화

우리나라 원료의약품 자급도는 2022년 기준 11.9%로 전년도 24.4% 대비 12.5%p 감소하였다.⁴³⁰⁾ 최근 10년간 계속 하락해서 가장 낮은 수치를 나타냈다. 자급도 하락의 가장 큰 이유는 경제성이다. 중국, 인도의 저가 원료의약품 대비 가격 경쟁력이 낮기 때문이다. 저렴하다고 마냥 수입할 수만은 없다. 코로나19 때 경험했듯이 수출은 언제든지 통제되고 무기화될 수 있기 때문이다. 경쟁이 사라지면 독점자가 가격을 정한다. 원료의약품 없는 완제의약품은 존재하지 않는다. 원료의약품 자급화가 필수적인 이유이다.

그런데 우리나라의 제약산업 지원 정책을 망라해 담고 있는 「제약산업 육성 및 지원에 관한 특별법」은 주로 일정한 조건을 충족하는 혁신형 제약기업⁴³¹⁾을 대상으로 국가연구개발사업 우대, 조세 특례 등의 지원을 규정하고 있다. 비록 규모가 작고 혁신적이지는 않지만, 환자에게 필수적인 원료의약품을 생산하는 제약기업은 이러한 지원을 받지 못하는 한계가 있다. 따라서 특별법을 개정하여 원료의약품 생산기업에 대한 지원을 함께 명문화할 것을 제언한다.

법령 개정(안)

현 행	개 정 안
-----	-------

430) 식품의약품안전처, "2023 식품의약품 통계연보", 2024. 3. 25. 접속

431) 제약산업 육성 및 지원에 관한 특별법 제2조 제3호

3. "혁신형 제약기업"이란 다음 각 목의 어느 하나에 해당하는 기업으로서 제7조에 따라 보건복지부장관으로부터 인증을 받은 제약기업을 말한다.

가. 신약 연구개발 등에 대통령령으로 정하는 규모 이상의 투자를 하는 제약기업

나. 국내에서 대통령령으로 정하는 규모 이상의 신약 연구개발 투자실적이 있거나 신약 연구개발을 수행하고 있는 외국계 제약기업

제약산업 육성 및 지원에 관한 특별법

제14조(국가연구개발사업 등 우대) ① 국가 또는 지방자치단체는 혁신형 제약기업의 신약 연구개발에 대하여 국가연구개발사업 등에 우선 참여하게 할 수 있다.

제15조(조세에 관한 특례) ① 국가 및 지방자치단체는 제약산업을 지원·육성하기 위하여 필요한 경우 혁신형 제약기업에 대하여 「조세특례제한법」, 「지방세특례제한법」 등의 조세 관계 법률에서 정하는 바에 따라 법인세·소득세·취득세·등록면허세 및 재산세 등의 조세를 감면할 수 있다.

② 국가 및 지방자치단체는 혁신형 제약기업이 자체 개발한 기술을 이전하고 대금을 지급받는 경우에는 「법인세법」 및 「지방세특례제한법」에서 정하는 바에 따라 법인세 및 주민세를 감면할 수 있다.

③ 국가 및 지방자치단체는 혁신형 제약기업이 당사자로 참여하는 합병, 분할 또는 분할합병이 이루어지는 경우에는 「조세특례제한법」 등 조세 관계 법률에서 정하는 바에 따라 부동산 등의 등기에 따른 등록세, 합병으로 소멸되는 제약기업의 청산소득에 대한 법인세, 합병으로 소멸되는 제약기업주주의 의제배당에 대한 소득세 또는 법인세 등의 조세를 감면할 수 있다.

제16조의2(연구시설 건축에 관한 특례) ① 혁신형 제약기업은 연구시설(시제품 생산시설 등 대통령령으로 정하는 부속용도로 인정되는 시설을 포함한다)을 「국토의 계획 및 이용에 관한 법률」 제36조에 따른 지역(보전녹지 및 생산녹지 등 대통령령으로 정하는 지역은 제외한다) 중 보건복지부장관이 고시하는 지역에 건축할 수 있다.

제17조의2(약제의 상한금액 가산 등 우대)

제약산업 육성 및 지원에 관한 특별법

제14조(국가연구개발사업 등 우대) ① -----
----- 연구개발 및 원료의약품 생산 기업의 원료의약품 연구개발-----.

제15조(조세에 관한 특례) ① -----
----- 혁신형 제약기업 또는 원료의약품 생산기업-----

-----.

② ----- 혁신형 제약기업 또는 원료의약품 생산기업-----

-----.

③ ----- 혁신형 제약기업 또는 원료의약품 생산기업-----

-----.

제16조의2(연구시설 건축에 관한 특례) ① 혁신형 제약기업 또는 원료의약품 생산기업-----

-----.

제17조의2(약제의 상한금액 가산 등 우대)

<p>보건복지부장관은 혁신형 제약기업이 제조한 의약품에 대하여 「국민건강보험법」에 따른 요양급여비용의 상한금액 가산 등 대통령령으로 정하는 우대를 제공할 수 있다.</p>	<p>----- ----- 의약품 또는 원료의약품 생산 기업이 생산한 원료의약품이 사용된 의약품----- -----.</p>
<p>제17조의3(각종 부담금의 면제) 혁신형 제약기업의 연구시설에 대하여는 다음 각 호의 부담금을 면제할 수 있다.</p>	<p>제17조의3(각종 부담금의 면제) 혁신형 제약기업 또는 원료의약품 생산기업----- -----.</p>

5.2.5 긴급사용승인 투명성 제고

의료제품 긴급사용승인과 관련한 세부 지침이 필요하다. 긴급사용승인은 급박한 공중보건 위기 상황을 신속하게 극복하기 위해 평시의 품목허가와는 다른 예외적 기준을 적용하는 것이 불가피하다. 그러나 일부에서는 이를 이유로 긴급사용승인 된 의료제품의 안전성·유효성에 대한 우려를 제기한다. 이를 해소하기 위해서는 긴급사용승인에 필요한 안전성·유효성 자료의 범위를 정해 미리 국민에게 공개할 필요가 있다.

그러나 현행 위기대응의료제품법령에서는 긴급사용승인 검토 시 어떠한 과학적 자료가 필요한지를 명문화해서 규정하고 있지 않다. 다만 동물규칙에 한해 적용되는 가이드라인⁴³²만 두고 있을 뿐이다. 반면 FDA는 EUA 검토에 필요한 자료를 ①정보 및 데이터 요약본 ②안전성 정보 자료 ③효과성 정보 ④기타 데이터 고려사항 ⑤위험 편익 고찰로 구분하여 대중에게 공개하고 있음을 알 수 있다.

따라서 우리나라도 긴급사용승인의 투명성 제고와 대국민 신뢰도 확보를 위해 긴급사용승인 관련 세부 지침, 가이드라인 등을 마련하는 것이 필수적이라고 본다. 다만 위기의 원인과 의료제품의 특성이 다양하므로 지나치게 세부적·획일적 기준을 마련하면 탄력적 위기 대응에 오히려 어려움을 줄 수 있다는 점도 균형 있게 고려해야 할 것이다.

5.2.6 우선심사 바우처 프로그램 시범사업 실시

432) 식품의약품안전처, “공중보건 위기대응 의약품 심사 가이드라인 (동물규칙(Animal Rule) 적용 의약품 심사 가이드라인)”, 2022년 3월 11일 접속.

우선심사 바우처 프로그램 시범사업 실시를 제안한다. 국내 생산·공급 필요성이 매우 크지만, 기술·비용 등의 문제로 선뜻 나서기 어려운 의약품은 제약사가 개발·허가받았을 때 그 보상으로 우선심사 바우처를 지급하는 것이다. 예를 들면 현재 수입에 의존하는 국가 필수 예방 접종 백신을 국산화한 경우나 포스트 코로나 대비 치료제를 허가받은 경우가 발급 대상이 될 수 있다. 이후 이 바우처와 함께 품목허가 신청이 있는 경우 해당 의약품이 비록 우선심사 대상⁴³³⁾이 아니어도 우선심사를 받을 수 있게 하는 것이다. 시범사업을 통해 효과성이 검증되면 법제화를 검토할 수 있다고 본다.

433) 현재는 심각한 중증 질환용 의약품, 희귀질환 치료용 의약품, 혁신형 제약기업이 개발한 신약이 그 대상이다.

참고 문헌

1. 국내 문헌 및 인터넷 자료

감성균, 김이슬, “조제용 AAP 6개월 처방 어찌나…일반약 판매만 제한?!” , *약사공론*, 2023년 1월 3일 게시, <https://www.kpanews.co.kr/article/show.asp?idx=239065&category=B>, 2024. 3. 13. 접속

강신정, “에이즈 환자, FDA 비난이 촉발시킨 ‘신속허가심사제도’”, *히트뉴스*, 2022년 8월 9일 게시, <http://www.hitnews.co.kr/news/articleView.html?idxno=40592>, 2024. 2. 11. 접속.

김정일, “국가필수의약품 공급망 안정화 방안은?”, *의학신문*, 2024년 1월 4일 게시, <http://www.bosa.co.kr/news/articleView.html?idxno=2215338>, 2024. 3. 1. 접속

박준용, “셀트리온 렉키로나주 공급중단…오미크론 효능 낮아”, *한겨레*, 2022년 2월 23일 게시, <https://www.hani.co.kr/arti/society/health/1032323.html>, 2023. 3. 17. 접속.

식품의약품안전처, “GIFT 소개”, 2024. 3. 13. 접속, https://www.mfds.go.kr/wpge/m_1113/de08010110001.do.

식품의약품안전처, “공중보건 위기대응 의약품 심사 가이드라인 (동물규칙(Animal Rule) 적용 의약품 심사 가이드라인)”, 2022년 3월 11일 접속.

식품의약품안전처, “대한민국, 코로나19 백신 개발국에 합류하다.”, 2022. 6. 29. 게시, <https://mfds.go.kr/docviewer/skin/doc.html?fn=20220629020241092.hwp&rs=/docviewer/result/ntc0021/46486/1/202403>, 2024. 3. 18. 접속.

식품의약품안전처, “미국 의약품 규제 동향 브리프 제6호”, 2022년 3월 게시

식품의약품안전처, “코로나19 항체치료제 ‘렉키로나주’ 품목허가”, 2021년 2월 5일 게시, <https://mfds.go.kr/docviewer/skin/doc.html?fn=20210205020904797.hwp&rs=/docviewer/result/ntc0021/45029/1/202403>, 2024. 3. 18. 접속.

식품의약품안전처, “2023 식품의약품 통계연보”, 2024. 3. 25. 접속

식품의약품안전처, “해외 주요국 신속심사 사례집”, 2021년, https://www.mfds.go.kr/brd/m_1060/view.do?seq=14924&srchFr=&srchTo=&srchWord=&srchTp=&itm_seq_1=0&itm_seq_2=0&multi_itm_seq=0&company_cd=&company_nm=&page=52, 2024. 2. 9. 접속

질병관리청, <https://ncov.kdca.go.kr/pot/cv/trend/dmstc/selectMntrgSttus.do>, 2024. 3. 18. 접속.

2. 해외 문헌 및 인터넷 자료

Allan Tran and Theodore J. Witek, Jr, 2021, "The Emergency Use Authorization of Pharmaceuticals: History and Utility During the COVID-19 Pandemic", *Pharmaceutical medicine*, Vol. 35(4) (2021): 203 - 213. doi:10.1007/s40290-021-00397-6.

Anna Kaltenboeck, Amanda Mehlman, Steven D. Pearson, "Strengthening the Accelerated Approval Pathway: an Analysis of Potential Policy Reforms and Their Impact on Uncertainty, Access, Innovation, and Costs", last modified Apr 26, 2021, https://icer.org/wp-content/uploads/2021/04/Strengthening-the-Accelerated-Approval-Pathway_-_ICER-White-Paper_-_April-2021.pdf, accessed Mar 20, 2024.

ASHP, "Drug Shortages Statistics", accessed Mar 1, 2024, <https://www.ashp.org/drug-shortages/shortage-resources/drug-shortages-statistics>,

ASHP, "SEVERITY AND IMPACT OF CURRENT DRUG SHORTAGES", last modified June, 2023, <https://www.ashp.org/-/media/assets/drug-shortages/docs/ASHP-2023-Drug-Shortages-Survey-Report.pdf>, accessed Mar 1, 2024.

C Lee Ventola, "The drug shortage crisis in the United States: causes, impact, and management strategies." *P & T : a peer-reviewed journal for formulary management*, Vol. 36(11) (2011): 740 - 757.

Cooley, "FDA Greenlights Florida's Proposal for Importing Prescription Drugs From Canada", last modified Jan 11, 2024, <https://www.cooley.com/news/insight/2024/2024-01-11-fda-greenlights-floridas-proposal-for-importing-prescription-drugs-from-canada>, accessed Mar 4, 2024.

CRS, "PREVENT Pandemics Act (P.L. 117-328, Division FF, Title II)", last modified Aug 15, 2023, <https://crsreports.congress.gov/product/pdf/R/R47649>, accessed Jan 15, 2024.

CRS, "The Project BioShield Act: Issues for the 112th Congress", last modified December 21, 2021, <https://crsreports.congress.gov/product/pdf/R/R42349/13>, accessed Jan 28, 2024.

David B Ridley 1, Henry G Grabowski, Jeffrey L Moe, "Developing drugs for developing countries", *Health Affairs*, Vol. 25(2) (2006): 313-24. doi: 10.1377/hlthaff.25.2.313. PMID: 16522573.

David Jackson, John Fritze, "HHS official Rick Bright says he was ousted after raising concern about coronavirus drug Trump had touted", *USA Today*, last modified May 5, 2020, <https://www.usatoday.com/story/news/politics/2020/05/05/rick-bright-files-whistleblower-complaint-against-trump-administration/3023905001/>, accessed Feb 26, 2024.

DEA, "Drug Scheduling", <https://www.dea.gov/drug-information/drug-scheduling>, acc

essed Feb 20, 2024.

Drug Dangers, "Priority Review Program", <https://www.drugdangers.com/fda/priority-review-program/>, accessed Feb 25, 2024.

Duke University, "Priority Review Vouchers", accessed Jan 26, 2024, <https://sites.fuqua.duke.edu/priorityreviewvoucher/>.

Erin E. Kepplinger, "FDA's Expedited Approval Mechanisms for New Drug Products", *Biotechnol Law Rep.* Vol. 34(1) (2015): 15 - 37, <https://doi.org/10.1089/blr.2015.9999>

FDA "Importation of Prescription Drugs Final Rule Questions and Answers Guidance for Industry", last modified May, 2020, <https://www.fda.gov/media/158659/download>, accessed Mar 4, 2024.

FDA, "21st Century Cures Act: MCM-Related Cures Provisions", last modified Jan 25, 2024, <https://www.fda.gov/emergency-preparedness-and-response/mcm-legal-regulatory-and-policy-framework/21st-century-cures-act-mcm-related-cures-provisions>, accessed Jan 26, 2024.

FDA, "About Emergency Use Authorizations (EUAs)", last modified Mar 4, 2024,, <https://www.fda.gov/emergency-preparedness-and-response/mcm-legal-regulatory-and-policy-framework/emergency-use-authorization#abouteuas>, accessed Mar 18, 2024.

FDA, "Animal Rule Approvals", last modified Aug 2, 2023, <https://www.fda.gov/drugs/nda-and-bla-approvals/animal-rule-approvals>, accessed Feb 20, 2024.

FDA, "Animal Rule Information", last modified Apr 20, 2023, <https://www.fda.gov/emergency-preparedness-and-response/mcm-regulatory-science/animal-rule-information>, accessed Feb 21, 2024.

FDA, "Breakthrough Therapy", last modified Jan 4, 2018, <https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review/breakthrough-therapy>, accessed Feb 13, 2024.

FDA, "CDER drug and biologic animal rule approvals", last modified Aug 2, 2023, <https://www.fda.gov/media/150191/download?attachment>, accessed Feb 21, 2024.

FDA, "Chloroquine phosphate and hydroxychloroquine sulfate for treatment of COVID-19 Authorization letter", last modified Mar 28, 2020, <https://www.fda.gov/media/136534/download?attachment>, accessed Feb 26, 2024.

FDA, "Criteria For Identifying Human Drug and Biologic Essential Medicines, Medical Countermeasures, and Critical Inputs for the List Described in Section 3(c) of the Executive Order (EO) 13944", last modified Oct 30, 2020, <https://www.fda.gov/media/143407/download?attachment>, accessed March 5, 2024.

FDA, "Cumulative CBER Regenerative Medicine Advanced Therapy (RMAT) Designation Requests Received by Fiscal Year", last modified Dec 31, 2023, <https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products/cumulative-cber-regenerative-medicine-advanced-therapy-rmat-designation-requests-received-fiscal>, accessed Feb 13, 2024.

FDA, "Drug Shortages: Root Causes and Potential Solutions", last modified Oct, 2019, <https://www.fda.gov/media/131130/download?attachment>, accessed Feb 15, 2024.

FDA, "Emergency Use Authorization of Medical Products and Related Authorities Guidance for Industry and Other Stakeholders", last modified Jan, 2017, <https://www.fda.gov/media/97321/download>, accessed Jan 28, 2024.

FDA, "Emergency Use Authorization" last modified Mar 4, 2024,, <https://www.fda.gov/emergency-preparedness-and-response/mcm-legal-regulatory-and-policy-framework/emergency-use-authorization#vaccines>, accessed Mar 19, 2024.

FDA, "Expanded Access (Compassionate Use) Submission Data", last modified May 17, 2023, <https://www.fda.gov/news-events/expanded-access/expanded-access-compassionate-use-submission-data#CDRH>, accessed Feb 17, 2024.

FDA, "Expanded Access to Investigational Drugs for Treatment Use - Questions and Answers", last modified June, 2016, <https://www.fda.gov/media/85675/download>, accessed Feb 15, 2024.

FDA, "Expanded Access", last modified Feb 28, 2024, <https://www.fda.gov/news-events/public-health-focus/expanded-access>, accessed Mar 19, 2024.

FDA, "Expedited Programs for Regenerative Medicine Therapies for Serious Conditions", last modified Feb 2019, <https://www.fda.gov/media/120267/download>, accessed Feb 13, 2024.

FDA, "Expiration Dating Extension", last modified Jan 29, 2024, <https://www.fda.gov/emergency-preparedness-and-response/mcm-legal-regulatory-and-policy-framework/expiration-dating-extension>, accessed Feb 26, 2024.

FDA, "FAQs: What happens to EUAs when a public health emergency ends?", last modified Nov 16, 2023, <https://www.fda.gov/emergency-preparedness-and-response/mcm-legal-regulatory-and-policy-framework/faqs-what-happens-euas-when-public-health-emergency-ends>, accessed Jan 28, 2024.

FDA, "Fast Track", last modified Jan 4, 2018, <https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review/fast-track>, accessed Feb 12, 2024.

FDA, "FDA Authorizes Florida's Drug Importation Program", last modified January 5, 2024, <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-authorizes-floridas>

drug-importation-program, accessed Mar 4, 2024.

FDA, “FDA Publishes List of Essential Medicines, Medical Countermeasures, Critical Inputs Required by Executive Order”, last modified Oct 30, 2020, <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-publishes-list-essential-medicines-medical-countermeasures-critical-inputs-required-executive>, accessed March 5, 2024.

FDA, “Guidance for Industry Expedited Programs for Serious Conditions - Drugs and Biologics”, last modified May, 2014, <https://www.fda.gov/media/86377/download>, accessed Feb 8, 2024.

FDA, “Human Drug Compounding”, last modified Jan 26, 2024, <https://www.fda.gov/drugs/guidance-compliance-regulatory-information/human-drug-compounding>, accessed Feb 28, 2024.

FDA, “Kefauver-Harris Amendments Revolutionized Drug Development”, last modified Oct, 2012, https://www.gvsu.edu/cms4/asset/F51281F0-00AF-E25A-5BF632E8D4A243C7/kefauver-harris_amendments.fda.thalidomide.pdf, accessed Feb 8, 2024.

FDA, “Limited Population Pathway for Antibacterial and Antifungal Drugs - the LPAD Pathway”, last modified Aug 5, 2020, <https://www.fda.gov/drugs/development-resources/limited-population-pathway-antibacterial-and-antifungal-drugs-lpad-pathway>, accessed Feb 20, 2024.

FDA, “Limited Population Pathway for Antibacterial and Antifungal Drugs Guidance for Industry”, last modified Aug, 2020, <https://www.fda.gov/media/113729/download>, accessed Feb 20, 2024.

FDA, “MAPP 6020.3 Rev.2, Review Designation Policy: Priority (P) and Standard (S)”, last modified June 25, 2013, [https://www.fda.gov/files/about%20fda/published/Review-Designation-Policy-Priority-\(P\)-and-Standard-\(S\).pdf](https://www.fda.gov/files/about%20fda/published/Review-Designation-Policy-Priority-(P)-and-Standard-(S).pdf), accessed Feb 8, 2024.

FDA, “Milestones in U.S. Food and Drug Law”, last modified Jan 30, 2023, <https://www.fda.gov/about-fda/fda-history/milestones-us-food-and-drug-law>, accessed Feb 7, 2024.

FDA, “New Drug Therapy Approvals 2021”, last modified Jan, 2022, <https://www.fda.gov/media/155227/download>.

FDA, “New Drug Therapy Approvals 2022”, last modified Jan, 2023, <https://www.fda.gov/drugs/new-drugs-fda-cders-new-molecular-entities-and-new-therapeutic-biological-products/new-drug-therapy-approvals-2022>.

FDA, “New Drug Therapy Approvals 2023”, last modified Jan, 2024, <https://www.fda.gov/drugs/new-drugs-fda-cders-new-molecular-entities-and-new-therapeutic-biological-products/novel-drug-approvals-2023>.

FDA, "Notifying FDA of a Discontinuance or Interruption in Manufacturing of Finished Products or Active Pharmaceutical Ingredients Under Section 506C of the FD&C Act Guidance for Industry: DRAFT GUIDANCE", last modified Feb, 2024, <https://www.fda.gov/media/166837/download>, accessed Feb 5, 2024.

FDA, "Priority Review", last modified Jan 4, 2018, <https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review/priority-review>, accessed Feb 9, 2024.

FDA, "Rare Pediatric Disease Priority Review Vouchers Guidance for Industry", last modified Jul, 2019,, <https://www.fda.gov/media/90014/download>, accessed Jan 26, 2024.

FDA, "Report to Congress Drug Shortages CY 2022", last modified June 17, 2023, <https://www.fda.gov/media/169302/download>, accessed Feb 1, 2024.

FDA, "Reporting Amount of Listed Drugs and Biological Products Under Section 510(j)(3) of the FD&C Act Guidance for Industry", last modified Feb, 2024, <https://www.fda.gov/media/175933/download>, accessed Feb 27, 2024.

FDA, "Right to Try Annual Reporting Summary", last modified Sep 29, 2023, <https://www.fda.gov/patients/learn-about-expanded-access-and-other-treatment-options/right-try-annual-reporting-summary>, accessed Feb 20, 2024.

FDA, "Right to Try", last modified Jan 23, 2023, <https://www.fda.gov/patients/learn-about-expanded-access-and-other-treatment-options/right-try>, accessed Feb 20, 2024.

FDA, "Sulfanilamide Disaster", last modified June, 1981, <https://www.fda.gov/about-fda/histories-product-regulation/sulfanilamide-disaster>, accessed Feb 11, 2024.

FDA, "Summary of NDA Approvals & Receipts, 1938 to the present", last modified Jan 31, 2018, <https://www.fda.gov/about-fda/histories-fda-regulated-products/summary-nda-approvals-receipts-1938-present>, accessed Feb 11, 2024.

FDA, "Tropical Disease Priority Review Voucher Program", last modified Jul 15, 2020, <https://www.fda.gov/about-fda/center-drug-evaluation-and-research-cder/tropical-disease-priority-review-voucher-program>, accessed Jan 26, 2024.

Federal Register(57 FR 58958), last modified December 18, 1992, <https://www.federalregister.gov/citation/57-FR-58958>, accessed Feb 12, 2024.

Federal Register, "Authorization of Emergency Use of Anthrax Vaccine Adsorbed for Prevention of Inhalation Anthrax by Individuals at Heightened Risk of Exposure Due to Attack With Anthrax; Availability", last modified Feb 2, 2005, <https://www.federalregister.gov/documents/2005/02/02/05-2028/authorization-of-emergency-use-of-anthrax-vaccine-adsorbed-for-prevention-of-inhalation-anthrax-by>, accessed Feb 3, 2024.

Federal Register, "Expanded Access to Investigational Drugs for Treatment Use", last

modified Dec 14, 2006, <https://www.federalregister.gov/documents/2006/12/14/06-9684/expanded-access-to-investigational-drugs-for-treatment-use>, accessed Feb 14, 2024.

Federal Register, “Expanded Access to Investigational Drugs for Treatment Use”, last modified Dec 14, 2006, <https://www.federalregister.gov/documents/2006/12/14/06-9684/expanded-access-to-investigational-drugs-for-treatment-use>, accessed Feb 14, 2024.

Federal Register, “Subpart E-Drugs Intended To Treat Life Threatening and Severely-d eblilitating Illnesses”, last modified Oct 21, 1988, https://archives.federalregister.gov/issue_slice/1988/10/21/41492-41527.pdf#page=32, accessed Feb 11, 2024.

Foley, “FDA: Major Policy Shift Authorizes Florida’s Plan to Import Drugs from Canada” last modified Jan 11, 2024, <https://www.foley.com/insights/publications/2024/01/fda-policy-florida-plan-import-drugs-canada/>, accessed Mar 4, 2024.

GAO “INVESTIGATIONAL NEW DRUGS: FDA Has Taken Steps to Improve the Expanded Access Program but Should Further Clarify How Adverse Events Data Are Used”, last modified Jul, 2017, <https://www.gao.gov/assets/gao-17-564.pdf>, accessed Feb 22, 2024.

GAO, “COVID-19 Federal Efforts Accelerate Vaccine and Therapeutic Development, but More Transparency Needed on Emergency Use Authorizations”, last modified Nov, 2020, <https://www.gao.gov/assets/gao-21-207.pdf>, accessed Jan 27, 2024.

GAO, “DRUG DEVELOPMENT FDA’s Priority Review Voucher Programs”, last modified Jan, 2020, <https://www.gao.gov/assets/gao-20-251.pdf>, accessed Jan 26, 2024.

GAO, “Pathway for Approving Antibacterial and Antifungal Drugs for Patients with Limited Treatment Options is Infrequently Used”, last modified Nov 19, 2021, <https://www.gao.gov/products/gao-22-105042>, accessed Feb 20, 2024.

GAO, “Scientific Integrity HHS Agencies Need to Develop Procedures and Train Staff on Reporting and Addressing Political Interference”, last modified Apr 2022, <https://www.gao.gov/assets/gao-22-104613.pdf>, accessed Feb 26, 2024.

Ginny Beakes-Read, Madison Neisser, Patrick Frey & Mara Guarducci, “Analysis of FDA’s Accelerated Approval Program Performance December 1992-December 2021”, *Therapeutic innovation & regulatory science*, Vol. 56(5) (2022): 698 - 703. <https://doi.org/10.1007/s43441-022-00430-z>

Health Canada, “Interim Order Respecting Drug Shortages (Safeguarding the Drug Supply)”, last modified Nov 28, 2020, <https://www.canada.ca/en/health-canada/services/drugs-health-products/compliance-enforcement/importation-exportation/interim-order-drug-shortages-protecting-supply.html>, accessed Mar 5, 2024.

HHS, “A Timeline of HIV and AIDS”, accessed Feb 11, 2024, <https://www.hiv.gov/hiv-basics/overview/history/hiv-and-aids-timeline/>.

HHS, "Delays in Confirmatory Trials for Drug Applications Granted FDA's Accelerated Approval Raise Concerns", last modified Sep, 2022, <https://oig.hhs.gov/oei/reports/OEI-01-21-00401.pdf>, accessed Feb 25, 2024.

HHS, "Essential Medicines Supply Chain and Manufacturing Resilience Assessment", last modified May 2022, <https://aspr.hhs.gov/newsroom/Pages/Essential-Medicines-May22.aspx>, accessed March 5, 2024.

Homeland Security Digital Library, "Short Supply: The Health and National Security Risks of Drugs Shortages", last modified Mar 2023, <https://www.hsdl.org/c/abstract/?docid=876660>, accessed Feb 15, 2024.

Iheoma Anosike, "US FDA Expedited Review Processes: Fast Track Designation and Breakthrough Therapy Designation.", <https://www.scendea.com/fast-track-designation-and-breakthrough-therapy-designation>, accessed Feb 21, 2024.

James L Zelenay Jr., "The Prescription Drug User Fee Act: is a faster Food and Drug Administration always a better Food and Drug Administration?", *Food Drug Law J.* Vol. 60(2) (2005): 261-338. PMID: 16094773.

Jonathan Iwry, "From 9/11 to COVID-19: A Brief History of FDA Emergency Use Authorization", last modified January 28, 2021, <https://blog.petrieflom.law.harvard.edu/2021/01/28/fda-emergency-use-authorization-history/>, accessed Jan 28, 2024.

Katie Thomas, "F.D.A. Revokes Emergency Approval of Malaria Drugs Promoted by Trump", *The New York Times*, last modified June 15, 2020, <https://www.nytimes.com/2020/06/15/health/fda-hydroxychloroquine-malaria.html>, accessed Feb 26, 2024.

Kyle Thomson, Herschel Nachlis, "Emergency Use Authorizations During the COVID-19 Pandemic: Lessons From Hydroxychloroquine for Vaccine Authorization and Approval", *JAMA.* Vol. 324(13) (2020):1282 - 1283. doi:10.1001/jama.2020.16253.

Libby Cathey, "Timeline: Tracking Trump alongside scientific developments on hydroxychloroquine", ABC news, last modified Aug 8, 2020, <https://abcnews.go.com/Health/timeline-tracking-trump-alongside-scientific-developments-hydroxychloroquine/story?id=72170553>, accessed Feb 26, 2024.

Michael Mezher, Zachary Brennan, Alexander Gaffney, "Regulatory Explainer: Everything You Need to Know About FDA's Priority Review Vouchers", last modified Feb 24, 2020, <https://www.raps.org/news-and-articles/news-articles/2017/12/regulatory-explainer-everything-you-need-to-know>, accessed Jan 16, 2024.

Paine, M F, "Therapeutic disasters that hastened safety testing of new drugs", *Clinical Pharmacology and Therapeutics.*, Vol. 101 (2017): 430-434. <https://doi.org/10.1002/cpt.613>.

U.S. Congress, "Congressional Record", last modified Sep 22, 1992, <https://www.govin>

fo.gov/content/pkg/GPO-CRECB-1992-pt18/pdf/GPO-CRECB-1992-pt18-4.pdf, accessed Feb 9, 2024.

Vijay Mahant, ““Right-to-Try” experimental drugs: an overview.”, *Journal of Translational Medicine*, 18, Vol. 253 (2020). <https://doi.org/10.1186/s12967-020-02427-4>

White House, “Executive Order 13944—Combating Public Health Emergencies and Strengthening National Security by Ensuring Essential Medicines, Medical Countermeasures, and Critical Inputs Are Made in the United State”, last modified Aug 6, 2020, <https://trumpwhitehouse.archives.gov/presidential-actions/executive-order-ensuring-essential-medicines-medical-countermeasures-critical-inputs-made-united-states/>, accessed March 5, 2024.

WHO, “WHO COVID-19 dashboard”, last modified Feb 25, 2024, <https://data.who.int/dashboards/covid19/deaths?n=c>, accessed Mar 18, 2024.