

소기업·연구개발자를 위한 알기 쉬운 제품화 가이드

- 의약품 개발단계와 준비자료 -



지침서·안내서 제·개정 점검표

명칭	소기업·연구개발자를 위한 알기 쉬운 제품화 가이드 - 의약품 개발단계와 준비자료 -
----	---

아래에 해당하는 사항에 체크하여 주시기 바랍니다.

등록대상 여부	☐ 이미 등록된 지침서·안내서 중 동일·유사한 내용의 지침서·안내서가 있습니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☒ 상기 질문에 '예'라고 답하신 경우 기존의 지침서·안내서의 개정을 우선적으로 고려하시기 바랍니다. 그럼에도 불구하고 동 지침서·안내서의 제정이 필요한 경우 그 사유를 아래에 기재해 주시기 바랍니다. (사유 :)	
	☐ 법령(법·시행령·시행규칙) 또는 행정규칙(고시·훈령·예규)의 내용을 단순 편집 또는 나열한 것입니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☐ 단순한 사실을 대외적으로 알리는 공고의 내용입니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☐ 일회성 지시·명령에 해당하는 내용입니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☐ 외국 규정을 단순 번역하거나 설명하는 내용입니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☐ 신규 직원 교육을 위해 법령 또는 행정규칙을 알기 쉽게 정리한 자료입니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☒ 상기 사항 중 어느 하나라도 '예'에 해당되는 경우에 지침서·안내서 등록 대상이 아닙니다. 지침서·안내서 제·개정 절차를 적용하실 필요는 없습니다.	
지침서·안내서 구분	☐ 행정사무의 통일을 기하기 위하여 내부적으로 행정사무의 세부기준이나 절차를 제시하는 것입니까? (공무원용)	☐ 예(☒ 지침서) ☒ 아니오
	☐ 민원인들의 이해를 돕기 위하여 법령 또는 행정규칙을 알기 쉽게 설명하거나 특정 민원업무에 대한 행정기관의 대외적인 입장을 기술하는 것입니까? (민원인용)	☒ 예(☒ 안내서) ☐ 아니오
기타 확인 사항	☐ 상위 법령을 일탈하여 새로운 규제를 신설·강화하거나 민원인을 구속하는 내용이 있습니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☒ 상기 질문에 '예'라고 답하신 경우 상위법령 일탈 내용을 삭제하시고 지침서·안내서 제·개정 절차를 진행하시기 바랍니다.	

상기 사항에 대하여 확인하였음.

2026 년 9 월 일

담당자

확 인(부서장)

정 영 은

김 희 성

이 안내서는 소기업 또는 연구개발자를 대상으로 의약품 제품 개발 단계에서 준비해야 하는 비임상·임상·품질 분야의 주요 자료와 내용을 알기 쉽게 설명하거나 식품의약품 안전처의 입장을 기술한 것입니다.

본 안내서는 대외적으로 법적 효력을 가지는 것이 아니므로 본문의 기술방식 (‘~하여야 한다’ 등)에도 불구하고 참고로만 활용하시기 바랍니다. 또한, 이 안내서는 2026년 9월 현재의 과학적·기술적 사실 및 유효한 법규를 토대로 작성되었으므로 이후 최신 개정 법규 내용 및 구체적인 사실관계 등에 따라 달리 적용될 수 있음을 알려드립니다.

※ “민원인 안내서”란 민원인들의 이해를 돕기 위하여 법령 또는 행정규칙을 알기 쉽게 설명하거나 특정 민원업무에 대한 행정기관의 대외적인 입장을 기술하는 것(식품의약품안전처 지침서등의 관리에 관한 규정 제2조)

※ 본 안내서에 대한 의견이나 문의사항이 있을 경우 사전상담과에 문의하시기 바랍니다.

전화번호 : 043-719-2935

팩스번호 : 043-719-2910

제·개정 이력

연번	제·개정번호	승인일자	주요내용
1	안내서-1530-01	2026.09.	제정
2			

목 차

제 1 장 | 배경

01 1 . 배경

제 2 장 | 의약품 제품화를 위한 개발단계 준비자료

03 1 . 비임상시험성적에 관한 자료

19 2 . 임상시험성적에 관한 자료

23 3 . 임상시험용의약품 품질에 관한 자료

제 3 장 | 규제기관 활용방법

27 1 . 규제기관 활용방법

32 부록 1. 관련 법령/규정

33 부록 2. 관련 가이드라인

34 부록 3. 약어



식품의약품안전처는 안전성·유효성 및 품질이 확보된 의약품이 국민에게 공급될 수 있도록 허가·심사 업무를 수행하고 있으며, 다양한 제도와 서비스를 통해 의약품의 제품화를 지원하고 있습니다.

특히, 생명을 위협하거나 중대한 질환의 치료 등을 목적으로 신속한 제품화가 필요한 혁신 제품에 대해서는 임상시험계획 승인 또는 품목허가 신청 전에 필요한 자료의 범위 및 요건 등을 안내하고, 개발전략 수립을 지원하는 ‘혁신제품 사전상담’을 운영하고 있습니다.

최근 새로운 작용기전이나 신기술 등을 활용한 의약품의 개발이 활발해지면서, 개발 초기 단계부터 허가·심사에 필요한 규제요건을 파악하고 이를 반영한 개발전략을 수립하기 위한 ‘개발단계 규제상담’의 필요성이 더욱 커지고 있습니다.

그러나 소기업, 대학 및 연구기관 등의 의약품 연구개발자의 경우 의약품 개발 및 허가·심사 경험과 관련 전문인력이 상대적으로 부족하여, 개발 과정에서 요구되는 규제정보를 적기에 정확히 파악하고 이를 연구개발에 효과적으로 활용하는 데 어려움을 겪을 수 있습니다.

본 가이드는 소기업 및 의약품 연구개발자 등이 개발 단계에서 필요한 규제사항을 보다 쉽게 이해하고 활용할 수 있도록, 의약품 제품화를 위해 단계별로 준비해야 할 비임상·임상·품질 분야의 주요 자료와 고려사항을 알기 쉽게 정리한 안내서입니다. 이를 통해 개발 초기부터 필요한 자료를 이해하여 체계적으로 준비하고 연구개발 과정에서의 시행착오를 최소화할 수 있도록 지원하고자 합니다.

아울러 신청 내용과 개발 단계의 특성에 따라 활용할 수 있는 규제기관의 상담 및 지원제도를 함께 소개하여, 개발자가 필요한 시점에 적절한 규제지원 서비스를 선택하고 활용할 수 있도록 안내하였습니다.

다만, 본 가이드는 의약품 개발 단계에서의 준비사항과 규제지원제도에 대한 이해를 돕기 위한 안내서로, 품목허가·심사 신청 및 이에 관한 구체적인 절차와 요건은 포함하지 않습니다.

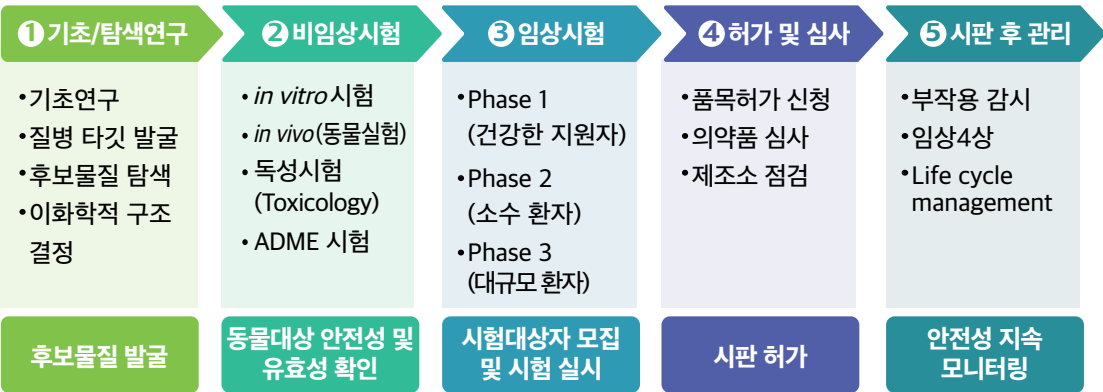
본 가이드가 소기업 및 연구개발자의 규제정보 접근성을 높이고, 의약품 개발 초기 단계부터 필요한 자료와 규제요건을 쉽게 이해하고 올바르게 준비하는 데 도움이 되기를 바랍니다. 나아가 개발 과정에서 발생할 수 있는 불필요한 시행착오를 줄이고 혁신적인 의약품의 신속한 제품화와 환자의 치료기회 확대에 기여할 수 있기를 기대합니다.



의약품 개발은 연구 및 탐색부터 비임상시험, 임상시험, 품질관리 및 허가·시판 후 관리까지 여러 단계를 거쳐 이루어집니다. 각 단계에서는 의약품의 안전성, 유효성, 품질 및 유익성·위해성을 종합적으로 확인하여 사람에게 안전하고 효과 있는 의약품인지 평가합니다.

위의 각 단계는 분리된 절차가 아니라, 앞 단계에서 얻은 자료를 다음 단계의 시험설계와 의사결정에 반영하면서 제품의 유익성·위해성과 품질을 지속적으로 구체화하는 연속적인 과정입니다. 개발 전주기는 크게 5단계로 진행되며, 각 단계는 다음 단계로의 근거를 축적하는 역할을 합니다.

<의약품 개발 전주기>



구분		수행내용
연구 개발	기초/탐색연구	질병의 원인과 치료 표적을 탐색하고 후보물질을 발굴·최적화
	비임상시험	동물을 대상으로 후보물질의 약리작용과 안전성 등을 평가
	임상시험	사람에서의 안전성 및 유효성을 단계적으로 확인
허가	허가심사	임상시험 결과와 품질 및 비임상 자료 등을 종합 심사하여 품목허가
사용	시판 후 관리	허가 후 실제 사용환경에서 나타나는 안전성 정보 등 평가·관리

본 가이드는 의약품 허가 전 개발 단계에서 준비해야 하는 비임상·임상·품질 관련 주요 사항을 중심으로 설명하며, 허가 및 시판 후 단계는 포함하지 않았습니다.

아울러, 본 가이드는 신약 개발 과정에서의 필요 자료를 중심으로 설명하고 있으며, 개별 품목의 특성 및 적용 규정 등에 따라 제출자료의 종류와 요건 등은 달라질 수 있습니다. 개발 중인 품목에 관한 자료 요건은 관련 규정을 참고하시고, 혁신제품 사전상담 등의 규제지원을 활용하여 보다 상세한 상담을 받으실 수 있습니다.

* 본가이드 부록 1. 관련 법령/규정 및 본문 내 기재된 규정 참고

1 | 비임상시험성적에 관한 자료 (Nonclinical Study)

비임상시험은 사람을 대상으로 하지 않고, 시험물질의 약리작용과 안전성 등에 관한 자료를 얻기 위해 실시하는 시험입니다.

의약품 후보물질을 사람에게 투여하기 전에 약효와 체내에서의 변화, 잠재적인 위험성을 확인하고, 세포·조직 수준의 시험, 동물시험, 시험관 내 시험 등을 통해 임상시험에 필요한 과학적 근거를 마련합니다.

가. 약리작용에 관한 자료(Pharmacology)

의약품 후보물질이 생체에서 나타내는 영향에 관해 시험하는 비임상시험 자료입니다. 목표 질환에서 기대하는 치료효과를 뒷받침하는 작용 뿐만 아니라, 생명유지에 중요한 기관계 또는 다른 표적에 미치는 바람직하지 않은 영향을 함께 확인합니다.

1) 효력시험(Pharmacodynamic Study)

시험물질의 효능·효과를 뒷받침하는 약리작용을 확인하는 시험입니다.

심사대상효능을 포함한 효력을 뒷받침하는 약리작용에 관한 시험자료로서 효과발현의 작용기전이 포함된 자료가 필요합니다.

In vitro, *In vivo* 에서의 효력시험의 주요 고려사항은 아래 표와 같으며, 시험물질과 약리작용이 동일한 군의 다른 의약품의 결과(선택성, 안전성, 역가 등의 측면에서)와 관련지어 평가하는 것이 바람직합니다.

주요 고려사항	
<i>In vitro</i> (시험관 내 시험)	• 적절한 세포주 모델설정 • 목표 질병에 대한 유효성 확인방법(특정 수용체 저해 작용 등) • 유효농도/용량의 결정(예, IC₅₀ 등)
<i>In vivo</i> (생체 내 시험)	• 동물종, 투여방법[투여량, 투여기간, 투여시기(식전/식후/취침 전 등)] • 종간차 유무, 동물종별 유효용량(예, ED₅₀ 등) • 각종 병리모델 동물에서의 효력시험을 실시한 경우, 유효성 파라미터의 수치 변화 • 병리모델에서 선택적으로 작용하는지 여부(정상 동물과 병리모델 동물에서의 비교 등) • 특정동물 종에서 약물 투여방법 및 기타 조건(사료의 종류 및 사료와 약물 투여시기)을 달리하였을 경우 그 효력의 차이 • 기 실시된 임상시험(국내외)에서의 목표질병에 대한 약리작용과 동물에서의 약리작용의 일관성 여부 및 동물종간 유효용량의 차이 • 모약물의 대사기전과 대사 중 생성되는 대사물의 종류 및 모약물과 각 대사물의 약리 작용 유무

2) 약리시험(Pharmacology Study)

주된 치료효과 외에 신체의 다른 생리기능이나 생명유지에 중요한 기관계(중추신경계, 심혈관계, 호흡기계 등)에 미치는 잠재적 영향을 평가하는 시험입니다.

가) 일반 약리시험(General Pharmacology Study)

시험물질이 신체 각 부위(계) 및 기능 등에 미치는 영향에 관한 비임상시험입니다.

주요기관에 대한 일반적인 시험방법은 아래 표와 같습니다.

<일반약리시험의 주요항목 및 시험방법>

기관계	시험방법
일반행동	• 다차원관찰법
중추신경계	• 자발운동량시험 • 수면제 및 마취제 등으로 유도된 수면에 대한 수면연장작용시험 • 회전봉법 등에 의한 근이완작용시험 • 전기자극이나 경련유발제로 유발시킨 경련에 대한 항경련작용시험 • 초산 writhing법 등을 이용한 진통작용시험, 체온측정
자율신경계	• 적출장관·순막 수축시험 등
호흡기계	• 호흡수 및 호흡량 측정 등
순환기계	• 혈압·심박수측정·적출심장시험 등
소화기계	• 장관수송능시험·위액분비량억제시험 등

나) 안전성약리시험(Safety Pharmacology Study)

시험물질을 치료용량 범위 또는 그 이상으로 노출시켰을 경우 생리적 기능에 나타날 수 있는 바람직하지 않은 잠재적 약력학적 효과를 평가하기 위한 시험입니다.

√ 안전성약리시험은 비임상시험관리기준(GLP)에 적합하게 실시되어야 합니다.

<안전성약리시험의 필수시험(Core Battery)>

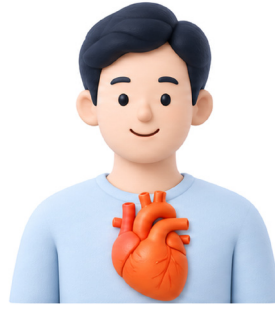
필수안전성약리시험은 시험물질이 생명유지 기능에 미치는 영향을 평가하는 것으로서, 일반적으로 생명유지 필수기관인 심혈관계, 호흡기계 및 중추신경계에 대하여 평가하여야 하며 평가 항목 등은 아래 표를 참고하실 수 있습니다.

생명유지 기능 영향 평가 (필수)



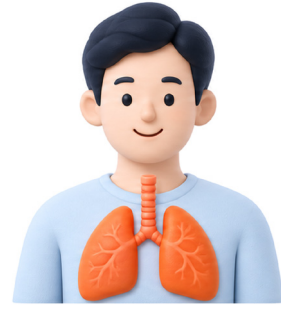
중추신경계

운동량·행동변화·
감각반사·체온



심혈관계

혈압·심박수·심전도·
재분극·전도이상



호흡기계

호흡률·
호흡기능의 척도 검사

기관계	평가 항목
중추신경계	• 운동량, 행동변화, 협조성, 감각/운동 반사반응 및 체온 등의 검사 실시 • 기능관찰시험(functional observation battery, FOB), 어윈 변형시험(modified Irwin's) 또는 다른 적절한 시험법 이용
심혈관계	• 혈압, 심박수 및 심전도 검사를 실시 • 재분극과 전도이상에 대한 검사를 포함하는 <i>in vivo</i>, <i>in vitro</i> 및/또는 <i>ex vivo</i>* 시험 고려 * 생체에서 분리한 조직이나 장기를 몸 밖에서 유지하면서 약물의 작용을 확인하는 시험
호흡기계	• 호흡률과 호흡기능의 척도 검사 • 일회호흡량(tidal volume) 또는 헤모글로빈의 산소포화도 등 적절한 방법을 이용한 정량측정 필요

시험물질의 약리학적 성질이나 화학적 분류에 근거하여 예측되거나, 필수안전성약리시험, 임상시험, 약물감시(pharmacovigilance), *in vitro* 또는 *in vivo* 시험, 또는 문헌보고를 통하여 알려진 약물유해반응이 사람의 안전에 대한 우려를 일으키는 경우 적절한 추적 및 추가 안전성약리시험을 통해서 이를 조사해야 합니다.

<필수시험에 대한 추적시험>

생명유지기능에 대한 필수시험 결과에 대해 보다 깊이 이해할 수 있도록 하기 위한 것으로, 각 기관 계별로 잠재적인 약력학적 약물유해반응에 대하여 평가항목 등은 아래의 표를 참고하실 수 있습니다.

기관계	평가 항목
중추신경계	• 행동약리, 학습 및 기억, 특이적 리간드 결합, 신경화학, 시각/청각, 전기 생리학적 검사 등
심혈관계	• 심박출량, 심실수축력, 혈관저항, 내인성/외인성 물질에 의한 심혈관 반응 등
호흡기계	• 기도저항, 유연성, 폐동맥압, 혈액가스, 혈액의 pH 등

<추가시험>

필수안전성약리시험 또는 반복투여독성시험에서 평가하지 않은 기관계 기능에 대해 염려의 소지가 있는 경우, 잠재적으로 유해한 약력학적 영향을 평가하기 위한 시험을 추가할 수 있으며 기관계별 평가항목 등은 아래 표를 참고하실 수 있습니다.

기관계	평가 항목
신장/ 비뇨기계	• 뇨량, 비중, 삼투압, pH, 물/전해질 균형, 단백질, 세포학적 및 혈중요소 질소(BUN), 크레아티닌, 혈장단백과 같은 혈액생화학적 검사 등
자율신경계	• 수용체 결합, <i>in vivo</i> 또는 <i>in vitro</i> 에서의 작용제(agonist) 또는 길항제(antagonist)에 대한 기능적 반응, 압박사시험, 심박 변동성 검사 등
소화기계	• 위액분비, 위장관 손상 가능성, 담즙 분비, 수송 시간, 위내 pH 및 체류성(pooling) 측정 등
기타	• 우려가 되는 사유가 있을 경우 다른 곳에서 조사하지 않은 기관계에 대한 시험물질의 영향을 평가해야 함(ex: 의존성, 골격근 영향, 면역기능, 내분비계 기능 등)

<시험이 필요하지 않은 경우>

아래의 경우 안전성약리시험이 면제될 수 있습니다.

- 시험물질의 약리학적 특성이 충분히 밝혀져 있으며, 전신노출 또는 다른 기관이나 조직의 분포율이 낮은 국소적용제제 (예, 경피 또는 점안제)
- 말기암 환자의 치료에 사용되는 세포독성 제제(cytotoxic agent)의 경우 임상시험 전에 수행되는 안전성약리시험이 필요하지 않을 수 있습니다. 다만, 새로운 작용기전을 가진 세포독성 제제의 경우에는 안전성약리시험을 수행할 필요가 있습니다.
- 그밖에 약력학적 및 약동학적 특성이 유사한 새로운 염과 같은 경우에는 안전성 약리시험이 필요하지 않을 수 있습니다.

3) 흡수·분포·대사·배설(ADME)

시험물질이 체내에 들어온 후 각 조직으로 분포하고, 체내 효소의 작용 등을 통한 대사 과정을 거쳐, 최종적으로 체외로 배출되는 전체적인 이동과 변화 과정을 평가하는 시험입니다.

가) 흡수(Absorption)

시험물질의 생체로의 흡수가 어떻게 진행되며, 이용되는가를 명확히 하고자 하는 시험입니다.

평가항목

- 흡수정도와 흡수속도 *in vivo*와 *in situ** 시험
* 살아있는 유기체의 원래 위치와 상태를 그대로 유지한 채 특정 장기나 조직에서의 반응을 평가하는 시험
- 약동학파라미터(kinetic parameters), 생물학적동등성 및/또는 절대생체이용률(혈청/혈장/혈액 PK 시험)

나) 분포(Distribution)

시험물질이 혈액을 타고 온몸의 조직과 장기로 퍼져나가는 변화를 확인하고자 하는 시험입니다.

평가항목

- 조직분포시험
- 단백질결합 및 혈액세포중으로의 분포
- 태반통과시험

다) 대사(Metabolism)

시험물질의 주된 대사경로 및 대사의 정도와 속도를 명확히 규명하고자 하는 시험입니다.

평가항목

- 화학구조와 생체시료 중 대사체의 양
- 가능한 대사경로
- 전신순환 전대사(위장관/간 초회통과효과)
- P450 시험을 포함하는 *in vitro* 대사
- 효소유도와 저해

라) 배설(Excretion)

시험물질과 그의 주요한 대사체의 배설경로 및 배설의 정도와 속도를 명확히 규명하고자 하는 시험입니다.

평가항목

- 배설경로와 양
- 유즙으로의 배설

[관련 규정]

「의약품의 품목허가·신고·심사 규정」제7조제5호

「생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정」제7조제1항제5호, 제25조제5호

「첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정」제16조제1항제1호, 제17조

「비임상시험관리기준」

「의약품등의 약리시험기준」

[자료 요건]

상기 각 규정에 정해진 요건에 따른 자료여야 합니다.

약리시험자료로는 일반약리시험자료 또는 안전성약리시험자료를 제출합니다.

안전성약리시험 중 중추신경계, 심혈관계, 호흡기계 시험의 경우, 「비임상시험 관리 기준」(식약처 고시)에 따라 시험한 자료*여야 합니다.

* 경제협력개발기구(OECD)의 회원국에서 실시한 실태조사 결과 해당 시험 분야가 비임상시험관리기준에 적합하였음을 확인할 수 있는 자료 포함

※ 약물상호작용에 관한 자료는 신약 등의 경우 필요하나, 본 가이드에서 설명하지 않았습니다.

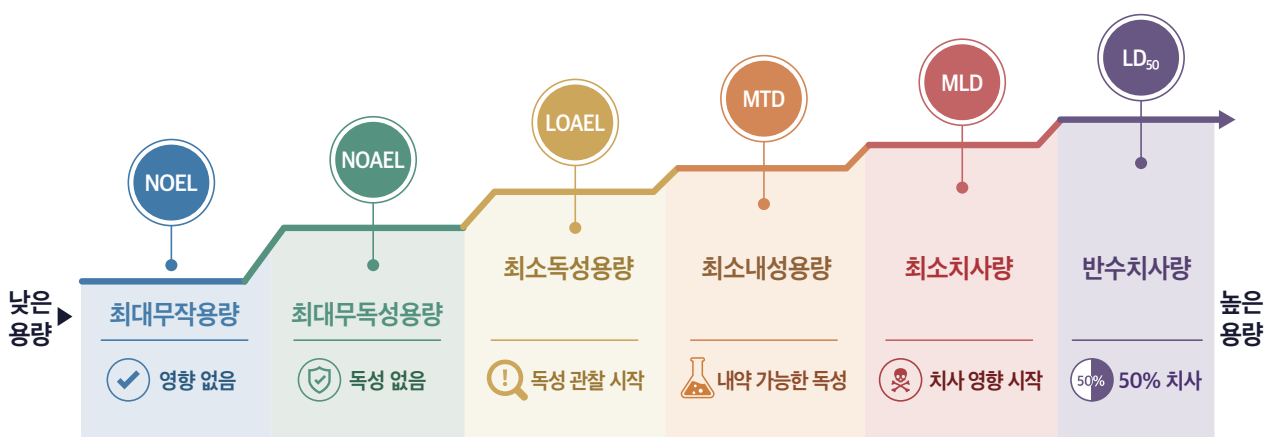
나. 독성에 관한 자료(Toxicity Study)

독성시험은 의약품 후보물질을 일정 조건으로 투여했을 때 나타날 수 있는 유해한 영향을 평가하는 시험입니다. 독성의 종류와 표적장기, 용량-반응 관계, 발생 시점 및 회복 가능성을 확인하여 임상시험 대상자를 보호하고 허용 가능한 노출범위를 설정하는데 목적이 있습니다.

독성시험에서는 각 시험의 목적과 의약품의 사용 특성을 고려하여 동물종, 용량 및 투여경로를 적절하게 설정해야 하며, 임상에서 예상되는 투여경로를 반영하여 시험을 설계해야 합니다. 또한 임상 투여경로와 다른 경로를 사용하여 독성시험을 실시한 경우에는 그 사유와 과학적 타당성을 명확하게 제시해야 하며, 해당 투여경로가 시험 결과의 해석 및 인체 안전성 평가에 미치는 영향을 고려할 필요가 있습니다.

<주요 용량지표>

투여량이 증가할수록 독성의 발생 가능성과 정도가 증가할 수 있습니다. 이러한 용량-반응 관계를 이해하기 위해서는 독성시험에서 사용되는 주요 용어를 알아두는 것이 중요합니다.



용어	정의
NOEL	시험동물에 어떠한 영향도 나타나지 않는 최대용량
NOAEL	시험물질을 시험동물에 투여하였을 때 독성이 나타나지 않는 최대용량
LOAEL	시험물질을 시험동물에 투여하였을 때 독성이 나타나는 최소용량
MTD	시험물질을 시험동물에 투여하였을 때 대조군에 비하여 10% 이내의 체중증가 억제 또는 상승을 나타내면서 사망에 영향을 미치지 않는 독성증상이 나타날 것으로 기대 되는 최소용량
MLD	동물의 생사 및 독성증상으로부터 판단되는 최소치사량
ALD	서로 다른 용량에서 관찰된 동물의 생사 및 독성증상으로부터 판단되는 최소치사량 (개략의 치사량)
LD ₅₀	시험군의 절반 정도가 사망할 것으로 예상되는 용량

1) 단회투여독성시험(Single Dose Toxicity Study)

시험물질을 시험동물에 단회투여(24시간 이내의 분할 투여하는 경우도 포함)하였을 때 단기간 내에 나타나는 독성을 질적·양적으로 검사하는 시험입니다.

<시험은 이렇게 진행합니다>



항목	시험방법
시험동물	• 원칙적으로 2종 이상 • 설치류 1종 + 토끼를 제외한 비설치류 1종. 최소 1종은 암·수 모두 조사
투여경로	• 임상적용경로를 포함한 2개 이상. 임상경로가 정맥인 경우 정맥투여로만 사용해도 무방함
용량단계	• 설치류 : 개략의 치사량을 구하기에 적절한 단계를 설정 • 비설치류 : 독성증상을 명확히 관찰할 수 있도록 설정
관찰기간	• 통상 2주. 명확한 증상이 지속되거나 사망이 지연되면 연장
확인 항목	• 개략의 치사량 • 일반증상(매일, 체중(기간 중 3회 이상 측정)) • 부검시 육안소견 • 조직병리검사(육안소견이 관찰된 장기 중 필요시)

※ 반복투여독성시험의 적정용량 설정을 위하여 실시하는 예비시험을 단회투여독성시험으로 인정할 수 있습니다.

※ 생물의약품은 타당한 근거가 있는 경우(예를 들어 적절한 동물 종이 한 종류만 확인되었거나 한 종의 동물에서 생물학적 활성이 충분히 설명되는 경우) 1종의 적절한 동물 사용이 가능합니다.

2) 반복투여독성시험(Repeated Dose Toxicity Study)

시험물질을 시험동물에 반복투여하여 중·장기간 내에 나타나는 독성을 질적·양적으로 검사하는 시험입니다.

<시험은 이렇게 진행합니다>



항목	시험방법
시험동물	• 원칙적으로 2종 이상 • 설치류 1종(군당 암·수 각 10마리 이상) + 토끼를 제외한 비설치류 1종(각 3마리 이상)
투여방법	• 임상적용경로로 투여하며, 원칙적으로 1일 1회·주 7일 반복 투여
용량단계	• 적어도 3개 시험물질 투여군과 대조군을 두고, MTD·NOEL을 포함해 용량·반응이 나타나도록 설정
확인 항목	• 일반증상, 체중 및 체중변화량, 사료섭취량, 물섭취량, 혈액검사, 뇨검사, 안과학적검사, 기타 기능검사, 병리조직학적 검사, 최소독성 용량 및 최대무독성용량
회복군	• 투여 종료 후 독성변화의 가역성과 지연성 독성을 판단할 수 있도록 추가하는 것이 바람직

※ 생물의약품은 타당한 근거가 있는 경우(예를 들어 적절한 동물 종이 한 종류만 확인되었거나 한 종의 동물에서 생물학적 활성이 충분히 설명되는 경우) 1종의 적절한 동물 사용이 가능합니다.

<얼마나 오래 반복투여 해야 할까요?>

1. 임상시험을 위한 반복투여독성시험의 최소 투여기간

임상시험기간 중 약물투여기간	최소 투여기간	
	설치류	비설치류
~2주	2주	2주
2주 ~ 6개월	임상시험 중 약물투여기간	임상시험 중 약물투여기간
> 6개월	6개월	만성*

2. 허가신청을 위한 반복투여독성시험의 최소 투여기간

약물투여기간	최소 투여 기간	
	설치류	비설치류
~2주	1개월	1개월
~1개월	3개월	3개월
~3개월	6개월	6개월
> 3개월	6개월	만성*
약물투여기간에 상관없이 특히 필요하다고 인정되는 경우**	6개월	만성*

* 비설치류에 있어서는 9개월의 반복투여독성시험을 고려한다.

** 시험물질이 고도의 체내축적성, 비가역적인 독성의 발현, 투여기간의 장기화에 의해 현저히 독성이 증가하는 특성을 가진 경우

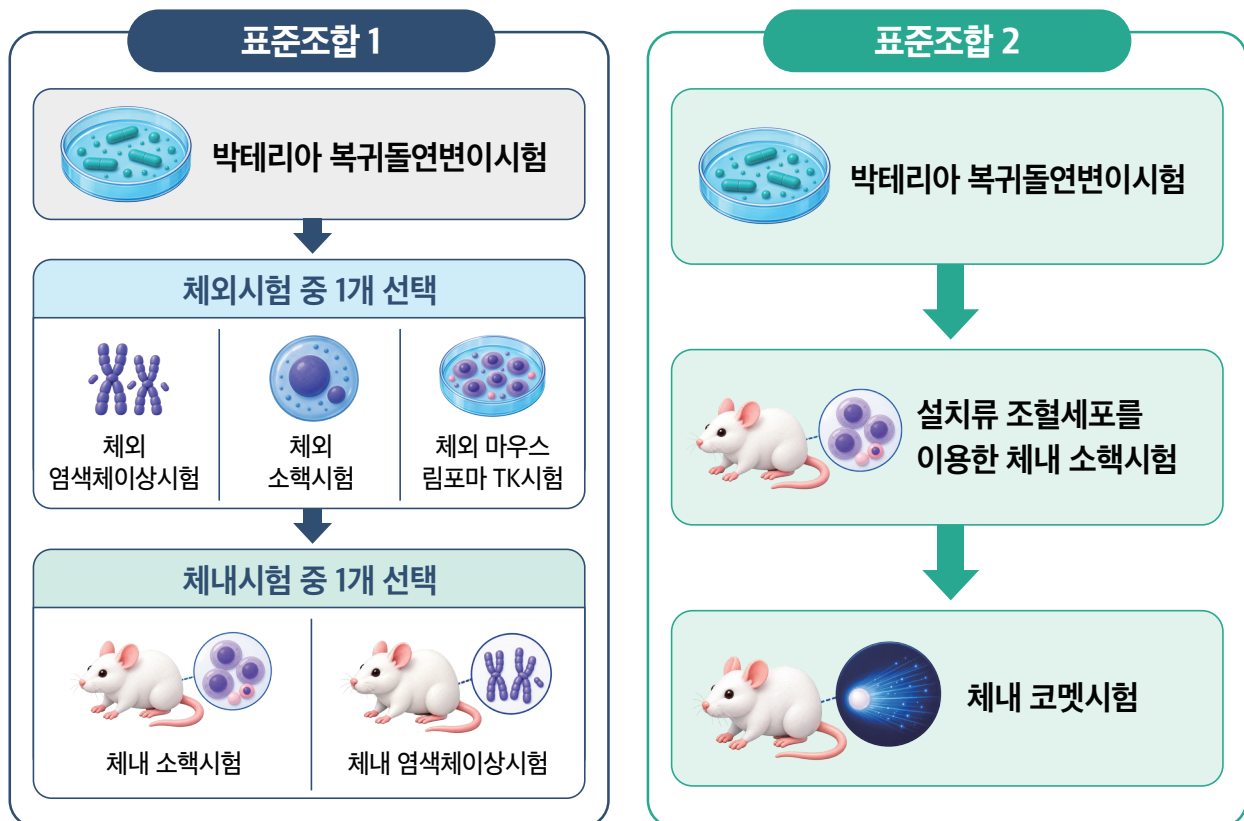
※ 반복투여독성시험 관련 상세내용은 「의약품등의 독성시험기준」 [별표2]를 참고하시기 바랍니다.

3) 유전독성시험(Genetic Toxicity Study)

시험물질이 유전자 또는 유전자의 담체인 염색체에 미치는 상해작용을 검사하는 시험입니다.

<시험조합선택>

원칙적으로 모든 시험물질에 대하여 아래 표준조합 중 1가지를 선택하여 각 호의 유전독성시험을 실시하여야 합니다.



표준조합은 손상 유형과 시험환경을 서로 보완하도록 구성되며, 시험물질의 특성과 시험 목적에 따라 OECD 유전독성시험기준의 다른 시험으로 대체하거나 추가할 수 있습니다.

※ 유전독성 시험자료 중 시험관내(*in vitro*) 돌연변이 및 염색체손상시험은 제1상 단계 임상시험 전에 제출하고, 만약 시험결과가 의양성 또는 양성으로 나타났을 경우에는 생체내(*in vivo*) 소핵시험 자료를 제1상 단계 임상시험 전에 제출하여야 합니다. 그러나, 시험결과가 음성으로 나타나는 경우에는 생체내(*in vivo*) 소핵시험은 제2상 단계 임상시험 전까지 제출하여야 합니다.

4) 생식·발생독성시험(Reproductive and Developmental Toxicity Study)

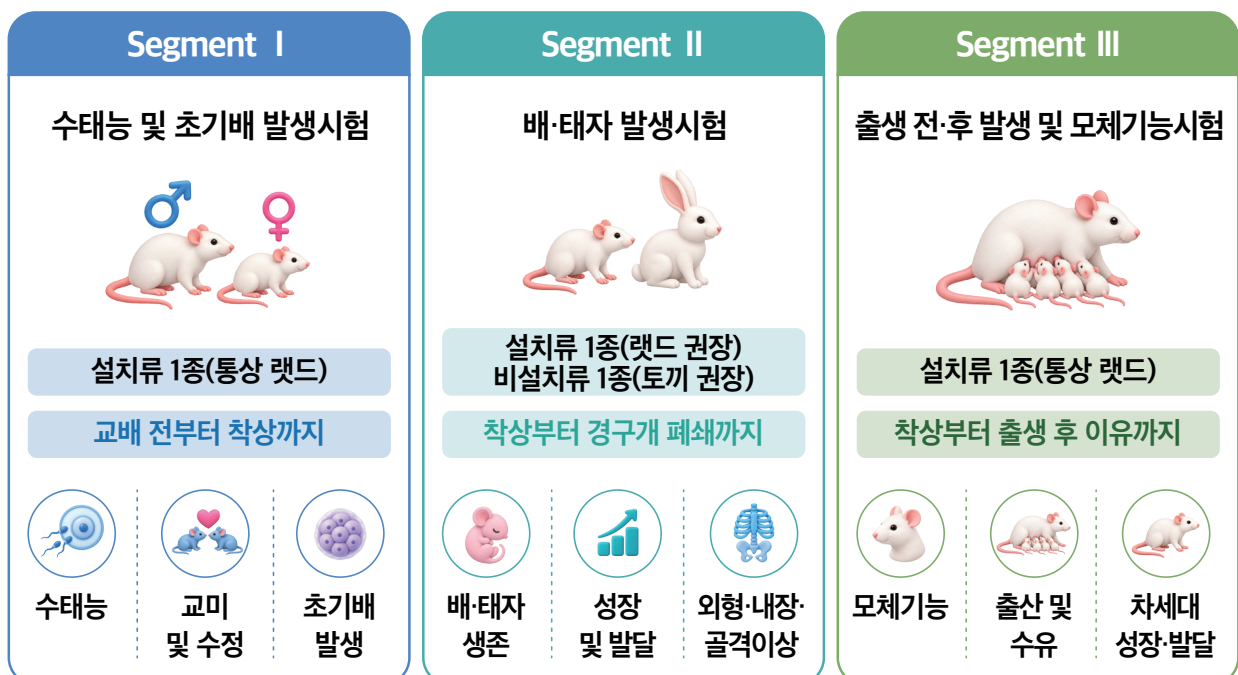
시험물질이 부모의 생식 기능과 자손의 성장·발달에 미치는 유해한 영향을 평가하는 시험입니다.

<시험법 선택 또는 조합>

시험을 선택 또는 조합하는 경우 성숙동물 및 수정에서부터 성적 성숙에 이르는 발생의 전 과정에 걸쳐 약물이 노출되어야 합니다. 이 경우 노출에 의해 즉시 또는 나중에 나타나는 영향을 검출하기 위해서는 하나의 완전한 생명주기 동안 즉, 한 세대의 수정에서부터 다음 세대의 수정까지 지속적으로 관찰하여야 합니다.

- **표준시험법** : 생식·발생독성시험의 기본이 되는 시험법으로서 “수태능 및 초기배 발생시험 (Segment I)”, “배·태자 발생시험(Segment II)”, “출생 전·후 발생 및 모체기능시험 (Segment III)” 으로 세분화합니다.
- **단일시험법** : 표준시험법 중 “수태능 및 초기배 발생시험”과 “출생 전·후 발생 및 모체기능시험”의 투여기간을 하나로 통합하는 시험법입니다.
- **조합시험법** : 두 가지 종류로 구분할 수 있는데 첫 번째는 “수태능 및 초기배 발생시험”과 “배·태자 발생 시험”을 포함한 “출생 전·후 발생 및 모체기능시험”으로 조합하는 시험법입니다. 두 번째는 “수태능 및 초기배 발생시험”의 투여를 경구개 폐쇄까지 계속하여 “배·태자 발생시험”을 포함하고 별도의 “출생 전·후 발생 및 모체기능시험”을 조합하는 시험법입니다.

<시험은 이렇게 진행합니다>



평가 단계	정의	평가항목
수태능 및 초기배 발생	• 암·수 동물에 교배 전부터 교미·착상까지 시험물질을 투여하여 나타나는 독성 및 장애 검사	• 생식세포 • 성숙교미행동 • 수정 • 배자의 착상 전 단계 • 착상
배·태자 발생	• 착상부터 경구개가 폐쇄되는시기 까지 임신중의 암컷에 시험물질을 투여하여 모체와 배·태자의 발생에 미치는 영향 검사	• 비임신 암컷과 비교시 독성의 증가 • 배·태자 사망 • 성장 변화 • 형태학적인 변화
출생 전·후 발생 및 모체기능 시험	• 암컷에 착상부터 이유까지 시험물질을 노출시켜 임신/수유기의 암컷, 수태산물 및 출생자의 발생에 미치는 독성 검사	• 비임신 암컷과 비교시 독성의 증가 • 출생 전 및 출생 후의 배자·태자·출생자의 사망 • 성장 및 발달의 변화 • 행동, 성숙(성적 성숙) 및 생식기능(차세대)을 포함한 출생자의 기능장애

√ 반복투여독성시험에서 웅성(雄性)생식기관에 대한 검토가 이루어진 경우 남성에 대한 1상 임상시험 및 2상 임상시험은 웅성생식독성시험자료 제출 전에 실시할 수 있으며, 3상 임상시험 시작 전까지는 제출해야 합니다.

√ 반복투여독성시험에서 자성(雌性)생식기관에 대한 평가 등 적절한 검토가 이루어진 경우 영구피임, 폐경기 이후 등 임신 가능성이 없는 여성에 대하여는 생식발생독성시험자료 없이 임상시험 수행이 가능하며 3상 임상시험 시작 전까지는 제출해야 합니다.

√ 초기 임상시험에서 반복투여독성시험에서 생식기관에 대한 적절한 평가가 이루어진 경우 이를 구체적으로 설명하여 심사 시 생식기관에 대한 영향 평가가 가능하도록 근거를 제시합니다.

√ 생식발생독성시험 결과 또는 생식기관에 대한 결과를 고려하여 남성 및 여성의 피임기간은 충분하고 타당하게 설정합니다.

5) 발암성시험(Carcinogenicity Study)

시험물질을 시험동물에 장기간 투여하여 암(종양)의 유발여부를 질적·양적으로 검사하는 시험입니다.

<시험은 이렇게 진행합니다>

항목	예비시험	본시험
시험 구성	• 단회투여 예비시험 + 90일 반복투여 예비시험	• 장기투여 발암성시험 + 추가시험
시험동물	• 본시험과 연계하여 적절한 동물종·계통 선정	• 6주령까지의 동일 주령 동물 사용, 이유 후 가능한 한 빠른 시기에 투여 시작 권장 • 감염성질환에 대한 저항성, 수명, 자연 발생종양의 발생빈도, 이미 알려진 발암 물질 감수성 등을 고려하여 선정
시험군	• 암·수 각각 3단계 이상 + 대조약	• 암·수 각각 3단계 이상 + 대조군
동물수	• 군당 암·수 각 10마리 정도	• 군당 암·수 각 50마리 이상
투여기간	• 90일 (반복투여 예비시험기간) • 지연독성 또는 체내축적성이 있는 시험물질의 경우에는 장기간 투여 요구 가능	• 랫드 24~30개월 • 마우스·햄스터 18~24개월
투여경로	• 본시험과 동일	• 원칙적으로 임상적용경로
주요 관찰	• 일반상태 매일 관찰 • 체중 주 1회 이상 측정 • 사망례 즉시/생존례 투여 종료 시 부검하여 육안 관찰 및 이상 조직 병리조직학적 검사	• (관찰종료시의 생존례) 기관·조직의 육안관찰 • (최고용량군 및 대조군) 병리조직학적 검사 • 필요 시 혈구수 측정 및 혈액 도말검사 실시 • 육안적으로 확인되는 종양성 병변 검사 • 장기·조직 검사

※ 말기 암 등 중증질환 치료제나 환자의 기대 수명이 2~3년인 경우 면제 대상이며, 단기간 사용 의약품·국소적용제제(낮은 전신 노출) 등도 일반적으로 발암성시험은 필요하지 않습니다.

6) 기타독성시험

기타 독성시험의 종류로는 아래와 같은 시험 등이 있으며, 개개 의약품의 특성에 따라 필요한 시험을 실시합니다.

항목	시험 개요
항원성시험	시험물질이 항체의 항원으로 작용하여 나타나는 면역원성 유발여부를 검사하는 시험입니다. ※ 전신적으로 투여되는 약물로서 고분자물질, 단백질의약품인 경우와 저분자물질이라 하더라도 합텐으로서 작용할 가능성이 있는 경우(예: 페니실린, 설펜아마이드계) 항원성시험을 실시합니다. ※ 백신의 경우, 면역증강제 자체가 면역원성이 있을 수 있으므로 과민반응 유도 확인시험을 실시해야 합니다.
국소독성시험	시험물질이 피부 또는 점막에 국소적으로 나타내는 자극을 검사하는 시험입니다. 피부 또는 점막에 직접 적용되거나 직접 적용되지 아니하더라도 쉽게 접촉될 수 있는 의약품의 경우 제출이 필요합니다. 다만, 점막자극시험은 다른 독성시험의 일부분으로 실시할 수 있습니다. - 종류 : 피부자극시험, 안점막자극시험
국소내성시험	시험물질이 시험동물의 주사부위에서 나타내는 임상·병리학적 반응을 검사하는 시험입니다.
면역독성시험	반복투여독성시험의 결과, 면역계에서 이상이 있는 경우 시험물질의 이상면역반응을 검사하는 시험입니다. 반복투여독성시험 결과 면역계에 이상이 없는 경우 면제할 수 있습니다. - 유전자재조합의약품의 경우 대부분의 동물에서 면역원성을 보이므로 반복투여 독성시험 수행시 의약품 투여시 생성된 항체 측정 및 특성(역가, 반응동물 수, 중화항체 여부 등)을 밝혀야 합니다.
의존성시험	의약품의 반복 투여로 인해 의존성이 발생할 가능성 및 투여 중단에 따른 금단현상 등을 평가하는 시험입니다. 약리적으로 중추신경계에 작용하는 의약품과 말초 작용물질이라도 적정 농도에서 중추 작용을 나타내는 경우에는 의존성시험을 실시해야 합니다.

항목	시험 개요
흡입독성시험	기체, 휘발성 물질, 증기 및 에어로솔 물질을 함유하고 있는 공기를 시험 동물에 흡입 투여하여 나타나는 독성을 검사하는 시험입니다. 단회투여 흡입독성시험과 반복투여흡입독성시험이 있습니다.
광안전성	의약품의 광화학적 특성, 비임상시험 및 사람에서의 안전성 자료 등을 바탕으로 빛에 노출되었을 때 발생할 수 있는 광독성 및 광알러지의 위험을 평가하는 것입니다. • 광독성(광자극) : 광반응성 화학물질에 대하여 빛에 의해 유도되는 급성조직 반응 • 광알러지 : 화학물질에 대한 면역매개반응 (이러한 면역 매개반응은 광화학반응의 결과로 생성된 광생성물 형성(예. 단백질 부가물)으로 시작됨)

[관련 규정]

「의약품의 품목허가·신고·심사 규정」제7조제4호

「생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정」제7조제1항제4호

「첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정」제16조제1항제2호, 제17조

「비임상시험관리기준」

「의약품등의 독성시험기준」

[자료 요건]

상기 각 규정에 정해진 요건에 따른 자료여야 합니다.

독성에 관한 자료는 「비임상시험 관리 기준」(식약처 고시)에 의하여 시험한 자료^{*}여야 합니다.

* 경제협력개발기구(OECD)의 회원국에서 실시한 실태조사 결과 해당 시험 분야가 비임상시험관리기준에 적합하였음을 확인할 수 있는 자료 포함

2 | 임상시험성적에 관한 자료 (Clinical Trial/Study)

가. 임상시험에 관한 자료

임상시험은 의약품 등의 안전성과 유효성을 증명하기 위하여 사람을 대상으로 해당 약물의 약동·약력·약리·임상적 효과를 확인하고 이상반응을 조사하는 시험을 말합니다.

원하는 목적을 달성하기 위해 의약품 임상시험 관리기준(GCP)과 과학적 원칙에 따라 설계·실시·분석되어야 하며, 각 임상시험계획서와 결과보고서에는 그 목적을 명확히 기술해야 합니다. 순차적으로 실시된 시험의 결과는 다음 시험의 계획에 영향을 미치고 새로운 결과에 따라 개발 전략이 수정될 수 있습니다.

1) 제1상 임상시험단계(임상약리시험)

의약품을 사람에게 처음 투여하는 단계로, 내약성, 안전성, 약동학·약력학적 특성 등을 평가하기 위해 실시합니다. 일반적으로 치료를 목적으로 하지 않으며, 건강한 시험대상자나 특정 환자 군에서 실시합니다. 심각한 잠재적 독성을 갖고 있는 약물의 경우(예, 세포독성약물) 일반적으로 환자를 대상으로 임상시험을 하게 됩니다.



구분	주요 내용
대상	일반적으로 건강한 성인 지원자를 대상으로 하며, 세포독성 항암제 등은 환자를 대상으로 실시
목적	- 내성 및 안전성 평가 - 임상 PK1 및 PD2 정의/설명 - 약물 대사 및 약물 상호 작용탐색 - 활성도 평가, 면역원성 평가 - 신장/간 내성 평가 - 심장 독성 평가

구분	주요 내용
시험 예시	• 단식/식이 상태에서의 생체이용률/생물학적 동등성 시험 • 용량-내약성 시험 • 단일 및 다회 용량 증량 약동학 및/또는 약물학 시험 • 약물 간 상호작용 시험 • QTc 연장 시험 • 약물 전달 장치에 대한 사람 요인 시험

2) 제2상 임상시험단계(치료적 탐색 임상시험)

대상 환자군에서 치료적 유효성을 탐색하여 가능한 용량과 투여기간 설정을 위한 다양한 정보수집을 목적으로 하는 임상시험입니다. 이 단계에서는 제3상 임상시험에서 의약품의 용량 및 용법을 결정하며, 추가적인 2상이나 제3상 임상시험을 수행하기 위한 결과변수 평가와 치료요법(병용약물 포함), 적응증과 관련된 대상환자군에 대한 정보를 얻습니다.

목표 환자군  목표 적응증에 해당하는 환자군을 대상으로 해요	치료적 유효성 탐색  평가항목을 이용해 치료적 유효성을 탐색해요	용량·투여기간 탐색  여러 용량을 비교해 용량과 투여기간을 탐색해요	안전성 평가  이상반응과 임상검사 등을 통해 안전성을 평가해요
--	--	---	---

구분	주요 내용
대상	• 해당 질환을 가진 환자군
목적	• 목표 적응증에 대한 탐구 • 후속 시험을 위한 용량/투약 요법 추정 • 용량-반응/노출-반응 관계 탐색 • 확증적 시험 설계를 위한 근거 제공(예: 표적 집단, 임상적 평가변수, 환자 보고 결과 측정, 치료 효과에 영향을 미치는 요인)
시험 예시	• 잘 정의된 소수의 환자 집단을 대상으로 대리 약리학적 평가변수 또는 임상적 평가방법을 사용하여 비교적 단기간에 걸친 무작위 대조 임상시험 • 바이오마커 탐색 시험 • 환자 보고 결과 밸리데이션 시험 • 탐색적 목적과 확증적 목적을 결합할 수 있는 적응형 설계

※ 2상 임상시험을 전기, 후기로 나누어 시행하는 경우, 전기 제2상 임상시험은 용량반응을 추정하기 위해서 용량의 단계적 증량 디자인을 자주 이용하고, 후기 제2상 임상시험은 용량-반응 설계를 사용하여 적응증에 대한 용량-반응 관계를 확정합니다.

3) 제3상 임상시험단계(치료적 확증 임상시험)

의약품의 안전성과 유효성을 확증하기 위한 임상시험입니다. 일반적으로 다수의 환자를 대상으로 시험군과 대조군을 비교하여 치료 효과를 확인하고, 이상반응과 전반적인 안전성 정보를 수집합니다. 제3상 임상시험을 통하여 의약품의 품목허가사항에 필요한 정보를 완성하게 됩니다. 용량-반응 관계를 추가적으로 평가하거나 더 넓은 대상이나 중증의 질환에 사용할 수 있는지 여부, 또는 다른 의약품과 병용가능성 여부에 대한 추가적인 연구를 실시할 수 있습니다.



구분	주요 내용
대상	해당 질환을 가진 다수의 환자 (예상 적응증에 해당하는 환자군)
목적	- 유효성 입증/확증 - 보다 규모가 크고 보다 대표성 있는 환자 집단에서 안전성프로파일 확립 - 허가를 뒷받침할 유익성/위해성 관계를 평가하기 위한 적절한 근거 제공 - 용량-반응/노출-반응 관계 확립 - 특수 집단(예: 소아, 고령)에서 안전성 프로파일을 확립하고 유효성 확인
시험 예시	- 보다 규모가 크고 보다 대표성 있는 환자 집단에서 유효성을 확립을 위한 적절하고 잘 통제된 임상시험 - 무작위 배정에 의한 용량-반응 시험 - 안전성 임상시험 - 사망률/이환율 결과 시험 - 특수 집단 대상 시험 - 다중 약물의 유효성을 입증하기 위한 단일 시험계획서 시험

<임상시험계획승인을 위한 제출자료>

분류	세부항목	임상 1상 임상약리시험	임상 2상 치료적 탐색 임상시험	임상 3상 치료적 확증 임상시험
공통	공통문서	개발계획서 구조규명자료	-	-
		임상시험자료집(IB)	업데이트된 IB	업데이트된 IB
		-	1상 결과 요약 보고서	1·2상 결과보고서
		임상시험계획서	2상 계획서	3상 계획서
약리 시험	약리효력	<i>in vitro</i> / <i>in vivo</i> 효력 시험 작용기전(MoA) 증명자료	적응증 확대를 위한 약리 최적 용량 산출 근거 자료	허가용 효력시험 보완 및 완결
	약물동태	동물체내 흡수분포대사 배설 인체 간세포 이용 대사 비교	동물 질환 모델	누적된 중간 대사 및 배설 비교 자료
	안전성 약리	필수시험 (Core battery)	필요시 추적시험/ 추가시험	필요시 추적시험/추가시 험
독성 시험	단회독성	설치류, 비설치류 각 1종	-	-
	반복독성	최소 2주	임상시험 중 약물투여기간 (의약품등의 독성시험기준 [별표2]에 따름)	
	유전독성	유전독성(<i>in vitro</i>)	유전독성(<i>in vivo</i> 추가)	-
	생식발생독 성	-	p.14~p.15 참고	
	발암성	-	필요시 실시	
	기타독성	제출자료의 범위는 개개 의약품의 특성에 따라 판단		
품질	품질	<임상단계별 요구되는 품질자료>(p.24~p.26) 참고		

※ 해당 내용은 일반적인 의약품 개발에 대한 사항이며, 개별 품목의 특성 및 적용 규정 등에 따라 제출자료의 종류와 제출 시기가 달라질 수 있습니다.

임상시험 단계별로 임상시험용의약품의 품질을 확인하기 위하여 확인, 순도, 역가 등에 대한 충분한 정보를 제출해야 하며 이러한 정보의 양은 임상 단계, 임상시험 기간, 투여 형태, 기타 정보의 양에 따라 달라집니다.

의약품 개발이 진행됨에 따라 임상시험용의약품에 대한 제조 및 품질에 관한 사항은 지속적으로 업데이트 될 수 있으며 변경사항과 이를 뒷받침하는 문서는 임상시험 의뢰자(또는 해당되는 경우 시험자)에 의해 기록되어 적절한 추적성을 제공할 수 있어야 합니다.

가. 개발 단계별 원료의약품 및 완제의약품의 품질 수준

1) 제1상 임상시험단계(임상약리시험)

비임상시험을 이용해 임상시험의 안전성을 보장하려면, 원칙적으로 임상시험용의약품과 동물시험에 사용한 의약품은 동일한 품질을 유지하여야 합니다. 개발 초기인 임상약리시험 단계에서는 해당 임상시험에 적합한 형태와 품질을 충분히 확보하는 것이 중요합니다. 원료의약품의 안정적인 확보뿐만 아니라 제제개발, 분석방법 개발, 표준물질 확립 등 의약품의 품질을 확인하기 위한 기본적인 관리체계를 마련해야 합니다. 완제의약품은 초기 임상시험에 적합한 제형을 개발하고, 향후 GMP 수준에서 생산할 수 있도록 제조 공정을 발전시키며 임상시험기간 동안 필요한 안정성을 확보해야 합니다.

2) 제2상 임상시험단계(치료적 탐색 임상시험)

치료적 탐색 임상시험 단계에서는 유효성 평가에 사용되는 의약품이 적절한 품질을 유지하도록 관리하는 것이 중요합니다. 초기 임상시험에서 사용한 원료의약품 및 완제의약품과 비교하여 품질의 일관성을 확인하고, 원료의약품의 불순물 프로파일을 확립해야 합니다.

3) 제3상 임상시험단계(치료적 확증 임상시험)

치료적 확증 임상시험 단계에서는 대규모 임상시험에 사용되는 의약품의 품질을 일관되게 유지할 수 있도록 품질관리 체계를 더욱 구체화해야 합니다. 이 단계에 진입하기 전에는 원료의약품과 완제의약품의 규격, 시험방법, 시험방법 밸리데이션 및 순도 분석 등 품질에 관한 주요 사항이 확립되어 있어야 합니다.

임상단계별로 요구되는 품질자료에 대한 주요 내용은 아래 표를 참고하시기 바랍니다. 아래 표는 다양한 의약품을 대상으로 일반적 사항을 중심으로 기재하고 있어 임상시험용의약품의 특성에 따라 일부 항목이 적용되지 않을 수 있으며, 상세 내용은 「임상시험용의약품의 품질 가이드라인(민원인안내서)」을 참고하시기 바랍니다.

<임상단계별 요구되는 품질자료>

* 원료의약품(주성분), 임상시험용의약품(완제의약품)

1) 원료의약품

제출 자료	임상 1상 임상약리시험	임상 2상 치료적탐색 임상시험	임상 3상 치료적확증 임상시험
일반적 특성	명칭, 구조 및 구조 결정, 물리화학적, 생물학적 특성 간략하게 기재	- 명칭, 구조 및 구조결정, 중요한 특성에 대해 기재 - 추가 및 변경 사유 기재	- 명칭, 구조 및 구조결정, 중요 특성을 포함하여 물리화학적, 생물학적 특성 전반적으로 기술 - 추가 및 변경 사유 기재
제조원	제조원의 명칭과 주소		
제조방법	출발물질부터 반응단계에 따라 제조과정을 흐름도를 이용하여 작성		
순도	미지의 불순물을 포함하여 간략하게 기재	제조경험, 안정성, 안전성을 근거로 불순물 기준설정	
규격	확정된 규격을 요구하지 않음. 확인, 함량, 순도 포함	예비규격 설정 - 확인, 순도, 함량을 포함하여 추가규격 설정	규격 설정
시험방법	원료의약품의 특성을 확인하기 위해 사용된 시험방법에 대해 기술	시험방법 기재 (변경된 사항 있는 경우 추가기술)	
시험방법 밸리데이션	제출 생략 가능	밸리데이션 자료 제출	
배치분석	대표배치의 CoA 또는 배치분석 결과의 요약표		
기준설정근거	간략기재		
표준품	표준품을 확립하기 위해 사용한 원료의약품 배치의 특성 파라미터를 기재		
용기 및 포장	1차포장재에 대해 기술		
안정성자료	개발단계에서 입수된 안정성자료를 표로 요약		

2) 임상시험용의약품

제출자료	임상 1상 임상약리시험	임상 2상 치료적탐색 임상시험	임상 3상 치료적확증 임상시험
개요와 조성	- 원료약품 및 그 분량을 작성하며, 주성분 및 첨가제의 명칭과 규격을 기재 - 각 성분마다 배합목적, 성분명, 규격, 분량을 기재		
개발경위	간략하게 기재	조성, 제형, 제조공정 등 변경 사유 기재	
제조원	위약 및 대조약의 제조원 명칭과 주소		
배치조성 및 제조공정 및 공정관리	-	최종 제품 배치의 조성을 기재	
	- 제조공정에 사용되어 제제에서 나타날 수 있는 성분, 또는 제제에서 나타나지 않을 수 있더라도 제조공정에 사용된 성분들의 목록을 작성 - 의약품의 품목허가·신고·심사 규정 [별표 8의3])에 따라 제조방법을 기재		
첨가제 관리	- 첨가제의 제조(필요한 경우)와 품질관리정보, 참고정보(기허가사항 여부)에 대해 기술 - 국내 사용례가 없는 새로운 첨가제의 경우, 첨가제에 대한 물리화학적 성질에 관한 자료, 독성에 관한 자료, 배합목적 및 용도에 관한 자료, 안정성에 관한 자료(완제품에 대한 시험자료도 가능)를 제출		
규격	확정된 규격을 요구하지 않음. 확인, 함량, 순도 포함	예비규격 설정. 확인, 순도, 함량을 포함하여 추가규격 설정	규격 설정
시험방법	사용된 주성분 분석법의 개요 제출	시험방법에 대해 간략하게 기재, 추가변경 사항 기재	상세 시험방법 설정
시험방법 밸리데이션	제출 생략 가능	밸리데이션 요약표 제출	
배치분석	대표적인 배치에 대한 정보(배치번호, 제조 크기, 제조일, 제조장소, 용도) 및 배치 분석 결과 기재, 대표배치의 CoA 또는 배치분석 결과의 요약표 제출		
순도	-	원료의약품에서 다루지 않았지만 임상시험용의약품에서 추가로 확인되는 불순물(분해생성물 포함)에 대한 정보를 기재	

제출자료	임상 1상 임상약리시험	임상 2상 치료적탐색 임상시험	임상 3상 치료적확증 임상시험
기준설정 근거	-	• 기준설정 근거에 대하여 간략하게 기술	
표준품	• 임상시험용의약품의 시험에 사용되는 표준품에 대해 기재		
용기 및 포장	• 1차 포장재에 대해 기재		
안정성자료	• 로트 수 : 1로트 이상 • 원칙적으로 장기보존시험 결과로 사용기한 설정		
	• 사용한 안정성시험 기준과 시험방법, 결과를 간략히 기술	• 실시한 시험의 종류 및 시험결과 요약, 기재 • 시험항목에 대하여 유의적인 변화가 보이지 않는 경우, 안정성시험계획에 따라 사용기한을 설정	

[관련 규정]

「의약품의 품목허가·신고·심사 규정」제7조제6호

「생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정」제7조제1항제6호

「첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정」제18조, 제19조

「의약품 임상시험 계획 승인에 관한 규정」

「의약품 등의 안전에 관한 규칙」[별표4] 의약품 임상시험 관리기준

「의약품 등 안전에 관한 규칙」[별표4의2] 임상시험용의약품 제조 및 품질관리기준

[자료 요건]

상기 각 규정에 정해진 요건에 따른 자료여야 합니다.

국내자료의 경우, 식품의약품안전처장이 지정한 임상시험실시기관에서 실시한 것으로서 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 별표 4의 의약품 임상시험 관리기준의 규정에 적합한 자료로서 임상시험계획서의 변경사항, 최종 임상시험계획서 등이 첨부된 자료를 제출해야 합니다.



개발 초기부터 규제기관의 다양한 상담제도를 활용하면 품목의 특성과 개발단계에 적합한 자료요건 및 시험설계에 대해 사전에 논의할 수 있습니다. 개별 품목의 특성 및 적용 규정 등에 따라 제출자료의 종류와 요건 등은 달라질 수 있으므로 품목에 맞는 관련 규정과 가이드라인을 우선적으로 확인해야 합니다. 제품에 적용되는 법령·규정 및 가이드라인의 적용과 해석이 어렵거나 문의 사항이 있는 경우 규제기관의 상담제도를 활용하여 개발 단계별로 필요한 제출자료의 범위와 준비 방향을 미리 확인하는 것이 바람직합니다. 아래와 같은 제도 활용 등을 통해 개발 과정에서 발생할 수 있는 규제적 불확실성과 시행 착오를 줄이고, 향후 허가·심사 과정에서 필요한 사항에 보다 체계적으로 대비할 수 있습니다.

혁신제품 사전상담

▶ 개발 초기부터 허가신청 준비 과정까지 규제기관과 개발전략을 상담하는 제도

사전상담은 혁신제품 등을 개발하려는 자가 임상시험계획 승인 또는 품목허가 등을 준비하는 과정에서 안전성·유효성·품질 등에 필요한 자료의 요건과 적절성 등을 식품의약품안전처와 사전에 상담하는 제도입니다.

- 혁신제품 사전상담 대상 -

* 「식품·의약품 등 혁신제품 제품화 검토 운영 규정」(식약처 고시) 제3조

1. 의약품 등

- 1) 「약사법」 제2조제8호에 따른 신약
- 2) 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률」 제2조제5호에 따른 첨단바이오의약품
- 3) 「약사법」 제35조의4제2항제1호에 따른 우선심사 대상 의약품
- 4) 「공중보건 위기대응 의료제품의 개발 촉진 및 긴급 공급을 위한 특별법」 제6조제2항제1호 가목, 나목 및 라목에 해당하는 예비 위기대응 대상 의약품

2. 의료기기

- 1) 「의료기기산업 육성 및 혁신의료기기 지원법」 제2조제4호에 따른 혁신의료기기
- 2) 「디지털의료제품법」 제2조제2호에 따른 디지털의료기기 중 인공지능 기반 디지털의료기기
- 3) 「의료기기법」 제8조제1항제2호에 따른 회소의료기기
- 4) 「의료기기법」 제8조제1항제2호에 따른 회소의료기기 중 「체외진단의료기기법」 제2조에 따른 체외진단의료기기

- 5) 「의료기기법」 제8조제1항제1호에 따른 신개발의료기기
- 6) 「의료기기법」 제8조제1항제1호에 따른 신개발의료기기 중 「체외진단의료기기법」 제2조 제1호에 따른 체외진단의료기기
- 7) 「의료기기법」 제8조제1항제1호에 따른 신개발의료기기 중 「디지털의료제품법」 제2조 제2호에 따른 디지털의료기기

3. 융복합 의료제품

- 1) 「약사법」 제2조제4호와 제7호에 따른 의약품과 의약외품 및 「의료기기법」 제2조제1항에 따른 의료기기가 물리적, 화학적 또는 그 밖의 방법에 의해 서로 복합적으로 결합된 융복합 의료제품
- 2) 「디지털의료제품법」 제2조제3호에 따른 디지털융합의약품

4. 식품

- 1) 「건강기능식품에 관한 법률」 제15조제1항 및 제2항 이외에 새로운 기능성 내용으로 인정받고자 하는 기능성 원료
- 2) 「식품위생법 시행규칙」 제5조제1항제1호다목에 따른 세포·미생물 배양 등 새로운 기술을 이용하여 얻은 것으로서 식품으로 사용하려는 원료

5. 그 밖에 식품의약품안전처장이 필요하다고 인정하는 경우

- 상담 신청방법 -

식품의약품안전처 누리집 첫 페이지에 ‘혁신제품 사전상담’ 아이콘을 클릭하여 ‘혁신제품 사전상담 ‘One-Stop’ 통합 플랫폼’을 통해 신청할 수 있습니다. 또한, 의약품·의료기기·식품 분야 개별 시스템으로 신청도 가능합니다.



혁신제품 사전상담 '핫라인' (1551-3655)

▶ 신속·편리한 직통 유선상담

2026년부터 새롭게 운영하는 직통 상담창구인 '핫라인(1551-3655)'를 통해서도 상담분야의 전문 상담자로부터 쉽고 빠르게 혁신제품 사전상담을 받을 수 있습니다.

핫라인은(1551-3655) 신청자(1)와 상담자(1)가 두손을(5)을 맞잡은 1:1 맞춤 규제 사전상담으로 늘(365) 곁에서 응답(5)하는 제품화의 든든한 동반자가 되겠다는 의미입니다.

혁신제품 사전상담 핫라인 1551-3655



**국민·기업이 체감하는 규제 사전컨설팅,
식약처 문턱을 낮추겠습니다.**

핫라인 [1551-3655] 의미

신청자(1 국민·기업)와 상담자(1 식약처)가 두 손(55)을
맞잡은 1:1 맞춤 규제사전상담으로, 늘(365) 곁에서
응답하는(5) 제품화의 든든한 동반자가 되겠습니다.

선택 1 2 3 4	1번 의약품 신약, 희귀의약품, 위기대응	2번 바이오 신약, 희귀의약품, 백신	3번 의료기기 혁신, 회소, 신개발	4번 융복합의료제품 분류, 민원신청 등	
------------------------	---------------------------	-------------------------	------------------------	--------------------------	--

사전검토

▶ 허가·승인 신청 전에 준비된 자료를 미리 검토받는 제도

사전검토는 의약품 등의 품목허가·신고 또는 임상시험계획 승인 등에 필요한 자료를 본 신청 전에 제출하여 식품의약품안전처의 검토를 받는 제도입니다. 개발 방향을 폭넓게 논의하는 '상담'보다는, 구체적으로 준비된 자료의 적절성을 사전에 검토받는 데 초점이 있습니다.

* 신청경로 : 의약품안전나라

의약품안전나라 → 전자민원/보고 → 전자민원 신청 → 민원사무 검색 → '사전검토' 선택 → 신청서 작성
및 검토자료 첨부 → 수수료 납부 → 접수

국민신문고

▶ 법령·제도·행정절차 등에 대한 공식적인 온라인 민원 창구

국민신문고는 국민권익위원회가 운영하는 범정부 대표 온라인 소통 창구입니다. 법령·고시·가이드라인의 적용, 민원 절차, 행정제도 등 비교적 일반적이고 명확한 질의를 서면으로 문의할 때 활용하기 좋습니다.

* 신청경로 : 국민신문고

국민신문고 → 민원신청 → 신청서 작성 → 처리기관 '식품의약품안전처' 선택 → 접수

통합상담

▶ 담당자에게 직접 설명하고 질의응답할 수 있는 예약 상담

통합상담예약은 식품의약품안전처 및 식품의약품안전평가원 담당자와 방문 또는 비대면 방식으로 상담하기 위한 예약 서비스입니다. 문서만으로 설명하기 어려운 사항이나 여러 질문을 상호 질의응답 방식으로 확인하고 싶을 때 활용할 수 있습니다.

* 신청경로 : 통합상담예약

식약처 누리집 → 국민소통 → 통합상담예약 → 방문민원상담 신청 → 상담 희망부서·일정 선택 → 예약 확정 → 방문상담

< 대상·성격 등에 따른 규제지원 비교 >

제품 개발자 또는 관계자는 대상, 개발단계나 질의 내용의 성격에 따라 적절한 제도를 선택할 수 있고, 각 개발단계에서 필요한 규제 요건과 자료 준비에 따라 적합한 제도를 적절히 활용하는 것이 중요합니다.

구분	혁신제품 사전상담	의료제품 사전검토	국민신문고·통합상담
대상	혁신제품 ¹	의약품·생물의약품 ² ·의료기기	식약처 소관 전 분야
내용·범위	· 식품·의약품 해당 여부 및 적용 가능 법령 · 혁신제품 개발에 필요한 평가기준 및 방법 · 요건의 적절성 및 시험계획 상담 · 품질(기준 및 시험방법), 비임상시험, 임상시험, 기술문서 등	· 품목허가·신고 또는 임상 승인 관련 자료의 사전 검토 - 안전성·유효성 - 기준 및 시험방법 - 의약품 제조·품질관리기준 - 임상시험계획 - 의약품 등 개발계획 - 기술문서 등	· 규제 해석 및 민원처리 절차 등 간단한 행정 질의 · 초기 정보 탐색 또는 불특정 다수에게 적용할 수 있는 질의 · 기존 규제 적용 사례와 담당 부서 문의 등 기초정보 확인
성격	· 의료제품 개발 및 건강기능식품의 새로운 기능성과 관련된 여러 가능성과 방법을 검토하여 구체적이고 다양한 의견 제공 · 적·부 판정에 관한 사항이 아니므로 허가·승인 시 직접적인 구속력 없음	· 구체적인 자료를 제출하여 신청사항의 적합 여부 검토 · 현재 개발단계에서 규제 기관의 방향과 의견 제공 · 허가·승인 시 사전검토 결과 고려	· 식약처 관련 정책과 제도 전반에 대한 질의 및 민원 해결 요청 등 일반 행정 상담에 적합

¹ ‘혁신제품’은 식의약규제과학혁신법 제5조제2항제6호 따라 새로운 기술을 이용한 식품·의약품 등을 말함

² 의약외품, 한약(생약)제제 포함

부록 1. 관련 법령/규정

1) 의약품

법령	「약사법」, 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」(총리령) 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률」 「첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 규칙」(총리령)
품목허가	「의약품의 품목허가·신고·심사 규정」 「생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정」 「첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정」
비임상시험	「비임상시험관리기준」 「의약품등의 독성시험기준」 「의약품등의 약리시험기준」
임상시험	「의약품 임상시험 계획 승인에 관한 규정」 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 [별표4] 의약품 임상시험 관리기준
안정성	「의약품등의 안정성시험 기준」
제조/품질	「의약품 제조 및 품질관리에 관한 규정」 「의약품 등 안전에 관한 규칙」 [별표4의2] 임상시험용의약품 제조 및 품질관리기준

2) 사전상담/사전검토

사전상담	「식품·의약품 등의 안전 및 제품화 지원에 관한 규제과학혁신법」 「식품·의약품 등 혁신제품 제품화 검토 운영 규정」
사전검토	「의료제품 사전 검토 운영에 관한 규정」

부록 2. 관련 가이드라인

- 「의약품 비임상시험 가이드라인」
- 「의약품 안전성약리시험 가이드라인」
- 「의약품의 면역독성시험 가이드라인」
- 「의약품의 광안전성평가 가이드라인」
- 「의약품 등의 의존성시험 가이드라인」
- 「독성동태시험 가이드라인 및 질의응답집」
- 「의약품의 심실재분극지연(QT간격연장) 비임상평가 가이드라인」
- 「약물동태학: 반복투여 조직분포시험 가이드라인」
- 「임상약리시험 가이드라인」
- 「용량-반응 시험 가이드라인」
- 「의약품 임상시험 계획(변경) 승인 보완사례집」
- 「임상시험용의약품의 품질 가이드라인」
- 「식약처 제품화 지원 상담 업무 안내서」
- 「혁신제품 사전상담 업무 안내서」

부록 3. 약어

약어	영문
ADI	Acceptable Daily Intake
ADME	Absorption, Distribution, Metabolism and Excretion
ADR	Adverse Drug Reaction
AE	Adverse Event
ALD	Approximate Lethal Dose
AUC	Area Under concentration-time Curve
CL	Clearance
C _{max}	Maximum (peak) concentration
DLT	Dose-Limiting Toxicity
ED ₅₀	Median Effective Dose
FIH	First-In-Human
IC ₅₀	Half-Maximal Inhibitory Concentration
LD ₅₀	Median Lethal Dose
LOAEL	Lowest Observed Adverse Effect Level
MAD	Multiple Ascending Dose
MLD	Minimum Lethal Dose
MoA	Mechanism of Action
MTD	Maximun Tolerated Dose
NOAEL	No Observed Adverse Effect Level
NOEL	No Observed Effect Level
PD	Pharmacodynamics
PDE	Permitted Daily Exposure
PK	Pharmacokinetics
SAD	Single Ascending Dose
SADR	Serious Adverse Drug Reaction
SAE	Serious Adverse Event
SUSAR	Suspected Unexpected Serious Adverse Reaction
t _{1/2}	Elimination half-life
T _{max}	Time to reach maximum concentration
TTC	Threshold of Toxicological Concern
Vd	Volume of Distribution

소기업·연구개발자를 위한 알기 쉬운 제품화 가이드 -의약품 개발단계와 준비자료- [민원인 안내서]

발 행 처 식품의약품안전처 식품의약품안전평가원 사전상담과 제품화지원팀

발 행 일 2026년 9월

발 행 인 강석연

편집위원장 김희성

편 집 위 원 조창희, 전형옥, 김미애, 권도연, 박수현, 신훈, 정영은, 강수진, 김상요, 박봉서,
진채은, 유건, 고은혜

문 의 처 (28159) 충북 청주시 흥덕구 오송읍 오송생명2로 187
식품의약품안전처 식품의약품안전평가원 사전상담과
전화 : 043-719-2935
팩스 : 043-719-2910
