

희귀의약품 지정 추천서 등 발급 안내

- 희귀의약품 지정추천서 등 발급 업무 개요(배포용) -

한국희귀·필수의약품센터 의약품본부

I. 배경

□ 관련 근거

- 약사법 제91조제1항
- 한국희귀·필수의약품센터 정관 제35조(전문위원회)
- 한국희귀·필수의약품센터 전문위원회 규정 제4조(위원회의구성)
- 희귀의약품 지정에 관한 규정 제3조(지정신청)

□ 운영 목적

- 희귀의약품에 대한 다음 사항에 대한 심의
 - 희귀의약품의 지정추천에 관한 사항
 - 희귀질병 및 희귀질환자와 관련되는 사항
 - 희귀의약품의 수입과 공급 및 위탁제조에 관한 사항
 - 희귀의약품의 수입허가·관리제도에 관한 사항
 - 희귀의약품의 데이터베이스 구축·운영에 관한 사항
 - 기타 센터의 설립목적을 달성하기 위하여 이사장 및 원장이 심의 요청한 사항

○ 주요 예상 안전

- ‘(개발단계 포함) 희귀의약품 지정 추천’ 발급의 타당성 심의

- ✓ 제약업체에서 희귀질환의 특성 및 대상 의약품의 치료법 등 전문가 자문을 통한 개발 가능성에 대한 검토를 할 수 있는 단계적 절차로 활용할 수 있을 것으로 기대 ※ 개발단계 희귀의약품

- 센터에서 제공하는 의약품 (희귀질환 대상의약품, 자가치료의약품 등) 정보에 대한 관리 등에 관한 자문

II. 운영 방안

□ 희귀의약품 분과위원회 심의 절차

희귀의약품 지정신청서(또는 지정의견서) 발급에 관한 사항

1. 업체의 희귀의약품지정 신청서(의견서) 발급 요청

2. 위원회 개최

- 위원에게 해당의약품에 대한 지정추천을 위한 심의자료집 배포
(위원회 개최일 최소 3일전)

※ 단, 해당 업체의 정보 보안과 관련되어 공개를 원하지 않는 부분이 있으면
민감사항을 지우고(검정음영처리)하여 배포할 수 있음

- 해당의약품에 대한 지정추천 의결

✓ 해당 희귀질환의 특성과 기존 치료방법과 비교하여 신청의약품의 필요성
여부에 따라 희귀의약품 지정추천서 또는 의견서의 발급 여부를 심의

- 필요시 전문위원 외 해당 분야의 임상전문가 등을 자문위원으로 위촉
및 전문위원회에 참석할 수 있으며 자문위원은 의결권이 없음.

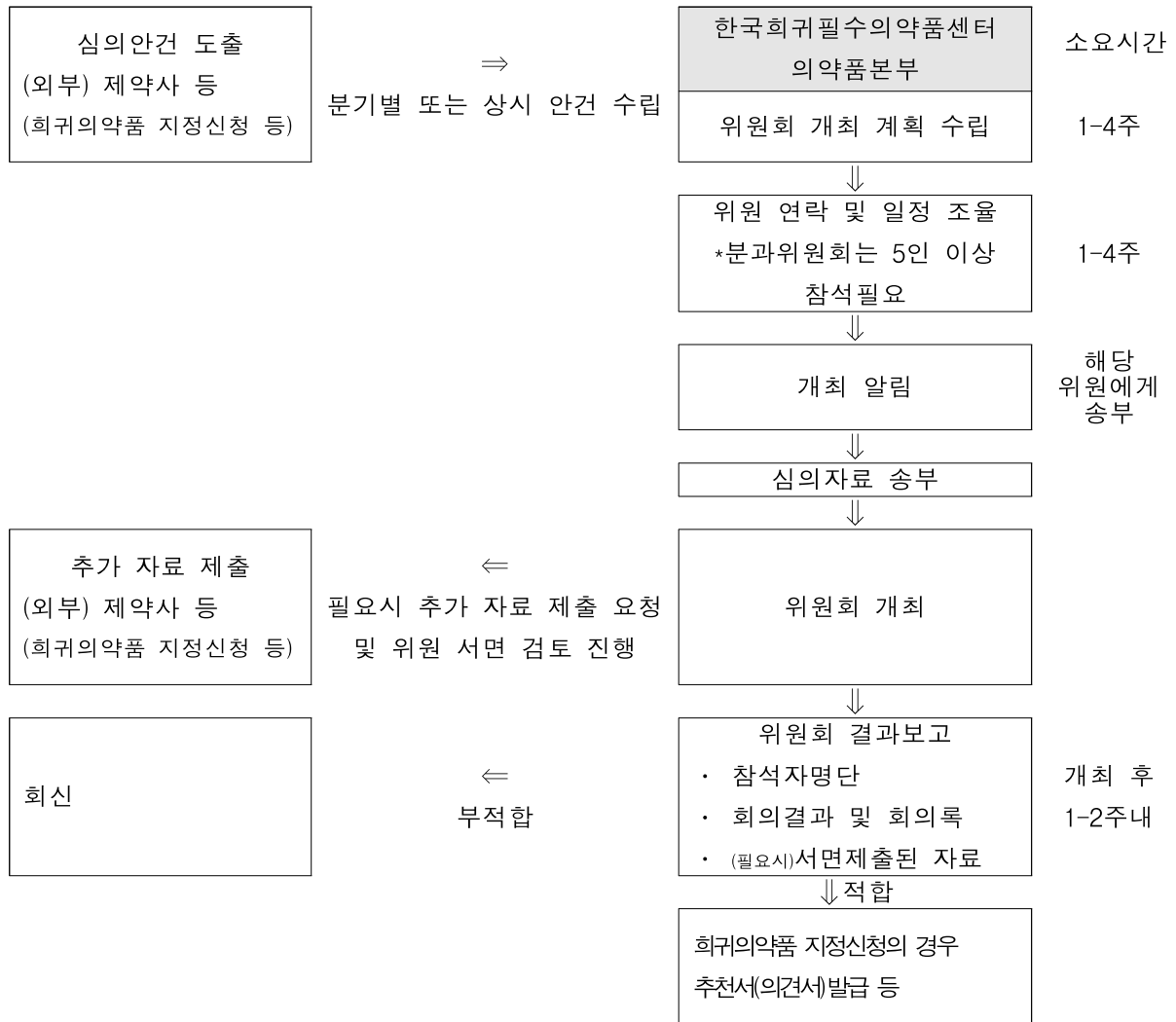
- 사안에 따라 추가 자료 요청 및 자문 요청을 할 수 있음

3. 희귀의약품 지정추천서 또는 개발단계 희귀의약품 지정의견서 발급

- 희귀의약품 지정에 관한 규정 제3조제2호에 따른 별지2호서식의
한국희귀·필수의약품센터장의 지정추천서 또는 의견서 발급

※ 참고 1. 희귀의약품 지정추천서 및 지정의견서 참조

< 희귀의약품 분과위원회 심의 절차 >



참고 자료 목록

[별지 제2호서식]

[] 희귀의약품 지정 추천서			
[] 개발단계 희귀의약품 지정 의견서			
제 조 (영 업) 소 명		대 표 자	
소 재 지			
제 제 명 (성분명 또는 코드명, 함량 및 제형)			
(예 상) 대 상 질 환			
제 품 명		제 조 원	
<p>위 의약품이 「희귀의약품 지정에 관한 규정」에서 정한 바에 따라 희귀 의약품으로지정할 필요가 있다고 판단되었기에 이를 추천합니다.</p> <p style="text-align: right;">년 월 일</p> <p style="text-align: right;">추천인 (서명 또는 인)</p> <p>식품의약품안전처장 귀하</p>			
<p>붙임 : 1. 추천경위 및 사유</p> <p>2. 대체의약품 또는 대체치료법에 대한 의약학적 견해 및 위 의약품의 안전성·유효성 근거</p> <p>3. 대상질환에 대한 통계자료(인구대비 발생비율등) 및 그 근거</p> <p>4. 기타 참고의견</p> <p>※ 붙임 자료 중 위 의약품에 대한 자세한 정보를 얻기가 어려운 개발단계 희귀의약품의 경우에는 해당 의약품의 안전성·유효성 근거 자료 일부를 생략할 수 있다. 다만, 대상질환의 특징(희귀성), 의료상 제품 개발의 필요성 및 현행 치료법의 한계에 대한 근거는 제시 하여야 한다.</p>			

210mm×297mm[일반용지 60g/m²(재활용품)]