

임상시험 기간을 단축하는 5 가지 방법

빠른 시장 출시를 위한 검토사항 계획 수립



목차

조기실패를 통해 장기적인 성공을 도모	4
표적 시장의 니앙스 파악	7
해당 의약품이 현지 집단에 도움이 될 것인가?	7
임상시험을 위한 지역 사이트와 시험자들의 유용성과 준비성	7
보험급여 및 규제 프로세스는 어떠한가?	7
시장에 이미 유사 제품이 출시되어 있는가?	8
조기에 규제기관을 수시로 참여시키기	10
신속한 개발, 검토 및 승인 절차에 기회와 요구사항이 존재하는가?	10
표적 국가의 규제기관이 다른 기관과 협력하고 있는가?	11
규제기관은 연구 집단에 대해 무엇을 기대하고 있는가?	11
임상 현장 근거(RWE)를 사용해 임상시험 데이터를 보충할 수 있는가?	11
전략적인 환자 선정으로 참여 절차 간소화	13
참여자 선정과 계층화를 촉진하는 데 도움이 되는 바이오마커가 있는가?	13
참여자의 부담을 덜 수 있는가?	14
표적 집단과 연구 능력에 맞게 사이트 선정을 최적화하는 방법은 무엇인가?	15
환자가 있는 곳으로 직접 방문	16
의료진과 환자가 필요한 진단 방식과 테스트 및 의약품 제제를 편하게 사용할 수 있는가?	16
해당 의약품이 환자의 기대를 충족하는가?	17

프로토콜 복원력 구축	18
마스터 프로토콜을 통해 효율성을 확보할 수 있는가?	18
적합성 기준이 안전성과 포용성 간의 최적의 균형을 포착하는가?	18
임상시험이 데이터 수집 위치에 관한 설계 유연성을 뒷받침하는가?	19
필요한 인사이트를 도출하기 위해 다양한 유형의 기존 데이터 소스나 새로운 데이터 소스를 이용	21
장래성 있는 임상시험	22
참고 문헌	23

조기실패를 통해 장기적인 성공을 도모

제 1 상 시험에서 규제기관의 승인을 받아 성공적으로 신약을 출시할 가능성이 10.5%에¹ 불과하다는 점을 감안하면, 의약품 개발 프로세스에서 위험 요인을 제거할 수 있는 새로운 접근 방식이 필요합니다. 잠재적 문제에 관한 불투명성은 환자 모집 및 자료 보관 문제를 해결하고 예기치 못한 규제 요건을 충족하거나 다른 시장으로 확장하기 위해 연구 도중 프로토콜을 수정해야 할 가능성을 높입니다. 이런 일들은 성공에 대한 보장이 없을 뿐 아니라, 시간지연과 비용증가를 초래하게됩니다. 최근에 일어난 전 세계적 팬데믹은 공중 보건 비상사태와 자연 재해 및 정치적 불안으로 빚어진 혼란에 대해 임상시험이 얼마나 민감하게 바뀌는지를 여실히 보여줍니다.

빠른 실패 (fail fast) 전략을 도입하면, 기업들이 프로그램에서 잠재적인 장애물을 조기에 식별하여 시장 출시를 방해하기 전에 완화함으로써 기업들이 장래성 있는 임상시험을 시행할 수 있도록 지원합니다. 이러한 접근법을 성공적으로 이루기 위해서는 단독으로 계획을 수립하면 안됩니다. 조직 내 사일로를 상세히 분석하고 조정 방식을 개선하며 귀중한 인사이트를 줄 수 있는 규제기관, 보험사(Payer), 환자 및 의료진과 같은 외부 이해관계자와 대화를 나눠야 합니다. 이와같은 파트너들을 가급적 조기에 참여시키면 이들의 요구사항을 예측할 수 있고, 리소스와 투자를 받아 제품을 성공시킬 수 있습니다. 또한, 총체적인 관점을 제시하고, 궁극적으로 출시에 앞서 시장을 형성할 수 있습니다.

연구 연속체 전반에 걸쳐 전문성을 갖추는 것이 어려운 과제임을 인식하고 클래리베이트에서는 업계 간 협업 접근 방식의 이점을 활용하는 5 가지 주요 주제에 대한 전문가 인사이트, 최신 동향, 업계사례 연구 및 시사점을 모았습니다. 처음부터 끝까지 가이드를 읽어보시거나, 특정 관심섹션에서 주제를 살펴보십시오.



시장 선정



규제기관 참여



환자 모집 및 유지



치료 선호도



프로토콜 유연성

클래리베이트의 데이터 및 전문성

클래리베이트의 비전은 세계가 혁신을 창조하고 보호하며 발전시키는 방법을 개선하는 것입니다. 클래리베이트의 통합 솔루션을 활용하여 인텔리전스를 살펴보면 변화하는 시장 상황을 보다 잘 파악할 수 있습니다.

클래리베이트의 결합된 데이터와 전문지식은 광범위한 임상시험 최적화 가이드를 제시합니다. 클래리베이트의 대표적인 제품과 서비스는 다음과 같습니다.

클래리베이트 컨설팅 서비스, 클래리베이트의 컨설턴트는 업계 심층 전문지식과 고품질의 데이터, 그리고 혁신적인 기술 애플리케이션이 고유하게 결합된 환경을 활용하여 약품 발견부터 상용화에 이르기까지 의약품 개발의 각 단계에서 의사 결정을 지원하여 치료제를 출시하고 환자에게 이를 신속하게 제공합니다.

Cortellis Clinical Trials Intelligence™, 바이오마커, 표적 및 적응증을 포함하는 임상 사이트와 시험 프로토콜에 관한 종합적이고 상세한 인사이트 소스

Cortellis Regulatory Intelligence™, 연구개발 수명주기 전반의 모든 규제 기능을 아우르는 정보로서 전문적으로 분석한 종합 정보의 단일 글로벌 소스

Cortellis Competitive Intelligence™, 최신 업계 소식과 보도 자료를 비롯해 의약품 파이프라인, 거래, 특허, 국제 컨퍼런스 및 기업 콘텐츠 등의 데이터에 대한 액세스를 제공

Disease Landscape & Forecast, 180 가지 이상의 징후에 걸쳐 종합적인 시장 인텔리전스와 실행 가능한 인사이트를 제공하여 장기적인 질병 치료 전략을 최적화하도록 지원

Cortellis Generics Intelligence™, 믿을 수 있는 통합 시장 성과와 제조 및 특허 데이터에 대한 액세스를 쉽게 검색할 수 있는 단일 솔루션으로 제공

Clarivate Real World Data Product, 혁신 기업에게 시장 상황에 대한 종합적인 뷰를 제시하고 의학적 주장, EHR, Rx 데이터 등을 통해 모든 이해관계자와 서비스 사이트에 대한 심층 뷰를 공정하게 제공

Multichannel Engagement Intelligence, 고객의 인식과 요구사항 및 행동을 밝혀 기업이 디지털 분석과 소셜 인텔리전스 및 고객 행동 데이터를 통해 의료진과 환자 및 납부자와 보다 효율적으로 교류할 수 있도록 지원

이러한 솔루션 외에도 클래리베이트의 기술 및 전문가는 수천 개의 소스에서 수집한 수십억 개의 데이터 요소를 조합해 환자 여정, 시장 선정, 사이트 선정, 환자 모집, HCP 참여, 규제 전략 등 각종 사용 사례에 대한 의사 결정을 도출할 수 있도록 통합 뷰를 제시합니다.

전문 컨설턴트와 분석 전문가는 고객이 인사이트를 실행에 옮기고 경쟁 우위를 점할 수 있도록 지원합니다.

도움 주신 분들

Daniel English, 클래리베이트 규제 컨설팅 디렉터

Samantha Chesney, 클래리베이트 임상 컨설팅

Camille Jackson, 클래리베이트 규제 솔루션 관리자

Mike Ward, 클래리베이트 생명과학 및 의료 사업부 사고 리더십 글로벌 책임자

Matthew Arnold, 클래리베이트 수석 분석가

표적 시장의 니앙스 파악

제약바이오 시장이 글로벌화되면서 치료제에 대한 환자의 접근성이 전 세계적으로 향상되었지만 이로 인해 생명 과학 기업들은 글로벌 시장과 지역 시장, 그리고 규제기관들 사이에 존재하는 여러 가지 차이점을 파악해야 하는 어려움을 안게 되었습니다. 시장 선정 전략이 성공하기 위해서는 각 시장이 가진 고유의 기회와 문제점을 고려해야 합니다. 하지만 진입하려는 시장을 선정하고, 진입 시점과 순서를 정하는 것은 복잡한 프로세스로, 이를 위해서는 계획을 조기에 수립하고 다음 사항에 관한 인사이트를 확보해야 합니다.

- 질병 역학을 비롯한 집단 특성
- 임상시험 역량
- 보험급여 및 규제 구도
- 시장 경쟁 구도

해당 의약품이 현지 집단에 도움이 될 것인가?

최근 실시한 설문조사에서 생명 과학 산업 분야의 경영진에 따르면, 충족되지 않은 의료 수요와 질병 부담 증가가 제품의 성공에 영향을 미치는 가장 중요한 요인인 것으로 드러났습니다.² 치료 가능한 집단의 규모와 현재의 치료 옵션을 파악하면 환자의 잠재적인 이점과 상업적 기회의 범위를 파악할 수 있습니다. 진단 역량과 방침이 없거나 질병에 대한 인식이 부족하면 진단 도구를 비롯해 제공업체 및 환자에 대한 교육 리소스를 충분히 활용할 수 있도록 제품 출시 이전에 마련해야 할 수 있지만, 이를 통해 관계를 형성하고 시장에 조기 진입할 기회를 얻을 수도 있습니다.

임상시험을 위한 지역 사이트와 시험자들의 유용성과 준비성

규제기관에서 국소 유효성과 안전성 자료를 요구하는 경우에는 경험 있는 국내 사이트와 시험자들이 필요합니다. 제품에 따라 추가 요구사항에 전문화된 진단 장비와 실험실 또는 영상 장비, 그리고 적합한 집단에 대한 액세스가 포함될 수 있습니다. 연구지원금과 출시 발표, 지역별 연구 주제 및 정부 프로그램을 비롯해 이전에 수행한 임상시험의 유형에 대해 파악하면 역량과 핵심 연구원을 식별할 수 있습니다.

보험급여 및 규제 프로세스는 어떠한가?

규제 프로세스는 국가마다 다르기 때문에 보험사는(Payer) 지역 이해관계자를 최우선 순위로 삼고 있습니다. 범위 내에 있는 규제를 준수하는 일은 타협이 불가능한 일로 규제 준수를 위한 세부사항을 미리 파악하면 시장 진입의 장애물이 아니라, 전반적인 제품 출시 전략과 위험 편익 분석에 대한 정보를 제공해주기도 합니다.

제출해야 하는 문서를 조기에 파악하면 효율성을 확보할 수 있습니다. 예를 들어 검토 절차가 길고 출시 우선순위가 높은 국가에 우선적으로 제출한 후, 절차가 짧은 국가에 제출하여 심사를 동시에 진행하는 경우가 많습니다. 공통 요건을 먼저 작성한 후 국가별 요구사항을 작성합니다.



최근 실시된 제품 시장 출시에 관한 연구에 포함된 제품 중 절반에 대해 첫 일년에 대한 예측치를 제시하지 못했으며, 이는 가격 책정에 대한 건강과 경제적 관련성 증거의 취약성과 예상보다 높은 할인 및 리베이트 등의 시장 문제 때문이었습니다.³

약물의 안전성과 유효성을 입증하는 것은 필요한 일이지만 시장에서 성공을 보장하기에는 충분하지 않습니다. 보험사(Payer)의 관점 역시 중요합니다. 최근 실시된 제품 시장 출시에 관한 연구에 포함된 의약품 중 절반은 출시 후 첫 일년에 대한 예측치를 제시하지 못했습니다. 이는 가격 책정에 대한 건강과 경제적 관련성 증거의 취약성과 예상보다 높은 할인 및 리베이트 등의 시장 문제 때문이었습니다.³ 해당 제품에 대한 임상/경제적 가치 비율을 모두 뒷받침하기 위해서는 다음 두 가지를 입증하기 위한 근거를 제시해야 합니다.

1.) 치료법이 환자의 삶의 질(QoL)을 개선하는 방식 및 2.) 높은 가치를 제공하는 이유와 그 방법

시장에 이미 유사 제품이 출시되어 있는가?

규제 및 보험사(Payer) 검토 시 경쟁사의 경험을 통해 배운 것은 필요한 정보, 소요 시간, 정산 가능한 비용 등에 대한 것이었습니다. 한편 기존 의약품이 효과가 있어 널리 사용되는 경우에는 신약으로 전환할 가능성이 예상보다 낮을 수 있습니다.



최근 5 년 동안 출시되지 않은 제품 중 거의 절반은 의료진과 환자를 기존 옵션에서 전환하는 것의 어려움을 과소평가한 탓이었습니다.³

최근 5 년 동안 출시되지 않은 제품 중 거의 절반은 의료진과 환자를 기존 옵션에서 전환하는 것의 어려움을 과소평가한 탓이었습니다.³ 이는 특히 경쟁적인 의약품 등급이거나 일반적인 선택권이 널리 제공되는 경우에 그러했습니다. 이 경우, 기업은 다음과 같은 문제를 고민해야 합니다. '보험사(Payer)와 제공업체 및 환자에게 확신을 줄 수 있는 신약의 유효성과 안전성 또는 비용의 합리성에 대한 설득력 있는 정보가 있는가?' 혹은 '경쟁이 덜한 다른 시장을 고려해야 하는가?'

Alexion 이 RWD 를 사용해 희귀 질환 환자 집단에 연구를 집중하는 방법

Alexion Pharmaceuticals 의 자회사인 AstraZeneca 처럼 희귀 질환 치료제를 전문으로 다루는 기업의 경우, 잠재적인 환자 고객을 평가하고 이해하는 것은 또 다른 문제를 낳습니다.⁴

이러한 환자를 위한 치료제를 개발하는 과정은 대개 연구가 미흡하고 상태를 제대로 파악하지 않는 경우가 많기 때문에 환자를 보다 정확하게 파악할 수 있도록 창의성을 발휘해야 합니다.

다룰 수 있는 환자 규모와 구성을 측정하고 일반적인 치료 방안을 이해하기 위해 **Alexion 은 세계적인 문헌 검토부터 시작한 후**, 치료 가능한 집단을 조사하고 실제 데이터 세트를 찾아내어 3 각 측량함으로써 이러한 환자를 치료할 최적의 방법을 찾았습니다. 일례로 미국에서는 다수의 희귀 질환에 대한 특정 ICD-10 코드가 부족하여 청구 데이터를 사용해 환자 치료에 집중하기가 어렵습니다. 하지만 EHR 데이터와 함께 청구를 교차 참조하면 진출 가능한 시장에 대한 보다 정확한 수정치를 제공하고 현재의 치료 패러다임을 보여줄 수 있습니다.



요약

- 치료 가능한 집단의 위치를 식별하면 환자와 수익 측면에서 모두 유리합니다.
- 적절한 연구 역량을 갖춘 지역에 출시하면 현지 집단 데이터가 필요할 때 제공할 수 있습니다.
- 보험급여 및 규제 절차를 이해하면 시장에 보다 원활하게 진입할 수 있습니다.
- 경쟁 업체의 성공 및 실패 요인을 파악하면 시장 출시 전략을 수립할 수 있습니다.

조기에 규제기관을 수시로 참여시키기

확실하고 성공적인 규제 전략을 수립하는 작업은 대상을 식별한 즉시 시작하는 것이 좋습니다. 충족되지 않은 규제 기대치나 불충분한 데이터로 인한 지연으로 개발 프로그램이 계속 차질을 빚고 있습니다. 이러한 장애물은 대부분 표적 시장의 기관과 가급적 조기에 논의를 개시함으로써 완화할 수 있으며, 임상시험 절차의 위험을 제거하고 다음 항목에 대한 정확한 평가를 통해 승인 가능성을 높여야 합니다.

- 신속한 방안의 수립 여부와 이에 대한 요구사항
- 규제 협업에 참여
- 연구 집단 예상치 및 요구사항
- 결과에 대한 분석을 뒷받침하기 위한 실제 증거의 적합성

신속한 개발, 검토 및 승인 절차에 기회와 요구사항이 존재하는가?

많은 규제 기관들이 혁신 기업들에게 조기에 자문을 제공하여 이들이 특정 프로세스(2018 년 미국에서 실시된 임상시험 중 81%가 1 가지 이상의 FDA 신속 승인 프로그램을 통해 이익을 얻음)를 촉진하거나 잠재적으로 우회할 수 있도록 지원하여, 새로운 치료제를 환자가 빠르게 이용할 수 있도록 고안된 방안을 제시합니다.⁴ 이 방안을 이용하는 임상시험이 증가하면서 의약품 심사 기간이 짧아지고 있습니다. FDA의 경우, 1983 년 당시 3 년 이상 걸리던 승인 심사 기간이, 2017 년에는 1 년 미만으로 단축되었습니다.⁵

표 1. 미국, 유럽 및 일본의 신속 승인 방침 예시

규제 기관	방침 예시
미국 FDA	우선 순위 검토, 희귀 의약품 지정, 신속 승인, 혁신 치료제 지정
EMA(European Medicines Agency)	조건부 승인, PRIME 계획
일본 PMDA(Pharmaceuticals and Medical Devices Agency)	조건부 승인, 사키가케 혁신 치료제 지정
인도 CDSCO(Central Drugs Standard Control Organization)	희귀 의약품에 대한 승인 조기 달성, ⁶ 세포/줄기 세포 제품, ⁷ 신약 및 임상시험 규정에 따른 출원료 제도
국제	팬데믹 또는 공중 보건 긴급사태에 따라 진단법, 백신, 치료제 및 의료 기기를 신속하게 개발하기 위한 EUP(Emergency Use Pathways) ⁸

적격성과 요구사항을 이해하면 시장 자산을 확보하는 데 상당한 시간을 절감할 수 있습니다. 예를 들어 일본의 경우 사키가케 혁신 치료제 지정에 의거, 자산을 일본에서 먼저 개발한 후⁹ 다른 치료제 지정에 대해 시판 후 부작용 감시 계획이 필요합니다.

표적 국가의 규제기관이 다른 기관과 협력하고 있는가?

누구나 공평하게 신약을 이용하기 위해서는 국제적 협력이 관건이라는 인식이 커지면서 의약품 개발의 글로벌화는 규제 프레임워크를 망라하게 되었습니다. 업무 공유 네트워크와 기타 형태의 규제 협업(융합, 조화, 정보 공유, 신뢰성 및 인식 등)은 규제 평가의 중복성을 줄이고 효율성을 높입니다.¹⁰ 이러한 네트워크를 활용하면 특별한 노력을 기울이지 않고도 여러 곳의 시장에 진입할 수 있으며, 이는 특히 규제 리소스 또는 역량이 제한적인 소규모 시장에서 중요할 수 있습니다.

- **EU(European Union) 시스템**은 국제 규제 협업의 대표적인 예시입니다. EU 시스템의 규제 방침은 업무 공유와 인식 및 기타 형태의 의존도에 따라 달라집니다.
- **Orbis 프로젝트**는 "국제 파트너들 사이에서 중앙 약품의 동시 제출 및 심사를 위한 프레임워크를 제시"하기 위해 FDA 에서 출시한 중앙학별 업무 공유 프로그램입니다.¹¹ 참여 국가로는 미국, 캐나다, 호주, 영국, 브라질, 이스라엘, 싱가포르, 스위스가 있습니다.
- **Access Consortium** 은 호주, 캐나다, 싱가포르, 스위스 및 영국의 회원국들이 정보와 업무를 공유할 수 있도록 장려합니다.¹²
- **CRS(Caribbean Regulatory System)**는 EU 나 WHO 와 같은 공신력 있는 기관에서 제공하는 의견과 의사결정을 바탕으로 사전 평가를 진행하여 해당 지역 내 판매 허가를 위한 권장사항을 알립니다.¹³
- **AMA(African Medicines Agency)**는 최근 15 개 국가에서 비준을 받았으며 지역 전반의 규제 절차 조율을 돕고 있습니다.¹⁴

규제기관은 연구 집단에 대해 무엇을 기대하고 있는가?

규제기관은 제출 데이터의 집단 출처를 면밀히 검토하고 있으며, 보다 넓은 집단 내지는 대표 집단의 데이터로 제출 자료를 보완하기 위해 추가적인 조사를 요구하기도 합니다. 임상시험에서 대표성을 늘려야 하는 필요성은 FDA 의 최근 지침에도 다음과 같이 반영되어 있습니다.¹⁵

"규제 당국 승인을 위해 제출해야 하는 서류를 연구하고, 임상시험 단계에서 모집단을 제대로 선별 및 모집하는 일은, 약물 개발 프로그램을 통해 생성되는 데이터가 약물 최종 사용자(약물이 최종 승인될 경우)들의 인종 및 민족적 다양성을 반영할 수 있도록 보장합니다."

Innovant and Eli Lilly and Company 는 NSCLC(비소세포성 폐암)의 일차 치료를 위해 신틸리맵과 페메트렉시드 그리고 백금 화학 요법에 대해 FDA 에 BLA 를 제출하면서 이런 일을 경험했습니다. 중국 본토에서 실시한 연구 결과가 제출자료에 포함되어 있었지만, FDA 는 BLA 를 승인하기에 앞서 집단을 추가 모집단을 수집하여 여러 지역에서 임상시험을 수행할 것을 권고했습니다.¹⁶

중국 본토 규제기관에서도 또한, 해외 데이터의 사용에 관한 몇 가지 지침을 발표했습니다. 또한, 후원사들은 해외 데이터가 불충분하거나 대표성이 부족할 경우 조기에 가교 임상을 시행할 수 있습니다.

ICH(International Council for Harmonization) 역시 여러 지역의 임상시험(E17) 실시 지침을 제공하여 여러 규제기관의 데이터 접수를 돕고 있습니다.¹⁷

임상 현장 근거(RWE)를 사용해 임상시험 데이터를 보충할 수 있는가?

RWD 소스(청구, 환자 등록, 전자 보건 기록[EHR] 데이터 및 모바일 기기, 휴대용 기기 및 웨어러블 기기의 환자 생성 데이터 등)에서 생성된 RWE 는 다음과 같은 귀중한 정보를 제공합니다.

- 합성 대조 집단
- 라벨 확장을 뒷받침하는 시판 후 데이터
- 일상 생활에서의 성능을 객관적이고 섬세하게 측정

약물 감시와 질병 유행병학에 RWE 를 사용하는 것이 보편적인 방식이긴 하지만 규제기관은 2018 년에 처음 도입된 프레임워크를 통해 유효성 입증에 위해 임상 현장 근거 사용에 관한 지침을 최근에야 발표하기 시작했습니다.^{18,19} 제출 자료에 임상 현장 근거를 포함시키려는 생명 과학 기업들로 인해 기대를 모으고 있는 이 지침들에는 상당히 모호한 부분들이 남아 있습니다. 전 세계 지침 원칙은 "사용하기에 적합한" 증거를 요구하고 있습니다.²⁰

코로나 19 가 시작되면서 임상 현장 근거가 진가를 발휘했습니다.

규제기관들은 지난 몇 년간 의약품 승인 절차에 임상 현장 근거를 포함시키는 방법을 신중히 검토해왔으며, 특히 FDA 의 2019 전략적 프레임워크가 그렇습니다.²¹ 하지만 코로나 19 위기로 인해 기존의 임상 증거에 RWE 를 사용하는 것이 시급해졌습니다. 팬데믹으로 접어든 지 일년도 채 되기 전에 미국 질병관리 예방센터(CDC)는 화이자와 모더나에서 각각 제조한 두 가지 mRNA 백신의 유효성을 입증하기 위해 RWE 를 사용했으며, 이는 일선 의료 종사자와 기타 핵심 인력들 사이에서 전염 확산을 방지하기 위한 조치였습니다.²² 3,950 명을 대상으로 6 개 주에서 13 주에 걸쳐 연구를 진행한 결과, 백신 1 차 접종 후 2 주차에 감염 위험이 80%까지 줄었고, 2 차 접종 후 2 주차에는 90%까지 줄어드는 것으로 확인되었습니다. 이후 아스트라제네카에서 자사의 코로나 19 백신의 유효성을 입증하기 위해 RWE 를 사용해 2021 년 8 월에 임상 연구를 실시한 결과, 영국 접종자의 입원 위험이 94%까지 줄었으며 2 차 접종 후에는 92%였고, 이후 델타 바이러스와 알파 바이러스로 각각 번이가 일어나면서 위험률은 86%로 떨어졌습니다.²³

RWE 를 포함시키면 사이트와 참여자의 부담이 줄어들거나 환자의 다양성이 커지고 비용이 줄어들 가능성도 있습니다. 임상 연구에서 RWE 를 포함시키는 것을 선택할 때는 기반 RWD(실제임상자료)의 신뢰성과 적절성을 비롯해 증거를 생성하는 데 사용되는 방법론이 무엇보다 이러한 기준을 토대로 평가될 수 있음을 견지해야 합니다.

- 수집된 평가변수가 연구의 객관성을 충족하는가?
- 데이터의 완전성과 일관성 및 정확성을 보장하기 위해 어떤 품질 보증 평가가 마련되었는가?
- 기기를 사용해 데이터를 수집하는 경우, 해당 기기는 사용 적합성을 인증받았는가?



요약

- 가능한 경우 빠른 방안을 이용하면 의약품의 시장 출시를 앞당길 수 있습니다.
- 규제 협업에 참여하는 국가를 글로벌 전략에 포함시키면 여러 국가에서 제품을 동시에 출시할 수 있습니다.
- 신뢰할 수 있는 적절한 RWE 를 포함시키면 유효성 평가에 제출할 임상시험 데이터를 보완할 수 있습니다.
- 대표 모집단을 확보하면 제출 과정이 간소화됩니다.

전략적인 환자 선정으로 참여 절차 간소화

성공적인 임상시험을 위해서는 환자를 모집하고 유지하는 것이 관건입니다. 등록 마감 기한을 놓치면 시험 기간이 지연되며, 시험 자체가 취소될 수도 있습니다. 등록 목표를 달성하는 것은 일차적인 문제에 불과하며, 환자 치료 방식이 적합하지 않아 답변이 충분하지 않거나, 혹은 프로토콜 설계 시 적절한 환자 계층화를 고려하지 않을 경우 임상 연구에서 의약품의 유효성을 입증하는 데 점차 영향을 끼치게 됩니다.

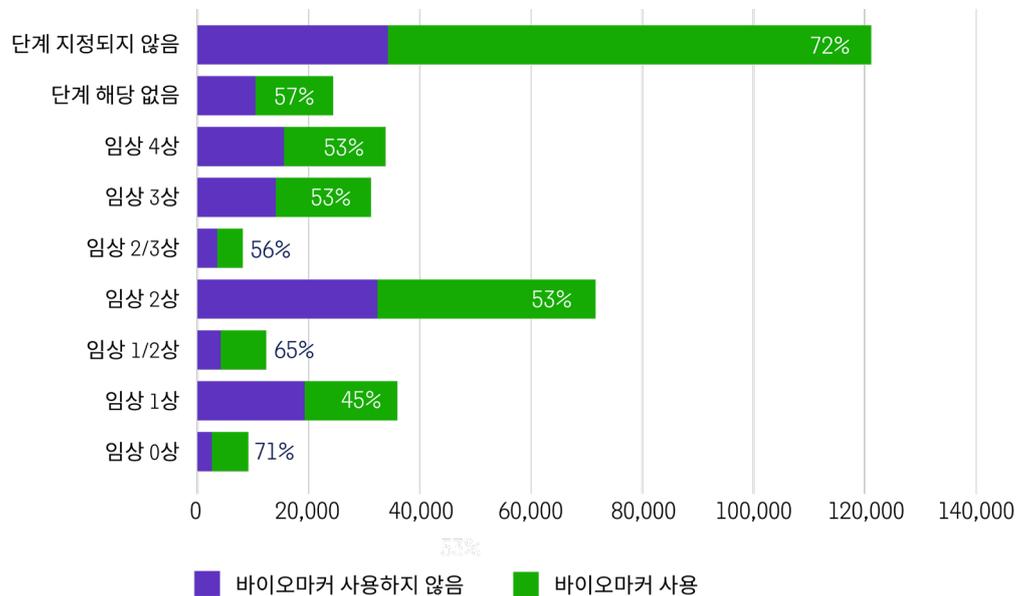
다음과 같은 요인을 조기에 고려하면 필요한 표본과 인원 감소율이 줄어들어 연구의 성공 가능성이 높아집니다. 고려할 요인:

- 임상시험용 의약품으로 가장 많이 이익을 얻게 될 참여자는 누구인가?
- 참여자의 부담을 줄이는 방법
- 임상시험에 가장 적합한 사이트는 어디인가?

참여자 선정과 계층화를 촉진하는 데 도움이 되는 바이오마커가 있는가?

개개인이 약물에 반응하는 방식에 영향을 미치는 이질성이 데이터에서 드러났으며, 이는 흡수율과 대사, 분비 및 표적이 개인마다 다르기 때문이었습니다. 바이오마커를 이용하면 특정 유전학적 특성이나 혈액, 조직, 또는 기타 특성을 지니고 있어 특정 치료제에 반응할 가능성이 높은 개인을 식별할 수 있습니다. 바이오마커를 사용해 등록 시 참여자를 계층화하거나 이러한 개개인의 모집을 우선 순위로 설정하여 집단을 보강하면 응답률을 높일 수 있으며, 궁극적으로 필요한 표본의 크기가 줄어들고 참여자 모집이 가속화됩니다.

그림 1. 전체 임상시험의 2/3 에서 바이오마커를 사용



바이오마커 표적 임상시험에 대한 10 대 징후

1	비만 93%	6	골관절염 63%
2	인슐린 비의존성 당뇨병 90%	7	전이 58%
3	전이성 비소세포성폐암 74%	8	마취 52%
4	유방 종양 68%	9	코로나바이러스 19 감염 45%
5	선암 66%	10	통증 35%

2010 년부터 현재까지 전체 지역에 걸쳐 진행된 모든 임상시험을 추적한 자료.

출처: Cortellis Clinical Trials Intelligence

바이오마커를 사용한 계층화에서는 제 1 상에서 의약품에 대한 승인을 받을 가능성이 11.8%인 반면, 바이오마커를 사용하지 않은 계층화에서는 승인 가능성이 4.2%에 그쳤습니다.¹ 의약품 개발 기간이 짧아진 것은 바이오마커를 사용한 계층화 선정의 여러 연구에서 응답률이 높은 것과 연관이 있습니다.²⁴

참여자의 부담을 덜 수 있는가?

일반적으로 변화 속도가 느리던 의약품 산업은 코로나 19 팬데믹으로 인해 사이트 방문과 데이터 수집 방식에 빠르게 적응했습니다. 사회적 거리두기로 인해 병원 방문이 줄어들면서 모든 임상시험이 살아남은 것은 아니지만, 일부 연구는 원격 데이터 수집이나 원격 의료 체제로 손쉽게 전환하여 시험 운영을 이어가기 위한 특정 평가변수의 필요성을 재평가했습니다. 편의성이 향상되면서 일부 참여자들도 이점을 얻게 되었습니다.

원격 데이터 수집을 이용한 이들 실험은 기존의 분권화 추세를 몰아 참여자 모집과 유지뿐만 아니라 모집단의 규모를 넓혀 임상시험에 보다 공평하게 접근할 수 있는 이점을 강조했습니다. 기존의 원격 방문 진료 방식은 원격 의료나 웨어러블 기기, 간호사 가정 방문, 현지 약국의 데이터 수집, 혹은 기타 형식의 원격 방문으로 직접 방문을 대체하는 것과 같은 향후 임상시험에 대한 기회를 제시합니다.

참여자에게 임상시험의 부담을 덜어 줄 다른 방법이 있는가? 다른 투약 경로를 살펴볼 수 있는가?

현지 사이트에서 가까운 곳에 위치하면 2 차 평가변수 분석을 위한 참여자 하위집단을 정할 수 있는가?

환자를 최우선으로 여기는 Johnson & Johnson

환자 중심의 임상시험 설계를 오랫동안 이끌어 온 Johnson & Johnson 은 32 개 국가에 환자를 보유하고 있으며 임상시험 프로토콜을 심사하고 있습니다. 환자의 응답을 토대로 실시한 2017 년 안센 임상시험 당시, 연구원들은 운송 수단을 제공하여 방문 시간을 단축함으로써 환자 탈락률 제로(기존 평균 탈락률 18%)를 달성했습니다.²⁵ Johnson & Johnson 은 팬데믹이 시작되기 이전부터 환자의 주거지에 직접 방문하여 임상시험을 진행하는 방안을 추진하고 있었으며, 임상시험 참여자의 유형을 다각화하는 데 투자하여 환자와 보호자가 소아과 임상시험에 좀 더 쉽게 참여할 수 있도록 지원했습니다.

표적 집단과 연구 능력에 맞게 사이트 선정을 최적화하는 방법은 무엇인가?

임상시험 사이트는 참여자 모집 및 유지에 중요한 부분이며, 사이트 선정에 일원화된 접근법을 적용하면 사이트와 임상시험의 성공 가능성을 제한하게 됩니다. 종합적인 데이터 소스를 이용해 사이트의 핵심 특성을 식별하면 최적의 사이트를 찾아낼 수 있습니다. 이를 위해 다음과 같은 문제를 검토해 볼 수 있습니다.

1. 최종 제품이 판매될 지역은 어디인가? 현지 집단에서 수집한 데이터가 제출에 필요한가?
2. 연구에 대표 집단이 포함된다는 기대가 고조되는 가운데, 의약품을 사용할 환자가 사이트의 환자 집단에 반영되어 있는가? 혹은 인종, 성별, 연령 및 사회 경제적 다양성의 정확도를 보장하기 위해 지역을 더 추가해야 하는가?
3. 희귀 질환용 의약품의 경우, 전문 지식과 환자에 대한 접근성을 갖춘 사이트를 몇 군데 선정해야 할 수도 있는가?
4. 혹은 상당히 포화된 시장에 진입하는 유행병 치료 의약품의 경우, 보다 넓은 환자 집단을 아우르는 사이트가 추가로 필요한가? 그러한 경우, 약국이나 소규모 진료소와 같은 대체 사이트로부터 참여자 모집이나 데이터 수집 과정에서 이점을 얻을 수 있는가?
5. 해당 사이트가 필요한 수용력(실험실 또는 영상 장비, 원격 방문을 위한 디지털 기술 등)을 보유하고 있는가? 그렇지 않은 경우 수용력이 높은 다른 사이트가 2 차 평가변수를 일부 수집하는 동안 해당 사이트가 1 차 평가변수를 계속 수집할 수 있는가?
6. 해당 사이트와 시험자가 임상시험에 관한 교육을 이수하고 필요한 경험을 갖추고 있는가? 그렇지 않다면 환자 고유의 액세스 방식을 지원하기 위해 임상시험 교육을 제공해야 하는가?
7. 사이트와 시험자가 등록 목표를 충족한 이력이 있는가?
8. 해당 사이트가 경고나 기타 규제 관련 경고를 받은 이력이 있는가?
9. 해당 사이트가 참여자 모집 대상이 될 수 있는 환자 커뮤니티나 보호 단체와 우호적인 관계를 맺고 있는가?



요약

- 적합한 참여자 집단을 효과적으로 선정하면 크게 수고를 들이지 않고도 최적의 참여자를 모집하여 최상의 연구 성과를 얻을 수 있습니다.
- 연구 설계 시 참여자 경험에 중점을 두면 시험 참여를 고려하는 집단에게 좀 더 어필할 수 있습니다.

환자가 있는 곳으로 직접 방문

환자와 보호자를 개발 과정 전반에 참여시키면 요구사항이 서로 다른 다양한 환자 집단을 이해하고 이러한 요구사항이 실제 환경에서 작용하는 방식을 알 수 있습니다. 이러한 인사이트를 활용하면 의약품이 환자의 요구사항을 충족하고 일상 생활에 적합하며 치료 성과를 개선하도록 보장할 수 있습니다.

환자가 임상시험에 대한 참여를 결정할 때 신약의 이익과 위험 및 내약성을 평가하는 것은 실제 환경에서와 동일할 가능성이 높습니다. 신약 개발 시 가급적 조기에 다음과 같은 사항을 이해하면 완화 전략을 도출하여 제품이 출시되었을 때 투약률을 극대화할 수 있습니다.

- 진단, 테스트 및 투약 경로/빈도에 대한 부담
- 위험 vs. 이익에 대한 인식

Pfizer Oncology 는 환자 경험에 대한 창구를 보유하고 있습니다.

Pfizer Oncology 는 환자 보호 단체 대표와 직접 연결을 구축하여 환자들의 다양한 관점을 이해할 목적으로 2019 년에 Patient Centric Ecosystem 이니셔티브를 개시했습니다.²⁶

해당 이니셔티브에서는 최고 경영진의 지원을 바탕으로 45 명 이상의 환자 보호 단체 대표를 참여시켜 양방향으로 소통하였고, 덕분에 Pfizer Oncology 는 커뮤니티의 요구사항을 보다 명확히 이해하고 의료 형평성, 임상시험 환자 참여, 그리고 건강 지식이라는 세 가지 우선 순위 영역을 집중 조명할 수 있었습니다. 해당 이니셔티브는 투약에 대한 부담이나 미흡한 포장재 등의 고충을 짚어내는 것 외에도 환자에게 수많은 문제를 일으키거나 악화시키게 만든 코로나 19 팬데믹에 대한 Pfizer Oncology 의 대처 방식을 알리는 계기가 되었습니다.

의료진과 환자가 필요한 진단 방식과 테스트 및 의약품 제제를 편하게 사용할 수 있는가?

의약품이 출시되지 못한 이유에는 여러 가지가 있었으며 그 중 거의 절반은 대상 환자와 의료진의 요구사항과 기대치를 제대로 파악하지 못했거나, 불편한 제제 방식(투약, 적정, 병원 내 투여)이 치료법의 지각된 가치로도 상쇄되지 않았기 때문이었습니다.³

부담스러운 뇌 영상 촬영이나 침습성 척수액 테스트에 기반하여 여타 치매 증상과 구분이 필요한 알츠하이머 질환의 경우 C2N Diagnostics 에서 최근 개발한 혈액 기반 진단 테스트가 획기적인 성과를 보였습니다.²⁷ 이는 임상시험(정확한 진단이 매우 중요한 경우) 참여에 관심이 있는 환자의 범위를 넓힐 수 있고 임상 실습에 참여 중인 환자에게 적절한 치료를 제공할 수 있습니다.

이와 마찬가지로, 치료 효과에 대한 모니터링을 다른 방식으로 접근할 수도 있습니다.

Cambridge Cognition 의 디지털 솔루션 사업부 이사인 Anzar Abbas 는 최근 진행된 웨비나에서 자사가 펜과 종이 방식의 직접 인지 평가를 환자가 언제 어디서나 작성할 수 있는 검증된 디지털 버전으로 어떻게 전환했는지 설명했습니다.²⁸ 또한 음성과 얼굴 표정을 평가하면 기존의 주관적인 측정에 객관성을 부여할 수 있습니다.

Optinose 와 같은 기업들은 만성 축농증(현재 승인된 치료법은 없음) 치료에 대한 투여 경로를 재구성함으로써 환자 치료 방식을 혁신하고 있으며, 환자들은 자신의 상태를 스스로 관리하여 긍정적인 주관적/객관적 치료 성과를 보다 수월하게 달성하고 있습니다.²⁹ 모든 약을 완전히 다시 제조할 수 있는 것은 아니지만 환자들은 내약성이 좋은 투여법에 관한 인사이트를 제시할 수 있습니다. 예를 들어, 약물 주입이

필요할 수도 있지만 주입 후 실험실과 원격 의료를 통한 추적관찰을 수집하는 지역 진료소를 통해 가정 내 주입 서비스를 이용할 수도 있습니다.

해당 의약품이 환자의 기대를 충족하는가?

환자는 물론 다양한 집단으로 분류되며, 이점보다 단점이 더 큰 부분은 개인의 환경이나 질환 상태, 연령, 경험 및 신념에 따라 개인적이고 다원적인 특성을 갖는다는 것입니다.³⁰ PRO(Patient-reported outcome)를 보면 환자가 생각하는 치료 효과의 주관적 가치가 무엇인지 알 수 있습니다. 어떤 환자 집단에서는 이 PRO 가 객관적으로 측정된 성과보다 더 중요할 수 있습니다. PRO 에는 질환 증상에 대한 치료법의 효과와 기능적 성과, 건강 관련 삶의 질 및 부작용 내성에 대한 환자의 시각이 포함되어 있습니다. 이러한 정보를 확보하면 의약품 설계와 환자 참여뿐만 아니라 시장 접근에 관한 대화에 도움이 됩니다.

"환자가 처음부터 존재하는 경우에는 제약 회사가 해당 질환과 현존하는 치료법의 실질적인 영향력을 파악할 수 있도록 돕고, 좋은 의약품이 무엇인지 보여줌으로써 의약품의 제제 방식이나 의료기기 제조 방식을 구축하도록 도울 수 있습니다."

Mike Ward, 클래리베이트 생명과학 및 의료 사업부 사교 리더십 글로벌 책임자



요약

- 환자 및 의료진이 신약을 수용하도록 보장하여 활용을 촉진
- 환자의 우선 순위가 귀 기울이고 환자를 임상시험의 중심에 두며 환자의 요구사항을 충족하는 약품을 제조하도록 보장

프로토콜 복원력 구축

프로토콜에 처음부터 비상 대책을 포함시키면 제약 회사가 임상시험 도중에 막대한 시간과 비용이 드는 프로토콜 수정 작업을 피할 수 있습니다. 이전 시험에서 얻은 경험을 바탕으로, 혹은 경쟁사의 실패를 교훈 삼아 일어날 수 있는 상황을 해결할 방안을 궁리합니다. 임상시험 설계시 고려해야 할 전략으로는 다음과 같은 것들이 있습니다.

- 마스터 프로토콜
- 비교적 덜 엄격한 선정 기준
- 방문 유형과 사이트 책임의 적응성

마스터 프로토콜을 통해 효율성을 확보할 수 있는가?

시장 출시를 단축하기 위해 단계를 통합하거나 기존 경로를 우회하는 임상 설계가 점점 늘고 있습니다. 마스터 프로토콜 프레임워크는 단일 프로토콜 내에서 다수의 하위 연구에 속한 여러 의약품이나 질환 집단을 평가하여 유연성과 효율성을 개선합니다.³¹ 이를 식별하는 설계는 다음과 같이 유전자와 환경 및 생활 방식에 관한 개인의 변수를 기반으로 특정 치료법에 반응할 가능성이 매우 높습니다.

- **바구니형 임상시험**은 상태, 질환의 진행 단계, 이전 치료법의 수, 유전 또는 기타 바이오마커, 또는 인구통계적 특성으로 정의되는 **여러 집단 내 단일 치료법**의 효과를 연구합니다.
- **우산형 임상시험**은 질환의 진행 단계, 이전 치료법의 수, 유전 또는 기타 바이오마커, 또는 인구통계적 특성에 기반하여 다수의 하위 집단으로 구분된 **단일 집단에서 여러 개의 치료법**을 단독으로, 혹은 병용하여 연구합니다.
- **일명 적응형 임상시험**으로 알려진 **플랫폼 임상시험** 역시 **단일 집단에서 여러 가지 치료법**을 연구하며, 여기에는 사전에 설정된 규칙이 있습니다. 이 규칙에서는 연구 암의 추가 또는 종료를 트리거하거나, 이전 연구 단계에서 이후 단계로 전환하기 위해 가장 순조롭게 수행하는 중재에 대해 연구 데이터를 사용해 새로운 참여자를 우선적으로 임의 추출합니다.

이는 실행 시 매우 효율적일 수 있지만 마스터 프로토콜 시험의 복잡성으로 인해 설계와 준비 과정에 문제가 발생하게 됩니다. 여기에는 다수의 중간 분석도 필요하며, 이로 인해 연구 기간이 늘어날 수 있고 더 큰 규모의 환자 집단이 필요할 수 있습니다. 하지만 이 시험에서는 다수의 치료법이나 집단을 테스트하기 때문에 기존의 순차적 시험 과정에 비해 시간이 적게 소요되고 많은 환자가 필요하지도 않습니다. 게다가 일상적인 임상 치료에 마스터 프로토콜을 접목시킬 경우 실제 시나리오를 토대로 증거를 얻을 수 있습니다.

적합성 기준이 안전성과 포용성 간의 최적의 균형을 포착하는가?

불필요하게 제한적인 적합성 기준은 시험 결과의 일반화 가능성을 저해할 수 있으며, 참여자 모집에 부정적인 영향을 끼치고 잠재적인 이점을 지닌 백신이나 치료법에 대한 접근성을 제한하게 됩니다. 초기에 실시된 코로나 19 백신 임상시험은 동반이환 증상이 있는 환자를 과도하게 배제하여 비판을 받았으며, 팬데믹이 지속되고 혈청 유병률(감염 또는 백신 접종에 의해)이 전 세계적으로 증가하면서 항체가 없는 사람을 임상시험에 투입하는 것이 까다로워졌습니다.

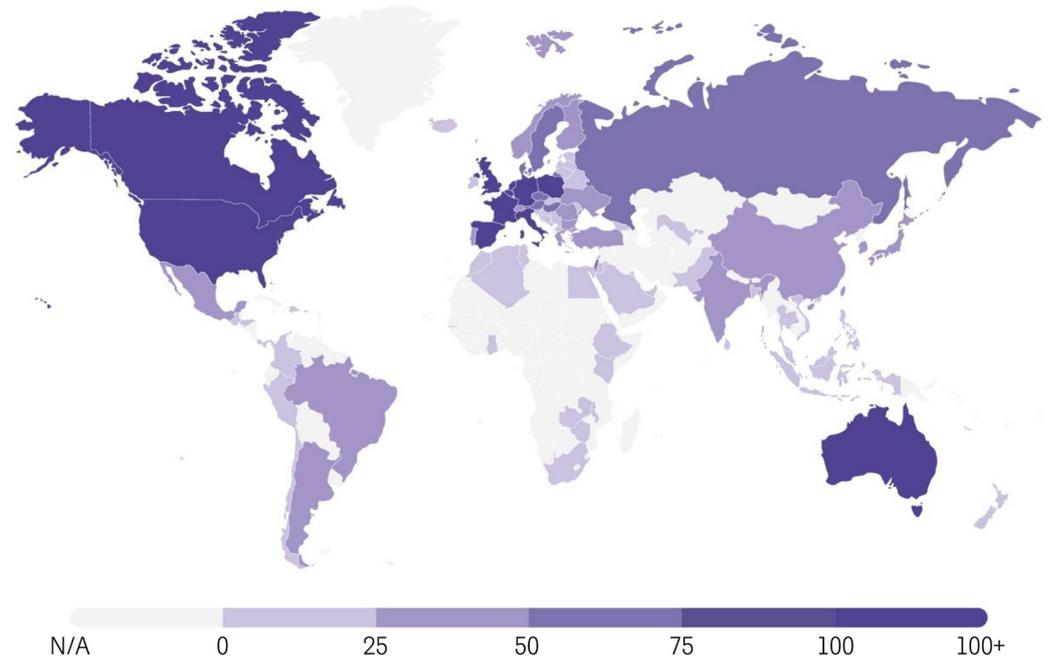
참여자의 안전과 신속한 모집을 보장하고 포용성을 개선하며 대상 집단의 특성을 포착하고 효과가 없는 의약품을 보다 신속히 식별하기 위해서는 선정 기준을 최소한으로 유지해야 합니다. 테스트 절단값에 대한 허용 오차가 있는지, 혹은 하위 집단 분석 등을 이용해 차이를 통계적으로 관리할 수 있는지 판별합니다. 동일한 치료법 등급 내에서 성공적으로 완료된 시험의 기준을 사용해 일부 임계값의 완화 가능 여부를 안내합니다.

임상시험이 데이터 수집 위치에 관한 설계 유연성을 뒷받침하는가?

질병의 발병, 정치/군사적 갈등, 자연 재해, 점차 모바일화되는 집단: 임상시험에서 참여자를 모집 및 유지하는 것을 잠재적으로 방해할 수 있는 요인들입니다. 팬데믹으로 인해 원격 데이터 수집 방식이 빠르게 도입되면서 임상시험에 탄력성이 확보되고 시험 참여자의 편의성이 향상되었습니다.

팬데믹 관련 임상시험이 중단되면서 시험 평가변수를 재평가하게 되었으며, 이는 의약품의 유효성을 평가하는 데 절대적으로 필요한 평가변수와 있으면 좋은 부수적인 평가변수를 명확히 구분하기 위함이었습니다. 필수 요소에만 집중함으로써 임상시험을 지속하는 것이 가능할까요? 이러한 수준의 정밀 조사를 실시하면 안전성과 유효성에 대한 규제 평가용 데이터를 수집하고 사이트와 참여자의 부담을 덜 수 있습니다.

그림 2. 영향을 받은 10 대 치료 영역을 포함해 코로나 19 가 전 세계 임상시험이 끼친 영향



10 대 치료 영역

- | | |
|----------|------------|
| 1 신경성 질환 | 6 호흡기 질환 |
| 2 희귀 질환 | 7 감염성 질환 |
| 3 종양 | 8 염증성 질환 |
| 4 위장 질환 | 9 면역 장애 |
| 5 심혈관 질환 | 10 내분비성 질환 |

2020 년 3 월부터 현재까지 추적한 전체 임상시험 자료에서 발취.

출처: Cortellis Clinical Trials Intelligence

사이트 선정에 이와 유사한 방식을 적용하면 사이트 수용력을 관련 평가변수에 매칭함으로써 사이트의 지리적 다양성을 넓힐 수 있습니다. 예를 들어 모든 사이트에 1 차 평가변수를 수집 및 모니터링할 수 있는 역량이 필요하지만, 실험실이나 영상 장비와 같이 좀 더 정교한 기능을 갖춘 사이트의 하위 집단을 할당하여 계층화된 분석을 위해 특정 2 차 평가변수를 수집할 수 있습니다. 특정 지역의 건강, 날씨, 혹은 정치적

위험이 일부 사이트에 영향을 미치더라도 다른 사이트들이 계속 운영되므로 시험의 전반적인 영향이 최소화됩니다. 게다가 지리적 다양성으로 인해 집단의 다양성이 확보되어 포용성이 향상됩니다.

유연한 프로토콜로 팬데믹에 적응한 Verona Pharma

Verona Pharma 가 자사의 혁신적인 COPD 치료제의 제 3 상 임상시험에 돌입할 무렵, 코로나 19 팬데믹이 시작되었고, Verona Pharma 는 변화된 상황에 빠르게 적응해야 했습니다. 전 세계 도시들이 봉쇄되고 병원들이 환자로 가득 차게 되자 Verona 는 임상 참여자와 관계자의 안전을 보장함과 동시에 프로그램 내 운영 유연성을 제공하여 코로나 19 의 위험을 최소화할 방법을 찾아내야 했습니다.³² 다행히도 Verona 는 질병 발발에서부터 확산 폭발에 이르기까지 각종 사태에 따른 임상시험 중단에 풍부한 대처 경험을 가진 임상 팀을 보유하고 있었습니다. Verona 는 전화 상담을 포함하여 의료진과의 소통이 일어나는 위치와 방식에 유연성을 확보하고 잠재적인 노출을 최소화하기 위해 자사의 시험 프로토콜을 발빠르게 재정비했습니다. 또한 사이트들과 협력하여 개별 재해 방지 대책을 마련하고 가능한 중단 사고에 대한 대책을 선제적으로 수립하며 지리적 다양성을 확립하고, 코로나 19 발발로 인해 사이트가 폐쇄될 경우를 대비해 타임라인에 대한 위험을 완화했습니다.

프로토콜 설계 시 유연성 영역을 식별할 수 있는 질문은 다음과 같습니다.

- 평가변수를 측정할 수 있는 새로운 방식이나 다른 유형의 방식이 있는가?
- 의료 전문가가 참여자의 자택이나 현지 진료소/약국에서 직접 수행해야 하는 평가는 무엇이며, 원격으로 모니터링할 수 있는 것은 무엇인가?
- 안전성과 유효성을 확립하는 데 핵심이 되는 평가변수는 무엇인가?
- 사이트를 역량으로 계층화할 수 있는가?
- 필요한(vs. 원하는) 측정 빈도는 무엇인가?
- 필요한 경우 방문 간격이 1~2 일 정도 달라도 괜찮은가?



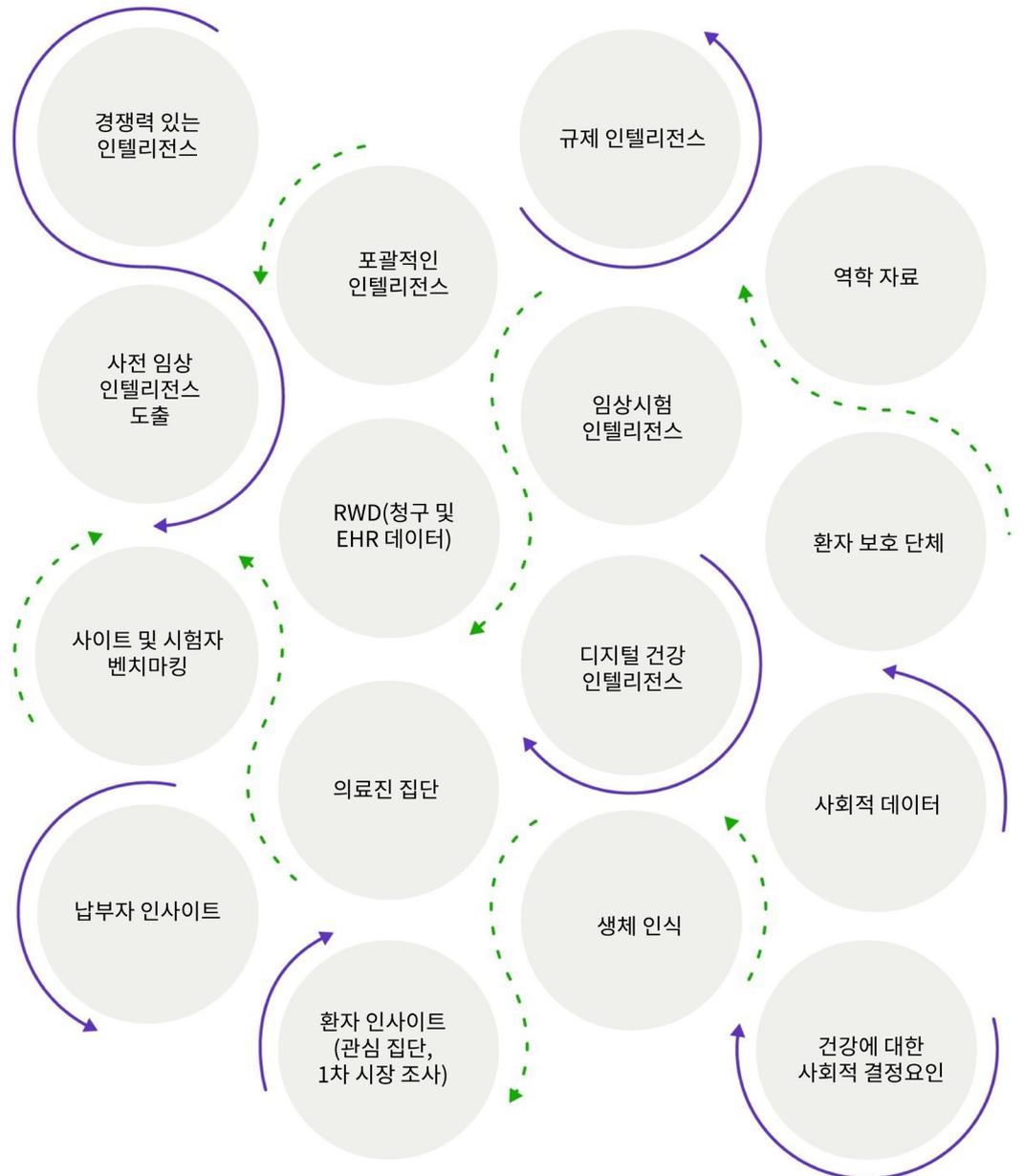
요약

- 데이터 수집 위치를 비롯해 프로토콜에 대한 양상과 빈도에 대한 유연성을 확보하면 외부 영향에 좀 더 탄력적으로 대응할 수 있도록 임상시험을 설계할 수 있습니다.
- 평가변수 요구사항을 명확히 이해하면 사이트를 선정하고 참여자의 부담을 줄일 수 있는 가능성이 열립니다.

필요한 인사이트를 도출하기 위해 다양한 유형의 기존 데이터 소스나 새로운 데이터 소스를 이용

조기에 실패하기 위해서는 연구 연속체 전반에 걸쳐 데이터와 인텔리전스 및 분석 정보를 취합하는 것이 관건입니다. 생명 과학 조직은 다양한 데이터 세트를 결합함으로써 임상시험을 계획할 때 잠재적인 장애물과 기회를 식별할 수 있습니다.

그림 3. 임상시험 계획 수립 인텔리전스를 생성하기 위한 통합 데이터 소스의 유형



장래성 있는 임상시험

특정 집단을 겨냥한 임상 개발이 점차 증가하고 치료 시장이 전례 없는 포화상태에 도달한 가운데, 자사의 임상시험을 간소화하고 위험을 제거할 방법을 찾는 제약회사들이 혁신을 달성하게 될 것입니다. 자연 재해나 기후 양극화 현상, 지카 바이러스나 코로나 19 와 같은 질병의 발발에서부터³³ 현재 진행 중인 우크라이나 전쟁과 같은 국가 간 충돌에 이르기까지 다양한 외부 요인으로 인해 임상시험이 점점 중단 위기에 노출되고 있으므로 이러한 작업이 특히 중요합니다.³⁴ 본 문서에서 언급한 다섯 가지 영역에 존재하는 기회를 활용하고 기업 및 시험별 요구사항과 제약조건을 검토하면 개발 집단을 올바른 방향으로 설정할 수 있습니다.

기준과 핵심 이해관계자, 그리고 외부 영향은 이들 영역 전반에 걸쳐 서로 밀접히 연관되어 있으므로 신뢰할 수 있고 관련성이 있는 데이터 세트를 비롯해 종합적인 내/외부 자료를 투입해야 합니다. 계획 수립의 초기 단계에 적합한 도구를 지원하여 적합한 인력을 참여시키면 폭넓은 지원을 확보하여 시장에서 성공할 가능성이 높아집니다. 이러한 협업 방식에서 경험을 쌓는다면 개발 프로그램 전반에 걸쳐 장래성 있는 임상시험을 마련할 수 있을 것입니다.

클래리베이트는 생명 과학 기업이 환자와 제공업체, 납부자, 시장 요구 및 역학에 부합하도록 임상시험을 계획하여 시장 출시 기간을 단축할 수 있도록 지원합니다. 클래리베이트의 전문가와 분석가는 개발 팀과 주기적으로 협업하여 본 보고서에서 다루는 주제와 핵심 질문을 해결합니다. [여기](#)에서 클래리베이트의 연구 개발 솔루션에 대해 자세히 알아보세요.

참고 문헌

1. Estimates of Clinical Trial Probabilities of Success (PoS) (January 13, 2022). Project ALPHA, [online], Available at: <https://projectalpha.mit.edu/pos/>. (accessed on April 19, 2022).
2. Sendyona S, Odeyemi I, Maman K. Perceptions and factors affecting pharmaceutical market access: results from a literature review and survey of stakeholders in different settings. *J Mark Access Health Policy* 2016;4. doi: 10.3402/jmahp.v4.31660.
3. Ford J, Fezza T, Elsner N, et al. Key factors to improve drug launches (March 20, 2020). Deloitte Insights, [online], Available at: <https://www2.deloitte.com/us/en/insights/industry/life-sciences/successful-drug-launch-strategy.html>. (accessed on April 20, 2022).
4. Using real world data to advance precision medicine and help rare disease patients (2022). Clarivate, [online], Available at: <https://clarivate.com/lp/using-real-world-data-to-advance-precision-medicine-and-help-rare-disease-patients/>. (accessed April 22, 2022).
5. Darrow JJ, Avorn J, Kesselheim AS. FDA Approval and Regulation of Pharmaceuticals, 1983- 2018. *JAMA*. 2020;323(2):164-176. doi: 10.1001/jama.2019.20288
6. Lahiry S, Thakur S, Chakraborty DS. New Drugs and Clinical Trials Rules-2019: What academicians need to know. *Indian J Dermatol Venereol Leprol*. 2020;86(4):445-448.
7. Babu G (2022). Health ministry notifies amendment to ND&CT Rules adding cell derived products under new drug definition. PharmaBiz, [online], Available at: <http://www.pharmabiz.com/NewsDetails.aspx?aid=145260&sid=1>. (accessed on April 22, 2022).
8. Emergency Use Pathways (EUPs): applying regulatory flexibility in the age of COVID-19 (2020). Centre for Innovation in Regulatory Science (CIRS), [online], Available at: <https://cirsci.org/wp-content/uploads/2020/05/CIRS-RD-Briefing-75-Emergency-Use-Pathways.pdf>. (accessed August 1, 2021).
9. Nagai S. Flexible and Expedited Regulatory Review Processes for Innovative Medicines and Regenerative Medical Products in the US, the EU, and Japan. *Int J Mol Sci* 2019;20(15):3801. doi: 10.3390/ijms20153801
10. Good regulatory practices for regulatory oversight of medical products (August 2020). World Health Organization, [online], Available at: https://www.who.int/docs/default-source/medicines/norms-and-standards/current-projects/qas16-686-rev-3-good-regulatory-practices-medical-products.pdf?sfvrsn=ccb041db_2. (accessed on April 19, 2022).
11. Project Orbis. Food and Drug Administration, [online], Available at: <https://www.fda.gov/about-fda/oncology-center-excellence/project-orbis> (accessed on April 20, 2022).
12. Australia-Canada-Singapore-Switzerland-United Kingdom (Access) Consortium (December 14, 2021). Therapeutic Goods Administration, [online], Available at: <https://www.tga.gov.au/australia-canada-singapore-switzerland-united-kingdom-access-consortium>. (accessed on April 20, 2022).
13. The Caribbean Regulatory System (CRS), [online], Available at: <https://carpha.org/What-We-Do/CRS/Caribbean-Regulatory-System>. (accessed on April 19, 2022).
14. Seydi CO. Africa's health security requires strong African regulators. Bill & Melinda Gates Foundation, [online], Available at: <https://www.gatesfoundation.org/ideas/articles/african-medicines-agency-improving-africas-health-security> (accessed on April 20, 2022).
15. Diversity Plans to Improve Enrollment of Participants From Underrepresented Racial and Ethnic Populations in Clinical Trials; Draft Guidance for Industry; Availability (April 2022). Food and Drug Administration, [online], Available at: <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/diversity-plans-improve-enrollment-participants-underrepresented-racial-and-ethnic-populations>. (accessed on April 19, 2022).
16. Fitzhugh M. Innovent, Lilly receive CRL for NSCLC candidate sintilimab (March 29, 2022). BioWorld, [online], Available at: <https://www.bioworld.com/articles/517403-innovent-lilly-receive-crl-for-nsclc-candidate-sintilimab>. (accessed on April 19, 2022).
17. General principles for planning and design of multi-regional clinical trials (November 16, 2017). International Council for Harmonisation, [online], Available at: https://database.ich.org/sites/default/files/E17EWG_Step4_2017_1116.pdf. (accessed on April 20, 2022).
18. Real-World Evidence (February 1, 2022). Food and Drug Administration, [online], Available at: <https://www.fda.gov/science-research/science-and-research-special-topics/real-world-evidence>. (accessed on April 19, 2022).
19. Cave A, Kurz X, Arlett P. Real-World Data for Regulatory Decision Making: Challenges and Possible Solutions for Europe. *Clinical Pharmacology & Therapeutics* 2019;106(1):36-39. doi: 10.1002/cpt.1426
20. Framework for FDA's Real-World Evidence Program (December 2018). Food and Drug Administration, [online], Available at: <https://www.fda.gov/media/120060/download>. (accessed on April 19, 2022).
21. Statement from FDA Commissioner Scott Gottlieb, M.D., on FDA's new strategic framework to advance use of real-world evidence to support development of drugs and biologics (2018) Food and Drug Administration, [online], Available at: <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/statement-fda-commissioner-scott-gottlieb-md-fdas-new-strategic-framework-advance-use-real-world>. (accessed on April 22, 2022).
22. CDC Real-World Study Confirms Protective Benefits of mRNA COVID-19 Vaccines (2021) Centers for Disease Control and Prevention, [online], Available at: <https://www.cdc.gov/media/releases/2021/p0329-COVID-19-Vaccines.html>. (accessed on April 22, 2022).
23. COVID-19 Vaccine AstraZeneca Real-World Evidence Summary (2021) AstraZeneca PLC, [online], Available at: https://www.astrazeneca.com/content/dam/az/covid-19/media/factsheets/COVID-19_Vaccine_AstraZeneca_Real-World_Evidence_Summary.pdf. (accessed on April 22, 2022).
24. Jardim DL, Schwaederle M, Hong DS, et al. An appraisal of drug development timelines in the Era of precision oncology. *Oncotarget* 2016;7(33):53037-53046. doi: 10.18632/oncotarget.10588

25. Clinical Trials 2.0: 5 Ways Johnson & Johnson is Helping Revamp—and Revolutionize—How They're Conducted (2019). Johnson & Johnson, [online], Available at: <https://www.jnj.com/innovation/5-ways-johnson-johnson-is-helping-revolutionize-clinical-trials> (accessed on January 26, 2022).
26. Pfizer Oncology Patient Centricity Ecosystem: From Launch to Impact. Pfizer, [online], Available at: https://cdn.pfizer.com/pfizercom/Pfizer_APR_WhitePaper_080921.pdf. (accessed on January 26, 2022).
27. Landhuis E. Detecting Alzheimer's Gets Easier with a Simple Blood Test (February 4, 2021). Scientific American, [online], Available at: <https://www.scientificamerican.com/article/detecting-alzheimers-gets-easier-with-a-simple-blood-test/>. (accessed on April 20, 2022).
28. Optimizing clinical trials for a fast-changing landscape. Clarivate, [online], Available at: <https://clarivate.com/lp/optimizing-clinical-trials-for-a-fast-changing-landscape/>. (accessed on April 20, 2022).
29. Optinose Reports Positive Top-line Results in ReOpen1, a Landmark Phase 3 Trial for XHANCE in Chronic Sinusitis (March 7, 2022). GlobeNewsWire, [online], Available at: <https://www.globenewswire.com/news-release/2022/03/07/2397768/0/en/Optinose-Reports-Positive-Top-line-Results-in-ReOpen1-a-Landmark-Phase-3-Trial-for-XHANCE-in-Chronic-Sinusitis.html>. (accessed on April 22, 2022).
30. Aslani P, Hamrosi K, Tong V, et al. Consumer opinions on adverse events associated with medicines and vaccines. Patient Preference Adherence 2018;12:1383-1392. doi: 10.2147/PPA.S167396.
31. Master Protocols: Efficient Clinical Trial Design Strategies to Expedite Development of Oncology Drugs and Biologics Guidance for Industry. (March 2022). Food and Drug Administration, [online], Available at: <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/master-protocols-efficient-clinical-trial-design-strategies-expedite-development-oncology-drugs-and>. (accessed on April 22, 2022).
32. Optimizing clinical trials for a fast-changing landscape (2022). Clarivate, [online], Available at: <https://clarivate.com/lp/optimizing-clinical-trials-for-a-fast-changing-landscape/> (accessed on April 22, 2022).
33. Clinical trials of biopharma products affected by COVID-19. (2020). BioWorld, [online], Available at: <https://www.bioworld.com/COVID19clinical-affect>. (accessed on April 22, 2022).
34. EU issuing wartime advice on clinical trials (2022). BioWorld, [online], Available at: <https://www.bioworld.com/articles/517541-eu-issuing-wartime-advice-on-clinical-trials?v=preview>. (accessed on April 22, 2022).

클래리베이트 소개

Clarivate™는 혁신을 가속하는 솔루션을 제공하는 글로벌 선도 기업입니다. 당사의 기업 사명은 학계 및 정부, 생명 과학 및 의료, 전문 서비스 및 소비자, 제조 및 기술 분야에서 새로운 아이디어가 삶을 변화시키는 발명품으로 빠르게 탄생할 수 있도록 실용적인 정보와 인사이트를 제공함으로써 고객들이 세상에서 가장 복잡한 문제를 해결할 수 있도록 돕는 것입니다. 발명의 시작부터 보호 그리고 상업화까지 전 과정에서 신뢰할 수 있는 정보를 간편하게 구독하고 첨단 기술을 기반으로 솔루션을 활용하며 모든 과정에서 분야별 전문가들까지 함께 최고의 결과를 얻을 수 있습니다. 자세한 정보는 clarivate.com/ko 를 참조하시기 바랍니다.

연락처

02-6222-2170

ts.info.korea@clarivate.com

clarivate.com/ko

© 2022 Clarivate. 클래리베이트와 로고, 기타 본 문서에 사용된 모든 상표는 각 소유자의 상표이며 라이선스에 따라 사용됩니다.