



### 저작자표시-비영리-변경금지 2.0 대한민국

이용자는 아래의 조건을 따르는 경우에 한하여 자유롭게

- 이 저작물을 복제, 배포, 전송, 전시, 공연 및 방송할 수 있습니다.

다음과 같은 조건을 따라야 합니다:



저작자표시. 귀하는 원 저작자를 표시하여야 합니다.



비영리. 귀하는 이 저작물을 영리 목적으로 이용할 수 없습니다.



변경금지. 귀하는 이 저작물을 개작, 변형 또는 가공할 수 없습니다.

- 귀하는, 이 저작물의 재이용이나 배포의 경우, 이 저작물에 적용된 이용허락조건을 명확하게 나타내어야 합니다.
- 저작권자로부터 별도의 허가를 받으면 이러한 조건들은 적용되지 않습니다.

저작권법에 따른 이용자의 권리와 책임은 위의 내용에 의하여 영향을 받지 않습니다.

이것은 [이용허락규약\(Legal Code\)](#)을 이해하기 쉽게 요약한 것입니다.

[Disclaimer](#)



국내 및 주요국 희소의료기기  
관리 제도 분석을 통한 규제 개선

연세대학교 대학원

의료기기산업학과

김 세 호

# 국내 및 주요국 희소의료기기 관리 제도 분석을 통한 규제 개선

지도교수 구 성 옥 · 장 원 석

이 논문을 석사 학위논문으로 제출함

2024년 6월

연세대학교 대학원

의료기기산업학과

김 세 호



김세호의 석사 학위논문으로 인준함

심사위원

심사위원

심사위원

구성욱 교수

장원석 교수

정희교 교수

연세대학교 대학원

2024년 6월

## 감사의 글

의료기기산업학과에 입학하고 졸업을 앞둔 지금까지 많은 것을 경험하고 배울 수 있었습니다. 대학원 전공에 대해 많이 고민하고 입학을 결정했지만, 한편으로는 새로운 도전에 대한 두려움도 있었습니다. 그럼에도 주변에 계신 많은 분들의 도움으로 학위과정을 마칠 수 있었습니다.

먼저, 교수님들께 감사의 인사 드립니다. 대학원 생활과 연구를 도와주신 장원석 교수님 감사합니다. 논문을 심사하고 지도해주신 구성욱 교수님, 바쁘신 중에도 제 연구에 많은 관심으로 조언해주신 정희교 교수님 깊이 감사드립니다.

다사다난한 대학원 생활이었지만 주변에서 아낌없이 응원해준 친구들 모두 감사합니다. 마지막으로 뒤에서 물심양면 지지해주신 부모님과 누나, 항상 감사하고 사랑합니다. 덕분에 힘든 순간마다 꺾이지 않을 수 있었습니다. 이 시간을 기반으로 언제나 변화와 발전을 위해 정진하겠습니다.

2024년 6월

김 세호 올림

## 차 례

그림 차례	iii
표 차례	iv
국문 요약	v
제1장 서론	1
1.1. 연구배경	1
1.2. 연구목적	3
1.3. 연구범위	4
제2장 본론	5
2.1. 국내 희소의료기기 제도 현황	5
2.1.1. 국내 희소의료기기 정의	5
2.1.2. 국내 희소의료기기 지정 및 허가	5
2.1.3. 국내 희소의료기기 지정 현황	9
2.1.4. 희소·긴급도입 필요 의료기기 제도	16
2.2 미국 희소의료기기 제도 현황	19
2.2.1. 미국 희소의료기기 정의	19
2.2.2. 미국 희소의료기기 지정	19
2.2.3. 미국 희소의료기기 허가	22
2.2.4. 미국 희소의료기기 지정 현황	25
2.2.5. 미국 희소의료기기 제도의 특징	42
2.3 일본 희소의료기기 제도 현황	47
2.3.1. 일본 희소의료기기 제도	47
2.3.2. 일본 희소의료기기 지정 및 허가	47
2.3.3. 일본 희소의료기기 지정 현황	51
2.3.4. 일본 희소의료기기 제도의 특징	57
2.4 유럽 희소의료기기 제도 현황	59



2.4.1. 유럽 회소의료기기 제도	59
2.4.2. 유럽 회소의료기기 관련 규제에 관한 연구	59
<b>제3장 결과</b>	<b>63</b>
3.1. 국내·외 회소의료기기 제도의 비교 및 분석	63
3.2. 국내 회소의료기기 규제 개선방안	67
<b>제4장 고찰 및 결론</b>	<b>71</b>
참고문헌	72
영문 요약	73



## 그림 차례

<그림 1> 국내 희소의료기기 지정 업무 프로세스	7
<그림 2> 미국 FDA 조직도	20
<그림 3> 미국 HDE 진행 과정	23
<그림 4> 일본 희소의료기기 지정 절차	49



## 표 차례

<표 1> 글로벌 의료기기 산업 시장규모 현황	2
<표 2> 글로벌 의료기기 산업 시장규모 전망	2
<표 3> 희소의료기기 지정 신청자료 검토 부서	8
<표 4> 국내 희소의료기기 지정 현황	9
<표 5> 국내 희소의료기기 관련 규제변화 주요 연혁	17
<표 6> 미국 희소의료기기 지정 현황	25
<표 7> 미국 의료기기 심사제도의 종류 및 특징	43
<표 8> 미국 PMA와 HDE 제도의 비교	44
<표 9> 일본 희소의료기기 지정 및 허가 유관기관별 역할	50
<표 10> 일본 희소의료기기 지정 현황	51
<표 11> 풍선카테터(뉴메드)의 미국, 캐나다, 유럽의 규제비용 비교	62
<표 12> 국내 및 주요국 희소의료기기 제도 비교	63
<표 13> 국내 희소의료기기 제도 개선방안	69
<표 14> 국내 희소의료기기 산업계 지원방안	70



## 국 문 요 약

### 국내 및 주요국 희소의료기기 관리 제도 분석을 통한 규제 개선

희소의료기기는 대체로 연구 및 개발 비용이 높기 때문에 일반 의료기기에 비해 가격이 높고, 생산량이 적어 수요와 공급이 불균형하게 형성된다. 국내 희소의료기기 제조·수입 업체의 개발과 공급은 일부 품목에 대한 글로벌 대기업의 시장 독점과 R&D 비용에 비해 현저히 낮은 수익성을 이유로 매우 더딘 상황이다. 정부가 주도적으로 관리하고 있으나 여전히 개선이 요구되는 상황이다.

본 연구는 한국의 희소의료기기 관리 체계를 미국, 일본, 그리고 유럽과 비교하여 국내 제도에서 개선해야 할 부분을 파악하였다. 이를 바탕으로 희소의료기기 지정기준 확대와 품목·수입 허가 의무화 및 희소의료기기 규제 레지스트리 도입을 제시하였다. 또한 희소의료기기 제조업체에 대한 지원방안으로 국내 규제기관의 컨설팅, 허가심사 시 우선순위 부여를 통한 심사기간 단축과 희소의료기기 제조업체 인증제도를 도입 등의 방안을 제안하였다. 다만, 볍인세 감면 및 정부기관 발주 사업 지원 시 가산점 차등 지원과 같은 혜택은 희소의료기기 제조사 인증 기업에 한하여 제공된다. 그러나 제시된 각 항목의 세부사항 보완을 위한 후속 연구가 필요하다. 본 연구가 향후 희소의료기기 산업의 발전에 기여할 수 있기를 기대한다.

---

핵심되는말: 희귀질환, 희소의료기기, 인도주의적 사용 의료기기

# 1. 서론

## 1.1. 연구배경

COVID-19 팬데믹 이후, 보건의료 분야는 개인 맞춤형 의료의 형태로 급변하고 있다. 이에 따라 의료 산업 및 기술은 긴급 대응이 요구되는 상황에서 효과적으로 기능할 수 있는 희소의료기기에 대한 수요와 관심도가 높아지고 있는 실정이다. 신종 질병 대응에 맞추어 새로운 희소의료기기의 개발과 기술 혁신이 필요하게 되었다.

희소의료기는 맞춤형 의료 서비스를 제공하는 중요한 수단으로 부상하고 있다. 특히, 특정 환자 또는 환경에 맞춤형 서비스를 제공하는 데에 핵심적인 역할을 하며, 질병의 조기 진단과 모니터링을 통해 의료 분야의 효율성을 향상시킬 수 있다.

그러나 이러한 희소의료기기의 발전과 함께 기술적인 측면에서 발생하는 변화에 대응하는 규제 및 제도는 아직 충분히 발걸음을 맞추어 나가지 못하는 상황이라고 할 수 있다. 특히, 기술의 빠른 발전 속도와 비교하여 규제 체계가 뒤처져 있다면, 효과적인 의료기기의 시장 진입이 규제 장벽에 막혀서 제한될 수 있다.

게다가 국내·외 규제의 다양성과 복잡성으로 인해 세계적으로 희소의료기기의 개발과 유통이 어려워지는 실정이다. 이러한 문제에 대한 해결책으로 기술 발전에 신속하게 대응할 수 있는 유연한 규제 체계의 필요성이 의료현장에서 대두되고 있다.

따라서 본 연구는 COVID-19 이전과 이후의 희소의료기기 산업 동향과 규제 환경을 종합적으로 조사하고, 국내의 제도를 개선하기 위한 전략적인 방안을 모색할 것이다. 희소의료기기의 중요성과 발전에 대한 이해를 토대로, 효과적인 규제 개선이 의료 분야의 혁신과 경제적 발전에 기여할 것으로 기대한다.

의료기기 산업은 다른 산업군과 비교했을 때, 제품의 수명주기가 비교적 짧으며 다른 종류 소량 생산체계의 특징을 갖는다. 또한, 세계적인 인구의 고령화 심화 현상과 건강에 대한 관심도의 증가, 4차 산업혁명을 통한 의료기술의 고차원적인 발전, 동남아시아 등 개발 도상국의 경제적 성장 등 복합적인 이유로 의료기기 산업은 꾸준히 성

장하는 추세에 있다. 고령화 사회 진입 및 기술 발전이라는 요인으로 인하여 대부분의 국가에서는 보건, 복지와 연관된 의료산업이 경제적인 부분에서 차지하는 비중이 증가하는 상황이다.

의료기기 시장은 기술 발전과 건강에 관한 관심도 증가 및 의료비 지출 증가 등의 이유로 꾸준하게 성장하고 있다. 의료기기 시장은 가격 탄력성이 낮고 다른 산업과 비교하여 진입장벽이 높다는 특징이 있다. 의료기기는 제품의 수명이 짧기 때문에 연구 및 개발에 지속적인 투자가 요구되기도 한다. 의사나 병원이 주요 수요층이며 이들은 성능 및 안전성이 검증된 기존의 유명제품을 지속적으로 사용하려는 보수적인 성향을 갖고 있다. 이런 이유로 의료기기 산업은 브랜드 및 제품에 대한 인지도가 매우 중요한 산업이라고 할 수 있다.

의료기기산업은 4차 산업혁명의 발전과 더불어 기술과 의료의 결합으로 새로운 패러다임을 맞이하였다. [표 1]에서와 같이, 2021년 글로벌 의료기기 시장 규모는 4,542 억 달러를 기록하였으며 지난 5년간('17~'21) 연평균 5.9%의 성장률을 보였다. [표 2] 와 같이, 지속적인 성장 속에 향후 5년간 연평균 7.9%의 성장률 수준으로 2026년 6,637억 달러로 시장 규모가 증가할 것으로 전망된다.<sup>1</sup>

표 1. 글로벌 의료기기산업 시장규모 현황

(단위: 억 달러, %)

2017	2018	2019	2020	2021	CAGR
3,611.8	3,893.8	4,055.6	4,139.7	4,542.7	5.9

출처: FitchSolutions, Worldwide Medical Devices Factbook(2022)

표 2. 글로벌 의료기기산업 시장규모 전망

(단위: 억 달러, %)

2022	2023	2024	2025	2026	CAGR
5,051.8	5,434.7	5,819.2	6,209.7	6,637.0	7.9

출처: FitchSolutions, Worldwide Medical Devices Factbook(2022)

## 1.2. 연구목적

본 연구의 목적은 희소의료기기의 국내·외 제도 현황을 체계적으로 파악하고, 이를 토대로 현행 규제에 대해서 개선방안을 도출하여 의료기기 산업의 지속적인 성장과 혁신을 촉진하는 데에 기여하는 것이다.

첫째로, 본 연구를 통해 COVID-19 팬데믹으로 인해 급변하는 의료 환경 속에서의 희소의료기기의 중요성과 역할을 재확인하고자 한다. 희소의료기기가 어떻게 응용되고, 어떤 새로운 기술과 혁신이 발생했는지를 파악하여 의료 분야의 변화에 대한 인사이트를 제공할 것이다.

둘째로, 국내 희소의료기기 현황을 분석하여, 국내 기업들의 경쟁력과 현재의 규제에서 발생하는 어려움을 규명하는 것이다. 이를 통해 국내 시장에서의 희소의료기기 산업의 성장을 촉진하고 국내 기업들의 글로벌 시장 진출을 지원하기 위한 전략적 제언을 제공한다.

셋째로, 국외 희소의료기기 동향과 국제적인 규제 체계에 대한 심층적인 분석을 통해, 국내 기업들이 국제 시장에서 경쟁력을 확보하는 데 필요한 인사이트를 도출한다. 국제 표준화와 협력을 통한 규제의 효율적인 운영 및 국내 희소의료기기 시장에서 국내 기업의 입지 강화를 목표로 한다.

마지막으로, 현재의 규제 체계에서 발생하는 문제점을 식별하고, 효과적인 규제 개선 방안을 모색하여 희소의료기기의 개발과 도입을 촉진하는 정책적 지원을 제안한다. 이를 통해 의료기기 산업 생태계의 활성화와 혁신적인 기술의 촉진을 목표로 하며, 규제 개선이 산업의 지속가능한 성장을 이끌어낸다.

본 연구는 국내·외 희소의료기기 관련 제도의 실효성을 살펴보고 개선방안을 통한 국내 의료의 질 및 희귀질환 환우의 삶의 질 향상이 최종 목표이다.



### 1.3. 연구범위

본 연구를 통해 희소의료기기 지정 및 관리 제도의 국내·외 현황을 알아볼 것이다. 국외 현황의 조사대상 지역은 미국과 유럽, 그리고 일본이다. 각 국가의 희소의료기기 관련 제도와 정부 차원에서의 희소의료기기 제조업체 지원 방안에 대하여 비교 및 분석하여 국내 제도 또는 규제를 개선할 수 있는 방안을 도출하고자 한다. 국내·외 규제 체계를 비교하여 특히 희소의료기기 지정 동향이나 제도적으로 나타나는 차이를 확인하고, 이로 인해 어떠한 영향을 미쳤는지 알아본다. 이러한 비교 및 분석 작업을 통해 현행 규제 체계에 대한 개선방안을 모색한다.

미국 FDA의 현행 의료기기 규제 체계와 가이드라인을 조사하여 희소의료기기 제도와 지정 현황 및 제조업체 지원방안을 찾는다. 일본은 후생노동성(MHLW), 의약품/의료기기종합기구(Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, PMDA) 등 희소의료기기 관련 기관에 대한 조사를 진행하였다. 유럽은 EU MDR에서 희소의료기기 관련 규제를 조사하여 희귀질환 및 관련 사항에 관한 관리 방법을 모색한다.

## 2. 본 론

### 2.1. 국내 희소의료기기 제도 현황

#### 2.1.1 국내 희소의료기기 정의

국내의 희소의료기기와 관련된 법령은 의료기기법(제8조 1항)과 의료기기 허가·신고·심사 등에 관한 규정(제6장 희소의료기기의 지정 등)을 근거로 두고 있다. 「의료기기 허가·신고·심사 등에 관한 규정」에 의한 희소의료기기의 정의는 다음과 같다. “국내 환자 수(유병인구)가 20,000명 이하인 희귀질환의 치료 또는 진단의 목적으로 사용되며, 국내에 그 질환에 대한 대체 의약품 또는 의료기기가 없는 등 적절한 치료 방법 또는 진단방법이 없거나 기타 용도상 특별한 효용가치를 갖는다고 판단되는 의료기기”를 말한다.<sup>2)</sup>

#### 2.1.2. 국내 희소의료기기 지정 및 허가

국내에서 희소의료기기로 지정 받기 위해서는 「의료기기 허가·신고·심사 등에 관한 규정」 제6장(희소의료기기의 지정 등)을 참고하여야 한다. 제조·수입업체는 제35조(희소의료기기 지정 신청)에 따라 희소의료기기 지정신청서를 작성하고 기타 서류를 첨부하여 식약처에 제출해야 한다. 단, 의료기기 제조(수입) 허가 신청과 동시에 희소의료기기로 지정받으려는 자는 허가신청서 비고란에 “희소의료기기”라는 표기를 하여 신청한다.

첫 번째 첨부서류는 제36조의 희소의료기기 지정 기준에 해당함을 증명하는 자료이다. 다만 제36조 제1항 3호의 경우, 용도상 특별한 효용가치를 지님을 증명하는 자료를 제출해야 한다. 두 번째 첨부서류는 제60조 1항에 따른 해당 제품의 사용목적, 모양 및 구조, 작용원리, 원재료, 성능, 사용방법 및 규격에 관한 자료로 기술문서라고 할 수 있다. 세 번째는 대한의사협회장, 대한치과의사협회장, 대한한의사협회장, 대한약사회장, 대한병원협회장 또는 해당질환 관련 전문 학회장의 희소의료기기 지정추천서이다. 이에 더하여 추천경위 및 사유, 대체치료법 또는 대체의료기기 등에 대한 의학적 견해 및 그 근거, 대상 질환에 대한 통계자료(인구대비 발생비율 등) 및 그 근거, 기타 참고의견 등의 자료가 포함되어야 한다. 다만, 추천서 제출이 어려운 경우에는 대체치료법 또는 대체의료기기 등에 대한 의학적 근거와 대상 질환에 대한 통계자료(인구대비 발생비율 등)만을 제출할 수 있다. 그러나 외국에서 희소의료기기로 지정되었음을 증명할 수 있는 입증자료 등이 있는 경우에는 자료를 제출하지 않을 수 있다.

신청자가 희소의료기기 지정 신청을 하면 식약처 의료기기정책과를 통해 민원이 접수된 뒤, 일반의료기기/디지털헬스기기/체외진단의료기기로 분류하여 신속심사과 및 의료기기심사부(체외진단기기과, 디지털헬스규제지원과)에서 「의료기기 허가·신고·심사 등에 관한 규정」 제36조에 따라 희소의료기기 지정 여부를 판단하게 된다. 희소의료기기 지정 여부에 대한 타당성을 검토하여 의료기기정책과로 검토 결과를 회신하면 의료기기정책과가 희소의료기기 지정 신청 결과를 민원 신청인에게 공지한다. [그림 1]은 희소의료기기 지정 과정을, [표 3]은 지정 신청의 과정을 나타낸 것이다.<sup>3)</sup>

「의료기기 허가·신고·심사 등에 관한 규정」 제36조(희소의료기기 지정 기준)	
① 희소의료기기의 지정기준은 다음 각 호와 같다.	
1. 국내 환자 수(유병인구)가 20,000명 이하인 희귀질환의 치료 또는 진단 목적으로 사용될 것	
2. <삭제>	
3. 국내에 그 질환에 대한 대체 의약품 또는 의료기기가 없는 등 적절한 치료방법 또는 진단 방법이 없거나 기타 용도상 특별한 효용가치를 갖는다고 식약처장이 인정할 것	
② 개발 단계에 있는 의료기기의 경우에도 제1항에 따라 희소의료기기로 지정할 수 있다.	
③ 제1항 및 제2항에도 불구하고 현재 의료기기 수급체계에 비추어 공급이 중단되거나 제한적으로 공급되었을 때 환자의 치료·진단에 큰 지장을 초래할 우려가 있는 경우 등 식약처장이 희소의료기기로 지정할 필요성이 있다고 인정하는 경우에는 희소의료기기로 지정할 수 있다.	

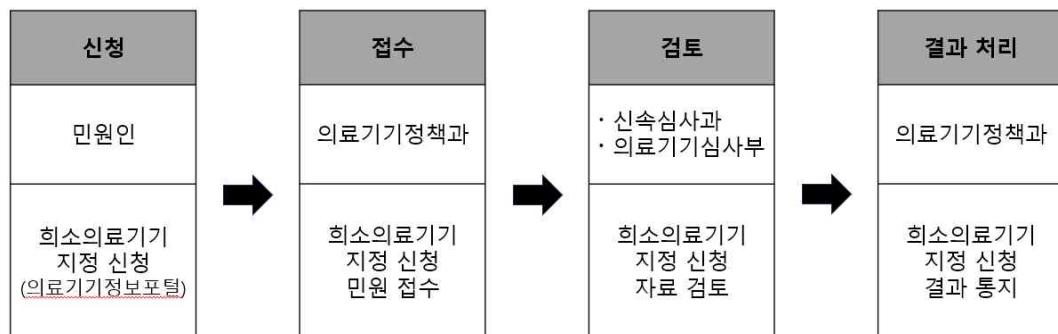


그림 1. 국내 희소의료기기 지정 업무 프로세스

출처 : 식품의약품안전처, 희소의료기기 지정 신청자료 작성 고려사항(2023) 재구성



## 표 3. 희소의료기기 지정 신청자료 검토 부서

심사부서	희소의료기기 지정 신청 제품
신속심사과	일반의료기기(체외진단기기, 디지털헬스기기 제외)
의료기기 심사부	체외진단 기기과
	체외진단의료기기
	디지털헬 스규제지 원과
	디지털헬스기기

출처 : 식품의약품안전처, 희소의료기기 지정 신청자료 작성 고려사항(2023)

희소의료기기로 지정되면 일반 의료기기와 마찬가지로 품목 허가 절차를 거치게 된다. 다만, 희소의료기기는 「의료기기 허가·신고·심사 등에 관한 규정」 제24조(신속심사 등) 제1항에 의거하여 신속심사가 가능하다. 심사를 통해 허가가 나면 해당 희소의료기기의 시판이 가능하다. 「의료기기 허가·신고·심사 등에 관한 규정」 제29조 제1항 12호 라목에 따르면 희소의료기기는 임상시험에 관한 자료를 식약처장이 타당하다고 인정하는 범위의 임상시험에 관한 자료로 갈음할 수 있다.

「의료기기 허가·신고·심사 등에 관한 규정」  
제24조(신속심사 등)

1. 첨단의료기기 및 희소의료기기 등 산업발전 또는 환자 치료를 위하여 필요한 경우 식약처장이 지정한 의료기기
2. <삭 제>

이하 생략

### 2.1.3 국내 희소의료기기 지정 현황

2023년 5월 31일 기준으로 18개 품목, 31개의 제품이 희소의료기기로 지정되어 있으며 [표 4]와 같다.<sup>4</sup> 그 중, 생체재질인공심장판막에 7개의 제품이 지정되어 있으며 가장 큰 비중을 차지하고 있음을 알 수 있다. 이는 2018년 GORE사의 한국 지사 철수로 인해 국내에 인공혈관 공급 중단 사태 때문에 해당 품목에 대한 수급을 정부 차원에서 더욱 신경 쓰고 있는 것으로 풀이된다.

COVID-19 발생 이전인 2019년까지는 심혈관질환 관련 품목이 희소의료기기로 많이 지정되었으나, 2020년부터는 유전자검사시약이 희소의료기기로 지정되기 시작했다. 또한, 3D 프린터를 활용한 정형용품 또는 인공관절 등 환자 맞춤형 임플란트 제품의 희소의료기기 지정 역시 유의미한 부분이다. COVID-19 발생 이후, 현재 국내 의료의 패러다임이 원격의료 및 맞춤형 의료로 변화하고 있다. 이러한 의료 패러다임의 변화에 맞추어 기술의 발전이 가속화 및 다각화됨에 따라 3D 프린팅 기술을 활용하여 환자 맞춤형 제품을 생산하는 제조업체가 증가하고 있음을 알 수 있다.

표 4. 국내 희소의료기기 지정 현황

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환	비고
1	'11.1.13.	메드트로닉 코리아(주)	생체재질인공 심장판막	중증 대동맥판막협착증	수호11-11 45호 ('11.10.4)



연번	지정일	업체명	품목명	대상질환	비고
2	'11.2.15.	에드워즈라 이프사이언 시스 코리아(주)	생체재질인공 심장판막	중증 대동맥판막협착증	수허12-53 1호 (‘12.4.6.)
3	'12.1.30.	에드워즈라 이프사이언 시스 코리아(주)	생체재질인공 심장판막	중증 대동맥판막협착증	수허12-53 2호 (‘12.4.6.)
4	'13.4.3.	보스톤사이 언티피코리 아(주)	생체재질인공 심장판막	중증 대동맥판막협착증	-
5	'14.2.21.	애보트메디 칼코리아(유)	생체재질인공 심장판막	대동맥판막협착증	-
6	'14.4.17.	(주)바소케어	심혈관용 기계기구	심근경색 후 허혈성 심부전증	-
7	'14.5.1.	(주)한국호넥 스	흉강-복강선트	흉막삼출 (Pleural Effusion)	수허14-31 86호 (‘14.11.14)
8	'14.12.29.	(주)태웅메디 칼	생체재질인공 심장판막	중증 폐동맥 판막협착증 및 폐쇄부전	제허18-65 8호 (‘18.10.1)
9	'16.1.7.	(주)글로벌 데이몬파마	횡격신경 전기자극장치	루게릭병에 의한 횡경막 기능 장애	수허17-47 8호
10	'16.3.4.	(주)글로벌 데이몬파마	횡격신경 전기자극장치	경추손상에 의한 횡경막 기능장애	(‘17.10.20)

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환	비고
11	'16.6.3.	(주)기산과학	이학진료용 기구	망막색소병증으로 인한 외부망막변성 등 시력 손실	-
12	'17.1.13.	(주)에스엔지 바이오텍	혈관용스텐트	대동맥 박리증이나 대동맥류, 외상성 대동맥 손상에 따른 합병증	-
13	'19.4.23.	바이오토로 닉코리아(주)	관상동맥용 스텐트	급성 관상동맥 천공	-
14	'19.11.1.	(주)엘 앤 씨 바이오	조직수복용 재료	소이증으로 인한 귀 결손	-
15	'19.12.11.	(주)에스엔지 바이오텍	혈관용스텐트	대동맥궁의 대동맥류, 대동맥류 및 대동맥 박리증	-
16	'20.11.11.	(주)엔젠바이 오	중앙관련유전자 검사시약	고형암	-
17	'21.5.11.	보스톤사이 언티픽코리 아(주)	생채재질인공심 장판막	중증 대동맥판막 협착증 ('22.3.16)	수화22-53 호



연번	지정일	업체명	품목명	대상질환	비고
----	-----	-----	-----	------	----

18 '21.7.1. (주)티이바이  
오스 인공각막 손상된 각막의 치환  
및 시각의 회복 -

19 '21.7.30. (주)제노스 말초혈관용  
그라프트 혈관 손상  
스텐트 -

20 '21.9.17. 주식회사  
엘릭시온 이식형심장  
박동기 심부전  
(18세 이상) -

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환	비고
----	-----	-----	-----	------	----

21 '21.11.3. (주)파나진 종양관련유전자  
검사시약 갑상선암

22 '22.2.11. (주)코렌텍 인공발목관절 무혈성 괴사 -

23 '22.2.11. 주식회사 큐브랩스 인공발목관절 무혈성 괴사 -

24 '22.5.20. 지니너스(주) 종양관련유전자 고형암(갑상선암, 신경교종,  
검사시약 2/3등급 수막종) -

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환	비고
----	-----	-----	-----	------	----

25 '22.6.27 주식회사 큐브랩스 정형용품 흉곽의 일부를 절제한 후 결손부를 대체 -

26 '22.6.27 주식회사 큐브랩스 인공발목관절 발목관절전치환술 -

27 '22.7.7 (주)엠디웍스 코리아 대동맥그라프트 스텐트 특징적인 박리 또는 동맥류 -

28 '22.7.26. (주)엘엔씨 바이오 인체 조직 또는 기능 대치품 소이증으로 인한 귀 결손 -



연번	지정일	업체명	품목명	대상질환	비고
----	-----	-----	-----	------	----

29 '22.10.24. (주)태웅메디칼 대동맥그라프트 문 맥고혈압으로 인한  
스텐트 합병증 -

30 '23.2.20 (주)파앤에프케이 폐표면활성제투여카테터 신생아 호흡곤란 증후군 -

31 '23.4.5 (주)파브메드 풍선확장식밸브 대동맥판막의  
성형술용카테터 경피적 밸브성형술 -

출처 : 식품의약품안전처, 희소의료기기 지정 신청자료 작성 고려사항(2023) 제구성



#### 2.1.4. 희소·긴급도입 필요 의료기기 제도

「의료기기법 시행규칙」 제34조의2 및 제34조의3에 따라 희소·긴급도입 필요 의료기기 공급 업무를 주요한 목적으로 하는 「희소·긴급도입 필요 의료기기 공급 등에 관한 규정」이 제정되어 있으며 해당 행정규칙에 기재된 바에 의해 지정 및 해제, 수요조사, 공급계획, 계약 등 세부사항을 관리하고 있다.<sup>5</sup> 다만, 이는 희소의료기기와는 별도로 제정된 행정규칙이다. 희소의료기기는 행정절차에 따라 지정되는 반면, 희소·긴급도입 필요 의료기기는 관련 서류 검토 등 별도의 절차 없이 식약처장의 직권으로 지정 또는 해제할 수 있다는 차별점이 존재한다.

식품의약품안전처는 고시 제2023-57호(시행일자: 2023년 08월 31일)를 통해 희소·긴급도입 필요 의료기기 지정 및 해제, 공급계약과 절차, 회계관리에 관한 사항을 발표하였다. 변경된 조항은 다음과 같으며 세부내용은 생략하였다.

##### 「희소·긴급도입 필요 의료기기 공급 등에 관한 규정」

제2조(수요조사의 실시 등)

제2조의2(지정 및 해제)

제3조의2(공급 계약)

제4조(희소·긴급도입 필요 의료기기 공급 신청 등 절차)

제6조의2(회계 관리)



해당 고시는 제4조의 희소·긴급도입 필요 의료기기의 공급 신청 절차를 간소화하였다. 이전에는 환자나 의료인이 희소·긴급도입 필요 의료기기의 공급 신청 시, 공급 신청서와 진단서를 같이 제출하게 함에 따라 서류 발급을 위한 시간과 비용이 소요되었으나, 개정된 고시를 통하여 진단서 제출 없이 공급신청서 제출만으로 신청할 수 있게 되었다. 희소의료기기 및 희소·긴급도입 필요 의료기기에 대한 이해를 돋기 위해 관련 규제의 변화를 [표 5]에 나타내었다.

표 5. 국내 희소의료기기 관련 규제변화 주요 연혁

날짜	내용
2009-01-21	<ul style="list-style-type: none"><li>「희소의료기기 지정에 관한 규정」 신규 제정</li></ul>
2011-11-25	<ul style="list-style-type: none"><li>「의료기기법 시행규칙」 제13조의2 신설<ul style="list-style-type: none"><li>- 사전검토 대상으로 지정</li><li>- 제조 허가 신청 전 사전검토 신청 허용</li></ul></li></ul>
2011-12-19	<ul style="list-style-type: none"><li>「의료기기 재심사에 관한 규정」 개정<ul style="list-style-type: none"><li>- 희소의료기기의 재심사 기간은 6년으로 함</li></ul></li></ul>
2014-11-01	<ul style="list-style-type: none"><li>「희소의료기기 지정에 관한 규정」 폐지</li><li>고시 개정<ul style="list-style-type: none"><li>- 희소의료기기 지정 및 신청 동시 진행 허용</li></ul></li></ul>
2018-12-11	<ul style="list-style-type: none"><li>「의료기기법」 제15조의 신설<ul style="list-style-type: none"><li>- 희소·긴급도입 필요 의료기기 최초 등장</li></ul></li></ul>
2019-06-12	<ul style="list-style-type: none"><li>「의료기기법 시행규칙」 제34조의2 및 제34조의3 신설<ul style="list-style-type: none"><li>- 희소·긴급도입 필요 의료기기의 공급방법 및 공급업무 위탁</li></ul></li></ul>

날짜	내용
2019-07-05	<ul style="list-style-type: none"> <li>「의료기기 재심사에 관한 규정」 개정           <ul style="list-style-type: none"> <li>- 희소의료기기는 사용하는 모든 사례를 조사 증례수로 함</li> </ul> </li> </ul>
2020-01-17	<ul style="list-style-type: none"> <li>「희소·긴급도입 필요 의료기기 공급 등에 관한 규정」 신규 제정           <ul style="list-style-type: none"> <li>- 희소·긴급도입 필요 의료기기의 공급 등에 필요한 세부사항 정립</li> </ul> </li> </ul>
2021-05-04	<ul style="list-style-type: none"> <li>「생산·수입 중단 보고대상 의료기기 및 보고 방법」 제정           <ul style="list-style-type: none"> <li>- 생산·수입 중단 보고대상 의료기기에 제조·수입 허가를 받은 희소의료기기 포함</li> </ul> </li> </ul>
2022-01-22	<ul style="list-style-type: none"> <li>「의료기기법 시행규칙」 용어 변경           <ul style="list-style-type: none"> <li>- (변경 전) 재심사 → (변경 후) 시판 후 조사</li> </ul> </li> </ul>
2023-01-27	<ul style="list-style-type: none"> <li>「의료기기 재평가에 관한 규정」 개정           <ul style="list-style-type: none"> <li>- “희소의료기기”와 “국내에 대체 가능한 의료기기가 없고 국민보건에 중대한 영향을 미칠 우려가 높다고 인정되는 의료기기”는 재평가 대상에서 제외</li> </ul> </li> </ul>
2023-06-01	<ul style="list-style-type: none"> <li>「의료기기 허가·신고·심사 등에 관한 규정」 개정           <ul style="list-style-type: none"> <li>- 희소·긴급도입 필요 의료기기 등 의료기기 특성에 따라 허가·심사 시 임상시험 자료로 실사용증거를 인정</li> <li>- 신속심사 대상을 생산·수입 중단 보고대상 의료기기와 공중보건 위기대응 의료기기로 확대</li> </ul> </li> </ul>
2023-08-11	<ul style="list-style-type: none"> <li>「의료기기 시판 후 조사에 관한 규정」 개정           <ul style="list-style-type: none"> <li>- 신개발·희소의료기기 등의 시판 후 조사 기간 연장 시, 의료기기심의위원회 심의를 거치지 않음</li> </ul> </li> </ul>
2023-08-31	<ul style="list-style-type: none"> <li>「희소·긴급도입 필요 의료기기 공급에 관한 규정」 개정           <ul style="list-style-type: none"> <li>- 공급 절차 명확화 및 적시 공급을 위한 신청서류 간소화</li> </ul> </li> </ul>

## 2.2. 미국 희소의료기기 제도 현황

### 2.2.1. 미국 희소의료기기 정의

1990년 미국에서 안전의료기기법(Safe Medical Devices Act)이 개정되면서 희소의료기기에 관한 제도가 최초로 제정되었다. 미국에서 희소의료기기는 인도주의적 사용 의료기기(Humanitarian Use Device, HUD)라고 불리며, 미국 내에서 연간 환자 수가 8,000명 이하로 발생하는 희귀질환을 진단 및 치료하기 위한 의료기기로 정의되어 있다. 제도의 최초 제정 당시에는 미국 내에서 연간 환자 수가 4,000명 이하인 희귀질환을 대상으로 하였으나 2016년에 21세기 치료법(21st Century Cures Act)에 따라 인도주의적 사용 의료기기(HUD) 제품 필요 인구의 추정치가 “8,000명 이하”로 변경되어 오늘날의 미국 희소의료기기인 인도주의적 사용 의료기기(Humanitarian Use Device, HUD)의 정의가 확립되었다. 이러한 미국 희소의료기기의 정의는 21 CFR 814.3(n) 조항을 통해 확인할 수 있다.

### 2.2.2. 미국 희소의료기기 지정

“미국 내에서 연간 8,000명 이하의 환자에게 영향을 미치거나 발현되는 희귀질환 또는 상태의 치료나 진단에 있어서 환자에게 이익을 제공하는 의료기기”인 경우 인도주의적 사용 의료기기(Humanitarian Use Device, HUD)로 지정될 수 있다. HUD로 지정되기 위해서는 미국 FDA에 HUD 지정 신청서를 제출한 뒤 승인을 받아야 한다.

인도주의적 사용 의료기기(Humanitarian Use Device, HUD) 지정 신청을 위해서는 21 CFR 814.102 규정을 참조하여 신청서를 작성한다. 반드시 포함되어야 할 내용은 신청자의 희귀질환 또는 상태에 대한 진술서, 해당 의료기기를 이용한 치료가 필요한 이유 및 의학적 타당성 입증자료, 기기에 대한 설명, 해당 기기가 미국 내에서 연간 8,000명 이하의 사람들에게 영향을 미치거나 나타나는 질병 또는 상태를 치료하거나 진단하도록 설계되었음을 입증하는 권위 있는 참고 문헌이 첨부된 문서 등이 있다. 그러나 기기의 사용목적에 관한 근거자료로 인용할 연구나 문헌이 존재하지 않는 경우, 신청자는 적절한 연구 또는 설문 조사에서 신뢰할 수 있는 결론을 제공하여 미국에서 질병 또는 상태의 유병률을 입증할 수 있다. 신청자는 작성이 완료되었으며 날짜 및 서명이 있는 HUD 지정 신청서 사본 2부를 FDA의 산하기관인 희귀의약품 개발국(Office of Orphan Products Development, OOPD)에 제출하고 검토를 받게 된다.<sup>6</sup> [그림 2]에서 희귀의약품 개발국(OOPD)을 확인할 수 있다.

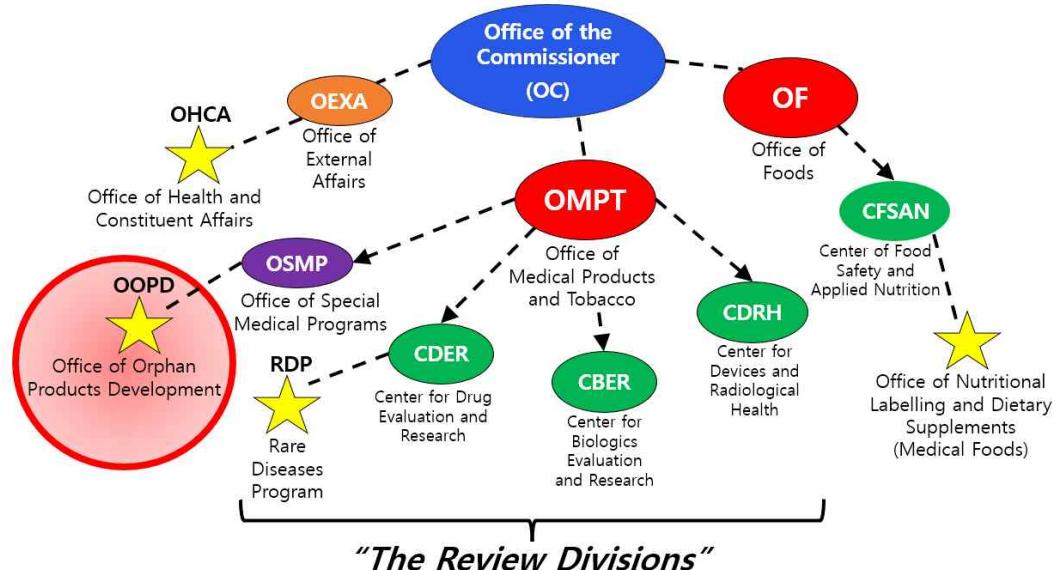


그림 2. 미국 FDA 조직도

출처 : FDA



HUD 지정 신청이 접수되면 FDA는 45일 이내에 신청을 승인 또는 거부하거나 반환하여 추가 자료의 제출을 요구하게 된다. HUD 지정 신청 시 제출한 자료가 타당하면 요청을 승인하고 해당 의료기기가 HUD로 지정되었음을 신청자에게 통보한다. 그러나 연간 8,000명에 대한 근거가 불충분하거나 환자인구가 의학적으로 타당한 하위집단이 아니라고 판단할 경우, 그리고 진단장비의 경우 미국 내에서 연간 8,000명 이상의 환자에게 영향을 미치거나 나타난다고 FDA가 판단하면 HUD 지정 요청이 거부될 수 있다. 마지막으로 21 CFR 814.102(a)에 따라 요구되는 모든 정보가 포함되어 있지 않은 경우 추가 자료의 제출을 요구하는 상황이 발생한다. 추가 자료를 제출 받은 후에 재검토가 이루어지며 검토 기간은 최대 45일까지 연장될 수 있다.

지정 신청에 중요한 사실에 대한 협의 진술이 포함되어 있거나 중요한 정보가 누락된 경우 또는 활용 가능한 근거자료에 기반하여 해당 기기는 HUD 지정 대상이 아닌 경우 HUD 지정이 취소될 수 있다.<sup>7</sup>

### 2.2.3. 미국 희소의료기기 허가

인도주의적 사용 의료기기(Humanitarian Use Device, HUD)로 지정 받은 의료기기는 아직 허가를 획득한 상황이 아니기 때문에 시판이 불가능하다. 따라서 HUD로 지정 승인을 받은 후, HDE(Humanitarian Device Exemption) 신청서를 제출하고 허가를 받아야 한다. HDE는 기본적으로 미국에서 3등급 의료기기 허가 제도인 PMA(PreMarket Approval, 시판전승인)과 동일하게 진행되지만 HDE는 유효성 자료의 제출이 면제된다 는 점이 가장 큰 차이점이다. HDE는 미국 내에서 연간 8,000명 이하에게만 적용되는 질병이나 증상을 치료 또는 진단의 목적으로 사용되는 인도주의적 사용 의료기기(Humanitarian Use Device, HUD)에 해당하는 십사 제도를 의미한다. 또한, HDE의 FDA 승인은 신청자가 판매 수익 및 사용에 제한을 받는 HUD를 판매할 수 있다는 권한의 부여이며 이는 인도주의적 사용 의료기기는 HDE를 통한 허가를 받지 않는다면 수익을 목적으로 판매될 수 없음을 의미한다. [그림 3]은 HDE의 전체적인 진행 과정을 나타낸 것이다.

HDE 신청은 21 CFR 814.104 규정에 따라 신청서를 작성하게 된다. 반드시 포함되어야 하는 내용은 FDA의 산하기관인 희귀의약품 개발국(Office of Orphan Products Development, OOPD)에서 발급한 HUD 지정 승인서의 사본, HDE가 부여되어야 하는 이유, 질병의 치료 등의 이점이 사용 위험을 능가한다는 근거자료, 21 CFR 814.20(b)에 따른 정보, 라벨 표시사항(HUD, 질병 또는 상태의 치료 또는 진단을 위해 허가되었다는 문구), 독립적인 공인 회계사의 보고서 또는 조직의 책임자에 의한 증명서(해당 HUD의 금액이 \$250을 초과할 경우), 21 CFR 814.20(b)(13)에서 요구하는 소아 기기 사용에 관한 정보, 해당 HUD의 사용으로 인한 잠재적 위험보다 잠재적 이점이 더 큰 이유에 대한 설명 등이 있다.

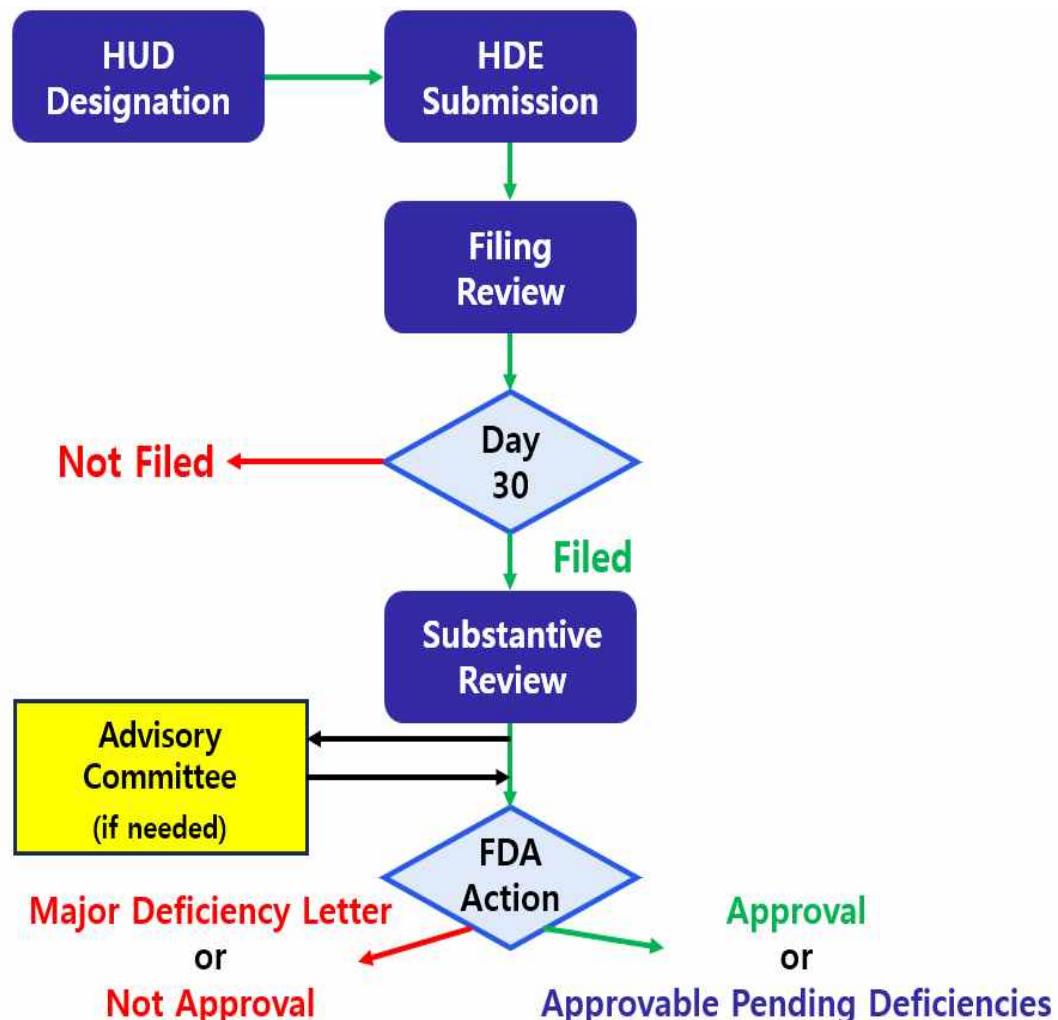


그림 3. 미국 HDE 진행 과정

출처 : FDA

작성 완료된 HDE 신청서는 의료기기 및 방사선 보건 센터(Center for Devices and Radiological Health, CDRH)에 제출한다. 신청서를 제출 받은 기관은 HDE를 접수한 날로부터 30일 이내에 신청인에게 신청서 제출 여부를 통지한다. 다만, 신청서 제출 전에 FDA에 사전 검토를 요청할 수 있다. 사전 제출을 통해 신청자는 FDA의 피드백을 받을 수 있으며, 검토 부서와 직접 소통이 가능하고 우려사항 또는 질의를 위해서 공식 서면 답변, 대면 회의, 원격 회의 요청이 가능하다.

HDE 신청서가 21 CFR 814.104(b)에 따라 요구되는 모든 정보를 포함하고 있지 않아 불완전한 경우, 사용 가능한 유사한 기기가 있다고 판단하는 경우, 신청서에 중요한 사실에 대한 허위 진술이 포함되어 있거나 중요한 정보가 누락되어 있는 경우 HDE 제출이 거부될 수 있다. HDE 신청은 FDA의 요청에 따라 수정 또는 다시 제출될 수 있으며, HDE 신청자에게 HDE 수정안을 제출하도록 요청하고 FDA의 요청에 대한 서면 답변이 요청일로부터 75일 이내에 수신되지 않는 경우, FDA는 보류 중인 HDE 또는 HDE 보완 요청을 신청자가 자발적으로 철회한 것으로 간주한다. HDE 신청서의 검토기간은 75일이며 신청서 수신 후 제한된 과학적 검토를 실시한다. 이때 신청서가 접수된 날로부터 30일 이내에 신청자에게 제출 여부를 통보한다.<sup>8</sup>

HDE 신청서 제출이 승인되면 FDA 검토팀은 심층 과학적, 규제적, 품질시스템 검토로 이루어진 실질적인 검토를 시작한다. 실질적인 검토를 거친 뒤, 신청서가 접수된 날로부터 75일 이내에 FDA는 HDE 신청 승인에 관한 답변을 신청자에게 보내게 된다.<sup>9</sup>



#### 2.2.4. 미국 희소의료기기 지정 현황

현재 미국에서 인도주의적 사용 의료기기(Humanitarian Use Device, HUD)로 지정된 품목은 2023년 12월 기준으로 총 72개이며 아래의 [표 6]에 지정 현황을 나타내었다. 시판 허가(HDE)을 받은 제품은 2024년 1월 기준으로 총 1775개이며 HDE 원본(Original)은 79개인 것으로 확인되었다.

표 6. 미국 희소의료기기 지정 현황

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
1	'97.02.14	Cook Incorporated	Stent, Bladder, Fetal	태아의 수포 후 폐쇄성 요로병증
2	'97.09.30	Rocket Medical PLC	Stent, Bladder, Fetal	태아의 수포 후 폐쇄성 요로병증
3	'97.12.16	WILLIAN E. KAPLAN, M.D.	Stimulator, Bladder	신경성 방광질환
4	'98.04.06	Fresenius Medical Care	Columns, Immunoabsorption in Extracorporeal Systems	혈우병 A 및 B



연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
5	'98.04.30	POSSIS MEDICAL, INC	Graft, Bypass, Coronary Artery	단일 또는 다중 혈관 관상동맥우회술
6	'98.09.28	Encore Medical L/P. D/B/A DJO Surgical	Semi-Constrained Metal/Polymer Finger Joint Prostheses	PIP 관절의 관절성형술
7	'98.12.28	MDCI	Bladder System	임상적으로 완전한 외상성 척수 손상
8	'99.02.19	MDCI MEDICAL DEVICE CONSULTA NTS, INC	Electrical Stimulation Bladder System	임상적으로 완전한 외상성 척수 손상
9	'99.09.20	AMERICAN MEDICAL SYSTEMS, INC	Implanted Fecal Incontinence Device	변실금

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
10	'99.09.30	SHELHIGH, INC.	Pulmonic Replacement Heart Valve	심장 기형 또는 폐 폐쇄증이 있는 팔로네정후
11	'99.12.10	Boston Scientific Corporation	Microspheres Radionuclide	절제 불가능한 간세포암
12	'00.03.31	Enterra Medical, Inc.	Intestinal Stimulator	당뇨병 또는 특발성 질환의 위 마비
13	'00.05.11	CARDIOVA SCULAR DIAGNOSTI CS, INC.	Ecarin Clotting Time	헤파린 유발 혈소판감소증(HIT)
14	'01.01.10	ABBOTT VASCULAR DEVICES	Coronary Covered Stent	자유 조영종류로 정의되는 자유 천공
15	'01.02.21	ORTEC INTL., INC.	Composite Cultured Skin	열성 이영양성 효과 수포증(RDEB)

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
16	'01.08.28	Encore Medical L/P. D/B/A DJO Surgical	Semi-Constrained Metal/Polymer Finger Joint Prostheses	MCP 관절의 관절성형술
17	'01.10.17	OLYMPUS BIOTECH CORPORAT ION	Filler, Recombinant Human Bone Morphogenetic Protein, Collagen Scaffold, Osteoinduction - Hde, Long Bone Nonunion	난치성 장골 비조합
18	'02.03.22	Smith & Nephew, Inc.	High Demand, Revision, Semi-Constrained, Pyrolytic Carbon, Uncemented Finger Prostheses	근위지간(PIP) 관절의 관절성형술

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
19	02.08.09	ABBOTT VASCULAR -CARDIAC THERAPIES	Intracranial Neurovascular Stent	죽상경화성 질환으로 인한 재발성 뇌졸중
20	02.09.11	Stryker Neurovascular	Intracranial Neurovascular Stent	주머니 모양 동맥류
21	03.04.15	MEDTRONIC NEUROMODULATION	Implanted Subcortical Electrical Stimulator (Motor Disorders)	전신 또는 분절성 디스토니아, 헤미디스토니아 및 경추성 디스토니아
22	03.11.21	Medtronic, Inc.	Pulmonic Valved Conduit	선천성 심장 기형
23	04.02.24	Menssana Research, Inc.	Test, Volatile Organic Compounds Breath Analysis	3등급 심장이식 거부반응

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
24	'04.02.25	RELIANTH EART INC.	Ventricular (Assist) Bypass	NYHA Class IV 말기 심부전
25	'04.04.07	OLYMPUS BIOTECH CORPORAT ION	Filler, Recombinant Human Bone Morphogenetic Protein, Collagen Scaffold, Osteoinduction - Hde	후측방(횡단) 요추 융합 수정
26	'04.07.26	ADDITION TECHNOLOGY	Implant, Corneal, Refractive	각막 이식
27	'05.03.30	ZOLL CIRCULATIO N	Catheter, Neuro-Vasculatur e, Occluding Balloon	동맥류성 지주막하 출혈(SAH)에 따른 증상성 혈관 경련으로 인한 뇌 허혈
28	'05.08.03	STRYKER CORP.	Intracranial Neurovascular Stent	죽상경화증

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
29	'06.03.31	KARL STORZ ENDOSCOP Y-AMERIC A, INC.	Amnioscope, Transabdominal (Fetoscope) (And Accessories)	태아의 TTTTS (쌍둥이 대 쌍둥이) 수혈 중후군)
30	'06.09.05	ABIOMED, INC.	Artificial Heart	증증이 심실 말기 심장질환
31	'07.01.24	Fujirebio Diagnostics, Inc.	Cancer Monitoring Test System, Soluble Mesothelin-Relate d Peptides, Epithelioid/Biphas ic Mesothelioma	효소 결합 면역 흡착 분석법 (ELISA)
32	'07.04.11	EV3 INC	Polymerizing, Neurovascular Embolization Material	천골, 측벽 동맥류

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
33	'07.05.08	Medos International, SARL	Intracranial Neurovascular Stent	방추형 동맥류
34	'07.10.25	GENZYME CORP.	Cultured Epithelial Autograft	30% 이상의 전체 신체 표면적을 포함하는 깊은 진피 또는 전체 두께의 화상
35	'08.06.17	SYNAPSE BIOMEDIC AL	Diaphragmatic/Phrenic Nerve Laparoscopically-Implanted Stimulator	자극성 횡경막
36	'08.10.07	Abbott	Right Ventricular Bypass (Assist) Device	급성 우심실부전으로 인한 심장성 쇼크
37	'08.10.10	MEDTRONIC SOFAMOR DANEK, INC.	Filler, Recombinant Human Bone Morphogenetic Protein, Collagen Scaffold, Osteoinduction - Hde	후측방 요추 가성 관절증

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
38	'08.10.24	Gyrus ACMI, Inc.	One-Way Air-Leak Valve	로브 절제술, 세그먼트 절제술 또는 폐 용적 감소 수술(LVRS)
39	'09.02.10	MEDTRONIC INC., NEUR OLOGICAL DIVISION	Deep Brain Stimulator For Obsessive Compulsive Disorder (Ocd)	만성, 중증 치료 저항성 장박 장애 (OCD)
40	'10.01.25	Medtronic, Inc	Pulmonary Valve Prosthesis Percutaneously Delivered	다음과 같은 임상 조건을 가진 소아 및 성인 환자의 관리에서 수술의 보조 장치로 사용됨 <ul style="list-style-type: none"> <li>· 원래 이식할 때 직경이 16 mm 이상인 전체(원주형) RVOT 도관의 존재</li> <li>· 개입을 위한 임상적 적응증 이 있는 기능 장애 RVOT 도관 및 다음 중 하나           <ul style="list-style-type: none"> <li>- 역류: 중증도 역류 이상</li> <li>- 협착 : 평균 RVOT 증감 &gt; 35mmHg</li> </ul> </li> </ul>

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
41	'11.03.10	ELANA INC.	Surgical Kit	동맥류
42	'11.04.01	NEUROVAS X	Polymeric Neurovascular Embolization	뇌 동맥류 (> 10mm)
43	'11.09.28	SYNAPSE BIOMEDIC AL	Diaphragmatic/Phrenic Nerve Laparoscopically-Implanted Stimulator	근위축성 측삭 경화증 (ALS)
44	'11.11.18	PYREXAR MEDICAL INC	Rf/Microwave Hyperthermia System, Cancer Treatment	자궁경부암
45	11.12.16	Berlin Heart Inc.	Pediatric Ventricular Assist Device	심장이식(소아), 중증의 고립성 좌심실 또는 양심실 기능장애(소아)

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
46	'13.02.13	Cortigent, Inc.	Prostheses, Retinal	색소성 망막염
47	'13.10.10	KANEKA PHARMA AMERICA LLC	Apheresis For Focal Glomerulosclerosi s In Adult And Pediatric Patients	원발성 국소 분절 사구체 경화증과 관련된 신증후군 (소아)
48	'14.07.25	Micro Vention, Inc.	Intracranial Neurovascular Stent	낭상 동맥류
49	'14.08.12	XIVO PERFUSION	Normothermic Preservation System For Transplantation Of Initially Unacceptable Donor Lungs	이식을 위해 폐의 생체 외 기능을 재평가

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
50	'14.09.10	PLEXISION INC.	Test, Cell Mediated Immune Response, Liver And Small Bowel Transplant/Transplantation	간 또는 소장 이식
51	'14.12.12	CVRx, INC.	Stimulator, Carotid Sinus Nerve	저항성 고혈압
52	'15.01.23	ABIOMED, INC.	Right Ventricular Bypass (Assist) Device	좌심실 보조기기 이식, 심근경색, 급성 우심부전
53	'15.03.05	KANEKA PHARMA AMERICA LLC	Beta 2-Microglobulin Apheresis Column	투석 관련 아밀로이드증 (DRA)

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
54	'15.07.16	INTEGRUM AB	Osseoanchored Prostheses For The Rehabilitation Of Transfemoral Amputees	대퇴골절
55	'15.12.18	ARUP LABARATO RIES	Somatic Gene Mutation Detection System	공격성 전신 비만세포증(ASM) 환자에서 Gleevec 치료 적격성 평가
56	'15.12.18	TORAX MEDICAL, INC.	Mechanical Compression Device Fecal Incontinence (Non-Manually Operated)	변실금

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
57	'16.01.14	ARUP LABARATO RIES	Fluorescence In Situ Hybridization, Platelet-Derived Growth Factor Receptor, Beta Polypeptide (Pdgfrb), Rearrangement	MDS / MPD
58	'17.01.10	Abbott Medical	Transcatheter Septal Occluder	심근 경색 후 근육 심실 증격 결손
59	'17.05.12	WILSON-C OOK MEDICAL INC.	Pediatric Esophageal Atresia Anastomosis Device	기관식도 누공(tef) 없는 식도 폐쇄증 (소아)
60	'17.06.19	Medos International, SARL	Intracranial Neurovascular Stent	동맥류



연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
61	'18.03.20	Kaneka Pharma America LLC	Apheresis For Focal Glomerulosclerosis In Adult And Pediatric Patients	원발성 국소 분절 사구체 경화증과 관련된 신증후군
62	'18.09.14	BIOTRONIK, Inc.	Coronary Covered Stent	관상 동맥 및 관상 동맥 우회 이식연편의 급성 천공
63	'19.05.23	Novocure, GmbH	Electrical Tumor Treatment Fields	국소 진행성 또는 전이성 악성 흉막 중피종(mpm) 성인 환자
64	'19.08.16	Zimmer Biomet Spine, Inc.	Vertebral Body Tethering System	진행성 특발성 척추 측만증
65	'19.08.23	ApiFix, Ltd.	Posterior Ratcheting Rod System	청소년기 특발성 척추측만증(ais)

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
66	'20.11.27	Profound Medical Inc.	Ablation System, High Intensity Focused Ultrasound (Hifu), Mr Guided, Orthopedic	사지 골종
67	'20.12.01	HDL Therapeutics, Inc.	Plasma Processing System For Converting Alpha To Pre-Beta High-Density Lipoprotein	동형 접합 가족성 고콜레스테롤 혈증(HoFH)o 있는 성인 환자의 관상동맥 죽종
68	'21.02.17	Paragon 28, Inc.	Prosthesis, Total Talus Replacement, Metal	발목 관절의 무혈성 괴사

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
69	'22.09.09	Vesalio	Temporary Percutaneous Transluminal Cerebral Artery Dilatation Device	내경 동맥(ica), 중대뇌동맥(mca), 전대뇌동맥(aca), 후대뇌동맥(pca) 또는 기저동맥의 증상이 있는 뇌혈관경련
70	'23.05.15	Globus Medical, Inc.	Vertebral Body Tethering System	진행성 특발성 척추 측만증
71	'23.09.26	TheraBionic, Inc.	Stimulator, Electric Field, Intrabuccal	1차 및 2차 치료에 실패한 진행성 간세포암종 (hcc)
72	'23.11.17	Restor3d, Inc.	Prosthesis, Total Talus Replacement, Metal	<ul style="list-style-type: none"> <li>· 거골의 무혈성 괴사</li> <li>· 거골 봉괴, 낭종 또는 비유합</li> <li>· 외에 거골의 무혈성 괴사</li> <li>· 거골 골연골 결합</li> <li>· 거골 골절이나 거골 돌출로 인한 비유합</li> </ul>

## 2.2.5 미국 희소의료기기 제도의 특징

미국에서 인도주의적 사용 의료기기(Humanitarian Use Device, HUD)는 반드시 지정을 받은 후 허가를 받아야 한다. 허가 시에 HUD 지정 승인서의 사본을 제출해야 하기 때문이다. HUD 허가는 3등급 의료기기의 허가제도인 PMA와 동일한 절차를 거친다. [표 7]에 미국 의료기기 심사제도의 종류와 특징을 나타내었다.<sup>10</sup> HDE와 PMA의 비교는 [표 8]에서 확인할 수 있으며, 가장 큰 차이점은 임상적 유효성 입증을 위한 자료의 제출이 면제된다는 점이다. 인도주의적 사용 의료기기(Humanitarian Use Device, HUD)의 허가를 위한 임상시험은 유병인구 수 자체가 극히 소수이므로 대상자 모집에 큰 어려움이 존재하기 때문이다. 다만 해당 기기가 환자에게 상해나 위험이 존재하지 않는다는 사실을 안전성 확보 차원에서 확인시켜야 하는 의무가 존재한다. 이 과정에서 잠재적 이득-위험 평가에 관한 자료를 검토한다.

두 번째는 심사 수수료이다. PMA 허가 시 기술문서 심사 수수료를 납부해야 하지만 HDE(Humanitarian Device Exemption) 신청 시엔 심사 수수료가 전면 면제되므로 신청자는 비용이 들지 않는다. 인도주의적 사용 의료기기(Humanitarian Use Device, HUD)의 특성상 사용자가 제한적이므로 많은 수익을 창출하기 어려운 기업의 입장 고려한 정부 차원의 희소의료기기 개발 지원방안이다. 세 번째는 허가 시 품질시스템(QSR) 심사이다. PMA는 21 CFR 820에 근거하여 QSR 심사를 받지만 인도주의적 사용 의료기기(Humanitarian Use Device, HUD)의 경우에는 이 심사가 면제되거나 제한된 범위 내에서 심사를 받는다.



## 표 7. 미국 의료기기 심사제도의 종류 및 특징

구분	명칭	내용
1등급	510(k) 신고 면제	사용자에게 위험도가 가장 낮은 제품으로 시판전 신고가 면제되며 공장 등록과 장비 리스팅 이후 판매 가능
2등급	510(k) Premarket Notifications 시판 전 신고	미국 내에서 합법적으로 신고되어 시판 중인 의료기기와 본질적으로 동등함을 증명함으로써 안전성 및 유효성 심사를 면제 받는 절차임. 시판 전 승인 절차 중 대부분 2등급 의료기기에 해당하는 심사제도로 국내의 인증 절차와 유사함.
3등급	PMA Premarket Approvals 시판 전 허가	위해도가 가장 높은 제품으로 시판 전 허가를 받아야 함. 기기의 사용목적에 따른 사용에 있어서 안전성 및 유효성에 대한 임상 자료를 요구하며 서류 심사, 과학 및 법규 심사, 심사위원회 검토 등을 거쳐 최종적으로 허가 받음.
	De Novo	신개발의료기기로 본질적 동등성을 지닌 유사제품이 없어서 510(k)로 심사를 진행하지 못하는 제품에 대한 심사 절차
기타 심사제도	HDE	미국 내에서 유병인구 수가 연간 8,000명 이하인 희귀질환 또는 증상을 치료 또는 진단하기 위해 사용되는 인도주의적 사용 의료기기(Humanitarian Use Device, HUD)에 대한 심사 제도

출처 : 서경하, 희소의료기기의 지정·관리 제도의 개선방안에 관한 연구(2020)



## 표 8. 미국 PMA와 HDE 제도의 비교

항목	PMA	HDE
사용목적	신청자가 설정	HUD 지정 기준에 기반함
안전성	보장 필요	환자를 불합리하거나 중대한 위험에 노출시키지 않는다는 확인이 필요하며 주로 잠재적 이득-위험 평가 자료를 활용함
유효성	입증 필요	잠재적 이득/위험 입증 필요, 유효성 입증 면제
FDA 검토기간	심사위원 X - 180일 심사위원 O - 320일	75 FDA days
승인 후 IRB 감독	X	IRB가 있는 기관에서만 사용 가능
수의 창출 제한	X	O

네 번째는 연간 분배 번호(Annual Distribution Number, ADN)이다. FDA로부터 HDE를 통해 허가를 받으면 해당 기기의 판매가 가능하지만 그 수량은 제한된다. 판매 가능한 수량은 “합리적으로 1명을 치료하거나 진단하는 데에 1년 동안 필요한 의료기기의 수”에 8,000을 곱하여 산출한다.<sup>11</sup> 8,000이라는 숫자는 인도주의적 사용 의료기기(Humanitarian Use Device, HUD)의 정의에서 나오는 희귀질환 환자의 수를 의미한다. HDE 보유자에게 영리를 목적으로 해당 의료기기를 판매할 자격이 있다고 FDA가 판

단하면 ADN을 결정하여 통지한다. 예를 들어, 1명의 희귀질환 환우가 1년 동안 치료 또는 진단을 위해 해당 기기가 3개씩 필요하다면 제조사의 연간 판매 수량은 24,000 개로 제한되는 것이다. 제조업체는 ADN을 초과하여 계속 판매할 수 있지만 판매 수량이 초과된 나머지 기간 동안은 수익을 얻을 수 없다. 여섯 번째는 정부가 인도주의적 사용 의료기기(Humanitarian Use Device, HUD) 공급가격에 대한 근거자료를 받아서 검토한다는 점이다. 해당 기기의 가격이 250달러 이상인 경우에는 미국 공인 회계사 협회(American Institute of Certified Public Accountants)에서 제정한 증명 표준 성명서(Statement on Standards for Attestation)에 따라 작성된 독립적인 공인 회계사의 보고서 또는 연구, 개발, 제조 및 유통 등 비용에 관한 제조사의 증빙서류 제출을 요구하며 제출된 자료의 타당성에 대해 검토한다. 그러나 제조사의 청구 금액이 250달러 이하인 경우 해당 자료의 제출이 면제된다.

여섯 번째는 허가 과정에서의 라벨링 표기에 관한 요구사항이다. 인도주의적 사용 의료기기(Humanitarian Use Device, HUD)라는 점, 해당 기기에 대한 임상적 유효성(Clinical Effectiveness)은 입증되지 않았다는 점, 그리고 특정 질병이나 상태의 진단 또는 치료를 위한 목적으로 사용한다는 점을 라벨에 표기해야 한다. 위 3가지 사항이 라벨에 표기되지 않았다면 HDE 승인을 받을 수 없다. 소아(진단 또는 치료 당시 만 21세 이하)에게도 적용 가능한 기기라면 해당 적응증의 유병인구 중 소아 인구수 역시 기재되어야 한다. 일곱 번째는 HDE 승인 후 해당 기기를 사용함에 있어서 제한이 있다는 것이다. HDE 승인 후 해당 기기를 의료기관에서 사용하기 위해서는 기관 내 자체 IRB의 승인을 받아야 한다. 따라서 HUD를 사용하고자 하는 기관에는 IRB가 없다면 그 기관에서는 HUD를 사용할 수 없다. 다만 응급 상황에서 의사가 환자의 심각한 상해 또는 사망을 막기 위해 IRB의 승인을 제때 받을 수 없다고 판단하는 경우에는 IRB의 승인 없이 HUD를 사용할 수 있다. 이러한 상황이라면 의사는 기기 사용 후 5일 이내에 IRB 위원장에게 해당 내용에 대해서 서면으로 보고해야 하며 서면 보고에는 환자의 신원, HUD 사용 날짜 및 사용 사유가 포함되어야 한다.

마지막 여덟 번째는 제조사의 수익 창출에 관한 부분이다. 본래 미국에서 초기 희소의료기기 제도가 제정될 당시에는 인도주의적 사용 의료기기(Humanitarian Use



Device, HUD)라는 취지에 맞게 수의 창출을 전면 금지하였다. 그러나 현재는 희소의료기기를 개발하는 제조업체가 많지 않다는 점 그리고 희귀질환 환우의 진단 또는 치료를 위한 희소의료기기는 공익적인 목적을 갖는다는 점을 고려하여 제조업체의 연구·개발 비용을 보존하여 주기 위해 연간 분배 번호(Annual Distribution Number, ADN)를 이용하여 수의 창출을 제한적으로 허용하고 있다.



## 2.3. 일본 희소의료기기 제도 현황

### 2.3.1.. 일본 희소의료기기 제도

일본에서 희소의료기기 관련 제도가 제정되기 전, 치료가 어려운 난치성 질환 및 후천성면역결핍증후군(AIDS) 등의 치료에 사용되는 의약품 또는 의료기기는 수요가 높았음에도 불구하고 환자 수가 적어서 충분할 정도의 수량이 생산되거나 개발되지 않았다. 공공의료의 수요가 높아지고 다양화됨과 동시에 의료의 패러다임 변화를 맞이하면서 안전성이 보장되고 고품질의 의료제품을 환자에게 신속하게 공급하는 것이 중요해졌다. 의료 수요자의 기대치가 높아지고 의약품 및 의료기기의 연구·개발이 정세에 따라 변화함에 따라 공급 불안정해지지 않도록 희귀의약품 및 희귀의료기기의 연구·개발을 지원하고 추진하기 위해 특별 조치를 강구하게 되었다. 이에 약사법 등 법률 개정을 통해 다양한 제도를 만들었으며 그 중 희귀의약품/의료기기에 관한 제도도 포함되어 있다.

### 2.3.2. 일본 희소의료기기 지정 및 허가

일본의 희소의료기기는 「의약품, 의료기기, 재생 및 세포 치료제, 유전자 치료제, 화장품의 품질, 효능 및 안전성 확보에 관한 법」 제77-2조에 따라 의약품 및 의료기기를 희귀의약품 또는 희귀의료기기로 지정할 수 있다. 희귀의료기기는 약사·식품위생심의회(Pharmaceutical Affairs and Food Sanitation Council, PAFSC)의 의견에 따라 후생노동성(Minister of Health, Labour and Welfare, MHLW)이 지정한다. 희귀의료기기 지정을 신청한 기기가 사용되는 희귀질환의 환우의 수가 일본 내에서 50,000명 이하인 경우, 기존 제품과 비교하여 높은 효능 또는 안전성이 기대되거나 해당 질병을 진단 또는 치료함에 있어서 적절한 대체 의료기기나 치료법이 없는 경우, 그리고 이론적 근거 및 개발 가능성 등의 지정 기준을 고려하게 된다.

유병인구 수는 보건 및 노동 과학 연구(Health and Labour Science Research)의 보고서나 신뢰할 수 있는 과학 단체 또는 협회에서 발표한 데이터를 기반으로 추정할 수 있다. 다만 유병인구 수를 추정하는 것은 표본이 부족하여 정확하게 추정하기 어려운 경우가 많으므로 다양한 통계 데이터 및 통계적 방법을 기반으로 한 추정치를 제출하는 것이 유리하다. 이론적 근거 및 개발 가능성은 해당 기기가 대상 질환에 이용됨에 있어서 충분한 과학적 근거가 있으며 개발 관련 계획의 타당성이 인정되는 경우, 그리고 해외에서 기허가 제품이 있거나 충분한 임상시험 데이터가 있어야 한다.

따라서 지정 신청 시 제출서류도 이와 관련된 근거자료여야 한다. 유병인구 수에 관한 자료는 위에서 언급한 바와 같이 객관적인 통계 자료가 제시되어야 한다. 다음은 의학적 필요성에 관한 자료로 대상 질환에 관한 자료와 유사 의료기기 또는 치료법의 존재 유무에 관한 자료가 요구된다. 그리고 개발 가능성을 판단하기 위한 자료로 현재 시점까지의 개발 현황, 시험 항목, 시험 기간 등 개발 관련 계획을 설명하고 뒷받침할 수 있는 자료를 제출해야 한다. 마지막으로 희귀의료기기 지정 신청을 한 해당 기기에 대한 제품 개요가 기재된 자료를 제출하면 된다.

희귀의료기기 지정 신청은 일본 후생노동성(Minister of Health, Labour and Welfare, MHLW)에 하며, 의약품/의료기기종합기구(Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, PMDA)가 제출된 자료를 바탕으로 사전 평가 후에 결과를 후생노동성에 전달한다. 이 때, 후생노동성(MHLW)은 약사·식품위생심의회(Pharmaceutical Affairs and Food Sanitation Council, PAFSC)에 자문 또는 2차 검토를 맡길 수 있다. 유관 기관의 검토 결과를 기반으로 후생노동성은 최종적으로 해당 기기를 희소의료기기로 지정할 것인지 승인 여부를 결정하고 이를 신청자에게 통보한다. [그림 4]를 통해 일본 희소의료기기의 전체적인 지정 과정을 순차적으로 확인할 수 있다.

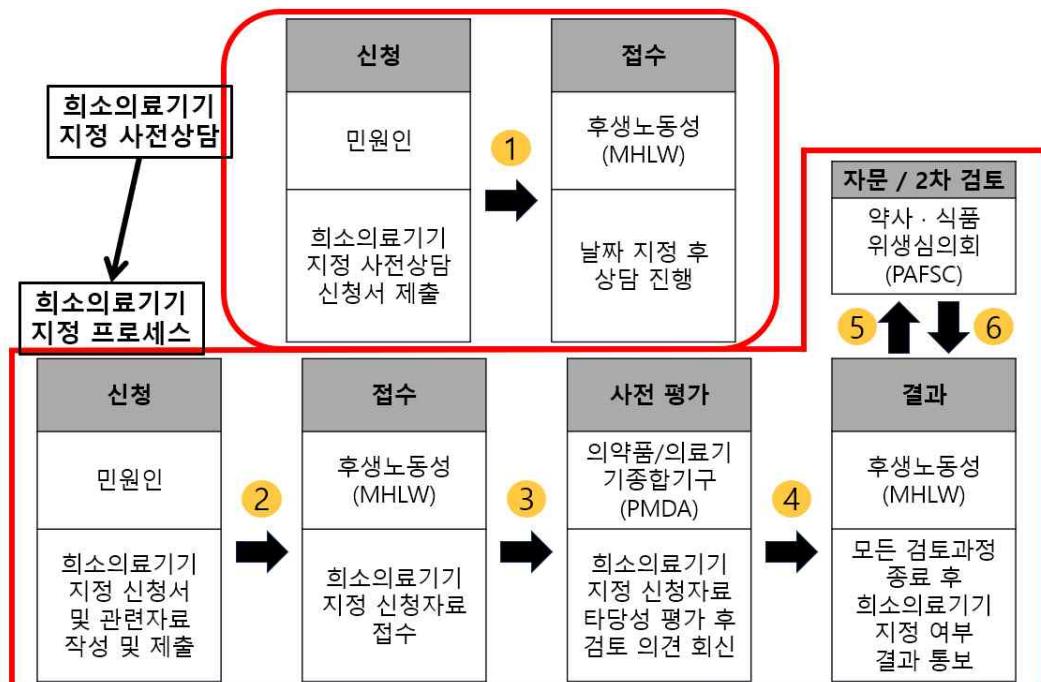


그림 4. 일본 희소의료기기 지정 절차

희귀의료기기는 일본 내 유병인구 수에 관한 요구사항이 충족되지 않는 경우, 다른 유사한 의료제품에 대한 승인 또는 다른 이유로 인하여 의료적 필요에 대한 요구사항이 충족되지 않는 경우, 지정신청서에 허위 사실을 기재한 경우, 신청자가 법률 등 관련 규제를 위반하는 경우 지정이 철회될 수 있다. 또한 지정된 희귀의료기기의 제조업체가 연구·개발, 그리고 제조 및 판매를 중단하는 경우 역시 철회된다. 다만 이 경우, 제조업체는 제조 및 판매 중단 의사를 단종 예정일로부터 최소 1년 전에 후생노동성(MHLW)에 알려야 하며 통지서를 제출해야 한다. 지정 철회는 후생노동성(MHLW)로부터 중단 통지를 받고 약사·식품위생협의회(PAFSC)에 보고한 후 통보된다.



희소의료기기로 지정된 후, 별도의 품목 허가를 받아야 시판이 가능하며 지정된 모든 희소의료기기가 허가를 받을 수 있는 것은 아니다. 이는 국내 제도와 비슷하다고 할 수 있다. [표 9]는 일본의 희소의료기기 지정 및 허가 과정에서 역할을 하는 기관의 이름과 역할을 정리한 것이다.

표 9. 일본 희소의료기기 지정 및 허가 유관기관별 역할

기관명	역할 및 책임
후생노동성 (MHLW)	<ul style="list-style-type: none"><li>• 희귀의약품/의료기기 검토 및 지정</li><li>• 희귀의약품/의료기기 심사 및 허가</li><li>• 희귀의약품/의료기기 지정 관련 사전 상담</li><li>• 국립생물의학혁신연구소(NIBIO) 운영비 지원</li></ul>
의약품/의료기기종합기구 (PMDA)	<ul style="list-style-type: none"><li>• 희귀의약품/의료기기 시판 허가를 위한 임상시험 및 서류 일체에 대한 우선 상담</li></ul>
국립생물의학혁신연구소 (NIBIO)	<ul style="list-style-type: none"><li>• 희귀의약품/의료기기 신청자에게 보조금 심의 &amp; 지급</li><li>• 신청자가 사용할 연구비 승인</li><li>• 신청자에게 안내 및 상담 제공</li></ul>



### 2.3.3. 일본 희소의료기기 지정 현황

2023년 10월 03일 기준으로, 일본에서 희소의료기기로 지정된 품목은 30개이며 [표 10]에 나타낸 바와 같다. 2018년 07월 31일 기준으로 희소의료기기 지정이 취소된 품목은 5개, 생산이 중단된 품목은 1개이다.

표 10. 일본 희소의료기기 지정 현황

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
1	'93.11.15	Medtronic Japan Co.	Implantable defibrillator	심실 빈맥성 부정맥
2	'93.11.15	Kanegafuchi Chemical Industrial Co.	Adsorption type blood purifier	진행성 투석 관련 아밀로이드증(DRA)
3	'95.04.01	Baxter	Magnetic cell separation system	동종 또는 자가 골수 이식 또는 자가 말초 혈액 줄기세포 이식
4	'95.04.01	Asahi Medical Co.	Lymphocyte isolation equipment	동종 골수 이식
5	'96.04.01	Terumo Corp.	Partially disposable pump system for pain relief	다양한 종류의 암

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
6	'99.05.27	Nissho Co.	Implantable ventricular assist device	확장성 심근병증, 허혈성 심장질환, 후천성판막질환, 급성 심근염, 심장성순환부전을 포함한 심부전
7	'99.08.25	Baxter	Implantable ventricular assist device	중증 비가역성 말기 심부전
8	'00.06.16	Kirin Brewery Company	Magnetic cell separation system	악성 종양, 비종양성 질환, 선천성 질환 또는 중증 자가면역 질환
9	'01.04.23	JIMRO Co.	Adsorption type blood purifier	활동성 크론병
10	'01.08.01	Medtronic Japan Co.	Programmable implantable pump for continuous infusion	뇌성마비(유아), 척수혈관장애, 경추척추증 후종인대 골화증, 다발성 경화증, 척수변성(유전성 하반신 마비증), 외상성 후유증(척수손상 또는 두부외상)으로 인한 심한 경련성 마비

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
11	'05.10.14	JIMRO Co.	Purifier for the removal of blood cells	난치성 포도막염을 동반한 배체트병
12	'05.12.09	Johnson & Johnson K.K.	Prothesis promoting intravascular embolization in the central circulation	비파단성 뇌동맥류
13	'07.07.06	Sun Medical Technology Research Corp.	Implantable ventricular assist system	회복가능성이 없는 확장심근병증 또는 허혈성 심장질환이 있는 비기역적 말기 심부전
14	'08.06.11	Boston Scientific Corporation	Prosthesis promoting intravascular embolization in the central circulation	비파단성 뇌동맥류
15	'08.12.15	Panasonic Shikoku Electronics Co.	Semiconductor laser for photodynamic therapy(PDT)	악성 신경교종



연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
16	'08.12.15	Century Medical	Implantable ventricular assist system	말기 중증 심부전
17	'09.03.11	Terumo Corp	Implantable ventricular assist system	심장이식이 필요한 말기 심부전 환자
18	'09.07.07	JIMRO Co.	Purifier for the removal of blood cells	농포성 건선
19	'09.10.28	Harada Corporation	Endobronchial loading material	이차성 난치성 기흉 또는 기관지 누공
20	'10.03.19	Hakko Co.	Fetal shunt	태아수종, 폐 저형성
21	'11.06.17	Cardio	Pump for external ventricular assist device	중증 심부전 소아환자 (체표면적 $\leq 1.5m^2$ , 체중 2~60kg)
22	'13.09.19	Panasonic Healthcare Co.	Semiconductor laser for photodynamic therapy(PDT)	악성 뇌종양 치료

연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
23	'14.09.17	Panasonic Healthcare Co.	Semiconductor laser for photodynamic therapy(PDT)	식도암
24	'14.12.19	CYBERDYNE Inc	HAL for medical use(lower limb type)	무통성/만성 진행성 신경근 난 치성 질환
25	'14.12.19	SUN CONTACT LENS Co.	Tear exchangeable limbal supported rigid contact lens	다형성 홍반(스티븐슨-존슨 증후군, 독성표피괴사용해증)으로 인한 안구 후유증
26	'16.09.02	Nobelpharma Co.	Titanium Bridge	내전근 경련성 장애 증상
27	'17.07.10	Vorpal Technologies K.K	Extracorporeal Photopheresis System	스테로이드 불응성 및 불내성 만성 이식편대숙주병
28	'18.10.19	Abbott Medical Japan Co.	PDA Closed Set IIAS	동맥관 혼탁, 경피적 동맥관 폐쇄



연번	지정일	업체명	품목명	대상질환
29	‘21.12.17	Medtronic Japan Co.	Harmony transcatheter pulmonary valve system	폐동맥관 역류증
30	‘22.08.26	Toray Corporation	Tremyxin	급성 특발성 폐섬유화증

### 2.3.4. 일본 희소의료기기 제도의 특징

신청자는 지정 신청에 관한 사전 상담을 받을 수 있으며 의약품/의료기기종합기구(PMDA)와 국립생물의학혁신연구소(NIBIO)에서 가능하다. PMDA는 우선·대면상담이 원칙이며 지정이 승인되었을 경우에는 상담 비용의 약 25%를 감면해주는 제도를 실시하고 있다. 지정 이후 허가심사 시에는 우선 검토를 통한 심사를 진행하고 있다. 희귀 의료기기 지정이 승인된 제품은 신속하게 공급될 수 있도록 시판 허가를 진행하며 이때 우선 검토 대상으로 심의하게 되는데 이는 국내에서 운영 중인 신속심사 제도와 유사하다. 허가를 위한 심사기간은 약 9개월이며 희귀의약품의 경우에는 품목 허가를 위한 심사 시 수수료를 감면해주고 있다. 다른 특징은 재심사 기간의 연장으로 희귀의약품의 경우 지정 및 허가 후 최대 10년, 희귀의료기기의 경우 최대 7년까지 재심사 기간이 연장될 수 있다.

경제적 지원 관련한 정책으로 보조금 지급과 세금 감면 혜택이 있다. 희귀의료기기 지정 신청자 또는 제조업체는 보조금 신청서를 작성하여 국립생물의약혁신연구소(National Institute of Biomedical Innovation, NIBIO)에 제출한 뒤 심사를 통해 보조금을 받아 제품 개발에 따른 재정적 부담을 줄일 수 있다. 보조금 지급 기간은 희귀의료기기 지정 시점부터 회사가 시판 허가 신청서를 제출하는 회계 연도 말까지 최대 3년이며 지원 한도는 연구 및 개발 비용의 50%로 정해져 있다. 다만 이러한 보조금은 상용화되어 시판 중인 희귀의료기기의 판매로 인해 발생한 수익금의 일부를 반환해야 한다. 지급된 총 보조금 액수를 초과하여 징수하지는 않는다. 그러나 희귀의료기기 제조업체의 연간 매출액이 ₩100,000,000(JPY 1억)을 초과하지 않는 경우에는 수익의 일부를 반환할 필요가 없다. 반환금액의 산출 공식은 다음과 같다.



$$\text{Refund amount(반환 금액)} = \frac{\text{매출액} - ¥1\text{억(엔)}}{100}$$

다음은 세금 감면이다. 국립생물의학혁신연구소(NIBIO)는 제품의 연구·개발 진행에 대한 보조금 지원기간 동안 필요한 직접 비용을 특별 과세 조치법에 따라 평가하여 희귀 의료기기 제조업체는 법인세액공제 혜택을 받을 수 있다. 세액 공제 규모는 아래와 같으며, 전체 연구·개발 비용에서 국립생물의학혁신연구소(NIBIO)로부터 지급된 보조금을 제외한 나머지에서 20% 수준이다.<sup>12</sup>

$$\text{세금 공제 규모} = \{\text{전체 연구·개발(R&D) 비용} - \text{지원 받은 보조금}\} \times 20\%$$

국립생물의학혁신연구소(NIBIO)는 이러한 보조금 지원뿐만 아니라 희귀 의료기기 제조업체의 자문도 담당하고 있다. 관련 사항에 대해 지식과 경험을 갖춘 담당자가 규제 요구사항에서 정해놓은 지정 기준에 대한 해석, 보조금 지급 요건 및 기타 사항에 대해서 지침 또는 자문을 제공한다.

## 2.4. 유럽 희소의료기기 제도 현황

### 2.4.1 유럽 희소의료기기 제도

유럽은 희소의료기기와 관련된 별도의 법령이 존재하지 않는 것으로 조사되었다. 희소의료기기는 개념이 없으므로 일반 의료기기와 동일하게 취급되며 희소의료기기 지정 목록이 존재하지 않는다. 그러나 유럽의 희소의료기기 규제 도입에 관한 연구가 있다.

### 2.4.2 유럽 희소의료기기 관련 규제에 관한 연구

Marc M. Dooms는 2016년에 발표한 연구에서 맞춤형 의료의 시대로 전환됨에 따라 희소의료기를 개발하고 시장에 출시함에 있어서 정부 주도적 인센티브 제도의 중요성 및 필요성을 주장하였다. 희소의료기기와 같이 유병률이 낮은 질병을 앓는 환자를 위한 의료기기는 어떠한 지원제도 또는 혜택 없이 개발 후 시장 출시까지 수 년이라는 시간이 걸린다. 예를 들어, 보철물, 심장 판막, 스텐트, 골 재료, 심장박동기 등이 있으며, 이 모든 기기는 EU Notified Body(NB)에 의해 평가되고 CE 승인 및 허가된다. 안전성 및 유효성이 평가된 환자집단 또는 사용목적을 벗어난 의료기기의 사용(라벨 외 사용)은 낮은 유병률의 질병에서 매우 일반적이며, 특히 소아질환이 그렇다. 게다가 의료기기는 의약품에 비해 판매기간이 짧아서 개발한 희소의료기를 통해 제조업체가 R&D 투자에 따른 충분한 수익을 얻기 어려울 수 있다. 따라서 희귀질환의 진단, 예방 및 치료를 위한 희소의료기기에 대한 연구 및 개발을 장려하기 위해서는 유럽 내 중앙집중식 절차 및 프로토콜 지원과 같은 인센티브 제도가 필요하다.<sup>13</sup>

EU는 2007년에 의료기기 및 진단에 대한 희소 의료기기 규정 제정 필요 여부를 파악하기 위해 EU commission 협의를 진행했다. AIM(Association Internationale de la Mutualité, 건강보험 제공 비영리 조직)은 이를 정당화할 정보나 근거가 충분하지 않다고 주장하였다. ESIP(European Social Insurance Platform, 유럽사회보험 법인)은 이미 시판 중인 의료기기가 “희귀질환”에 국한되지 않는다고 언급하였으며, 영국의 NHS(National Health Service)는 행정적 노력과 희소 의료기기 규제에 대한 특권을 정당화할 만큼 기기 개발 및 상업적 마케팅에 충분한 문제가 있다고 판단하지 않는다고 하였다. 몰타의 보건복지부는 다양한 EU 회원국 내에 서로 다른 보험 시스템이 있기 때문에 이 문제에 대한 EU 규정이 올바른 방향이 아니라고 주장했으며, Baxter Healthcare는 이러한 법안을 도입할 정당성을 인정할 수 없다고 하였다.<sup>13</sup>

반면, 핀란드 희귀질환 환자 단체는 많은 EU 국가에서는 국가 표준을 개선하는 능력이 부족하고 시장이 너무 작은 것으로 간주되므로 EU에서 기기를 개발하고 표준을 결정하는 것이 국가 표준을 개선하는 데 여전히 어려움을 겪고 있는 국가에 도움이 될 것이라는 답변을 하였다. 스웨덴 정부는 희소 의약품과 유사한 희소의료기기에 대한 인센티브 조치 및 입법 개발에 필요한 조건을 조사할 필요가 있다는 점에 동의했지만, 재정적 영향에 대한 철저한 분석과 가능한 규칙이 먼저 이루어져야 한다고 제안했다. 영국 유전 환자 집단은 단일 유럽 신청으로 규제 부담을 최소한으로 유지해야한다고 주장하였다. 그러나 이러한 논의에도 불구하고 희소의료기기 법안은 2016년 당시 유럽에는 도입되지 않았다.<sup>13</sup>

그리고 2023년, Marc M Dooms는 후속 연구를 통해 희소의료기기는 점차 더 많은 수요를 나타내는 상황임을 강조하였다. 희귀의약품과 마찬가지로 희소 의료기기 분야에도 많은 R&D가 필요하며, 승인을 촉진하기 위한 인센티브, 환자 참여와 시판 후 감시를 위한 도구가 필요하다. 또한, 희귀의약품은 유럽에서 인구 10,000명 당 5명 이하에게 영향을 미치는 질병, 질환의 진단, 예방 또는 치료를 위한 것이지만 미국처럼 의약품은 200,000명 미만, 의료기기는 8,000명 이하에게 영향을 미치는 것과 같은 의료기기에 대한 기준이 없다는 점을 짚었으며 이에 따라 희귀의약품과 마찬가지로 희소의료기기에 관한 규정을 마련하는 것이 시급하다. 그러나 유럽 MDR에서는 희귀질환

에 대한 의료기기를 언급하지 않았고, MDR이 시행되며 희귀 적응증에 대한 맞춤형 장치를 시장에 출시하는 것이 더욱 어려워졌다.<sup>14</sup>

Melvin T 외 4명은 유럽에서 희소의료기기의 시장 진입이 어려워지는 이유와 다른 규제 시스템에서의 희소 의료기기 규제를 검토하여 정책 입안자와 임상의가 환자에 대한 위험을 최대한 완화할 수 있는 방법을 권장한다는 내용의 연구를 발표하였다. 희소의료기기와 같은 신제품을 개발하는 회사는 규제 관련 전문가가 거의 없는 소규모 기업인 경우가 많으므로 대규모 조직에 비해 규정 준수 부담을 관리하기 더욱 어렵다. 이러한 상황에서 MDR은 임상 데이터에 대한 일반 요구사항을 높였지만 특정 유형의 기기에 대한 EU 기술 사양이 없으면 추가 임상 연구 필요 여부를 이해하기 어렵다. 게다가 인증기관의 평가를 받는 과정에서 부적합 사항이 제기되면 최대 3회의 상호작용을 거쳐야 하며, 고위험 기기의 경우 최대 18개월이라는 긴 시간이 걸릴 수 있다. 희귀질환을 위해 유럽에서 사용되는 많은 제품이 ‘off-label’로 사용된다는 점을 유의해야 한다. 제품 포트폴리오를 재평가하는 제조업체는 판매량이 적은 일부 제품을 제거하는데 실제로 희귀질환에 사용되는 중요한 제품이 단종될 수 있다. 희귀질환에 사용되는 제품의 경우 특히 추가 비용과 규제 장애물에 취약하며, [표 11]에서 보듯이 실제로 시장 진입 측면에서 유럽에서의 시간과 비용이 미국과 캐나다에 비해 더 많이 드는 것으로 나타났다. 이러한 요인들로 인해 유럽의 정책 입안자들은 혁신적이고 안전한 제품을 특정 인구에게 제공하기 위해 추가 인센티브와 지원을 제공하기보다는 현재 제품의 가용성을 유지하는 데 어려움을 겪고 있다.<sup>15</sup>

현재의 상황에서 대안이 제한적이고 철회에 취약할 수 있는 제품을 사용하는 임상 의는 제조업체와의 긴밀한 협력을 통해 제품의 철회 계획 인지에 따른 비축이나 대체 제품 사용 등 향후 계획 수립이 필요하다. 임상 협회를 통해 국가 규제당국과 협력 역시 중요하다. 정책 입안자는 합리적인 방법으로 규제 준수에 따른 비용과 부담을 줄이는 지원을 마련할 필요가 있다. 장기적으로는 구체적인 법률 제정과 자금 지원이 고려되어야 한다.<sup>15</sup>



표 11. 풍선카테터(뉴메드)의 미국, 캐나다, 유럽의 규제비용 비교

항목	유럽 MDR 2017/745	미국 FDA	캐나다 (Health Canada)
	€ 135,844 (\$142,832) 5년 주기	€ 3,030 (\$3,186)	€ 7,412 (\$9,964 CAD)
심사비용			€ 7,412 (\$9,964 CAD) & 갱신 비용 매년 € 283 (\$381 CAD)
심사기간	18-24개월	30일 (Special 510(k))	최대 47일

출처 : Melvin T, Kenny D, Gewillig M, Fraser AG. Orphan Medical Devices and Pediatric Cardiology – What Interventionists in Europe Need to Know, and What Needs to be Done. Pediatr Cardiol 44(2):271-279. 2023



### 3. 결과

#### 3.1. 국내·외 희소의료기기 제도의 비교 및 분석

한국과 세계 주요국의 희소의료기기 제도에 대해 조사하였다. 이를 바탕으로 각 국가에서 나타나는 희소의료기기 제도의 주요 특징들에 대해서 비교를 하였으며 해당 내용을 [표 12]에 정리하여 나타내었다.

표 12. 국내 및 주요국 희소의료기기 제도 비교

구분	한국	미국	유럽	일본
유병인구	20,000명 이하	연간 8,000명 이하	-	50,000명 이하
지정대상	<ul style="list-style-type: none"><li>- 희귀질환의 치료 또는 진단목적으로 사용</li><li>- 대체 의약품 또는 의료기기가 없는 등 적절한 치료 또는 진단방법이 없거나 용도상 특별한</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>- 희귀 질병 또는 상태의 치료 또는 치료에게 이익을 주는 기기</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>- 국내 환자수 50,000명 미만 또는 지정난병으로 지정되어 있는 것</li><li>- 의료목적으로 필요성이 높은 것</li><li>- 개발 가능성이나 높은 경우</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>- 국내 환자수 50,000명 미만 또는 지정난병으로 지정되어 있는 것</li><li>- 의료목적으로 필요성이 높은 것</li><li>- 개발 가능성이나 높은 경우</li></ul>

구분	한국	미국	유럽	일본
	효용가치가 있을 것 - 공급이 중단되거나 제한적으로 공급되었을 때 환자의 치료·진단에 큰 지장을 초래할 우려가 있는 경우			
관련법	의료기기법	21CFR 814 Subpart H	-	약사법
세금 감면	-	-	-	연구개발비의 20% 감면
신속심사	가능	가능	-	가능
시판 후 조사	대상 (품목허가일로 부터 4년 이상 7년 이하)	정기 보고서 제출	-	대상 (7년 내 재심사)
허가심사 수수료	있음	면제	-	감액 가능
제조업체 에 대한 규제기관		의료기기 승인 신청에 대한 파드백 및	-	가능



구분	한국	미국	유럽	일본
컨설팅		회의 요청을 허용함 (Q-submission process)		
보조금 지원	-	FDA Pediatric Device Consortia Grants Program은 기기 개발 프로젝트에 서비스와 자금을 제공함	-	가능 (NIBIO)
제품 사용 전	-	필수	-	-
IRB 승인				
공급가격 근거자료	-	필수 제출	-	-
소아에 대한 사용	-	2007년 의료기기 안전 및 개선법에 의해 제정됨	-	-
평가 의무 요구사항				
제품 개발에 대한 혜택으로 서의 시장	-	- 의약품 개발에 대한 소아 독점 조항은 있으나	-	-



구분	한국	미국	유럽	일본
독점성		의료기기는 없음 - 우선순위를 검토하는 바우처 프로그램은 존재함		

### 3.2. 국내 희소의료기기 규제 개선방안

앞서 국내와 해외 주요국의 희소의료기기 제도를 비교하였다. 국내 희소의료기기 지정기준은 유병인구가 2만명 이하인 희귀질환을 대상으로 하고 있다. 그러나 의학 및 진단 기술의 발전으로 인하여 기존에 알려지지 않은 희귀질환이 새롭게 발견되는 추세가 증가하고 있으며 전체 희귀질환 유병인구 증가라는 결과를 초래하고 있다. 이러한 흐름에 맞게 희소의료기기의 지정기준을 수정할 필요가 있다. 일본은 일본 내에서 환자 수가 5만명 미만인 질환으로 되어있으나 국내의 경우는 유병인구가 2만명 이하인 희귀질환만을 대상으로 하고 있다. 따라서 “유병인구가 2만명 이상인 희귀질환”과 “희소의료기기가 사용되지만 희귀질환이 아닌 것”은 대상이 될 수 없어서 사각지대가 존재한다. 이에 국내의 희소의료기기 지정기준에서 유병인구수를 2만명 이상으로 확대하고 이러한 사각지대를 제거할 것을 제안한다.

이에 더하여 국내 제도에서는 상대적으로 희소의료기기 제조업체에 대한 혜택 또는 지원방안이 부족함을 알 수 있었다. 또한 현재 국내에서는 희소·긴급도입 필요 의료기기 제도가 주로 이용되며 이로 인하여 식약처의 허가심사를 거치지 않고 도입된 희소의료기기가 많음을 파악하였다. 이러한 희소의료기기는 품목허가번호가 존재하지 않으므로 제품이 시판된 후 추적 및 관리와 보험 등재가 불가능하다는 문제점이 발생한다. 희소의료기기로 지정된 일부 품목은 추적관리대상 의료기기에 포함되어 있으나 이것은 주로 인공심장판막 같은 인체이식형 의료기기에 국한되어 있는 상황이다. 또한, 보험 등재가 불가능 하기 때문에 그에 따른 경제적 부담이 환자에게 전가되어 희소의료기기의 본질을 상실하여 가고 있다. 따라서 지정 절차는 생략하더라도 허가 과정은 필수로 거치도록 하여 품목허가번호를 부여하고 UDI를 연계한 추적·관리 및 보험 등재를 통해 희귀질환 환우의 치료 과정에 있어서 경제적 부담을 경감시키도록 한다. 희귀질환의 치료를 목적으로 하는 희소의료기기이므로 심사 수수료를 전면적으로 면제하고 우선순위를 부여하여 최우선으로 검토하도록 하여 기존의 신속심사보다 빠르게 진행하는 심사 과정을 끝도록 하는 지원이 필요하다. 단, 허가심사 시, 희소의료

기기 제조업체는 공급가격에 관한 근거자료를 필수로 제출하게 한다. 미국은 허가 과정에서 희소의료기기의 가격이 250달러 이상인 경우에 가격에 관한 근거자료를 의무적으로 제출하게 되어 있다. 제조사가 폭리를 취하는 것을 막기 위한 것으로 국내에도입이 시급한 부분이다. 현재 허가를 받지 않은 희소의료기기에서 문제가 되는 점은 수입 후 국내 도입 과정에서 보험 등재가 불가능하여 환자의 경제적 부담이 과도하다는 것이다. 따라서 국내 규제에 따라 보험 등재가 가능하도록 하여 희소의료기기의 본질을 지킬 필요가 있다.

현재 희소의료기기 제도는 사후관리에 관한 방안이 부족한 상황이다. 시판 후 조사만으로는 환자의 안전과 해당 희소의료기기의 유효성에 관한 세밀한 관리가 불가능하므로 UDI처럼 코드 또는 데이터베이스 상에서 관리 현황 등을 한눈에 볼 수 있도록 하는 것이 필요하다. 따라서 희소의료기기 규제 레지스트리를 구축함으로써 하나의 데이터베이스 내에서 공급내역, 이상사례 등 모든 사항을 확인이 가능하고 관리될 수 있도록 하고자 한다. 해당 규제 레지스트리의 데이터 수집요소로 환자 정보, 환자의 희귀질환 병력 및 과거 수술 경험, 수술 전·후 검사 및 상태, 퇴원 시 환자 상태, 환자에게 적용된 희소의료기기 데이터, 이상사례, 추적관찰, 청구데이터를 제안한다.<sup>16</sup> 이상사례 및 추적관찰 데이터를 수집하기 때문에 희소의료기기의 안전성 및 유효성에 관한 임상 연구에까지 활용이 가능하다. 추후 동일 품목인 타사 제품의 허가 심사 시에도 이러한 실사용 데이터(Real World Data, RWD)가 활용되어 심사 기간을 단축할 수 있다. 또한 품목 허가를 획득한 희소의료기기는 품목허가번호와 UDI가 존재하므로 이를 규제 레지스트리에 등록하면 해당 제품의 추적관찰이 편리하며 시판 후 안전관리에 크게 기여할 수 있다.

그러나 이러한 제도적인 개선방안 이외에 희소의료기기 제조업체에 대한 직접적인 지원방안 역시 제도화하여 혜택을 보장하는 것이 필요하다. 일본의 국립생물의학혁신연구소(NIBIO)는 신청을 통해 희소의료기기 제조업체를 대상으로 컨설팅을 해주는 제도를 운영하고 있으며 제품 연구·개발 비용을 최대 50%의 한도로 지원하고 있다. 이에 더해, 해당 희소의료기기 판매 후 발생한 수익금의 일부를 지급한 보조금을 초과

하지 않는 선에서 회수한다. 이를 국내에 적용하여 식약처(MFDS)와 한국의료기기안전정보원(NIDS)에서는 희소의로기기 제조업체 대상으로 사전 신청을 통한 컨설팅을 진행하고 한국의료기기안전정보원이 식약처로부터 별도의 예산을 편성 받아 R&D 비용을 지원한다. 이러한 보조금은 신청서를 제출하면 타당성 검토 후 선지급 하고, 보조금 지급 시점으로부터 6개월 내에 증빙서류를 제출하게 한다. 단, 보조금을 지원 받은 희소의료기기 제조업체는 희소의료기기의 판매로 인해 발생한 수익 중 일부를 반환하도록 한다. 수익성을 일정 부분 보장하는 한편, 국내 제조업체의 희소의료기기 개발을 장려하기 위해 시장 독점권을 부여하지는 않는다. 부가적인 지원으로 희소의료기기 제조업체 인증제도를 도입하여 해당 인증을 신청한 모든 기업에게 심사료 전액을 면제해주며, 범인세를 일부분 감면해주는 혜택을 제공하고, 정부 사업 지원 시 가산점을 부여한다. 이때, 가산점은 희소의료기기 개발 및 허가 실적에 따라 구분되도록 한다. 국내 희소의료기기 제도에 관한 개선방안은 [표 13], 산업계에 대한 지원방안은 [표 14]에 정리하였다.

표 13. 국내 희소의료기기 제도 개선방안

번호	내용
1	희소의료기기 지정기준 확대  허가심사 수수료 면제
2	허가 의무화  신속심사 시, 우선순위 부여  허가심사 시, 공급가격 근거자료 제출 의무화
3	희소의료기기 규제 레지스트리 도입



표 14. 국내 희소의료기기 산업계 지원방안

번호	내용
1	희소의료기기 제조업체 대상 국내 규제기관 컨설팅
2	희소의료기기 제조업체 대상 희소의료기기에 대한 R&D 비용 지원
3	희소의료기기 판매로 인한 수익 중 일부 반환
4	희소의료기기 제조업체 인증제도 도입 및 인증심사 비용 전액 면제
5	법인세 감면
6	정부기관 발주 사업 입찰 시, 해당 기업의 희소의료기기 개발 및 허가 실적에 따른 가산점 차등 지급



## 4. 고찰 및 결론

한국의 희소의료기기 제도는 제도적, 경제적 문제점이 공존하여 매우 복잡한 실정이다. 희소의료기기와 희소·긴급도입 필요 의료기기라는 이름의 제도가 별도로 존재하여 혼동을 야기하는 경우가 많다. 게다가 희소의료기기 제조업체는 수익성을 이유로 희소의료기기에 대한 연구 및 개발을 최소한으로 유지하고 있다. 이러한 상황 속에서 희소의료기기의 연구·개발을 장려하기 위해서는 기업에게 수익성을 보장하고 희소의료기기 제조에 대한 부가 혜택을 제공할 필요가 있다.

이에 따라 국내 및 주요국의 희소의료기기 제도를 분석하여 국내의 제도가 해외 제도에 비하여 미흡한 점을 찾아내고 이에 관한 개선방안을 제시하였다. 우선 국내 희소의료기기 제도의 개선에 목적을 두었으며 결과를 도출하기에 앞서 한국과 미국, 그리고 일본과 유럽의 희소의료기기 유관 법제 동향을 분석하여 국내 희소의료기기 규제 체계에서 제조업체 지원방안 등 실질적인 혜택 및 사후관리 방안이 미흡하고 이에 대한 추가적인 논의가 필요함을 확인하였다. 이러한 결과를 통해 희소의료기기 지정 기준 확대와 품목·수입 허가 의무화 및 희소의료기기 규제 레지스트리 도입을 제시하였다. 또한 희소의료기기 제조업체에 대한 지원방안으로 국내 규제기관의 컨설팅, 허가심사 시 우선순위 부여를 통한 허가 심사기간 단축, 그리고 희소의료기기 제조업체 인증제도를 도입, 인증 기업에 한하여 법인세 감면 및 정부기관 발주 사업 지원 시 가산점 차등 지급 등의 방안을 제안하였다. 그러나 제시된 각 항목의 세부사항 보완을 위한 추가 연구가 필요하다. 추후 규제의 재검토 과정에서 본 연구가 정책적으로 활용되어 제조업체에서의 희소의료기기 연구·개발을 장려함에 있어서 기여할 수 있기 를 기대한다.

## 참고문헌

1. 한국보건산업진흥원, 2022 보건산업백서, 2023
2. 국가법령정보센터, 의료기기 허가·신고·심사 등에 관한 규정 [시행 2023.06.01.] [식품의약품안전처고시 제2023-39호, 2023.06.01., 일부개정]
3. 식품의약품안전처, 의료기기 신속심사 지정 심사 사례집, 2022
4. 식품의약품안전처, 희소의료기기 지정 신청자료 작성 고려사항, 2023
5. 국가법령정보센터, 희소·긴급도입 필요 의료기기 공급 등에 관한 규정 [시행 2023.08.31.] [식품의약품안전처고시 제2023-57호, 2023.08.31., 일부개정]
6. FDA, Guidance for Industry and Food and Drug Administration Staff - Humanitarian Use Device(HUD) Designations, 2019
7. FDA, Humanitarian Use Device(HUD) Program Overview, 2019
8. FDA, Guidance for Industry and Food and Drug Administration Staff - Humanitarian Device Exemption(HDE) Program, 2019
9. FDA, Humanitarian Device Exemption(HDE) Program - Final Guidance, 2019
10. 서경하, 희소의료기기의 지정·관리 제도의 개선방안에 관한 연구, 2020
11. 식품의약품안전처, 희소·긴급도입 필요 의료기기 관리제도 개선방안 마련 연구, 2018
12. NIBIOHN, Guide for Orphan Product Development, 2021
13. Marc M Dooms, Orphan devices: yesterday is history; tomorrow is mystery: towards a European orphan device directive, Orphanet Journal of Rare Diseases 11:22, 2016
14. Marc M Dooms, Orphan medical device have come a long way, Orphanet Journal of Rare Diseases 18:71, 2023
15. Melvin T, Kenny D, Gewillig M, Fraser AG. Orphan Medical Devices and Pediatric Cardiology – What Interventionists in Europe Need to Know, and What Needs to be Done. Pediatr Cardiol 44(2):271–279. 2023
16. 김윤지, 인공심장판막의 실사용 데이터 기반 시판 후 안전관리를 위한 규제 레지스트리 제안 연구, 2024

## Abstract

### **Improvement of Regulations based on analysis of Humanitarian Use Device Management systems in Korea and Leading countries**

Because humanitarian use devices generally have high R&D costs, they are more expensive than general medical devices and have low production, resulting in an imbalance of supply and demand. The development and supply of humanitarian use devices of domestic medical device manufacturers and importers is very slow due to the market monopoly of large global companies for some items and their remarkably low profitability compared to R&D costs. Although the government is leading the management, improvement is still required.

This study compared humanitarian use device management system of Korea with the United States, Japan, and Europe to identify areas that need to be improved in the domestic system. Based on this, it suggested expanding the criteria for designating humanitarian use devices, making it mandatory to permit items and imports, and introducing a regulatory registry of humanitarian use devices. In addition, as a support plan for humanitarian use device manufacturers, it proposed measures such as the consulting of domestic regulatory agencies, shortening the approval review period by priority granting, and introducing a certification system for humanitarian use device manufacturers. However, the benefits such as providing corporate tax refund and differential payment of the additional points when applying government ordering projects are the only for certified companies as humanitarian use device manufacturer. Additional research is required to make up for the details of each suggestions. It is expected to contribute the development of rare medical device industry.

---

**Key words :** Rare disease, Rare medical device, Humanitarian use device