

임상시험을 위한 통계지침서

박병주¹, 이숙향², 김동섭³, 이원식⁴, 이형기⁵, 박영주⁶

서울의대¹, 숙대약대², 국립독성연구소³, 한국엠에스디⁴, 종근당⁵

새로 개발된 약물의 유효성과 안전성을 평가하기 위한 임상시험은 의약품임상시험관리기준에 따라 윤리적이고 과학적으로 수행되어야 한다. 이와 같은 임상시험수행의 목적을 효과적으로 달성하기 위하여 통계적 개념과 방법론의 적용은 필수적이다. 약물승인과정 및 환자진료에서 임상시험이 차지하는 역할의 중요성이 커지고 그에 따른 임상통계학 분야의 발전으로, 임상시험과 관련한 통계적 개념과 분석방법을 임상시험에 관여하는 연구자와 의뢰자들간에 표준화하기 위한 지침서가 필요하게 되었다.

본 지침서는 국제적인 표준화 추세에 부응하기 위하여 ICH가 1998년 2월에 Step 4에 상정한 임상시험의 통계적 원리(E9)에 근거하여 작성되었다. 지침서 작성 작업은 중앙약사심의위원회의 위원 3명과 외부전문가 3명으로 실무추진반을 구성하여 추진하였다. 지침서의 내용이 정확히 전달될 수 있도록 쉽게 풀어서 기술하고, 필요하다고 판단되는 부분은 적절한 예를 삽입하여 이해를 돕도록 노력하였다. 지침서 작성 작업의 수행은 역할분담을 통한 개별 초안을 작성한 후 실무추진반의 정기적인 모임 및 집중작업을 통한 수정작업을 거쳐 내부 안을 완성한 다음, 외부 전문가의 자문을 얻어 보완하여 확정하고자 하였다.

이 지침서에는 단순한 통계적인 내용만을 취급하지 않고, 신약 임상시험을 수준높게 수행하여 타당성 높은 결론을 끌어낼 수 있도록, 임상시험의 설계, 시행, 분석 및 평가의 방향을 제시하였으며, 또한 신약 승인을 위한 자료를 준비하거나 주로 후기 개발단계의 임상시험에서 약물의 안전성 및 유효성을 평가하는데 도움을 주고자 하였다. 지침서는 모두 6개의 장과 부록으로 구성되었는데, 각 장의 제목은 서론, 전체적인 임상개발에 대한 고려, 임상시험설계에 대한 고려, 임상시험실시와 관련된 사항, 자료분석, 안전성과 내약성에 관한 평가 및 보고 등이다. 부록에는 임상시험에 사용되는 통계용어의 해설을 수록하였다.