개인정보유출주의 등록자:방민우, 등록일시:2026.07.09 23:59, 출력자:주식회사 알앤엘재생의학연구소, 다운로드일시:2026.07.10 09:33

# 서 울 행 정 법 원

## 제 1 4 부

## 판 결

| | |
|---|---|
| 사 건 | 2025구합55403 의약품 제조판매 품목허가신청 반려처분 취소 |
| 원 고 | 주식회사 알앤엘재생의학연구소(변경 전 상호: 주식회사 알바이오)<br>서울 금천구 가산디지털2로 98, 305호(가산동, 아이티캐슬 2동)<br>대표이사 최경호<br>소송대리인 법무법인 광장 담당변호사 [redacted] |
| 피 고 | 식품의약품안전처장<br>소송대리인 법무법인 남산 담당변호사 [redacted] |
| 변 론 종 결 | 2026. 6. 23. |
| 판 결 선 고 | 2026. 7. 9. |

## 주 문

1. 피고가 2025. 8. 5. 원고에게 한 의약품 제조판매 품목허가 거부처분을 취소한다.

2. 소송비용은 피고가 부담한다.

## 청 구 취 지

주문과 같다.

개인정보유출주의 등록자:방민우, 등록일시:2026.07.09 23:59, 출력자:주식회사 알앤엘재생의학연구소, 다운로드일시:2026.07.10 09:33

# 이 유

## 1. 처분의 경위

가. 원고는 줄기세포 치료기술 연구, 보관, 치료제 개발업 등을 영위하는 법인으로, 중증 무릎 퇴행성관절염 관련 줄기세포 치료제인 '조인트스템'(RBA자가지방유래중간엽줄기세포, 이하 '**이 사건 의약품**'이라 한다)을 개발하였다. 이 사건 의약품은 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률」(약칭: 첨단재생바이오법) 제2조 제7호 가.목에서 정한 '세포치료제'로서, 환자의 지방조직을 채취하여 기질세포를 분리하고 계대배양을 한 후 제형화 및 충전의 공정을 거쳐 제조한 다음, 환자의 무릎 관절강에 주사하는 방법으로 사용하며, 줄기세포가 손상된 연골에 부착된 후 연골세포로 분화함으로써 연골을 재생하고, 연골분화를 촉진하는 특정 단백질을 분비함으로써 손상된 연골의 연골세포 및 연골전구세포의 성장을 촉진하고 분화를 유도하는 약리작용을 통해 무릎 골관절염의 통증을 감소시키고 관절 기능을 개선하는 것을 목적으로 한다.

나. 원고는 이 사건 의약품에 관하여 피고의 승인을 받아 제3상 임상시험까지 마친 후, 2021. 8. 23. 피고에게 약사법 제31조 제2항에 따른 의약품 제조판매품목허가를 신청하였다(이하 '**1차 품목허가신청**'이라 한다). 이에 대하여 피고는 2021. 12. 8. 원고에게 '임상시험 결과 퇴행성관절염 환자의 무릎 통증 감소 및 관절 기능 개선에 관한 대조약 대비 시험약의 효과가 「첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정」 제19조에서 규정한 임상적 유의성을 인정하기에 부족하다'는 이유로 보완요구를 하였고, 원고가 추가로 제출한 자료를 포함하여 2022. 9. 2. 중앙약사심의위원회의 1차 심의를 거친 후, 2022. 10. 4. 다시 원고에게 '임상적 유의성에 관한 자료를 보완하라'고 2차 보완요구를 하였으며, 원고가 추가로 제출한 자료를 포함하여 2023. 2. 28. 중앙약사심의위원회의

개인정보유출주의 등록자:방민우, 등록일시:2026.07.09 23:59, 출력자:주식회사 알앤엘재생의학연구소, 다운로드일시:2026.07.10 09:33

2차 심의를 거친 후, 2023. 4. 6. 원고에게 '원고가 추가로 제출한 자료를 종합하여 보더라도 여전히 임상적 유의성을 인정하기 어려우므로 자료보완이 이루어지지 않은 것'이라는 이유로 「민원 처리에 관한 법률 시행령」 제25조 제1항, 「첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정」 제26조, 「생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정」 제38조 제4항에 따라 신청서류 반려처분을 하였다(이하 '**1차 거부처분**'이라 한다). 이에 대하여 원고는 2023. 6. 2. 피고에게 이의신청을 하였으나, 피고가 2023. 6. 15. 이의신청 기각결정을 하자 더 이상 불복하지 않았다.

다. 원고는 2024. 3. 7. 다시 피고에게 이 사건 의약품에 관하여 약사법 제31조 제2항에 따른 의약품 제조판매품목허가를 신청하였다(이하 '**2차 품목허가신청**'이라 한다). 이에 대하여 피고는 2024. 5. 22. 원고에게 '임상적 유의성을 증명할 수 있는 자료 등을 제출하라'는 1차 보완요구를 하였고, 원고가 추가로 제출한 자료를 포함하여 2024. 10. 30. 중앙약사심의위원회의 1차 심의를 거친 후, 2025. 5. 8. 원고에게 '제출한 보완자료는 임상적 유의성을 증명할 수 있는 자료로서 부적합하므로, 임상적 유의성을 증명할 수 있는 자료 등을 다시 제출하라'는 2차 보완요구를 하였으며, 원고가 추가로 제출한 자료를 포함하여 2025. 6. 24. 중앙약사심의위원회의 2차 심의를 거친 후, 2025. 8. 5. 원고에게 '원고가 추가로 제출한 자료를 종합하여 보더라도 여전히 임상적 유의성을 인정하기 어려우므로 자료보완이 이루어지지 않은 것'이라는 이유로 「민원 처리에 관한 법률 시행령」 제25조 제1항, 「첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정」 제26조, 「생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정」 제38조 제4항에 따라 신청서류 반려처분을 하였다(이하 '**2차 거부처분**'이라 한다). 이에 대하여 원고는 이 사건 취소소송을 제기하였다.

개인정보유출주의 등록자:방민우, 등록일시:2026.07.09 23:59, 출력자:주식회사 알앤엘재생의학연구소, 다운로드일시:2026.07.10 09:33

[인정근거] 갑 제2~15, 20, 21 호증, 을 제2~5, 33호증, 변론 전체의 취지

**2. 2차 거부처분의 위법 여부**

**가. 관계 법령**: 별지와 같다.

**나. 2차 거부처분의 처분사유와 법원의 심판범위**

1) 2차 거부처분의 처분사유는 '이 사건 의약품의 임상적 유의성을 인정할 자료가 부족하다'는 것이다.

2) 이와 관련하여 피고는 '1차 거부처분에 관하여 불가쟁력이 발생하였고, 「생물학적 제제 등의 품목허가·심사규정」 제39조 제1항에 따르면 품목허가 재신청 단계에서는 1차 거부처분 전까지 심사 완료된 자료 이외의 자료만을 검토할 수 있을 뿐이므로, 2차 거부처분에 대한 취소소송에서 원고는 1차 거부처분에서 심사 완료된 자료에 대한 임상적 유의성 부족이라는 판단의 당부를 더 이상 다툴 수 없고, 법원은 단지 2차 신청 단계에서 새로 제출한 자료만을 가지고 임상적 유의성을 인정하기에 부족하다고 본 피고의 2차 거부처분에서의 판단이 타당한지 여부만을 심리·판단할 수 있을 뿐'이라는 취지로 주장한다.

3) 그러나, 아래에서 살펴보는 바와 같이 '임상적 유의성'이란 관계법령에 그 의미가 분명하게 규정되어 있지 않고, 구체적이고 기술적인 개념이 아니라 추상적이고 가치평가가 필요한 '불확정개념'이므로, 이에 관하여 처분상대방인 원고와 처분청인 피고는 각자 자신에게 유리한 평가요소들을 적극적으로 주장·증명하여야 하며, 법원은 증명된 평가요소들을 종합하여 가치평가적 판단을 하여야 한다(불확정개념에의 포섭판단과 증명책임에 관한 대법원 2019. 7. 4. 선고 2018두66869 판결 참조). 뿐만 아니라, 항고소송에서 처분의 위법판단 기준시는 처분시(處分時)이므로 법원은 처분 당시의 법령과

개인정보유출주의 등록자:방민우, 등록일시:2026.07.09 23:59, 출력자:주식회사 알앤엘재생의학연구소, 다운로드일시:2026.07.10 09:33

사실상태를 기준으로 처분의 위법 여부를 심리·판단하여야 하며, 법원이 처분 당시의 사실상태를 판단할 때에는 처분 당시에 존재하였던 자료나 처분청에게 제출되었던 자료만으로 판단하여야 하는 것이 아니라 사실심 변론종결 당시까지 제출된 모든 자료를 종합하여 처분 당시 존재하였던 객관적 사실을 확정하고 그 사실에 기초하여 처분의 위법 여부를 판단하여야 한다(대법원 1995. 11. 10. 선고 95누8461 판결 참조). 따라서 2차 거부처분에 대한 취소소송에서 법원은 2차 거부처분 당시 존재하였던 객관적 사실을 확정하고 그 사실에 기초하여 처분 당시의 법령을 기준으로 이 사건 의약품의 임상적 유의성 인정 여부에 관한 가치평가적 포섭판단을 함으로써 2차 거부처분의 처분사유가 규범적·객관적으로 정당한지 여부를 판단하여야 한다.

4) 피고가 고시한 「생물학적제제 등의 품목허가·심사규정」 제39조 제1항은 "식품의약품안전처장은 제38조제4항 규정에 따라 품목허가신청서(변경허가를 포함한다. 이하 이 조에서 같다) 또는 심사의뢰서가 반려된 품목으로서 반려사유에 해당하는 자료를 보완하여 반려일로부터 2년 이내에 재신청된 품목은 반려 전까지 심사 완료된 자료 이외의 자료만 검토하여 처리할 수 있다."라고 규정하고 있으나, 이에 관한 상위법령의 위임규정인 약사법 제31조 제15항, 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제9조에서 위임한 사항은 '의약품의 안전성·유효성에 관한 자료제출 대상 품목, 자료 작성요령, 각 자료의 요건 및 면제범위·심사기준 등에 관한 세부 규정'이므로, 위 규정이 법원의 심판범위를 제한하는 규정이라고 볼 수는 없다.

또한 위 규정은 그 문언 자체로 수범자가 일반 국민이 아니라 '식품의약품안전처장'이므로, 대외적으로 일반 국민과 법원을 구속하는 규정이라고 볼 수 없고, 피고가 자신의 품목허가 업무에 관하여 이를 실제로 담당하는 소속 공무원에 대한 업무처리지

개인정보유출주의 등록자:방민우, 등록일시:2026.07.09 23:59, 출력자:주식회사 알앤엘재생의학연구소, 다운로드일시:2026.07.10 09:33

침을 정한 것이라고 이해함이 타당하다. 그에 따른 처분이 적법한지는 상위법령이나 법의 일반원칙 등에 비추어 판단해야 하는 것이지, 업무처리지침을 따른 것이라고 해서 처분의 적법성이 보장되는 것도 아니다(대법원 2019. 7. 11. 선고 2017두38874 판결 참조). 위 규정은 반려된 적이 있는 품목에 관한 재신청의 경우 종전의 심사 이후에 추가된 자료가 종전 심사결과를 뒤집을 만한 것인지를 중심으로 심사할 수 있다는 취지로 이해함이 타당하며, 이는 종전에 심사했던 자료와의 비교·검토를 필수적 전제로 하는 것이므로, 어차피 모든 자료에 관한 종합적 검토는 불가피하다. 만일 위 규정이 '종전에 심사 완료된 자료는 아예 들춰볼 필요가 전혀 없고 추가된 자료만 검토하는 것으로 족하다'는 취지라면 이는 행정청의 업무편의만을 추구하는 것일 뿐 종합적인 가치평가적 판단을 필요로 하는 불확정개념의 본질에 배치되는 것이므로 적법·유효한 규정이라고 보기 어렵다. 따라서 피고의 이 부분 주장은 받아들일 수 없다.

**다. 처분사유 인정 여부**

1) 약사법은 의약품 품목허가의 요건으로 '안전성·유효성이 인정될 것'을 규정하고(제31조 제14항 제1호), 의약품의 안전성·유효성을 증명하는 주요방법으로서 사람을 대상으로 하는 '임상시험'을 규정하고 있다(제2조 제15호, 제34조). 약사법 제31조 제15항은 품목허가의 기준, 제출 자료의 종류 등에 관하여 필요한 사항은 총리령으로 정하도록 규정하고 있고, 그 위임에 따른 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」은 품목허가를 신청할 때 '임상시험성적에 관한 자료'를 제출하여야 하고(제9조 제6호), 품목허가의 기준 등에 관하여 필요한 사항은 식품의약품안전처장이 정하여 고시한다(제12조)고 규정하고 있다. 그 위임에 따른 「첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정」 제19조는 첨단바이오의약품의 안전성·유효성이 확보될 수 있도록 품목별로 제출된 임상시험 자료를

개인정보유출주의 등록자:방민우, 등록일시:2026.07.09 23:59, 출력자:주식회사 알앤엘재생의학연구소, 다운로드일시:2026.07.10 09:33

다음 각 호에서 정한 심사기준에 따라 심사한다고 규정하고 있고, 그 제1호에서 '임상시험 자료'는 「생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정」 별표 8에서 정한 바와 같이 개발단계별로 과학적·의학적으로 타당한 연구방법론에 의하여 실시된 것이어야 한다고 규정하고, 제4호에서 '평가'에 관하여 "제출된 임상시험성적에 관한 자료의 검토 결과 해당 적응증 등에 대하여 임상적 유의성이 있는 경우 이를 인정한다. 치료적확증 임상시험[1]의 경우 특별히 인정되는 경우가 아니면 사전 설정된 통계분석계획에 따라 유의성을 입증하여야 한다."고 규정하고 있다.

2) 이처럼 약사법령에서 의약품 품목허가의 요건인 '안전성·유효성'의 구체적인 의미나 판단기준을 직접 규정하지 못한 채 하위의 고시에서 정하도록 위임하고, 하위의 고시에서도 안전성·유효성의 구체적인 의미나 판단기준을 적극적으로 규정하지 못한 채 단지 '임상시험은 개발단계별로 과학적·의학적으로 타당한 연구방법론에 의하여 실시된 것이어야 하고, 임상시험성적에 관한 자료의 검토 결과 임상적 유의성이 있는 경우에는 의약품의 안전성·유효성을 인정한다'는 수준으로 규정하고 있는 것은, 의약품의 성분이 매우 다양하고 과학·의학기술이 급격히 발전하고 있어 그 안전성·유효성의 구체적인 의미와 판단기준을 성문법으로 규정하는 것이 입법기술적으로 거의 불가능하고 바람직하지도 않다는 점을 반영하는 것이라고 보인다. 또한 의약품의 안전성·유효성 인정 여부는 과학·의학기술 영역에서 고도의 전문적이고 기술적인 판단을 필요로 하는 사항이므로, 그에 관하여 행정청이 전문적인 판단을 하였다면 그 판단의 기초가 된 사실인정에 중대한 오류가 있거나 판단이 객관적으로 불합리하거나 부당하다는 등의 특별한 사정이 없는 한 존중되어야 한다(대법원 2016. 1. 28. 선고 2013두

1) 「생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정」 [별표 8] '개발단계별 임상시험의 형태 및 종류'에 의하면, 치료적확증 임상시험이란 제3상 임상시험을 의미한다.

개인정보유출주의 등록자:방민우, 등록일시:2026.07.09 23:59, 출력자:주식회사 알앤엘재생의학연구소, 다운로드일시:2026.07.10 09:33

21120 판결 등 참조).

3) 그러나 **이 사건 쟁점**은 사법심사에서 존중의 대상이 되는 과학·의학기술 영역에서 행정청의 고도의 전문적이고 기술적인 판단에 관한 사항이 아니라, 의약품의 안전성·유효성 판단의 기초가 되는 '임상적 유의성'의 의미에 관한 규범적 가치판단이 필요한 사항이다. 앞서 언급한 바와 같이, 「첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정」 제19조 제4호는 "제출된 임상시험성적에 관한 자료의 검토 결과 해당 적응증 등에 대하여 임상적 유의성이 있는 경우 이를 인정한다. 치료적확증 임상시험의 경우 특별히 인정되는 경우가 아니면 사전 설정된 통계분석계획에 따라 유의성을 입증하여야 한다."고 규정하고 있다. 이에 따르면, 제3상 임상시험 결과 사전승인된 임상시험계획에서 설정된 검증가설이 통계적으로 입증된 경우 임상적 유의성을 인정하여야 하고(후문), 임상적 유의성이 인정되면 의약품의 안전성·유효성을 인정하여야 한다(전문)고 보는 것이 규정의 문언·체계상 자연스런 해석이다. 그런데도 피고는 위 규정 후문은 제3상 임상시험에서도 사전 설정된 통계분석계획에 따라 통계적 유의성을 입증하여야 한다는 원칙을 강조한 것일 뿐, 통계적 유의성과 임상적 유의성은 별개의 개념이며, 통계적 유의성이 인정된다고 해서 곧바로 임상적 유의성이 인정되는 것은 아니라고 주장한다.

4) 이와 관련하여 이 사건 의약품의 1차 및 2차 품목허가신청에 관한 중앙약사심의위원회 심의 회의록(갑 제8, 10, 20호증, 을 제33호증)의 내용을 살펴보면, 제3상 임상시험 결과에서 이 사건 의약품의 치료효과에 관하여 통계적 유의성이 인정된다는 점 자체에는 위원들 사이에 다툼이 없었으나, 일부 위원이 '비교군과 대조군 사이의 점수 차이가 적으므로 임상적으로 그리 큰 효과가 있는 것은 아니며, 관절염 치료제로 이미 품목허가를 받아 시판되고 있는 히알루론산, 스테로이드 등에 비해 그다지 효과가 뛰

개인정보유출주의 등록자:방민우, 등록일시:2026.07.09 23:59, 출력자:주식회사 알앤엘재생의학연구소, 다운로드일시:2026.07.10 09:33

어나지 않으므로, 기허가된 치료제 대비 치료효과의 우월성이 인정되지 않는 이 사건 의약품에 대해 굳이 품목허가를 하여 시판이 이루어지도록 할 필요가 없다'는 의견을 적극적으로 개진하였고, 결국 위원들 다수가 이 의견에 동의하였으며, 피고는 중앙약사심의위원회의 심의결과에 따라 이 사건 의약품의 임상적 유의성을 인정하지 않고 이 사건 1차, 2차 거부처분을 하였음을 알 수 있다.

5) 즉, 이 사건 1차, 2차 거부처분의 근거가 된 위 의견은 '기허가된 치료제 대비 치료효과의 우월성이 인정되어야 임상적 유의성을 인정할 수 있다'는 전제에 서 있는데 이러한 전제는 타당하지 않고, 제3상 임상시험 결과 통계적 유의성이 인정되었으므로 이 사건 의약품의 안전성·유효성을 인정하는 것이 「첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정」 제19조 제4호의 타당한 해석·적용이므로, 이 사건 1차, 2차 거부처분은 모두 위법하다고 보아야 한다. 그 구체적인 이유는 다음과 같다.

① 약사법에 따른 의약품 품목허가 단계에서 기존 치료제 대비 치료효과의 우월성이 인정되어야 품목허가가 가능하다고 보는 것은 시장경쟁에서 기존 의약품을 보호하고 새로운 의약품의 시장 신규 진입을 제한하기 위함인데, 이는 의약품 시장에서의 자유로운 경쟁과 새로운 의약품을 개발하는 사업자의 영업의 자유를 제한하는 것으로서 기본권 제한의 법률유보원칙상 법률에 명확한 근거규정이 있어야 한다(헌법 제37조 제2항).

② 약사법은 의약품 품목허가의 요건으로서 '안전성·유효성'만을 규정하고 있을 뿐, 품목허가를 받아 제조·시판을 목표로 하는 의약품이 이미 품목허가를 받아 시판되고 있는 의약품보다 치료효과가 우월할 것을 요구하고 있지 않다. 뿐만 아니라, 약사법은 의약품으로 인한 위험을 방지하는 것을 목적으로 하는 강학상 '경찰법'(질서행정

개인정보유출주의 등록자:방민우, 등록일시:2026.07.09 23:59, 출력자:주식회사 알앤엘재생의학연구소, 다운로드일시:2026.07.10 09:33

법)에 해당하므로 위험방지 이외의 목적으로 의약품의 제조·판매를 제한하는 것은 약사법의 본질적 성격에 배치된다. 한정된 재원으로 운영되는 국민건강보험제도에서는 비용효과성까지도 고려할 수밖에 없으므로 안전성·유효성이 인정되는 의약품이더라도 치료효과성, 비용효과성이 상대적으로 낮으면 요양급여대상에서 제외하는 결정이 타당할 수 있고 명확한 법령상 근거도 있지만(국민건강보험법 제41조 제3항의 위임에 따른 「국민건강보험 요양급여의 기준에 관한 규칙」 제1조의2), 국민건강보험법과 약사법은 성격을 전혀 달리 한다. 약사법에 명확한 근거규정도 없이 '임상적 유의성'이란 개념을 '자의적인 해석'을 통해 기존 의약품을 보호하고 새로운 의약품의 시장 신규 진입을 제한하는 용도로 전용(轉用)하는 것은 약사법의 본질적 성격과 기본권 제한의 법률유보 원칙에 위배되므로 허용될 수 없다.

③ 우리나라 의약품시장에서 치료효과성이 비슷한 수준의 제품들이 여럿 시판되고 있음은 널리 알려진 사실이므로, 피고가 이제껏 '기존 치료제 대비 치료효과의 우월성이 인정될 것'을 기준으로 의약품 품목허가를 해왔는지 극히 의문이다(또한 피고의 주장대로라면, 치료효과성이 뛰어난 의약품이 새로 개발되어 품목허가를 받아 출시되면 그것보다 치료효과성이 낮은 기존 의약품에 대해서는 품목허가를 직권으로 취소하여 의약품시장에서 퇴출시켜야 마땅한데, 피고는 그렇게 하고 있지 않다). 의약품 품목허가 여부에 관한 심사에서 평소에는 이러한 기준을 들이대지 않다가, 일부 의약품에 관해서만 선별적으로 이러한 기준을 들이대는 것이라면 평등원칙 및 행정의 자기구속법리에도 위배되는 것으로서 재량권 일탈·남용에도 해당한다. 피고는 제3상 임상시험 결과 통계적 유의성이 인정되었으나 임상적 유의성이 인정되지 않아 품목허가가 거부된 국내외 사례가 몇몇 있다고 주장하나, 그런 예외적 사례가 피고의 잘못된 법령해석

개인정보유출주의 등록자:방민우, 등록일시:2026.07.09 23:59, 출력자:주식회사 알앤엘재생의학연구소, 다운로드일시:2026.07.10 09:33

이 정당함을 보증하는 합당한 근거는 되지 못한다.

④ 이 사건 의약품의 1차 품목허가신청에 대한 중앙약사심의위원회에서 앞서 4)항에서 살펴본 의견을 적극 개진한 사람은 [redacted]이었는데, 당시 [redacted]은 [redacted] 겸 줄기세포 치료제를 개발하고 있는 [redacted] 재직 중이었던 사람으로서, 줄기세포 치료제 개발 분야에서 잠재적 경쟁관계에 있는 원고의 제품 시판을 막으려는 의도가 있었던 것으로 보인다. 이 사건 의약품의 2차 품목허가신청에 대한 중앙약사심의위원회 심의에는 비록 [redacted] 위원은 참여하지 않았으나, 배석한 피고 소속 공무원들이 '1차 품목허가신청에 대한 중앙약사심의위원회의 종전 심의결과가 타당하다'는 전제에서 원고가 추가로 제출한 자료만으로 임상적 유의성 인정이 가능한지에 관해서만 논의해 달라고 하면서 위원들의 심의범위를 제한하고 특정한 방향으로 유도하였다.

### 3. 결론

그렇다면 2차 거부처분은 위법하므로 원고의 청구를 인용하고, 소송비용은 패소한 피고가 부담하도록 정하여, 주문과 같이 판결한다.

재판장 판사 [redacted] 전자서명완료

판사 [redacted] 전자서명완료

판사 [redacted] 전자서명완료

개인정보유출주의 등록자:방민우, 등록일시:2026.07.09 23:59, 출력자:주식회사 알앤엘재생의학연구소, 다운로드일시:2026.07.10 09:33

**[별지]**

## 관계 법령

**◈ 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률**

**제1조(목적)** 이 법은 첨단재생의료의 안전성 확보 체계 및 기술 혁신·실용화 방안을 마련하고 첨단바이오의약품의 품질과 안전성·유효성 확보 및 제품화 지원을 위하여 필요한 사항을 규정함으로써 국민 건강 및 삶의 질 향상에 이바지함을 목적으로 한다.

**제2조(정의)** 이 법에서 사용하는 용어의 뜻은 다음과 같다.

1. “첨단재생의료”란 사람의 신체 구조 또는 기능을 재생, 회복 또는 형성하거나 질병을 치료 또는 예방하기 위하여 인체세포등을 이용하여 실시하는 세포치료, 유전자치료, 조직공학치료 등 대통령령으로 정하는 것을 말한다. 다만, 세포·조직을 생물학적 특성이 유지되는 범위에서 단순분리, 세척, 냉동, 해동 등의 최소한의 조작을 통하여 시술하는 것으로서 대통령령으로 정하는 것은 제외한다.

7. “첨단바이오의약품”이란 「약사법」 제2조제4호에 따른 의약품으로서 다음 각 목의 어느 하나에 해당하는 것을 말한다.

   가. 세포치료제: 사람 또는 동물의 살아 있는 세포를 체외에서 배양·증식하거나 선별하는 등 물리적, 화학적 또는 생물학적 방법으로 조작하여 제조한 의약품. 다만, 생물학적 특성이 유지되는 범위에서 단순분리, 세척, 냉동, 해동 등의 최소한의 조작을 통하여 제조된 것으로서 총리령으로 정하는 것은 제외한다.

**제3조(다른 법률과의 관계)** ① 첨단재생의료에 관하여 이 법에서 규정한 것을 제외하고는 「의료법」,「환자안전법」 및 「생명윤리 및 안전에 관한 법률」에 따른다.

② 첨단바이오의약품에 관하여 이 법에서 규정한 것을 제외하고는 「약사법」에 따른다.

**◈ 약사법**

**제1조(목적)** 이 법은 약사(藥事)에 관한 일들이 원활하게 이루어질 수 있도록 필요한 사항을 규정하여 국민보건 향상에 기여하는 것을 목적으로 한다.

**제2조(정의)** 이 법에서 사용하는 용어의 뜻은 다음과 같다.

1. “약사(藥事)”란 의약품·의약외품의 제조·조제·감정(鑑定)·보관·수입·판매[수여(授與)를 포함한다. 이하 같다]와 그 밖의 약학 기술에 관련된 사항을 말한다.

15. “임상시험”이란 의약품 등의 안전성과 유효성을 증명하기 위하여 사람을 대상으로 해당 약물의 약동(藥動)·약력(藥力)·약리·임상적 효과를 확인하고 이상반응을 조사하는 시험(생물학적 동등성시험을 포함한다)을 말한다. 다만, 「첨단재생의료 및 첨단바이

개인정보유출주의 등록자:방민우, 등록일시:2026.07.09 23:59, 출력자:주식회사 알앤엘재생의학연구소, 다운로드일시:2026.07.10 09:33

오의약품 안전 및 지원에 관한 법률」 제2조제3호에 따른 첨단재생의료 임상연구는 제외한다.

**제31조(제조업 허가 등)** ② 제1항에 따른 제조업자가 그 제조(다른 제조업자에게 제조를 위탁하는 경우를 포함한다)한 의약품을 판매하려는 경우에는 총리령으로 정하는 바에 따라 품목별로 식품의약품안전처장의 제조판매품목허가(이하 "품목허가"라 한다)를 받거나 제조판매품목신고(이하 "품목신고"라 한다)를 하여야 한다.

⑩ 제2항 및 제3항에 따라 허가를 받거나 신고하려는 품목이 신약 또는 식품의약품안전처장이 지정하는 의약품인 경우에는 안전성·유효성 등에 관한 다음 각 호의 자료 중 의약품의 특성, 종류 등에 따라 총리령으로 정하는 자료를 제출하여야 한다.

1. 품질에 관한 자료
2. 비임상시험자료
3. 임상시험자료
4. 특허관계 확인서와 그 사유를 적은 서류 및 근거자료
5. 그 밖에 총리령으로 정하는 자료

⑭ 식품의약품안전처장은 제2항부터 제4항까지 및 제9항에 따른 신고(품목신고를 제외한다)를 받은 경우에는 그 내용을 검토하여 이 법에 적합하면 신고를 수리하여야 하고, 품목허가(변경허가를 포함한다) 신청을 받거나 품목신고(변경신고를 포함한다)를 받은 경우에는 다음 각 호의 요건을 모두 갖춘 경우에 한정하여 허가를 하거나 신고를 수리하여야 한다. 다만, 제31조의6제1항 본문에 해당하는 경우에는 그러하지 아니하다.

1. 의약품등의 안전성·유효성이 인정될 것
2. 의약품등의 품질이 인정될 것
3. 제12항에 따라 자료를 제출하는 의약품의 경우 동등성이 인정될 것
4. 그 밖에 총리령으로 정하는 사항에 적합할 것

⑮ 제1항부터 제4항까지 및 제9항부터 제14항까지에 따른 의약품등의 제조업·위탁제조판매업 및 제조판매품목의 허가 또는 신고를 할 때 허가 또는 신고의 대상·기준·조건, 제출 자료의 종류·요건·면제·변경과 제출 방법·절차 및 관리 등에 관하여 필요한 사항은 총리령으로 정한다.

**제34조(임상시험의 계획 승인 등)** ① 의약품등으로 임상시험을 하려는 자는 그에 관한 계획서를 작성하여 식품의약품안전처장의 승인을 받아야 하며, 승인받은 사항을 변경하려는 경우에도 총리령으로 정하는 바에 따라 변경승인을 받아야 한다. 다만, 임상시험계획서 중 총리령으로 정하는 사항을 변경하려는 경우에는 식품의약품안전처장에게 보고하여야 한다.

⑦ 제1항에 따른 임상시험의 계획 승인 및 계획에 포함될 사항, 제3항제2호에 따른 임상시험

개인정보유출주의 등록자:방민우, 등록일시:2026.07.09 23:59, 출력자:주식회사 알앤엘재생의학연구소, 다운로드일시:2026.07.10 09:33

의 실시 기준 등에 관하여 필요한 사항은 총리령으로 정한다.

◈ **의약품 등의 안전에 관한 규칙**(총리령)

**제4조(제조판매·수입 품목의 허가 신청)** ① 법 제31조제2항부터 제4항까지 또는 법 제42조제1항에 따라 의약품등의 제조판매·수입 품목허가를 받으려는 자는 별지 제4호서식의 의약품등 제조판매·수입 품목 허가신청서에 다음 각 호의 서류를 첨부하여 식품의약품안전처장(의약품 동등성의 입증이 필요한 의약품 제조판매·수입 품목허가 및 제1호 각 목 외의 부분 단서에 따라 자료를 제출하지 않아도 되는 의약외품 제조판매·수입 품목허가의 경우에는 지방청장을 말한다)에게 제출해야 한다.

⑤ 식품의약품안전처장은 법 제31조제2항부터 제4항까지 또는 법 제42조제1항에 따른 의약품 등의 제조판매·수입 품목허가를 위하여 필요하다고 인정하는 경우에는 식품의약품안전평가원의 의견을 듣거나 법 제18조제1항에 따른 중앙약사심의위원회에 자문을 할 수 있다.

**제9조(안전성·유효성에 관한 자료)** 의약품등의 제조판매·수입 품목허가 또는 품목변경허가를 받거나 제조판매·수입 품목신고 또는 품목변경신고를 하려는 자가 제출하여야 하는 안전성·유효성에 관한 자료는 다음 각 호의 자료(전자문서를 포함한다)로 한다. 이 경우 자료제출 대상 품목, 자료 작성요령, 각 자료의 요건 및 면제범위·심사기준 등에 관한 세부 규정과 독성 및 약리작용 등에 관한 자료의 작성을 위하여 실시하는 비임상시험의 관리에 필요한 사항은 식품의약품안전처장이 정하여 고시하는 바에 따른다.

1. 기원 또는 발견 및 개발 경위에 관한 자료
2. 구조결정, 물리화학적 성질에 관한 자료
3. 안정성에 관한 자료
4. 독성에 관한 자료
5. 약리작용에 관한 자료
6. 임상시험성적에 관한 자료
7. 외국의 사용현황 등에 관한 자료
8. 국내 유사제품과의 비교검토 및 해당 의약품등의 특성에 관한 자료

**제12조(허가기준 등)** 제2조부터 제5조까지, 제7조, 제8조, 제11조, 제39조, 제39조의2 및 제40조에서 규정한 사항 외에 의약품등의 제조업·위탁제조판매업·수입업 및 제조판매·수입 품목의 허가·신고, 변경허가·신고나 의약품의 시설·품목 조건부 허가의 기준, 조건 및 관리 등에 필요한 사항은 식품의약품안전처장이 정하여 고시한다.

◈ **첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정**(식품의약품안전처 고시)

개인정보유출주의 등록자:방민우, 등록일시:2026.07.09 23:59, 출력자:주식회사 알앤엘재생의학연구소, 다운로드일시:2026.07.10 09:33

**제1조(목적)** 이 규정은 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률」(이하 "법"이라 한다) 제23조, 제27조, 제30조, 제36조, 제37조, 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률 시행령」(이하 "시행령"이라 한다) 제29조, 「첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 규칙」(이하 "규칙"이라 한다) 제12조, 제14조, 제15조, 제24조, 제36조부터 제38조까지, 「약사법」 제31조, 제35조, 제42조, 제76조, 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제4조, 제8조부터 제13조까지, 제57조부터 제59조까지, 「희귀질환관리법」 제19조에 따라 첨단바이오의약품의 제조판매·수입품목허가 및 변경허가에 있어, 허가의 기준과 조건, 안전성·유효성, 기준 및 시험방법 심사에 관한 세부사항 등을 정함으로써 품목허가 업무에 적정을 기함을 목적으로 한다.

**제19조(임상시험 자료 심사기준)** 식품의약품안전처장은 첨단바이오의약품의 안전성·유효성이 확보될 수 있도록 품목별로 제출된 임상시험 자료를 다음 각 호에서 정한 심사기준에 따라 심사한다.

1. 임상시험 자료 : 「생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정」 별표 8에서 정한 바와 같이 개발 단계 별로 과학적·의학적으로 타당한 연구방법론에 의하여 실시된 것이어야 하며, 다음의 가목부터 사목까지의 사항 중 어느 하나를 포함한다.
   가. 생물약제학에 관한 자료
   나. 인체시료를 이용한 약동학에 관한 사항
   다. 약동학(PK)에 관한 사항
   라. 약력학(PD)에 관한 사항
   마. 유효성과 안전성에 관한 사항
   바. 시판후 사용경험에 관한 사항
   사. 증례기록서 양식과 개별 환자 목록
4. 평가 : 제출된 임상시험성적에 관한 자료의 검토 결과 해당 적응증 등에 대하여 임상적 유의성이 있는 경우 이를 인정한다. 치료적확증 임상시험의 경우 특별히 인정되는 경우가 아니면 사전 설정된 통계분석계획에 따라 유의성을 입증하여야 한다.

**제26조(준용규정)** 첨단바이오의약품의 허가·심사와 관련하여 이 고시에서 정하지 아니한 사항에 대하여는 「의약품의 품목허가·신고·심사 규정」 및 「생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정」을 따른다. 이 경우 「약사법」 또는 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」이 인용된 경우 법 또는 규칙에 이에 해당하는 규정이 있으면 법 또는 규칙의 해당 조항을 인용한 것으로 본다.

**◈ 생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정**(식품의약품안전처 고시)

**제1조(목적)** 이 규정은 「약사법」 제31조, 제35조, 제42조, 제76조 「의약품 등의 안전에 관한

개인정보유출주의 등록자:방민우, 등록일시:2026.07.09 23:59, 출력자:주식회사 알앤엘재생의학연구소, 다운로드일시:2026.07.10 09:33

규칙」 제4조, 제8조부터 제13조까지, 제57조부터 제59조까지, 「희귀질환관리법」 제19조에 따라 생물학적제제, 유전자재조합의약품, 세포배양의약품 및 이하 유사한 제제의 제조판매(수입)품목허가 및 변경허가에 있어 안전성·유효성과 기준 및 시험방법 심사에 관한 세부사항, 허가의 기준, 조건 등을 정함으로써 품목허가 업무에 적정을 기함을 목적으로 한다.

**제25조(심사기준)** 식품의약품안전처장은 생물학적제제 등으로서의 안전성·유효성이 확보될 수 있도록 품목별로 제출된 자료를 근거로 다음 각 호에서 정한 안전성·유효성 심사기준에 따라 심사한다.

6. 임상시험성적에 관한 자료

라. 평가

제출된 임상시험성적에 관한 자료를 검토한 결과 해당 적응증 등에 대하여 임상적 유의성이 있는 경우 이를 인정한다.

**제38조(자료의 보완 등)** ① 식품의약품안전처장은 예비심사에 따라 품목허가신청서의 첨부자료(별표 15의 생물의약품 허가·심사 제출자료 요약표를 포함한다)가 해당 제출자료 요건에 따라 구비되지 아니하였을 때 신청일로부터 5일 이내에 해당 자료를 요청할 수 있다.

② 식품의약품안전처장은 품목허가 및 심사 신청서 중 다음 각 호의 어느 하나에 해당하는 사유가 있는 경우 필요한 사항을 구체적으로 명시하여 자료 제출자에게 보완 요구하여야 한다.

1. 신청서의 첨부자료의 종류, 범위 또는 요건 등이 이 규정에 적합하지 아니할 때
2. 제출자료의 검토과정 중 안전성·유효성 및 품질에 대해 중대한 문제가 발생할 우려가 있어 이를 해소하기 위해 추가자료 등이 특별히 필요하다고 인정될 때

③ 제1항 및 제2항에 따른 자료의 보완기간은 60일 이내로 한다. 다만, 보완요구를 받은 민원인이 보완요구를 받은 기간 내에 보완할 수 없음을 이유로 보완에 필요한 기간을 명시하여 기간 연장을 요청하는 경우에는 이를 고려하여 보완기간을 정하여야 한다. 이 경우 민원인의 기간연장 요청은 2회에 한하며, 기간 내에 보완 요구한 자료 중 일부 또는 전부의 자료가 제출되지 아니할 때에는 10일 이내에 다시 보완하도록 요구 할 수 있다.

④ 식품의약품안전처장은 자료의 심사 중 또는 심사결과 다음 각 호의 어느 하나에 해당하는 것으로 판단되는 경우 그 사유를 명시하여 자료 제출자에게 반려할 수 있다.

1. 제3항에 따른 보완 기간 내에 자료가 제출되지 아니할 때
2. 이 규정에 따른 심사기준에 적합하지 아니할 때

**제39조(재신청서류의 처리)** ① 식품의약품안전처장은 제38조제4항 규정에 따라 품목허가신청서(변경허가를 포함한다. 이하 이 조에서 같다) 또는 심사의뢰서가 반려된 품목으로서 반려사유에 해당하는 자료를 보완하여 반려일로부터 2년 이내에 재신청된 품목은 반려 전까지 심사 완료된 자료 이외의 자료만 검토하여 처리할 수 있다. [끝]