

# ISSCR 지침 줄기세포 요법 관련



INTERNATIONAL  
SOCIETY FOR  
STEM CELL  
RESEARCH



한국줄기세포학회  
Korean Society for Stem Cell Research



식품의약품안전처  
식품의약품안전평가원

2023년 6월

ISSCR.org

본 지침의 한글 버전은 한국줄기세포학회, 식품의약품안전처 식품의약품안전평가원과 그 연구사업단(22202MFDS127)의 도움으로 작성되었습니다.

---

# 목차

서론	3
1. 줄기세포 및 줄기세포 기반 치료요법에 대하여	4
1.a. 줄기세포란 무엇인가요?	4
1.b. 줄기세포 치료요법이란 무엇인가요?	5
1.c. 줄기세포 치료요법에 대해 특별히 고려해야 할 부분은 무엇인가요?	6
2. 승인된 줄기세포 치료요법	6
2.a. 줄기세포 치료요법이 잘 확립되어 있는 질병이나 질환은 어떤 것이 있나요??	6
3. 새로운 의학적 치료요법 개발은 여러해에서 수십 년이 걸릴 수도 있습니다.	7
3.a. 새로운 의학적 치료법 개발을 위해 보통 어떤 절차를 거칩니까?	7
3.b. 줄기세포 임상시험에 대해 어떻게 알아볼 수 있습니까?	9
3.c. 임상시험을 통해 임상시험용 줄기세포 요법 시도를 고려 중이라면 무엇을 확인해야 할까요?	9
3.d. 임상시험대상자 동의서 또는 요법 동의서는 무엇입니까?	10
3.e. 임상시험에 참여를 고려할 때 무엇을 물어보아야 합니까?	11
4. 미입증 줄기세포 “치료요법”	14
4.a. 미입증 줄기세포 “치료요법”이란 무엇인가요?	14
4.b. 미입증 줄기세포 “치료요법”을 고려 중이라면 무엇을 주의해야 할까요?	14
4.c. 미입증 줄기세포 “치료요법”을 고려하기 전에 무엇을 주의해야 할까요?	16
4.d. 다른 사람의 의견을 받아보아야 합니까??	17
용어 목록	18
환자 참고자료	20

## 저작권 및 경고문

국제줄기세포학회(ISSCR) 자료의 영어 이외 언어 번역문은 전세계 국제 공동체 일원들과 과학자들의 편의만을 목적으로 한 것입니다. ISSCR과 그 파트너들은 영어 원문 자료의 정확한 번역을 제공하기 위한 노력을 기울였습니다만 경미한 차이가 존재할 수 있습니다. 원 문서가 영어로 되어 있는 참고자료는 대부분 비영어 문서로 확인이 가능합니다. 일부 웹페이지(URLs), 응용, 도표 및 PDF 연계 문서 등 일부 문구는 번역되지 않을 수 있습니다.

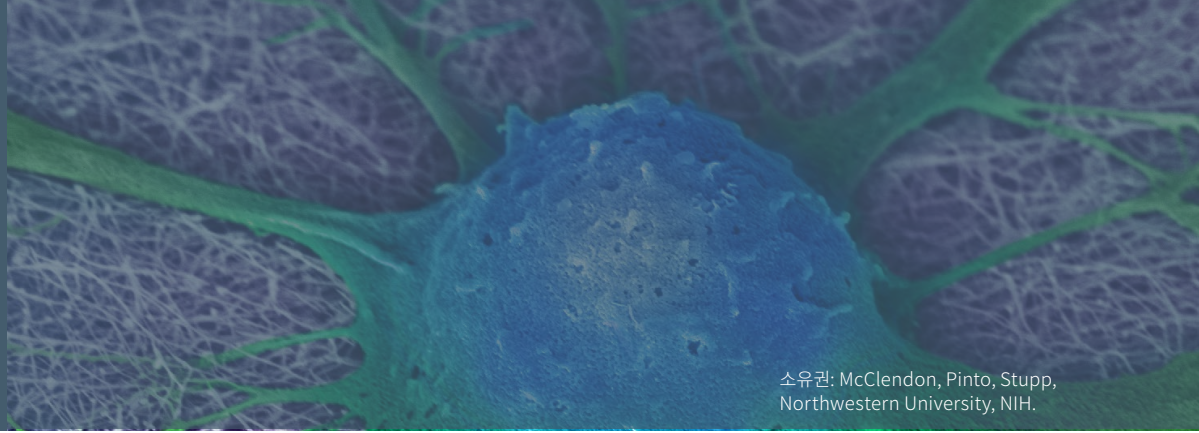
ISSCR이나 어떠한 ISSCR 기관, 임원 또는 직원도 일체의 번역된 정보의 정확성, 신뢰성 또는 적시성에 대해 보증하지 않으며, 해당 정보의 정확성, 신뢰성 또는 적시성에 의존함으로써 인해 초래되는 일체의 손실에 대한 책임을 지지 않을 것입니다. 번역된 정보에 의존하는 일체의 개인 또는 단체는 자신의 책임 하에 그렇게 합니다.

번역된 자료는 여전히 저작권보호를 받으며 ISSCR의 허락 없이 전제해서는 안 됩니다. ISSCR에 서면 요청 (630 Davis St, Suite 200, Evanston, IL 60201, USA)으로 또는 이메일(isscr@isscr.org)로 제출하여 허락을 얻을 수 있습니다.

이 페이지의 정보는 한국줄기세포학회에서 제공한 것입니다.

© 2023, 국제줄기세포학회(International Society for Stem Cell Research)





소유권: McClendon, Pinto, Stupp,  
Northwestern University, NIH.

국제줄기세포학회(ISSCR, International Society for Stem Cell Research)는 줄기세포 과학 및 재생의료의 우수성과 사람의 건강에 그 응용을 촉진하는 국제 비영리 전문가 단체입니다. **과학적으로 정확한 정보**를 공유하여 환자와 그 가족에게 줄기세포 연구 및 잠재적 치료요법의 현재 상태에 대하여 알리는 것을 본 단체의 중심 사명으로 하고 있습니다. ISSCR은 **합법적인 줄기세포 연구와 신뢰할 수 있는 줄기세포 치료요법을 진작**하는 노력을 통해 환자의 안전과 공중보건을 고취하는 것을 목적으로 합니다.

우리 중 다수는 광범위한 질병 및 질환의 치료에서 줄기세포가 가진 특별한 잠재력에 대해 들어본 적이 있습니다. 전 세계 줄기세포 연구가 사람의 건강을 개선할 수 있는 잠재력을 가진 새로운 발견들로 이어졌지만, 연구가 구체적이고 효과가 있으며 안전한 치료법으로 이어지기 위해서는 여전히 상당한 작업이 수행되어야 합니다.

대부분의 의학적 발견은 여러 해에 걸쳐 대학과 제약 및 생명공학회사들에서 수행되는 연구를 토대로 합니다. 실험실에서의 발견을 임상적으로 안전하고 효과가 있는 치료법으로 발전시키는 것은 오랜 기간이 걸리는 과정입니다. 전통적인 처방 의약품을 포함하여 모든 새로운 치료법이 그렇듯, 줄기세포 치료요법도 반드시 환자를 치료하기 위해 국가 규제 기관의 승인을 받기 전에 임상시험에서 평가하여 특정한 기준을 충족함을 입증해야 합니다.

**ISSCR은 안전성에 대한 시험을 하지 않았거나 규제당국의 승인을 받지 않은 줄기세포 기반 요법을 판매하고 투여하는 병원과 서비스 제공업자들에게 대하여 증가하고 있는 우려를 가지고 있습니다.** 사실상 비양심적인 줄기세포 병원이 판매하는 많은 치료요법은 엄격한 과학에 의해 효과가 있거나 안전한 것으로 입증되지 않았거나, 많은 경우 줄기세포를 함유조차 하고 있지 않은 것으로 나타나기도 했습니다.

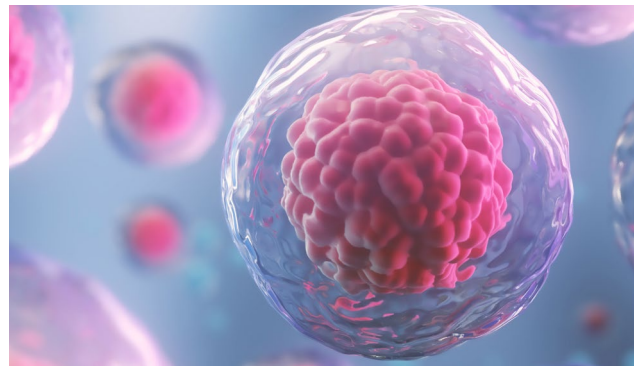
**이러한 “치료요법” 대부분은 입증되지 않은 것으로 해를 끼칠 가능성이 있습니다.**

초기 연구에서는 잠재력이 있는 것으로 보일 수 있지만, 임상시험에서의 과학적인 후속 연구가 필요하며, 이러한 연구에서 평가 대상 치료접근법이 효과가 없거나 예상하지 못한 부정적 부작용이 있는 것으로 나타날 수 있습니다.

줄기세포 치료요법을 고려하기 전에 무엇을 살펴보아야 하는지를 귀하가 아는 것이 중요합니다.

**줄기세포 치료요법은 반드시 승인을 받기 전에 규제 관리를 받는 임상시험에서 유효성과 안전성에 대한 평가를 받아야 합니다.**

이것이 환자, 환우회, 보건의로 서비스 제공자, 친구 또는 가족 일원으로서 귀하에게 진정으로 의미하는 바는 무엇일까요? 저희는 줄기세포와 줄기세포 치료요법에 대하여 여러분이 가지고 있는 질문 중 일부를 답하고, 귀하와 귀하의 주치의 또는 전문가가 치료에 대한 최선의 결정을 내리는 데 필요한 정보를 제공하기를 희망합니다.



**그림 1.** 현재 전세계적으로 비양심적인 줄기세포 병원과 공급 업체들에 의해 입증되지 않은 줄기세포 “치료요법”이 판매 및 투여되고 있습니다. 이 지침은 환자가 줄기세포 치료요법을 고려 중일 때 알아보아야 할 점을 이해하는 데 도움을 줄 것입니다.

# 1. 줄기세포 및 줄기세포 기반 치료요법에 대하여

## 1.a. 줄기세포란 무엇인가요?

**줄기세포\***는 두 가지 특성으로 정의되는 독특한 세포입니다. 줄기세포는 분열하여 자신과 같은 세포를 더 만들 수 있고, 피부, 근육 또는 혈액 세포와 같이 특화된 유형의 세포를 생성할 수 있습니다.

줄기세포에는 만능분화성 줄기세포와 조직 특이적(또는 성체) 줄기세포의 두 가지 유형이 있습니다.

**만능분화성 줄기세포**는 체내 모든 종류의 세포가 될 수 있는 줄기세포입니다. 만능분화성 줄기세포의 유형에는 배아 줄기세포, 유도 만능 줄기세포가 있습니다.

**배아 줄기세포** (ESC, embryonic stem cells) 는 배아 발달의 초기 단계에서만 존재합니다. 배아 줄기세포는 모든 성체 세포 유형을 생성합니다. 배아 줄기세포는 배아 발달의 매우 초기 단계인 주머니배 내의 세포에서 유래됩니다(그림 1A 참고).

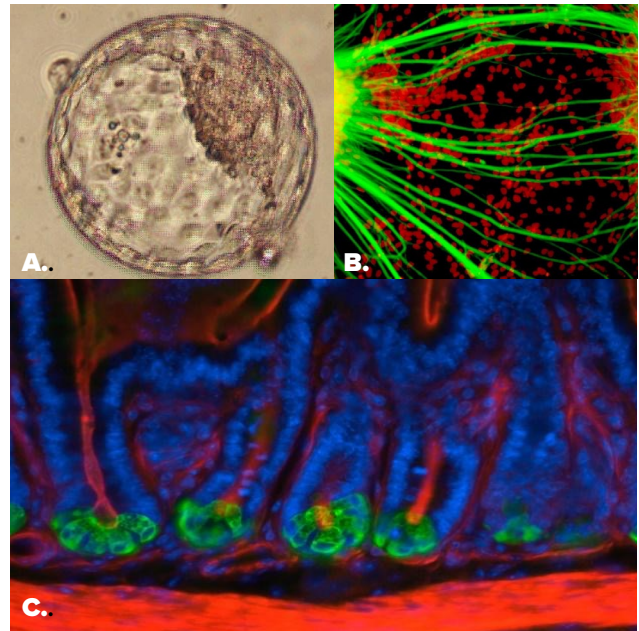
**유도 만능 줄기세포** (iPCS, induced pluripotent stem cells) 는 실험실에서 피부 세포처럼 조직 특이적인 세포를 배아 줄기세포와 같은 특성을 가진 세포로 전환하여 만들어진 세포입니다. 배아 줄기세포와 마찬가지로, 유도 만능 줄기세포는 성체 내 모든 세포 유형을 생성할 수 있습니다(그림 1B 참고).

만능분화성 줄기세포는 실험실에서 횡수 제한 없이 배양할 수 있고, 발생 및 질병 모델로 사용하며, 신약의 유효성 시험에 사용하고, 세포 치료 요법으로 사용할 수 있기에 엄청난 가치를 가집니다. 만능분화성 줄기세포의 공여 방식과 그 활용에 대한 추가 정보는 [과학 연구의 변환](#)을 통해 확인할 수 있습니다.

**조직 특이적 줄기세포**(체세포성 또는 성체 줄기세포라고도 함)는 다수의 성체 기관 및 조직에서 발견되는 줄기세포입니다. 성체 줄기세포는 해당 기관 조직 내의 세포 유형 일부 또는 전부를 생성할 수 있지만, 성체 내 모든 세포 유형을 생성하지는 **못 합니다**. 이 유형의 줄기세포는 해당 줄기세포가 발견된 특정 기관이나 조직을 형성하는 세포의 보충을 담당합니다. 예를 들어 조혈줄기세포는 혈액면역계의 세포를 지속적으로 교체하고, 장줄기세포는 소장 및 대장에서 세포를 보충합니다(그림 1C 참고).

이미 병원에서 특정한 조직 특이적 줄기세포([질문 2.a. 참고](#))를 이미 사용하고 있지만, 과학자들은 우리의 조직이 발달하는 방식을 알아내고, 실험실에서 질병을 모델화하며, 새로운 치료요법을 개발하거나 시험하기 위해서도 이러한 유형의 줄기세포를 사용하고 있습니다.

줄기세포, 줄기세포 연구, 서로 다른 질병에 대해 알아내고 그를 치료하기 위해 줄기세포를 사용하는 방식, 해당 분야에서의 일부 애로사항에 대한 추가 정보는 [줄기세포에 대한 추가 정보](#)에서 확인하시기 바랍니다.



**그림 1.** A. 이는 주머니배로 알려져 있는 초기 단계 인간 배아입니다. [소유권: Jenny Nichols, University of Edinburgh, 영국](#). B. 유도 만능 줄기세포로부터 뇌를 침범하는 질병을 모델화하거나 새로운 치료요법을 확인하기 위해 사용할 수 있는 신경세포(초록색)가 생성되었습니다. [소유권: Muotri Lab, University of California, San Diego, CA, 미국](#). C. 이는 생쥐 소장의 절편입니다. 초록색으로 표지된 세포는 소장의 생세포를 나타내며, 이 곳이 줄기세포가 존재하는 곳입니다. [소유권: Paul Appleton, University of Dundee, 영국](#).

\* 주황색으로 표기된 핵심어는 본 문서 마지막에 있는 [용어목록](#)에 정의되어 있습니다.

## 1.b. 줄기세포 치료요법이란 무엇인가요?

줄기세포 치료요법은 줄기세포 또는 줄기세포에서 유래하여 분화된 세포 유형으로 손상되거나 부재한 환자의 세포 또는 조직을 대체하거나 보수하는 것입니다. 줄기세포 또는 줄기세포에서 유래한 세포는 환자에게서 얻거나 공여자로부터 얻을 수 있습니다. 그러한 세포는 환자의 혈액으로 투여하거나 직접 손상된 조직에 이식하기 전에 유전자를 추가하거나 제거하는 등의 조작을 실험실에서 거칠 수 있습니다. 줄기세포 치료요법에는 또한 자가 보수를 위해 환자 자신의 조직 내에 있는 줄기세포를 채취하는 것이 수반될 수도 있습니다. 그러나, 분화되지 않은 만능분화성 줄기세포는 종양 형성을 초래할 수 있어 환자에게 주입하기에 안전하지 않습니다.

### 줄기세포는 만병통치약이 아닙니다.

줄기세포는 만병통치약이 아닙니다. 이러한 치료요법은 특정한 질병이나 질환과 세포 유형에 특정한 것이며, 환자 자신에게만 특정될 가능성도 있습니다. 한 가지 줄기세포 치료요법으로 신체의 서로 다른 부분을 침범하는 다양한 서로 다른 질환들의 치료에 사용할 수 있다고 선전하는 병원을 잠재적 환자는 경계해야 합니다.

이 지침은 줄기세포 치료요법의 세 가지 구분 범주(즉, 승인된 치료요법, 임상시험용 치료요법, 입증되지 않은 요법)와 이를 시도하기 전에 고려해야 할 사항을 설명하고 있습니다.

**승인된 줄기세포 치료요법**은 확실한 유효성과 안전성에 대한 근거로 뒷받침되며, 적절한 규제 기관(예: 유럽의약품청 [EMA, European Medicines Agency], 미국 식품의약품청 [FDA, Food and Drug Administration], 일본 의약품의료기기종합기구 [PMDA, Pharmaceutical and Medical Device Agency], 호주 의료제품청 [TGA, Therapeutic Goods Administration], 한국의 식품의약품안전처)의 승인을 받고, 국제 의학계에서 널리 인정을 받습니다. 인정받은 줄기세포 치료요법의 첫 치료 대상 질환은 특정한 혈액암과 선별된 면역 질환이었습니다. 현재 당뇨병, 파킨슨병, 연령 관련 황반변성 등의 수많은 질환에 대하여 줄기세포 치료요법을 활용한 임상시험이 진행 중에 있습니다.

어떤 치료요법이 승인되기 전에는 **임상시험용 요법**으로 간주됩니다. “임상시험용 요법”은 임상시험에서 연구 중이지만 효과가 있고 안전한 것으로 승인되지는 않은 줄기세포 요법을 지칭하기 위해 사용되는 용어입니다.

질병 치료 목적의 새로운 줄기세포 사용은 효과가 있고 안전한 것으로 입증되어 적절한 규제적 승인을 받기 위해, 반드시 관리가 되는 임상시험을 통해 엄격한 시험을 거치고, 독립적인 전문가들이 과학적 이점이 있는지를 검토하여, 임상시험 참여자의 권리와 건강이 존중되도록 보장하는 윤리위원회의 승인을 받아야 합니다. 어떤 새로운 치료요법을 효과가 있고 안전하다고 간주하여 승인하기 전에 또는 효과가 없고 안전하지 않은 것으로 판단하기 전까지, 이러한 절차는 여러 해가 걸릴 수 있으며 수많은 단계와 여러 반복적인 시험이 수반됩니다. 공식적인 승인을 받기 전까지, 임상시험에서 시험 중인 줄기세포 요법은 임상시험용으로 간주됩니다. 줄기세포 요법을 임상시험에서 시험하는 것은 그것이 확립된 치료가 될 것임을 보장하는 것이 아님을 이해하는 것이 중요합니다. 임상시험에서 연구되는 의약품들과 마찬가지로, 많은 줄기세포 요법들이 임상시험 중에 발견된 문제나 부족함으로 인해 승인되지 않아 환자들에게 적용되지 못하고 있습니다.

**입증되지 않은 줄기세포 “요법”**은 엄격한 다단계 임상시험에서 평가가 이루어지지 않아 효과가 있거나 안전한 것으로 확인되지 않았습니 다. **입증되지 않은 줄기세포 “치료요법”**은 현재 전세계적으로 비양심적인 줄기세포 병원과 공급업체를 통해 판매 및 투여되고 있으며, 이는 신체적, 정신적, 그리고/또는 재정적 해를 끼칠 수 있습니다. 추가 정보는 [미입증 줄기세포 “치료요법”에 대해 알아야 하는 것](#)을 참조하시기 바랍니다.

## 1.c. 줄기세포 치료요법에 대해 특별히 고려해야 할 부분은 무엇인가요?

줄기세포 또는 줄기세포 유래 세포를 이용하는 치료요법은 대부분 새로운 것으로 여전히 알아내야 할 사항이 많습니다.

치료 목적으로 줄기세포를 준비하는 데에는 특히 어려움이 있습니다. 표준화된 화학적 성분으로부터 합성되는 전통적인 처방 약물과 달리, 줄기세포 치료요법은 살아있는 세포로부터 개발됩니다. 많은 경우에 있어 줄기세포의 균일성, 유효성, 안전성을 보장하기 위해서는 사용되는 세포 유형에 특이적인, 새롭고 전문적인 실험실 검사가 요구됩니다.

대부분 질환의 경우 특정 손상 또는 질환 조직 치료에 어떤 세포가 가장 잘 작용할 것인지, 이런 세포를 신체 내 적소에 어떻게 전달할지, 얼마나 많은 세포가 필요한지, 어떻게 세포들이 신체 내에서 생존하면서 원하는 기능을 수행하도록 보장할 수 있을지는 여전히 결정하는 과정 중에 있습니다.

또한, 부작용은 문서화하여 규제당국에 보고해야 하고, 이 식된 세포는 환자의 체내에 오래 동안 잔존할 수 있으며 평생 유지될 수도 있으므로 장기적 안전성도 반드시 결정되어야 합니다.

많은 병원들이 홍보하는 미입증 줄기세포 “치료요법”은 부작용을 모니터링하고 보고하기 위한 엄격한 기준이 확립되어 있지 않으며, 환자의 건강을 모니터링하거나 환자가 미입증 줄기세포 “치료요법” 투여 결과로 원치 않는 부작용을 경험하는지 여부를 판단하기 위한 장기적 계획도 없다는 점을 **잠재적 환자는 유의해야 합니다. 줄기세포 치료요법을 투여 받는 환자들의 면밀한 모니터링과 장기적 추적관찰은 극도로 중요합니다.** 현재와 미래의 환자들에게 신체적, 정신적 및/또는 재정적 위해를 감소시키기 위해서는 이러한 연구들이 필요합니다.

## 2. 승인된 줄기세포 치료요법

### 2.a. 줄기세포 치료요법이 잘 확립되어 있는 질병이나 질환은 어떤 것이 있나요?

승인된 줄기세포 치료요법은 한정되어 있습니다. **골수이식, 또는 조혈모세포이식**으로도 알려져 있는 **조혈줄기세포이식**이 있습니다. 50년이 넘는 동안, 의사들은 환자를 치료하기 위해 질환 상태의 혈액줄기세포를 대체하도록 건강한 혈액줄기세포를 이식해 왔습니다.

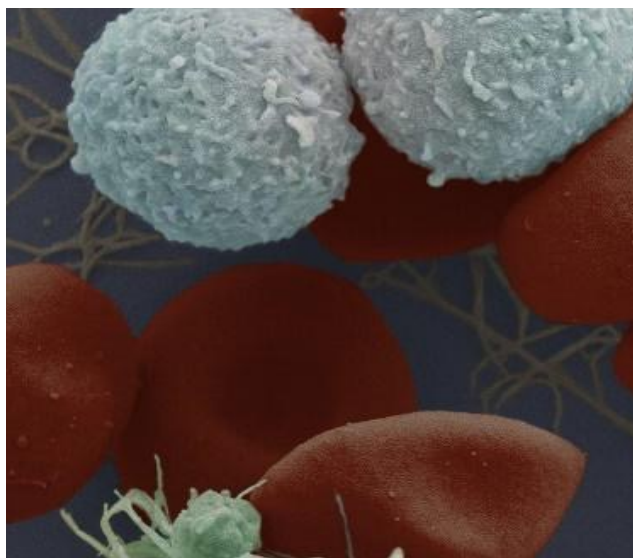


그림 2. 조혈줄기세포는 혈액 및 면역계의 모든 세포를 생성할 수 있습니다. 이 그림의 둥근 흰색 세포는 감염에 맞서 싸우는 데 도움이 되는 면역세포이며, 붉은 세포는 혈색소를 함유하며 신체에 산소를 이송하는 적혈구입니다. [소유권: Anne Weston, Francis Crick Institute, 영국.](#)



### 3. 임상시험에서 임상시험용 줄기세포 요법의 연구

조혈 줄기세포 이식은 혈액 및 면역계 질환, 후천적 골수 기능 소실, 선천적 대사질환이 있는 일부 환자에게 평생 치료를 제공했습니다(그림 2 참조). 추가 정보는 [질병 치료. 과학이 말하는 바](#)를 참조하십시오.

조혈줄기세포는 골수, 순환 혈액 또는 탭줄혈액으로부터 이식용으로 채취할 수 있습니다. 혈액암과 일부 면역질환 치료에 혈액(또는 조혈)줄기세포 이식을 사용하는 것은 잘 확립되어 있으며 효과가 있고 완전히 규제관리를 받고 있습니다. 그러나, 탭줄혈액세포 또는 태반 유래 세포를 이용하여 다양한 다른 질환을 치료한다고 주장하는 미입증 요법을 권하면서, 약자를 이용하는 병원들이 있습니다. 이러한 요법은 효과가 있거나 안전한 것으로 입증된 적이 없습니다. 추가 정보는 [탭줄 혈액 및 질병을 치료하기 위한 그 활용](#)을 참조하십시오.

조직 특이적 줄기세포 또는 피부 및 각막에서 발견되는 세포와 같은 성체 줄기세포들은 또한 조직 이식에서 역할을 하며 장기적 재생에 기여할 수 있습니다. 예를 들어, 유럽에서 유럽의약품청(EMA)이 승인한 줄기세포 치료요법은 각막 손상 후 [시력 보존](#) 을 위해 눈에서 발견되는 줄기세포를 이용합니다.

**현재, 다른 줄기세포 치료요법은 여전히 실험적인 것이며 아직 임상시험을 시작하거나 완료하지 않았으며(질문 3.a. 참조), 임상적 사용을 위해 필요한 승인을 받지도 않았습니다.** 추가적인 줄기세포 치료요법이 완전히 승인되기 전, 반드시 엄격한 과학적 연구를 실시하여 요구되는 결과를 달성하고 환자에게 안전함을 입증해야 합니다.



**그림 3:** 새로운 의학적 치료요법 개발은 여러해에서 수십 년이 걸릴 수도 있습니다. 이 다단계 절차는 인체를 대상으로 임상시험을 실시하기 전에 과학자들이 실험실에서 수행하는 전임상시험으로 시작됩니다.

#### 3.a. 새로운 의학적 치료법 개발을 위해 보통 어떤 절차를 거칩니까?

연구가 임상에 적용되기까지의 과정은 여러해에서 수십 년이 걸릴 수 있는 다단계 절차입니다. 이 절차는 과학자들이 살아있는 생명체가 어떻게 작동하고 질병이나 손상 시 무엇이 잘 못 될 수 있는지를 알아내기 위한 실험을 수행하는 실험실에서 비롯됩니다. 과학자들은 가설(실험을 실시하여 검증할 수 있는 아이디어)을 세우고, 해당 가설이 참인지 거짓인지 여부를 판단하기 위한 시험을 수행하며, 결과를 분석하고, 결론을 내립니다. 이러한 실험들이 중요한 의학적 발견의 토대를 이루며, 실제 사용되는 의학적 치료요법이 되기 위한 핵심이 됩니다. 추가 정보는 [과학은 어떻게 의학이 되는가](#)를 방문하십시오.

새로운 적용이 특정한 질환이나 손상에 작동할 수 있을 것인지를 시험하기 위해 실험실에서 해당 질환의 모델을 대상으로 하는 연구가 이루어집니다(그림 3 참조). 이러한 연구는 배양접시 내에서 증식시킨 사람 세포 또는 사람의 질병과 유사한 관련 질병 또는 손상을 가진 동물을 대상으로 수행할 수 있습니다. 이 연구들을 일컬어 전임상 연구라고 합니다. 전임상 연구는 새로운 실험적 치료요법을 임상시험에서 환자를 대상으로 시험하기 전에 전문가의 검토를 받고, 실험계획과 결과는 동료 전문가 검토가 이루어지는 학술지에 발표하며, 이상적으로는 독립적인 실험실에 의해 재현성이 확인되어야 합니다.

전임상 연구를 통해 임상시험용 요법이 작용하며 안전할 가능성이 높은 것이 입증된 후에, 규제 당국 및 윤리 심사 위원회로부터 사람을 대상으로 임상시험을 수행하기 위한 허가를 구합니다. 이러한 임상시험은 매우 적은 수의 사람을 대상으로 시작합니다.

경우에 따라, 임상시험을 시작하기 전에 극소수의 사람을 대상으로 새로운 실험적 요법을 시험해 보는 경우도 있습니다. 관찰지역에 따라 규제적 구조가 다양하며 이는 임상 시험용 요법을 시험하는 방식에 영향을 미칩니다.

**임상시험**은 새로운 임상시험용 요법이나 승인된 요법을 다른 용도로 사용하는 새로운 방식에 대해 특정한 질문에 답변할 수 있도록 설계된 규제 적용을 받는 연구 시험입니다. 임상시험은 잠재적인 새로운 치료요법이 의도한 의학적 이익성을 신뢰성 있게 생성하며 안전한지 여부를 확립하기 위해 사용됩니다.

임상시험은 실험적 요법 또는 시술의 유효성과 안전성을 대조요법과 공식적으로 비교하는 것입니다. **대조요법**은 기존의 승인된 치료요법이 되거나 대안적 방법이 존재하지 않는 경우 **위약**이 될 수도 있습니다. 이상적으로는 누군가가 임상시험에 참여하면 무작위로 배정되어 시험요법을 받거나 대조요법을 받으며 (**무작위배정 임상시험**이라고 함), 실험적 요법을 투여받는지 대조요법을 투여받는지 여부를 알지 못합니다 (**눈가림 임상시험**이라고 함). 이는 비밀을 감소시키고 의미있는 연구 결과를 얻을 기회를 향상시킵니다.

잘 설계된 임상시험은 한 가지 이상의 결과변수를 사용합니다. 결과변수는 임상시험용 요법이 이익이 되는지 여부를 판단할 수 있도록 객관적으로 측정할 수 있는 결과입니다.



**그림 4:** 임상시험은 실험적 요법의 유효성과 안전성을 대조요법과 공식적으로 비교하는 것입니다. 임상시험에 참여하기로 동의하기 전에, 환자는 믿을 수 있고 자격이 있는 의사 또는 의료 전문가와 논의하여 환자로서 귀하가 가진 권리가 존중받고 있음을 확인해야 합니다.

다. 이러한 결과변수는 임상시험 이전에 결정되며, 유효성과 안전성에 대하여 신뢰할 수 있는 근거를 생성하기 위해 사용됩니다.

유효성, 안전성과 일체의 부작용을 더 잘 알게 되고 투여 방법에 대한 연구 및 검토가 진행됨에 따라 임상시험에 등록되는 환자 수는 점차 증가됩니다.

**임상시험은 잠재적인 새로운 요법이 효과가 있고 안전한지 여부를 결정합니다.**

임상시험 자료가 수집되면, 국가 또는 지역 규제 기관(예: 유럽 의약품청, 미국 식품의약품청, 일본 의약품의료기기종합기구, 호주 의약품청, 한국 식품의약품안전처)은 해당 요법의 효과와 안전성이 공식적으로 입증되었는지 여부와 특정 질환이나 질병에 대한 임상적 사용을 승인해야 할 지 여부를 결정하기 위해 자료를 검토합니다.

추가 정보는 [임상시험에 대하여](#) F를 읽어보시기 바랍니다. 국립보건원(미국)이 작성한 것으로서, 임상시험을 설명하고 기술하는 추가 정보는 [ClinicalTrials.gov](https://ClinicalTrials.gov) 에서 확인할 수 있습니다.



### 3.b. 줄기세포 임상시험에 대해 어떻게 알아볼 수 있습니까?

담당 주치의 또는 의료 전문가에게 귀하의 지역에서 귀하가 가진 특정 질병 또는 질환에 대해 이용 가능한 임상시험이 무엇이 있는지에 대한 조언을 구하시기 바랍니다. 서로 다른 임상시험이 전세계 서로 다른 임상시험 실시기관에서 이용 가능합니다. R임상시험은 참여자의 안전 보장에 도움이 되고 연구자가 연구 질문에 대한 답변이 가능하도록 하기 위해 엄격한 선정 기준이 있다는 점을 기억하십시오. **신뢰할 수 있는 임상시험은 윤리 및 규제 관리감독이 이루어지며, 어떤 것이 수반되는지에 대하여 명확한 세부사항과 시험대상자 동의서를 제공합니다 (질문 3.d 참조).**

등록된 임상시험을 검색할 수 있는 데이터베이스가 있습니다. F예를 들어, 관심이 있는 사람은 미국 국립보건원 (National Institutes of Health)이 후원하는 임상시험 데이터베이스를 [ClinicalTrials.gov](http://ClinicalTrials.gov)에서 검색할 수 있습니다. 그러나, 모든 임상시험이 이 데이터베이스에 포함되어 있는 것이 아니며, 데이터베이스에 포함된 임상시험이라고 해서 규제기관의 승인을 받았거나 진행할 수 있도록 통과한 것을 의미하는 것도 아니라는 점을 명심하는 것이 중요합니다.

**어떤 임상시험이 데이터베이스에 포함되어 있다고 해서 해당 요법이 효과가 있다거나 해당 데이터베이스를 발간하는 기관이나 규제 기관의 승인 또는 감독을 받는다는 것을 의미하지는 않습니다.**

### 3.c. 임상시험을 통해 임상시험용 줄기세포 요법 시도를 고려 중이라면 무엇을 확인해야 할까요?

신뢰할 수 있고 자격이 있는 의사 또는 의료 전문가와 상의하여 해당 요법이 효과가 있고 안전할 가능성이 있음을 의미하는 예비연구가 있는지, 그리고 환자로서 귀하가 가지는 권리가 존중받고 있는지를 확인하시기 바랍니다. 시작하기 위해 다음에 대한 근거를 요청하십시오.

- 전임상연구(질문 3.a. 참조)가 발표되고, 검토되었으며, 해당 분야의 전문가에 의해 재현되었는지.
- 위험이 가능한 한 낮으며 일체의 잠재적인 이익의 가치가 있으며, 귀하의 권리가 보호받고 있음을 보장하기 위해 임상시험심사위원회(IRB) 또는 윤리 검토위원회(ERB)와 같은 독립적인 위원회의 승인을 요법 제공자가 받았는지.
- 이 질환에 대해 어떤 제품으로 안전하게 임상시험을 수행하거나 의료적으로 사용할 수 있도록 요법 제공자가 유럽 의약품청, 미국 식품의약품청, 일본 의약품의료기기종합기구, 호주 의약품청 또는 한국 식품의약품안전처와 같은 국가 또는 지역 규제기관으로부터 승인 또는 통과를 받았는지.
- 시험자가 질문의 대상인 임상시험 또는 임상시험들을 수행하기에 적격인지.

일부 더 소규모 연구는 이러한 수준의 규제적 승인을 필요로 하지 않을 수도 있지만, 반드시 독립적인 심사위원회의 승인을 받고 해당 절차가 실시되는 임상적 및 행정적 지도부의 지지를 받아야 합니다.

임상시험에 참여하기 위해 비용을 지불하는 것이 관례는 아닙니다. 연구 참여자에게 임상시험에 참여하기 위한 비용을 부담시키는 것은 종종 문제가 있는 임상시험이거나 윤리적, 법적, 과학적 결함이 있을 수 있는 연구임을 나타내는 조짐일 수 있습니다. 윤리적으로, 이와 같은 일명 유료(돈을 내야 참여할 수 있는) 임상시험은 해당 요법에 대한 비용 지급 능력이 있는 사람들로 참여를 제한할 뿐만 아니라, 환자들이 위약을 받는 데 비용을 지급하기를 원할 가능성이 낮으므로 대조군이 없을 수 있습니다. 궁극적으로 이러한 문제는 그와 같은 연구 설계로부터 유래될 수 있는 결론을 심하게 제한할 수 있습니다. 이러한 “연구들”은 입증되지 않은 요법에 대해 환자에게 비용을 부과하기 위한 위장술일 수도 있습니다.

**임상시험에 참여하기 위해 비용을 지불하는 것이 관례는 아닙니다.**

### 3.d. 임상시험대상자 동의서 또는 요법 동의서는 무엇입니까?

귀하가 임상시험의 일환으로 임상시험용 줄기세포 요법을 권유받거나 임상시험이 아닌 상황에서 입증되지 않은 줄기세포 “치료요법”을 권유받는 경우, 귀하는 **시험대상자 동의서** 또는 요법 동의서를 받아야 합니다. 이 문서는 환자로서 귀하의 역할과 임상시험용 또는 미입증 요법의 실시가 미칠 수 있는 영향에 대한 개요를 설명합니다. 동의서는 귀하가 쉽게 이해할 수 있는 언어로 해당 요법이나 시술에 대하여 명확하고 상세한 설명을 제공해야 합니다. 동의서는 귀하가 가진 치료적 선택지, 위험 및 잠재적 이익, 귀하 및 연구진의 책임을 설명해야 합니다.

귀하는 어떤 임상시험용 줄기세포 요법이나 시술에 대해서도 동의서를 받아야 합니다. 동의서는 해당 요법이 가진 실험적 특성을 강조해야 하며, 관련된 구체적 위험에 대한 개요를 설명해야 합니다.

동의서는 귀하가 해당 요법이나 시술을 진행하고 싶은지 여부를 결정하기 위해 필요한 정보를 얻기에 좋은 방법입니다. 귀하의 의료 서비스 제공자와 허심탄회한 대화를 가지

고 반드시 귀하가 가진 모든 질문에 대한 답변을 들을 것이 권장됩니다 (그림 5 참조). 귀하가 동의서를 읽고 이해했으며 의료 서비스 제공자와 의미있는 논의를 통해 귀하의 질문이 답변되었다면, 귀하(또는 귀하의 대리인)과 해당 정보를 제공한 사람이 동의서에 서명해야 합니다. 귀하는 이 동의서의 사본을 받아야 합니다.

시험대상자 동의서 또는 요법 동의서에는 다음 질문에 대한 답변이 포함되어 있어야 합니다.

- 이 임상시험에 참여하는 것은 현행 표준치료를 받는 것과 어떻게릅니까?
- 시험 대상이 되는 임상시험용 요법 또는 시술은 어떤 것입니까?
- 시험 중인 연구 질문은 무엇이며 이 연구를 수행하는 이유는 무엇입니까?
- 임상시험용 요법의 위험은 무엇입니까?
- 다른 요법 (위약 또는 대안적 치료)을 받을 확률은 어떻게 됩니까?
- 해당 임상시험은 [무작위배정 시험](#)입니까?
- 임상시험은 얼마나 오래 걸립니까?



그림 5: 임상시험에 참여하거나 임상시험이 아닌 상황에서 미입증 “치료요법”을 투여받기 전에 귀하는 동의서를 제공받아야 합니다. 이 동의서는 귀하가 쉽게 이해할 수 있는 언어로 되어 있어야 하며, 귀하가 해당 요법을 진행하기를 원하는지 여부를 결정하기 위해 필요한 정보를 제공해야 합니다.

- 요법을 받기 전, 받는 동안, 받은 후 임상시험에 무엇이 수반됩니까(채혈과 같은 절차를 포함)?
- 참여자로서 귀하의 권리와 책임은 무엇입니까?
- 귀하의 연구/의료 자료를 누가 볼 수 있습니까? 정보의 기밀유지에 대해 귀하가 가진 권리는 무엇입니까? 자료는 어떻게 얼마나 오래 보관되며, 귀하와는 어떤 자료가 공유됩니까?
- 귀하의 해당 임상시험 참여 지속에 대한 결정에 영향을 줄 수 있는 일체의 새로운 정보가 있는 경우 귀하에게 알려줄 것입니까?
- 귀하의 임상시험 참여가 중단될 수 있는 상황에는 어떤 것이 있습니까?
- 해당 임상시험은 누가 수행합니까?
- 임상시험의 시험책임자와 같은 담당자의 연락처 상세 정보와 환자의 권리를 보호하는 독립 조직의 연락처 상세 정보는 어떻게 됩니까?
- 얼마나 많은 참여자가 임상시험에 참여합니까?
- 해당 임상시험 참여와 관련하여 어떤 것이라도 비용이 드는 것이 있습니까?
- 임상시험 참여자가 임상시험 참여와 관련된 비용을 보상받거나 비용을 되돌려 받는 상황이 있습니까?
- 의학적 이상사례가 발생하는 경우 의료 비용은 누가 부담합니까?

동의서에는 중단으로 초래되는 영향 없이 언제든지 참여를 중단할 수 있는 귀하의 권리, 그리고 일체의 관련 이해충돌에 대한 공개가 명확히 명시되어 있어야 합니다. 동의서에는 시험자, 시험기관, 의뢰자, 또는 그 대리인에 대하여 과실 책임을 면제하는 문구가 포함되어 있어서는 **안** 됩니다.



그림 6 귀하가 믿을 수 있는 의료 서비스 제공자와 의미있는 대화를 나누고 귀하가 가진 모든 질문에 대해 반드시 만족할 만큼의 답변을 듣는 것이 중요합니다.

### 3.e. 임상시험에 참여를 고려할 때 무엇을 물어보아야 합니까?

귀하는 권유 대상 요법에 대하여 많은 질문을 해야 하고, 정확하고 신뢰할 수 있는 답변을 제공할 수 있는 의료 서비스 제공자로서 관련 자격요건, 인증, 전문성을 보유한, 믿을 수 있는 다른 전문가에게도 의견을 구해야 합니다. **귀하는 서둘러 결정을 내려서는 안 됩니다. 반드시 전체 요법 계획과 일체의 관련 위험을 이해해야 합니다.**

관련된 의사는 귀하의 질병에 대한 전문가여야 하며, 대안적 치료 선택지를 설명해야 하고, 귀하의 질문 중 많은 부분을 다루고 있어야 하는 시험대상자 동의서 또는 요법 동의서([질문 3.d 참조](#))를 제공해야 합니다.



다음은 임상시험 참여 고려 시 물어볼 수 있는 권고 질문입니다.

### 대상 요법

- 이 특정 질병이나 질환에 대한 통상적인 치료법이 있습니까?
- 해당 요법이 정식 임상시험의 일환입니까?
- 나의 질병이나 질환에 대한 대안적 치료 선택지는 무엇이 있습니까?
- 이 요법을 받는 경우, 향후 다른 임상시험 참여에 영향을 미치거나 다른 잠재적 치료법을 받지 못하게 될 수 있습니까?
- 제가 기대할 수 있는 가능한 이익은 무엇입니까? 그 이익은 어떻게 측정하며 그러한 측정은 얼마나 시간이 소요됩니까?
- 이 임상시험 참여의 결과로 본인이 개인적인 이익을 경험할 가능성이 높습니까 아니면 나의 참여가 본인보다는 향후 환자에게 이익을 줄 가능성이 더 높습니까?
- 나에게 필요할 수 있는 다른 약물 또는 특별한 치료는 무엇이 있습니까?
- 이 줄기세포 요법 또는 시술은 어떻게 이루어집니까?
- 이 줄기세포의 출처는 어떻게 됩니까?
- 줄기세포는 어떻게 식별, 분리, 증식한 것입니까?
- 해당 세포는 요법 전에 분화된 세포로 분화시킨 것입니까?
- 해당 세포는 어떻게 체내 정확한 부위로 전달됩니까?
- 해당 세포가 본인에게서 유래한 것이 아니라면, 이식된 세포에 대해 나의 면역계가 반응하는 것은 어떻게 방지합니까?
- 참여 여부를 결정하기 전에 알아야 하는 임상시험 참여에 따른 일체의 혜택이 있습니까?

- 참여 여부를 결정하기 전에 알아야 하는 임상시험 참여에 수반되는 일체의 불이익이 있습니까?

### 과학적 근거와 감독

- 이 줄기세포 요법 또는 시술이 나의 질병 또는 질환을 치료할 수 있다는 과학적 근거는 무엇입니까? 그 근거는 어디에 출판되었습니까? 해당 학술지는 신뢰할 수 있는 것입니까? 연구 결과는 믿을 만합니까?
- 이전 임상시험이 있었습니까? 그 임상시험에서 알게 된 것은 무엇이었습니까?
- 해당 요법 계획에 대해 어떤 것이든 독립적 감독(예: 임상시험심사위원회)이 있습니까? 독립적인 조언을 줄 수 있는 복수의 자격있는 과학자 및 임상 명단을 제공할 수 있습니까?
- 해당 요법을 실시하는 병원과 세포의 가공이 이루어지는 시설에 대해 일체의 독립적 감독이나 인증이 있습니까? 이 인증이나 감독이 유의미한 것입니까? 그러한 인증이 이 시험기관이나 고려 중인 요법의 신뢰성에 대해 시사하는 바가 있습니까?
- 이 요법은 이 특정 질병 또는 질환에 대해 유럽 의약품청, 미국 식품의약품청, 일본 의약품의료기기 종합기구, 호주 의료제품청 또는 한국 식품의약품안전처와 같은 국가 또는 지역 규제기관으로부터 승인을 받은 것입니까?

### 안전 및 응급상황

- 즉각적인 경우와 장기적인 경우 모두에 대하여 요법 자체가 가진 위험 및 부작용은 무엇입니까?
- 해당 임상시험 참여로 인해 본인에게 발생할 수 있는 일체의 다른 위험이 있습니까?
- 이상반응(나쁜 부작용)이 발생하는 경우 어떤 조치가 취해집니까? 응급 상황 또는 임상시험 관련 손상이 있는 경우 누구에게 연락합니까? 응급 의료 서비스는 누가 제공합니까? 응급 상황에 병원 관계자와 연락이 되지 않는 경우 어떻게 합니까?

- 병원은 중대한 알레르기 반응과 같은 응급 상황을 처리할 수 있는 준비가 적절히 되어 있습니까?
- 본인이 더 이상 병원을 다니지 않는 상황에서 중대한 부작용을 경험할 때에는 어떻게 됩니까?
- 이 임상시험에 참여한 후 병원은 저와 연락을 지속하고, 잠재적으로 몇 개월 또는 심지어 몇 년에 걸친 기간이 될 수 있는 연장 기간 동안 추적관찰을 제공합니까?
- 어떤 추적 치료를 얼마나 받게 됩니까? 저는 무엇을 해야 합니까?
- 해당 요법을 담당하는 선생님은 누구입니까? 해당 선생님은 어떤 전문과의 수련을 받았습니까? 다른 의사 선생님들과 보조인력들은 어떤 수련을 받았습니까?
- 의학적 응급상황을 겪고 뒤이어 추가적인 의학적 치료가 필요한 경우 치료비용은 누가 부담합니까?

### 환자의 권리

- 참여자로서 본인의 권리는 무엇입니까? 예를 들어, 정보의 기밀유지의 측면, 발생할 수 있는 새로운 정보에 대한 알리를 받을 권리, 그리고 요법을 받는 절차를 중단할 수 있는 권리가 있습니까?
- 제 건강 자료는 누가 열람할 수 있으며 저는 제 자신의 건강 자료를 얼마나 자주 열람할 수 있습니까?
- 이 임상시험에 참여한 결과로 손상을 입게된 경우 어떤 보상을 받을 수 있습니까?
- 손상을 입은 경우, 그러한 손상이 제가 임상시험에 참여했기 때문에 발생하였는지 여부를 연구자가 이해할까요 아니면 해당 손상이 이 임상시험 참여로 초래되었다는 것을 증명해야 하는 부담이 제게 있는 것일까요?

### 비용

- 제가 참여할 경우 제가 부담해야 하는 일체의 비용이 있습니까? 만약 있다면 어떤 것이 포함됩니까? 어떤 다른 비용 부담이 제게 발생하게 됩니까? 참고로, 임상시험에 참여하기 위해 비용을 지급하는 것은 관행이 아니며(발생할 수 있는 교통비 및 기타 개인 비용 이외), 사실상 임상시험에 참여하기 위한 비용을 연구 참여자에게 청구하는 것은 문제의 소지가 있는 임상시험이거나 윤리적, 법적 또는 과학적 결함이 있을 수 있는 연구에 대한 “적신호”인 경우가 흔합니다.
- 무언가가 잘못되는 경우 응급 치료 비용은 어떻게 됩니까? **응급 치료는 누가 제공하며 이에 대한 비용은 누가 부담합니까?** 요법을 받기 위해 여행하거나 요법을 받기로 동의하기 전에, 귀하의 여행 보험, 건강보험사 또는 국가건강보험프로그램이 보장하는 비용과 그러한 비용이 보장되는 상황 및 국가에 대해 확인하십시오.
- **장기적 장애를 초래하는 중대한 부작용이 발생하는 경우 어떻게 됩니까? 관련 비용 부담에 대한 책임은 누구에게 있습니까?**
- 소송을 해야 하거나 소송을 통한 구제를 청구해야 하는 경우, 법무 관련 비용은 누가 부담합니까?

## 4. 미입증 줄기세포 “치료요법”

### 4.a. 미입증 줄기세포 “치료요법”이란 무엇인가요?

미입증 치료요법은 새롭거나, 연구되지 않았거나, 표준 의료 요법과는 다른 실험적 요법으로, 적절한 규제 절차를 거치지 않은 것입니다. 이는 적절한 규제 감독이 수반되는 임상시험에서 연구 중인 임상시험용 요법과 상반되며, 정식 규제 적용을 받는 임상시험 절차(질문 3.a 참조)를 통해 특정한 질병이나 질환의 치료에 합당하게 효과가 있고 안전한 것으로 입증된 승인받은 줄기세포요법과도 상반되는 것입니다.

어떤 요법이 실험적이라는 사실이 임상연구 또는 임상시험의 일부라는 것을 자동으로 의미하는 것은 아닙니다.

**현재 많은 줄기세포 병원 또는 제공자가 적절한 과학적 뒷받침이 없으며, 특정한 질환을 치료하거나 안전함이 입증된 적 없는 미입증 줄기세포 “치료요법”을 홍보 및 투여 중이라는 점을 환자들이 알고 있어야 합니다.** 환자와 가족이 미입증 줄기세포 “치료요법”과 근거없는 주장을 확인하는데 도움이 되는 자료는 [미입증 줄기세포 “치료요법”에 대해 알아야 하는 것](#)에서 찾을 수 있습니다.

### 4.b. 미입증 줄기세포 “치료요법”을 고려 중이라면 무엇을 주의해야 할까요?

연구가 진행 중이더라도, 대부분의 줄기세포 요법은 실험적이며 효과나 안전성이 입증되지 않았습니다. 규제적 적용을 받는 임상시험의 범위를 벗어나 미입증 줄기세포 “치료요법”을 고려 중이라면 해당 요법에 대한 상세한 설명, 그를 뒷받침하는 과학적 근거, 예상되는 결과와 위험을 포함하여 귀하가 알아보아야 하는 특정한 정보가 있습니다.

미입증 줄기세포 “치료요법”을 홍보하는 회사가 가지는 여러 주요 경고 징후로는 다음과 같은 것들이 있습니다.

**⚠ 환자의 체험기에 근거한 주장.** 적절히 통제된 임상시험보다 환자의 경험에 의존하는 병원은 경계하십시오. 치료에 대한 환자의 반응은 환자가 줄기세포 요법을 받았는지 여부를 알지 못하는 [눈가림 시험](#)으로 평가하는 것이 중요합니다. 환자들은 때때로 요법을 받은 후 해당 요법 자체의 결과가 아닐 수 있는 인지된 유익성을 관찰할 수도 있습니다. 환자들은 또한 해당 요법과 무관한 유익성을 경험할 수도 있습니다. **주의깊게 평가된 임상연구가 아니라면, 해당 요법의 효과와 환자에게 예상되는 바를 판단하기는 어렵습니다.**

**⚠ 동일한 세포로 여러가지 질환을 치료하는 경우.** 줄기세포 요법은 “만병통치약”이 아닙니다. 파킨슨병과 심장질환처럼 서로 다른 질환은 각 질환에 적절한 서로 다른 세포 유형과 그에 따른 서로 다른 줄기세포 요법으로 치료하는 것이 예상됩니다. 또한, 귀하의 질병이나 질환에 전문인 의사에게서 요법을 받아야 합니다.



**!** 세포의 기원이나 요법을 실시하는 방법이 명확히 문서화되어 있지 않는 경우. 이 정보는 시험대상자 동의서 또는 요법 동의서 ([질문 3.d 참조](#))에 명확히 설명되어 있어야 합니다. 또한, 의료 시술자를 대상으로 요법에 대하여 상세한 설명을 제공하는 임상시험계획서(요법의 실시매뉴얼이라고 생각할 수 있음)가 있어야 합니다. 귀하에게 자동으로 제공되지는 않을 수 있지만, 귀하는 임상시험계획서를 요구할 수 있어야 합니다. 임상시험 또는 실험적 요법의 경우, 임상시험계획서는 독립적인 전문가에 의해 과학적 가치에 대한 검토를 받았어야 하고 윤리위원회에 의해 참여자의 권리와 복지가 존중되도록 보장하기 위한 승인을 받았어야 합니다. 줄기세포 요법을 고려 중일 때, 이 임상시험계획서는 누가 승인했으며 그러한 승인은 언제 만료가 되는지를 물어보십시오.

**!** 위험이 없다고 하는 주장. 치료에는 항상 위험이 수반됩니다. 발생할 수 있는 위험에 대한 정보는 전임상 또는 임상 연구를 통해 확보되어야 합니다.

**!** 요법에 대한 높은 비용 또는 숨은 비용. 누군가가 임상시험에 참여하기 위해 비용을 지불하는 것이 관례는 아닙니다. 해당 “치료요법”에 어떤 비용이 수반되는지를 고려하십시오. “치료요법” 투여를 위한 비용 외에, 무언가가 잘못될 경우(특히 해외에 있는 경우) 응급 의료 처치 비용과 같은 추가 비용에 대해 물어보십시오. 귀하의 국가의료보험 프로그램 또는 건강보험사에서 보장하는 비용과 그러한 비용이 보장되는 상황 및 국가에 대해 확인하십시오.

**!** 귀하나 귀하의 자녀의 줄기세포를 미래 치료적 사용을 위해 बैं킹(보관)할 수 있다고 장담하는 경우. 몇몇 합법적인 보관 세포 사용이 있기는 하지만, 보관된 세포 유형과 무관한 광범위한 질환에 대하여 입증되지 않은 향후 사용을 목적으로 줄기세포 치료요법에 대한 거짓 약속을 하고 여러 해 또는 심지어 수십 년 동안의 줄기세포 보관을 홍보하는 비양심적인 줄기세포 병원과 혈액/조직 보관소들이 있다는 점을 아셔야 합니다. 귀하와 귀하의 가족은 잠재적인 미래의 “치료요법”용으로 무기한 세포를 보관하는 것은 많은 비용이 들 수 있으며, 해당 세포가 사용이 가능한지 또는

홍보하는 미래의 치료요법이 안전하고 효과가 있는 것으로 확인될지에 대한 보장은 없다는 점을 아셔야 합니다. 추가 정보는 [개인 용도로 줄기세포를 보관해야 할까](#)를 참조하시기 바랍니다.

**!** 규제적 승인이 필요 없다고 주장하는 경우. 많은 관할권에서, 특정한 수준으로 세포가 조작되는 경우(예를 들어, 호주 의료제품청의 [최소 조작](#), 정의) 또는 해당 세포가 정상적으로 기능하는 방식과 다른 방식으로 사용되는 경우(예를 들어, 호주 의료제품청의 [동종 목적의 사용에 대한 정의](#))에는 규제적 감독이 요구됩니다. 이러한 경우, 동일한 환자에게서 세포를 채취하여 투여하는 경우라 하더라도 줄기세포 요법은 규제 감독이 요구됩니다.

#### 4.c. 미입증 줄기세포 “치료요법”을 고려하기 전에 무엇을 주의해야 할까요?

귀하는 권유를 받고 있는 미입증 줄기세포 “치료요법”에 대해 많은 질문을 해야 하고, 줄기세포와 임상연구에 대해 충분한 지식이 있으며 믿을 수 있고 자격이 있는 의사 또는 의료 전문가로부터 추가 의견을 구해야 합니다. 귀하는 결정을 내리는 데 있어 서두르거나 금전적 유혹을 받아서는 안 됩니다. 반드시 전체 요법 계획과 일체의 잠재적인 관련 위험을 이해해야 합니다.

관련된 의사는 귀하의 질병이나 질환에 대한 전문가여야 하며, 대안적 치료 선택지를 설명해야 하고, 안전하거나 효과가 있는 것으로 입증되지 않은 절차를 받음으로써 발생할 수 있는 모든 위험을 논의해야 합니다. 귀하의 질문 중 많은 부분을 다루고 있어야 하는 시험대상자 동의서 또는 요법 동의서([질문 3.d 참조](#))를 제공받아야 합니다.

임상시험의 일환이 아니라 하더라도, 일체의 미입증 줄기세포 “치료요법”에 대한 동의서를 받아야 합니다. 동의서는 해당 요법이 가진 입증되지 않은 특성을 강조해야 하며, 해당 줄기세포 요법과 관련된 구체적 위험에 대한 개요를 설명해야 합니다. 이 동의서에는 귀하(또는 귀하의 대리인)과 정보를 제공한 사람이 서명해야 합니다. 귀하는 이 동의서의 사본을 받아야 합니다.

다음은 미입증 줄기세포 “치료요법” 고려 시 물어보아야 하는 것으로 권고되는 질문입니다.

### 대상 “치료요법”

- 이 특정 질병이나 질환에 대한 통상적인 치료법이 있습니까?
- 나의 질병이나 질환에 대한 대안적 치료 선택지는 무엇이 있습니까?
- 이 요법을 받는 경우, 임상시험 참여에 영향을 미치거나 다른 잠재적 치료법을 받지 못하게 될 수 있습니까?
- 예상 가능한 이익은 무엇입니까? 그 이익은 어떻게 측정하며 그러한 측정은 얼마나 시간이 소요 됩니까?
- 나에게 필요할 수 있는 다른 약물 또는 특별한 치료는 무엇이 있습니까?
- 이 요법은 나의 장기적 치료 계획에 어떻게 맞추어 들어갑니까?
- 이 줄기세포 “치료요법”은 어떻게 이루어집니까?
- 이 줄기세포의 출처는 어떻게 됩니까?
- 줄기세포는 어떻게 식별, 분리, 증식한 것입니까?
- 해당 세포는 “치료요법” 전에 분화된 세포로 분화 시킨 것입니까?
- 해당 세포는 어떻게 체내 정확한 부위로 전달됩니까?
- 해당 세포가 본인에게서 유래한 것이 아니라면, 이식된 세포에 대해 나의 면역계가 반응하는 것은 어떻게 방지합니까?

### 과학적 근거와 감독

- 이 “치료요법”을 사용한 예비 시험으로부터 얻은 현재의 과학적 근거는 무엇입니까? 이 병원에서 이 제품 자체에 대한 전임상연구 또는 임상시험을 수행했습니까? 그 연구 결과는 어떠했습니까? 그러한 연구가 수행되지 않았다면 그 이유는 무엇입니까?
- 해당 요법 계획에 대한 일체의 독립적 감독이 이루어집니까? 독립적인 조언을 줄 수 있는 복수의 과학자 및 임상의 명단을 제공할 수 있습니까?
- 해당 요법을 실시하는 병원과 세포의 가공이 이루어지는 시설에 대해 일체의 독립적 감독이나 인증이 있습니까? 그렇다면, 이러한 감독이나 인 증은 신뢰할 수 있는 것입니까? 어떤든 나의 건강과 건강관리에 대한 결정을 내릴 때 이에 의지해야 합니까?
- 유럽 의약품청, 미국 식품의약품청, 일본 의약품의 료기기종합기구, 호주 의료제품청 또는 한국 식품 의약품안전처와 같은 국가 또는 지역 규제기관으 로부터 승인을 받은 것입니까?

### 안전 및 응급상황

- 즉각적인 경우와 장기적인 경우 모두에 대하여 해당 절차 자체가 가진 위험 및 부작용은 무엇입니 까?
- 이상반응(나쁜 부작용)이 발생하는 경우 어떤 조 치가 취해집니까? 응급 상황 또는 요법 관련 손상이 있는 경우 연락해야 할 사람은 누구입니까? 응 급 의료 서비스는 누가 제공합니까? 응급 상황에 병원 관계자와 연락이 되지 않는 경우 어떻게 합니까?
- 병원은 중대한 알레르기 반응과 같은 응급 상황을 처리할 수 있는 준비가 적절히 되어 있습니까?
- 어떤 추적 치료를 얼마나 받게 됩니까? 저는 무엇을 해야 합니까?
- 해당 요법을 담당하는 선생님은 누구입니까? 해당 선생님은 어떤 전문과의 수련을 받았습니까? 다른 의사 선생님들과 보조인력들은 어떤 수련을 받았습니까?

## 환자의 권리

- 예를 들어, 정보의 기밀유지의 측면, 발생할 수 있는 새로운 정보에 대한 알리를 받을 권리, 그리고 요법을 받는 절차를 중단할 수 있는 권리와 같이, 참여자로서의 제 가 가진 권리는 무엇입니까?
- 이 요법을 투여받은 결과로 손상을 입게된 경우 어떤 보상을 받을 수 있습니까? 이 보상을 받으려면 무엇을 해야 합니까? 법정으로 가져가서 소송을 제기해야 합니까?

## 비용

- 요법에 대한 일체의 비용이 있습니까? 만약 있다면 어떤 것이 포함됩니까? 어떤 다른 비용 부담이 제게 발생하게 됩니까?
- 무언가가 잘못되는 경우 응급 치료 비용은 어떻게 됩니까?
- 응급 치료는 누가 제공하며 이에 대한 비용은 누가 부담합니까?
- 장기적 장애를 초래하는 중대한 부작용이 발생하는 경우 어떻게 됩니까? 관련 비용 부담에 대한 책임은 누구에게 있습니까?
- 소송을 해야 하거나 소송을 통한 구제를 청구해야 하는 경우, 법무 관련 비용은 누가 부담합니까?
- 요법을 받기 위해 여행하거나 요법을 받기로 동의하기 전에, 귀하의 여행 보험, 건강보험사 또는 국가건강보험프로그램이 보장하는 비용과 그러한 비용이 보장되는 상황 및 국가에 대해 확인하십시오.
- 예상치 못하고 원치 않는 의료비 청구를 받지 않기 위해 제 보험회사 또는 건강보험에 어떻게 사전승인을 받을 수 있습니까?

## 4.d. 다른 사람의 의견을 받아보아야 합니까?

권고를 받고 있는 “치료요법”에 대해 많은 질문을 하고 자격이 있는 독자적인 의사로부터 추가 의견을 구하는 것이 권장됩니다. 귀하의 담당 의사는 추가 의견을 구하는 과정에 협조적이고 도움을 주어야 합니다. 일차의료 의사는 환자가 자신의 치료에 대해 더 많은 정보에 기반한 결정을 내릴 수 있도록 도움을 주는 전문가와의 접촉을 용이하게 해야 합니다. 추가 의견을 구하는 대상에게 의무기록, 연구계획서, 요법 실시계획서, 동의서 문서를 제공해야 합니다.

추가 정보는, [줄기세포에](#) 대한 추가정보를 참조하십시오.



## 용어 목록

용어	정의
승인된 줄기세포 치료요법	유효성과 안전성에 대하여 설득력 있는 근거로 뒷받침되며, 적절한 규제 기관의 승인을 받고, 전세계 의학계에 널리 인정을 받는 요법. 현 시점에서, 다양한 혈액암과 선별적인 면역질환 이외에, 줄기세포 기반 요법이 효과가 있으며 안전한 요법으로 확립된 대상 질병은 매우 드뭅니다.
눈가림 임상시험	참여자는 자신이 평가 대상인 요법을 받는지, 대조요법을 받는지, 아니면 위약을 받는지 알지 못합니다.
혈액줄기세포이식/골수이식	골수, 혈액줄기세포이식 또는 조혈줄기세포이식은 효과가 있으며 안전한 것으로 입증된 유일한 줄기세포요법 중 하나입니다. 혈액줄기세포이식을 통해 건강한 혈액 줄기세포가 병에 걸린 혈액세포를 대체할 수 있으며, 잠재적으로 모든 향후 혈액 및 면역세포를 생성하고 환자를 치료할 수 있습니다. 혈액줄기세포이식은 혈액질환 (예: 암 또는 적혈구질환), 골수기능장애 질환, 그리고 면역세포 결손 또는 기능장애로 초래되는 특정 질환 치료에 가장 흔히 사용됩니다. 선천성 대사질환(체내 물질 분해 기능장애) 또한 이식으로 치료할 수 있습니다.
임상시험	새로운 요법 또는 현행 요법의 새로운 사용 방식에 대해 잠재적 요법이 효과가 있고 안전한지 여부를 알아보기 위한 구체적 질문에 답변을 얻을 수 있도록 설계된 연구 시험.

용어	정의
줄기세포	분열하여 자신과 같은 세포를 더 만들 수 있는 능력과 피부, 근육 또는 혈액세포와 같은 분화된 세포를 생성할 수 있는 능력의 두 가지 특성으로 정의되는 체내 고유한 세포.
만능줄기세포(PSC)	체내 모든 유형의 세포로 분화할 수 있는 줄기세포. PSC에는 배아줄기세포와 유도만능줄기세포가 포함됩니다.
시험대상자 동의서 또는 요법 동의서	실험적 요법을 투여받는 데 있어 환자로서 역할과 임상시험용 또는 미입증 요법의 실시가 미칠 수 있는 영향에 대한 개요를 설명하는 문서. 이 문서에는 해당 요법 또는 절차에 대한 명확하고 상세한 설명을 쉬운 문구로 제공해야 하며, 환자가 가진 치료 선택지, 환자의 권리 및 책임, 그리고 위험을 설명해야 합니다.
임상시험용 요법/임상시험용 절차	임상시험에서 시험 중이지만 효과가 있으며 안전한 것으로 승인을 받지 않은 줄기세포요법을 종종 지칭하는 용어. 정식 승인을 받기 전까지, 임상시험에서 시험 중인 줄기세포 요법은 임상시험용으로 간주됩니다. 줄기세포 요법을 임상시험에서 시험하는 것은 해당 요법이 승인받아 확립된 요법이 될 것임을 보장하는 것은 아님을 이해하는 것이 중요합니다.
위약	어떤 요법이 요법을 전혀 투여하지 않는 것보다 더 효과가 있는지 여부를 연구자가 판단하는 것을 돕기 위해 대조물로 사용되는 활성이 없는 요법.
무작위배정 임상시험	참여자는 비뚤림을 줄이기 위해 서로 다른 중재법을 받도록 무작위로 배정됩니다.
미입증 줄기세포 “치료요법”	정식 또는 규제 적용을 받는 임상시험을 통해 시험을 실시한 적이 없으며 효과가 있거나 안전한 것으로 확인되지 않은 요법. 미입증 줄기세포 “치료요법”은 현재 허용되는 윤리적 기준을 벗어나서 운영 중인 전세계 줄기세포 병원 및 공급업자들에 의해 홍보 및 투여가 되고 있습니다. 미입증 “치료요법”의 투여는 신체적, 정신적 및/또는 재정적 위해를 초래할 수 있습니다.

To view full stem cell glossary, visit <https://www.aboutstemcells.org/info/glossary>.

### ISSCR 참고자료

미입증 줄기세포 “치료요법”에 대해 알아야 하는 것:  
<https://www.closerlookatstemcells.org/patient-resources/truth-about-stem-cell-treatments/>

기증 및 보관 줄기세포의 임상적 적용:  
<https://www.closerlookatstemcells.org/the-clinical-applications-of-donating-and-banking-stem-cells/>

탯줄혈액 및 질병 치료에 사용: <https://www.closerlookatstemcells.org/cord-blood-just-the-facts/>

임상시험에 대하여:  
<https://www.closerlookatstemcells.org/from-lab-to-you/about-clinical-trials/>

줄기세포의 유형:  
<https://www.closerlookatstemcells.org/learn-about-stem-cells/types-of-stem-cells/>

과학적 연구의 전환:  
<https://www.closerlookatstemcells.org/transforming-scientific-research/>

과학은 어떻게 의학이 되는가:  
<https://www.closerlookatstemcells.org/from-lab-to-you/how-science-becomes-medicine>

### 임상시험 참고자료

임상시험 참고자료:  
<https://www.clinicaltrials.gov/>

눈가림 임상시험: <https://training.seer.cancer.gov/treatment/other/trial.html>

임상시험 무작위배정: <https://www.cancer.gov/about-cancer/treatment/clinical-trials/what-are-trials/randomization/clinical-trial-randomization-infographic>

임상시험이 작동하는 방식: <https://www.australianclinicaltrials.gov.au/what-clinical-trial/how-clinical-trials-work>

위약은 무엇이고 임상시험에 위약을 사용하는 이유:  
<https://health.ucdavis.edu/ctsc/area/clinicaltrials/documents/What-is-a-Placebo.pdf>

임상시험에 등록 시 알아야 하는 공통 용어 <https://jcto.weill.cornell.edu/patients/clinical-trials-common-terms-to-know>

### 추가 참고자료

최소조작 및 동종목적 사용의 해석:  
AU: <https://www.tga.gov.au/method-preparation-interpretation-minimal-manipulation>

EMA: [https://www.ema.europa.eu/en/documents/presentation/presentation-cats-views-classification-atmps-homologous-use-nicolas-ferry\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/presentation/presentation-cats-views-classification-atmps-homologous-use-nicolas-ferry_en.pdf)

FDA: <https://www.fda.gov/media/109176/download>

유럽이 최초 줄기세포 기반 제품인 Holoclar®를 승인함:  
<https://www.eurostemcell.org/story/europe-ap-proves-holoclar-first-stem-cell-based-medicinal-product>

미입증 요법이란 무엇입니까?:  
<https://www.eurogct.org/what-are-unproven-therapies>

---

## 도움주신 분들

**Clare Blackburn, PhD**, Institute for Regeneration and Repair & Institute for Stem Cell Research, University of Edinburgh, UK

**Anna Couturier, PhD**, EuroGCT, University of Edinburgh, UK

**Kym Kilbourne**, International Society for Stem Cell Research, USA

**Jack Mosher, PhD**, International Society for Stem Cell Research, USA

**Megan Munsie, PhD**, University of Melbourne and Murdoch Children's Research Institute, Australia

**Julie Perlin, PhD**, Ten Bridge Communications, USA

**Kendra Prutton, PhD**, International Society for Stem Cell Research, USA

**Leigh Turner, PhD**, University of California, Irvine, USA