

NECA - 협력연구

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

2012. 12. 31

연구 경과

연구 시작일

2012년 5월 1일

연구 종료일

2012년 12월 31일

연구기획관리위원회 심의일

2013년 1월 4일

보고서 최종 수정일

2013년 3월 26일

주 의

1. 이 보고서는 한국보건 의료연구원에서 수행한 연구사업의 결과보고서입니다.
2. 이 보고서 내용을 인용할 때에는 반드시 한국보건 의료연구원에서 시행한 연구사업의 결과임을 밝혀야 합니다.

연구진

연구책임자

김수영

한림대학교 의과대학 가정의학과, 교수

참여연구원

박종연

한국보건의료연구원 연구기획단, 연구위원

이상무

한국보건의료연구원 연구위원(前)

서혜선

연세대학교 약학대학, 연구교수

이동호

한국보건의료연구원 의료기술분석실, 주임연구원

오성희

한국보건의료연구원 의료기술분석실, 연구사

강혜미

한국보건의료연구원 의료기술분석실, 연구관리사

목 차

Executive Summary	i
요약문	xii
<hr/>	
1. 비교효과연구의 개념과 배경	1
1.1 비교효과연구의 개념: Old concept, New term	2
1.2 비교효과연구의 사회적 필요성 대두	3
<hr/>	
2. 미국과 유럽의 비교효과연구의 역사적 배경과 추진전략	7
2.1 배경 및 목적	8
2.2 국외 비교효과연구의 역사적 배경과 추진전략	8
2.2.1 미국	8
2.2.1.1 역사적 맥락	8
2.2.1.2 전략(Strategic framework)	9
2.2.1.3 조직	12
2.2.1.4 자원	18
2.2.1.5 사업수행절차	19
2.2.1.6 주요사업	20
2.2.1.7 영향(Impact)	23
2.2.1.8 추후 전망 및 우리나라에서의 정책적 함의	25
2.2.2 유럽의 상대적 효과평가	26
2.2.2.1 추진과정	26
2.2.2.2 관련조직	29
2.2.2.3 상대적 효과평가 전문가 소위원회의 활동	31
2.2.2.4 EUnetHTA Joint Action 1 2010-2012	35
2.2.2.5 상대적 효과평가의 정책적 활용	39
2.2.2.6 우리나라에서의 정책적 함의	43
2.2.3 국가별 비교	44

2.2.3.1 유럽과 미국의 비교효과연구 개념의 비교	44
2.2.3.2 주요국 비교효과연구 관련 기구의 비교	45
3. 우리나라 상황에 맞는 비교효과연구 정의 도출	51
3.1 서론	52
3.2 방법	53
3.2.1 RAND 법	53
3.2.2 전문가 패널	53
3.2.3 설문지 작성	54
3.2.4 제 1라운드 설문조사	58
3.2.5 제 2라운드 설문조사	59
3.2.6 평가 방법	59
3.2.7 NECA 연구진의 평가	60
3.3 결과	60
3.3.1 제 1라운드	60
3.3.2 제 2라운드	60
3.3.3 정의 도출	62
3.3.4 정의에 대한 전문가 자문 및 반영	62
3.3.5 NECA 연구진들에 대한 포함요소 조사	64
3.4 고찰	66
4. 비교효과연구의 수행 및 활용방안	69
4.1 정책 환경 변화와 비교효과연구 활용분야	70
4.2 비교효과연구의 수행체계	72
4.2.1 보건의료연구 관련 법규 정비	72
4.2.2 유관기관들의 역할분담	74
4.2.3 비교효과연구 수행 조정기구	75
4.3 재원조달 및 재정운영	78
4.4 비교효과연구 개념을 이용한 의사결정, 정책결정	80
4.4.1 비교효과연구의 의사결정 연결을 위한 고려	80

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

4.4.2 비교효과연구를 필요로 하는 정책·의사결정 영역	80
4.4.2.1 공적의료보장체계에서의 의사결정	81
4.4.2.2 국가적 보건의료사업에서의 의사결정	83
4.4.2.3 국가지원 임상진료지침 개발	84
5 결론 및 정책제언	87
6 참고문헌	91
7 부록	97
7.1 비교효과연구의 정의에 대한 설문조사	98
7.2 상대적 효과평가를 위한 체크리스트	107

표 차례

표 1. 골다공증 진단기술의 상대점수와 가격	5
표 2. 초음파 골다공증 진단기기의 골밀도 값에 따른 정확도	5
표 3. 미 보건복지부의 재정지원을 받는 사업 내용	23
표 4. 주요국 비교효과연구 관련 기구의 비교	46
표 5. 설문에 포함되는 요소와 세부구성요소	58
표 6. 1, 2 라운드 결과	61
표 7. 영역별 포함 항목	62
표 8. 전문가 자문 내용 및 반영 결과	62
표 9. NECA 연구진들의 합의 결과	65
표 10. 비교효과연구 유관 기관들의 기능과 역할	75
표 11. 비교효과연구 관련 주요 주체들의 참여 방식	76
표 12. 최근의 보건복지부 R&D 투자규모	79

그림 차례

그림 1. 비교효과연구의 전략적 틀(종류와 주제)	10
그림 2. 비교효과연구의 전략적 틀을 사용한 목록과 투자 결정	12
그림 3. AHRQ의 Effective Health Care Program의 구성	14
그림 4. PCORI의 구성과 다른 조직과의 관계	17
그림 5. PCORI와 CER의 재정 규모	19
그림 6. 유럽의 상대적 효과평가 추진과정	28
그림 7. 유럽의 상대적 효과평가 모델	37
그림 8. 프랑스의 의료기술평가로부터 급여결정과 약가책정의 과정	39
그림 9. EUnetHTA JA1이 제안한 유럽 내 상대적 효과평가 수행 기전	42
그림 10. 설문지 예	59
그림 11. 비교효과연구의 주요 관련 영역	71
그림 12. 비교효과연구 수행의 조정·통합 기구로서의 '근거기반CER위원회'	78
그림 13. 비교효과연구를 통한 정책/의사 결정 영역의 사례	81

Executive Summary

1. Concept and Background of Comparative Effectiveness Research

Comparative Effectiveness Research holds first, the concept of comparing the benefits and harms between existing alternative medical technologies and second, the concept that focuses on the effectiveness, which is the outcome of benefits when exposed to real environment. This concept of comparative effectiveness was not established recently. It is a redefined concept with more sense of purpose that was made by adding political implication to the concept that has been used from the past.

The background is limitation of regulatory characteristic of authorized clinical researches. These researches use the surrogate marker as a measuring indicator for effectiveness rather than the end health outcome and follow up period is short. They are in the market but because they do not reflect the clinical field where the medical technology is actually used, the data for evidence that clinical doctors or policy makers need have been absent. Especially, researches were conducted in comparison with placebo or conservative treatment rather than existing best alternative and additional data production is limited due to limitation of effectiveness proving clinical studies because unauthorized concomitant use is restricted by strictly following the protocol to check the effectiveness of new medical technology so only single application result is seen even when concomitant use is anticipated in real clinical setting. As medicine develops, the medical technologies that have been used are accumulating. The need for CER is coming to the fore and CER is becoming a factor that presses the possibility of research implementation in the aspects of research results that show 20~30% of currently used medical technologies lack evidence and about half of therapeutic medical technologies except medications have

uncertainty of evidence below the recommended grade c when they enter the medical market.

2. Background and Strategy in USA & Europe

In the United States of America, 2009 Obama government introduced the "Comparative Effectiveness Research (CER)" first to health and medical sector in American Recovery and Reinvestment Act for recovery of U.S. economy in 2009 and established Patient-Centered Outcomes Research Institute (PCORI) that immediately and effectively manages the comparative effectiveness research through Affordable Care Act in 2010. U.S. developed a strategic framework for activity and financial support of CER. This strategic framework divides the comparative effectiveness research into 4 types. They are research, human & scientific capital for CER, data infrastructure and dissemination and translation of CER. Also, the subjects of CER were divided into certain disease, disease condition, patient group, intervention and framework was made so that these subjects can be included (cross-cutting). United States organizes activities and investments of ongoing CER through this strategic framework and uses it as a strategic and analytic tool to continuously promote CER at many angles.

There are mainly two organizations to examine in association with comparative effectiveness research of United States. They are Agency for Healthcare Research and Quality (abbreviated AHRQ) which is one of twelve organizations under the Department of Health & Human Services (abbreviated DHHS or HHS) of United States and non-profit Patient-Centered Outcomes Research Institute (abbreviated PCORI). In accordance with 2003 Medicare Prescription Drug, Improvement, and Article 1013 of Modernization Act, AHRQ established a new Effective Health Care Program and conducted and supported studies that compare effectiveness and outcomes of many types of interventions or clinical approaches. Thus, AHRQ took a pivotal role in promoting

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

the quality, effectiveness and efficiency of health and medical service. Effective Health Care Program supported by AHRQ is composed of three programs for comparative effectiveness research. Evidence-based Practice Centers that compose the evidence, network of Developing Evidence to Inform Decisions about Effectiveness (DEcIDE) Centers that produce the evidence, network of Centers for Education and Research in Therapeutics (CERTs), and activities of John M. Eisenberg Center that proliferates the evidence compose three programs. PCORI is a non-profit organization and is not a government organization of United States. It establishes research priority by composing expert consulting panel. It also establishes research business subjects and develops methods of comparative effectiveness research through methodology committee. PCORI is composed of Board of Governors and Methodology Committee and Methodology Committee is largely composed of three working groups. These working groups are patient-centeredness, research prioritization and research methods. The purpose of patient-centeredness group is methodology that includes patients' perspective at all stages of research; the purpose of research prioritization group is methodology of prioritizing new researches; and the purpose of research methods group is developing and providing methodology of data usage, research design and statistical analysis method for patient-centeredness research.

United States allocated 1.1 billion USD in CER in accordance with American Recovery and Reinvestment Act in 2009. It was distributed to three organizations. 400 million dollars to the National Institutes of Health (NIH), 300 million dollars to the Agency for Healthcare Research and Quality (AHRQ) and 400 million dollars to the Office of the Secretary of the U.S. Department of Health and Human Services (OS-DHHS) were allocated. U.S. Medicare and all private health insurance companies must pay taxes in proportion to the number of insurance beneficiaries from 2013 to raise Patient-Centered Outcomes

Research Trust Fund (PCORTF).

It is not yet known how the results of CER up to date affected many aspects including decision of policies and insurance coverage and clinical treatment. According to the law that based the establishment of PCORI, PCORI prohibits making proposal for insurance coverage decision through CER. Thus, there are skeptical criticism that CER does not majorly affect health-related policies or clinical treatment pattern but there are expectation of positive effects in quality or value of interventions based on cases in U.K. and Canada. Because CER has not been discussed in earnest, sufficient research on the effects of high quality evidences in many aspects including health and medical costs and policies is needed. Also, in order for CER to settle in successfully, it is very important to compare the effects of interventions in a variety of population groups through CER; suggest the best evidence that maximizes the value and at the same time apply the opinions of the parties interested; and apply it to the real-world setting.

The European Union(EU) began to pay attention to the value of relative effectiveness assessment in the early 2000s to facilitate exchange of health technology-related experience among countries and improve quality, consistency and speed of reimbursement and pricing decisions between Member States. G10 Group announced in May 2002 on the following recommendations; for developing HTA and increasing its value, the Member States and the EU had to share national experiences and data while recognising that relative effectiveness assessment should remain a responsibility of Member States, to achieve greater certainty and reliability for all stakeholders. They created the Pharmaceutical Forum which be composed of the European Commission, the 27 Member States, and key stakeholders. The High Level Pharmaceutical Forum was held three times from 2006 to 2008, aiming to the overall political driver of the process on relative effectiveness assessment. Supporting by Working Group on

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

Relative Effectiveness, they agreed on the following recommendations; implementing agreed good practice principles for relative effectiveness assessments, and promoting the exchange of information on relative effectiveness assessments in order to improve the data availability and transferability. According to the agreed documents, Relative effectiveness can be defined as the extent to which an intervention does more good than harm compared to one or more intervention alternatives for achieving the desired results when provided under the usual circumstances of health care practice.

Work package 5 developed in EUnetHTA JA1 2010-2012 aimed to development and application of HTA tools and methodology. First, Guidelines and rapid model and full model on relative effectiveness assessment were developed. The domains of methodology models were Health problem and current use of technology, Description and technical characteristics of the technology, Safety, Effectiveness, Ethical analysis, Organizational aspects, Social aspects and Legal aspects. Second, pilot test was performed for application of methodology model and the result of rapid assessment of Pazopanib to treat of advanced renal cell carcinoma was presented at ISPOR (15th Annual European Congress 2012). In conclusion, rapid relative effectiveness assessment has advantages of shorter timelines and prevention of duplicated work and is expected to take a very important role in national HTA process in the future.

In Europe, relative effectiveness assessment has already used politically in the process of reimbursement and pricing decisions: many European countries have applied relative effectiveness assessment as criteria to estimate the clinical added value. And it is expected that relative effectiveness assessment will be a basic advice on eligibility to reimbursement, on reimbursement rate.

3. The definition of comparative effectiveness research in Korean context

There are a variety of definitions of comparative effectiveness research but the existing definition has a little difference in items included, purpose, intervention, range, outcome, and methodology. A definition of comparative effectiveness research appropriate for condition of our country is necessary in order to determine the range of comparative effectiveness research appropriate for our country, priority in our country and infra or human resources needed for comparative effectiveness research. In this study, a definition of comparative effectiveness research appropriate for Korean condition was drew based on RAND methodology.

The study was conducted based on RAND method. It was proceeded in order of panel composition, questionnaire preparation, survey, face-to-face meeting and analysis. Expert panel was composed of total 10 clinical research field experts. They consist of 4 from academic (1 clinical doctor, 2 preventive medicine, 1 health economics), 4 from organizations (Health Insurance Review & Assessment Service, National Health Insurance Corporation, Korea Institute for Health and Social Affairs, National Evidence-based Healthcare Collaborating Agency) and 2 internal researchers. The questionnaire was prepared based on the existing definition. The first round of survey was done by distributing the questionnaires with reference literature to 10 people selected for the panel by mail and had them responded. In the second round, the items that came to agreement during the first round were excluded. For the rest, the outcome table with median values and individual assessment values was provided to individual panel and resurvey was conducted again after individual items were discussed. As for the items included in the definition, only items that were agreed at 7-9 points based on RAND methodology were included.

The first round result showed that 25 items out of total 35 were

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

agreed at 7-9 point range thus assessed as necessary items. In the second round, items that were not agreed during the first round were discussed and reassessed and items agreed at 7-9 points range for only 2 item were included. 27 items agreed to be included in the definition were definition inclusion elements (range of interventions, setting, purpose of comparative effectiveness research, research methodology, outcome), range of interventions (new medical technology, existing technology), purpose of comparative effectiveness research (provide information to patients, provide information to healthcare providers, provide information to policy makers, provide information in medical technology assessment, development of guideline for clinical medical treatment, provide information to general public), range of research (effectiveness research, value research (cost-effectiveness)), outcome level (population-level outcome, subgroup outcome), stage of outcome (patient report outcome, health-related outcome), contents of outcome (benefit, harm, cost) and research methodology (synthesis of evidence, generation of evidence through clinical study, generation of evidence through observational study). Expert consultation was received for the definition of comparative effectiveness research drawn here and certain contents were applied and changed after discussion with the researchers. The definition of comparative effectiveness research determined through this is as below.

“Comparative effectiveness research is comparing the health-related outcomes of two or more interventions (drugs, medical devices, tests, surgeries) to prevent, diagnose, treat and monitor a particular disease or condition in routine care setting in the aspects of benefit, harm and cost at the level of population level or subgroup level. CER synthesizes evidence through systematic literature review or generates evidence through clinical study, observational study and economic efficiency assessment. CER aim to provide information to

patients, healthcare providers, policy makers and general public and facilitate health and medical policy decision, health technology assessment and development of clinical practice guidelines.”

When this definition is compared to the existing definition, whether healthcare service and healthcare system should be included in the contents of intervention, whether to include economic efficiency assessment research and whether to include indirect comparative research can be issues. The definition of CER appropriate for Korean condition was deducted based on RAND methodology and this definition is generally similar to the existing definition but has some difference in certain points. Efforts to continuously improve the definition of CER appropriate for our country are needed in future CER process.

4. Implementation of Comparative Effectiveness Research

In order to develop CER as national research business and successfully execute it, prioritization subject selection foundation must be established in reference to strategic framework and trends of U.S. and Europe and list must be made to continuously check what research needs to be executed and supported in the future. In addition, supplementing the existing legislative system and preparing plans for participation of relevant organizations rather than executing the research independently by the existing health care research-related organizations or academic organizations are necessary to use this research business as policy evidence production mechanism and optimize the capability of research development and policy use. The core concept for this is to construct a partnership for gathering capabilities of principal agents who can participate in CER execution such as relevant public or private organizations or expert groups. This is to find a plan to utilize strengths that consider the function and role of relevant organizations. By connecting strengths of

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

public part and strengths of private part with appropriate roll sharing and collaborating system, it can be developed as execution system of CER. Also, role of establishing and managing a basic plan of research and systematizing a series of process of project contest, selection, assessment, research management and support, research execution, research results proliferation and policy making are necessary for this private-public partnership to efficiently operate. For this, establishment of private-public partnership that smoothly connects the roles of organizations with experience of existing healthcare research development, organizations that can take part in resource procurement, research data procurement and infra-connected support and private expert organizations with their functions and roles related to the actual research execution such as project production, research execution and consultation and establishment and operation of a organization such as (tentative name) 'evidence-based CER Committee' to combine and adjust the functions and roles of main agents that participate in the research may be considered.

Meanwhile, there must be a plan to procure spending finance required for CER not only from government funding (general finance, health promotion fund) but also from industries like health insurance, private insurance, automobile insurance, workers' compensation and pharmaceutical companies. Investments for research execution, infrastructure expansion, research management and policy making must be considered in order to continuously use the research in policy. It is necessary to adjust investment scale for each business sector because in the beginning of business proportion for infrastructure expansion is relatively large but as the research infrastructure settles in, it is necessary to increase investment proportion for policies.

CER is comparing the effectiveness of medical technology that has more than two types of alternatives and its purpose is to help make more public decision. Thus, it is realistically difficult for industries to

lead and invest or for medical profession to initiatively invest and conduct researches. Public investment motive for these researches are needed and it must be helpful in future decision making according to a clear expectation of benefits and result of research.

In order to use the outcome of CER in policies, which decision making process of the field needs CER, the demand must be clearly understood and investment for CER in association with the fields that really have the needs must be planned. Because the main agents of research execution are medical profession and researchers, understanding the groups that will become the main agents of research and setting up cooperation relationship between them are also very important.

Information session is needed for policy-related government branches, relevant organizations and health care field to understand the demands for CER and help them realize their needs and motivate them through meeting with core personnel.

The fields in need of CER include decision making process of public health security system, decision making in national health care business, decision making in health security system of the ministry of patriots and veterans affairs and clinical treatment guideline making through large scale research business supported by the nation like national strategic coordinating center for clinical research.

First, decision making in public health security system may be processes that affect the nation such as decision making for insured benefits of national health insurance, preparation of insured standard, reassessment of existing insured items and prioritization of benefit expansion. In the case of new drug, comparative effectiveness is estimated with data through indirect comparison study because there are insufficient direct comparative clinical studies that compare the new drug and the existing alternative drug. When national burden is large it is necessary to accept insured benefits for certain period and proceed with the CER. The government is actively considering

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

conditional insured benefits under the risk sharing scheme and if the conditions are met this clinical study must be preceded as CER.

In addition, because about half of new medical technologies associated with action of a doctor excluding medications fall in low evidence level such as recommended grade C or D, if they are accepted as insured or uninsured and there are no support for future clinical studies these medical technologies will spread with insufficient evidence. Especially when national burden of medical cost is large and the disease is serious, prospective data collection for certain period through conditional coverage decision and relevant coverage decision system are needed. In such a case, CER must be conducted.

CER can be used in decision making process in the case of expansion of benefits of the NHI and reassessment of insured items.

These researches may be needed in decision making process of national health care business. For example, maintenance of system that introduces businesses based on the assessment of anticipated benefits and harms of compared alternative for use of certain medical technology and provision of healthcare service is needed in many fields such as decision making of national screening policy, introduction of dementia screening method by national dementia management, system introduction by emergency medicine. Also, benefit expansion may be needed for the items that were not covered in decision making process of health security system of the ministry of patriots and veterans affairs to provide healthcare to patriots and veterans. The case of making clinical treatment guideline based on the results of nationally supported clinical studies is also where activation of CER is needed.

요 약 문

1. 비교효과연구의 개념과 배경

비교효과연구(Comparative Effectiveness Research)는 첫째로 기존의 대체의료 기술과의 이득과 위해를 비교한다는 개념, 둘째로 실 환경에 노출되었을 때 이득의 결과인 효과를 중시하는 개념을 담고 있다. 이러한 비교효과연구의 개념은 최근에 만들어진 것이 아니라 과거부터 사용되어 온 개념에 정책적 함의를 담아 보다 목적의식을 가지고 재정의 된 개념이라 할 수 있다.

그 배경으로는 규제적 성격의 허가임상연구의 제한점을 들 수 있다. 이러한 연구들은 최종 건강결과(end health outcome)를 효능의 측정 지표로 사용하기보다 중간대리자(surrogate marker)를 사용하며, 그 추적 기간도 짧고, 실제 그 의료기술이 사용될 임상현장을 반영하지 못하여, 시장에 들어왔지만 임상의사나 정책결정자들이 필요로 하는 근거에 대한 정보의 부재가 여전히 있어 왔다. 특히 기존의 최선의 대안과 비교하여 연구가 진행되기보다는 위약이나 보존적 치료와 비교하는 경우가 많고, 해당 신의료기술의 효능을 순수하게 확인하고자 프로토콜을 엄격히 준수하여 허용되지 않은 병용을 제한함으로써 실제 임상에서 병용이 예견되는 경우에도 단일 적용의 결과만 보게 되는 등 효능 입증 임상연구의 한계점으로 인한 추가적 정보 생성의 제한이 있게 되었다. 또한 의학이 발전함에 따라 기존에 사용되어 온 의료기술이 축적되고 있고, 기존에 보편적으로 사용되는 의료기술도 20~30% 가량이 근거가 부족하다는 연구결과들을 비롯하여 약제를 제외한 치료적 의료기술의 반 정도가 권고등급 C 이하로 의료시장 진입 당시 근거의 불확실성이 잔존한다는 측면에서 비교효과연구는 그 필요성이 대두되고 있으며 연구 실행의 가능성을 재촉하는 요인이 되고 있다.

2. 미국과 유럽의 비교효과연구의 역사적 배경과 추진전략

미국의 경우, 2009년 오바마 정부는 경제회복을 위한 법안인 American Recovery and Reinvestment Act 중에서 보건의료 부문에 비교효과연구를 처음으로 도입하였고, 2010년 Affordable Care Act를 통해 비교효과연구를 즉각적이고 효과적으로 담당하게 될 Patient-Centered Outcomes Research Institute(PCORI)를 설립하였다. 미국에서는 비교효과연구의 활동과 재정지원에 대한 전략적 틀(strategic framework)을 개발하였다. 이 전략적 틀은 비교효과연구의 종류를 크게 네 가지로 구분하고 있는데 연구(research), 인적 학술적 자본(human & scientific capital for CER), 연구자

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

료 기반 구축(data infrastructure), 연구결과 확산과 이행(dissemination and translation of CER)이 그것이다. 또한 비교효과연구의 주제를 크게 세 가지인 특정 질환이나 질병상태, 환자집단, 중재법에 따라 나누어, 비교효과연구에 이 주제들이 포함되어 들어갈(cross-cutting) 수 있도록 틀을 만들었다. 미국은 이 전략적 틀을 통해 진행 중인 비교효과연구 활동이나 투자를 정리하여 여러 각도에서 비교효과연구의 진행을 지속적으로 추진하기 위한 전략적이고 분석적인 도구로 유용하게 사용하고 있다.

미국의 비교효과연구 추진과 관련하여 살펴보아야 할 조직은 크게 두 개가 있는데 미국의 Department of Health & Human Services (이하 DHHS 또는 HHS) 하에 있는 12개 조직 중 하나로 Agency for Healthcare Research and Quality (이하 AHRQ)와 비영리독립법인인 Patient-Centered Outcomes Research Institute(이하 PCORI)가 그것이다. 2003년의 Medicare Prescription Drug, Improvement, and Modernization Act의 1013조에 따라 AHRQ는 Effective Health Care Program을 새로 신설하여 여러 종류의 중재법이나 임상적 접근방식들의 효과와 성과를 비교하는 연구를 수행하고 지원하여 보건의료의 질, 효과, 효율성을 증진시키는 중추적인 역할을 맡게 되었다. AHRQ가 지원하는 Effective Health Care Program은 비교효과연구를 위한 세 프로그램으로 구성이 되어 있다. 근거를 합성하는 Evidence-based Practice Centers, 근거를 생성하는 Developing Evidence to Inform Decisions about Effectiveness (DEcIDE) 센터들의 네트워크와 Centers for Education and Research in Therapeutics (CERTs) 네트워크, 근거를 확산하는 John M. Eisenberg Center에 의한 활동들이 세 개의 프로그램을 구성한다. PCORI는 비영리법인으로 미 정부 조직이 아니다. 전문가 자문패널을 구성하여 연구 우선순위를 정립하고 연구사업 주제들을 도출할 수 있으며 방법론 위원회가 상설되어 비교효과연구의 방법을 개발하고 개선시키는 역할을 수행한다. PCORI는 간사회(Board of Governors)와 방법론위원회(Methodology Committee)로 구성이 되는데, 방법론위원회는 크게 세 개의 소위원회(working group)로 구성이 된다. 환자중심(patient-centeredness), 연구우선순위(research prioritization), 연구방법(research methods) 소위원회가 그것이다. 환자중심소위원회는 환자중심 성과연구의 모든 단계에서 환자의 관점을 포함하는 방법론, 연구우선순위소위원회는 새로운 연구들의 우선순위를 부여하는 방법론, 연구방법소위원회는 환자중심 성과연구를 수행하기 위한 자료 사용, 연구디자인, 통계학적인 분석 방법에 대한 방법론을 개발하여 제공함을 목적으로 한다.

미국에서는 2009년도에 American Recovery and Reinvestment Act에 의거

미화 11억 달러를 비교효과연구에 배정하였다. 이는 세 기관으로 배분되었는데, 국립보건원(the National Institutes of Health, 이하 NIH)에 4억 달러, 보건의료 연구 및 질 관리청(the Agency for Healthcare Research and Quality, 이하 AHRQ)에 3억 달러, 보건복지부(the Office of the Secretary of the U.S. Department of Health and Human Services, 이하 OS-DHHS)에 4억 달러가 배정되었다. 또한 2013년도부터는 Patient-Centered Outcomes Research Trust Fund (PCORTF)를 조성하기 위하여 미국의 Medicare와 모든 민간 건강보험 회사들은 보험 가입자 수에 비례하여 비용을 부담해야 한다.

지금까지 나온 비교효과연구의 결과가 정책이나 보험급여결정, 임상진료 등 여러 가지 방면에서 어떻게 영향을 주었는지에 대해서는 아직 알려져 있지 않다. PCORI를 설립한 근거가 되는 법 조항에 따르면 PCORI는 비교효과연구를 통해 보험급여결정에 대한 제안을 하지 못하도록 하고 있다. 이에 따라 비교효과연구가 건강관련 정책이나 임상진료 패턴 등에 그리 큰 영향을 끼치지 못할 것이라는 회의적인 비판도 있지만 영국이나 캐나다 같은 외국의 사례를 비추어 보았을 때 중재법의 질이나 가치에 긍정적인 영향이 있을 것이라는 기대도 있다. 비교효과연구가 본격적으로 논의된 지 얼마 되지 않았으므로 향후에는 비교효과연구를 통해 나온 질 높은 근거들과 일련의 활동을 통해 보건의료 비용이나 정책 등 여러 방면에서 어떠한 영향을 미쳤는지에 대한 충분한 연구가 필요하다. 또한 비교효과연구가 성공적으로 안착되기 위해서는 이 연구를 통해 다양한 인구집단에서의 중재법들 간 효과를 비교하여 그 가치를 극대화하는 최상의 근거를 제시함과 동시에 여러 이해관계당사자들의 의견을 반영하여 이를 어떻게 현실에 적용하는지가 가장 중요한 관건으로 보인다.

유럽연합에서는 2000년대 초부터 국가 간 의료기술과 관련한 경험의 교환을 용이하게 하고, 투명성을 제고하여 회원국들 간 급여와 약가결정 과정의 질, 일관성, 신속성을 향상시키고자 Relative Effectiveness Assessment (이하 상대적 효과평가)의 가치에 주목하기 시작하였다. G10 Group은 2002년 5월, 유럽연합 회원국들이 상대적 효과평가에 대한 책임감을 갖고 경험과 자료를 공유함으로써, 불확실성을 줄이고 모든 이해관계당사자들의 신뢰를 높임으로써 HTA를 발전시키고 가치를 높여야 한다는 내용을 포함하는 권고안을 발표하였다. 그들은 2005년, 유럽연합 집행위원회, 주요 이해관계당사자 등으로 구성된 약제포럼(Pharmaceutical Forum)을 만들고, 상대적 효과평가에 대한 전체적인 진행과정을 정책적으로 이끌어가고자 2006-2008년 3회에 걸쳐 High Level Pharmaceutical Forum을 개최하였다. 또한 상대적 효과평가 전문가 소위원회를 구성하여 상대적 효과평가에 대하여 동의된 표준수행원칙을 준수할 것과 자료의 가용성과 이동 가능성을 향상시키기 위하여 상대적 효과평가에 대한 정보의 교환을 증진시킬 것을 권고하

였으며, 발표된 합의문에 따르면 상대적 효과는 '일반적인 임상 현실에서 특정 중재방법이 하나 또는 그 이상의 다른 중재방법과 비교하여 위해보다는 이득이 더 큰 정도'를 의미한다.

EUnetHTA JA1 2010-2012에 의해 개발된 Work package 5는 HTA 도구와 방법론의 발전과 적용을 목적으로 한다. 첫 번째로, 상대적 효과평가를 위한 가이드라인과 신속 평가모델과 완전한 평가모델을 개발하였다. 이러한 방법론 모델은 건강문제와 현재 의료기술의 사용, 의료기술에 대한 세부설명과 기술적 특징, 안전성, 임상적 효과의 네 가지 핵심 영역에 도덕적 측면, 조직적 구조적 측면, 사회적 측면, 법적 측면의 비교를 포함한다. 두 번째, 방법론 모델의 적용을 위하여 전이성 신세포암 일차치료제인 Pazopanib을 대상으로 신속한 상대적 효과평가 파일럿시험을 수행하였고, ISPOR(15th Annual European Congress 2012)에서 결과를 발표하였으며, EUnetHTA 공식 홈페이지에 최종보고서를 공개하였다. 결론적으로 신속한 상대적 효과평가가 시간단축과 중복작업 방지 등의 장점이 있으며, 차후 국제 의료기술평가 과정에서 매우 중요한 역할을 하게 될 것이라고 예상하고 있다.

이미 유럽 각국에서는 의료기술평가를 통해 급여와 약가를 결정하는 과정에서 상대적 효과평가를 정책적으로 활용하고 있다. 유럽 대부분의 나라에서 추가적인 임상적 편익의 평가 기준으로 상대적 효과평가 결과를 반영하고 있으며, 급여 적합성과 급여율 결정을 위한 기본적인 도구로 활용되기를 기대한다. 현재는 유럽연합 국가들이 공동의 방법론, 수행원칙으로 상대적 효과평가를 수행하고 결과를 공유함으로써 의료기술 평가를 발전시키고자 EUnetHTA JA2를 수행 중이다.

3. 우리나라 상황에 맞는 비교효과연구 정의 도출

비교효과연구에 대한 다양한 정의가 있지만 기존 정의들은 포함요소, 목적, 중재, 범위, 결과, 방법론 등에서 약간의 차이가 있다. 우리나라에 적합한 비교효과연구의 범위가 무엇이고 우리나라에서 요청되는 우선순위가 무엇인지, 비교효과연구 수행에 필요한 인프라나 인력은 무엇인지를 정하기 위해서는 우리나라 상황에 맞는 비교효과연구에 대한 정의가 필요하다. 본 연구에서는 한국적 상황에 맞는 비교효과연구의 정의를 RAND 델파이 방법론에 입각하여 도출하고자 하였다.

RAND 델파이는 패널구성, 설문작성, 설문조사, 대면회의, 분석 등의 순서로 진행된다. 전문가패널은 총 10인의 국내 임상연구 관련분야 전문가로 구성하였는데, 구성은 학계 4인(임상의사 1명, 예방의학 2명, 보건경제 1명), 기관 4인(건강보험심사평가원, 국민건강보험공단, 보건사회연구원, 보건의료연구원), 연구진 2인이 포함되었다. 기존 정의를 참조하여 비교효과연구 정의에 포함될 항목을 선정하기 위한 설문지를 작성하였다. 제1라운

드 조사는 패널로 선정된 10인에게 우편을 통해 참고문헌과 함께 설문지를 배포하여 응답하도록 하였다. 제2라운드 조사는 제1라운드에서 동의에 이른 것은 제외하고 나머지에 대해서 중간값과 개별 평가값을 제시한 결과표를 개별 패널에게 제공하고 항목별로 토의한 뒤 다시 응답하도록 하는 대면조사 방식으로 진행하였다. 정의에 포함될 요소에는 RAND 방법론에 입각하여 7-9점에서 동의된 것만을 포함하였다.

제1라운드 결과 총 35개 항목 중 26개 항목에서 7-9점 구역에서 동의되어 필요한 항목으로 평가되었다. 2차라운드는 1차라운드 결과 동의되지 않은 항목에 대해서 토론을 진행한 후 추가적으로 다시 평가하였고 1개 항목에 대해서만 추가적으로 7-9점에서 동의되어 정의에 포함되는 항목으로 선정하였다. 정의에 포함하기로 합의된 27개 항목은 정의 포함요소(중재의 범위, 세팅, 연구의 목적, 연구방법론, 결과), 중재범위(신의료기술, 기존 기술), 비교효과연구의 목적(환자에게 정보 제공, 진료제공자에게 정보 제공, 정책결정자에게 정보 제공, 의료기술평가에 정보 제공, 임상진료지침 개발, 일반국민에게 정보 제공), 연구의 범위(효과연구, 가치연구(비용-효과성 등)), 결과 수준(인구집단수준 결과, 하위집단수준 결과), 결과의 단계(환자보고 결과, 건강관련 결과), 결과의 내용(이득, 위해, 비용), 연구방법론(근거의 합성, 임상시험, 관찰연구 등을 통한 근거창출(임상시험연구), 근거창출(관찰연구)) 등이었다. 여기서 도출한 비교효과연구의 정의에 대해 전문가 자문을 받았고 이에 대해 연구진과 협의하여 일부 내용을 반영하고 내용을 수정하였다. 이를 통해 아래와 같은 비교효과연구의 정의가 도출되었다.

“비교효과연구는 일상 진료환경에서 특정 질병 또는 상태를 예방, 진단, 치료, 모니터링 하기 위한 둘 이상의 중재들(약물, 의료기기, 검사, 수술 등)의 이득, 위해 혹은 비용 측면에서의 건강관련 결과를 인구집단수준이나 하위집단수준에서 비교하는 것이다. 비교효과 연구는 임상시험, 관찰연구, 경제성평가를 통해 근거를 창출하거나 체계적 문헌고찰 등을 통해 근거를 합성하여 환자, 진료제공자, 정책결정자, 일반국민에게 정보를 제공하고 보건 의료정책결정, 의료기술평가와 임상진료지침 개발에 도움을 주는 것을 목적으로 한다.”

도출된 정의를 기존의 정의와 비교해 보면 중재의 내용에 보건서비스와 보건체계가 포함될 것인가, 경제성평가 연구를 포함할 것인가, 간접비교 연구가 포함될 것인가 등이 쟁점이 될 수 있다. 한국적 상황에 맞는 비교효과연구의 정의를 RAND 방법론에 입각하여 도출하였는데 이러한 정의는 기존의 정의와 대체로 유사하지만 몇 가지 점에서 기존의 정의와 차별점이 있었다. 향후 비교효과연구의 수행 과정에서 우리나라에 적합한 비교효과연구에 대한 정의를 지속적으로 개선해 나가려는 노력이 필요할 것으로 보인다.

4. 비교효과연구의 수행 및 활용방안

우리나라에서 비교효과연구를 국가적인 연구사업으로 발전시켜 성공적으로 수행하려 한다면 미국이나 유럽에서의 전략적 틀과 동향을 참고하여 우선순위 주제 선정 기틀을 마련하고, 이에 대한 목록을 만들어 앞으로 수행, 지원해야 할 연구가 무엇인지에 지속적으로 파악하는 것이 필요하다. 뿐만 아니라 이러한 연구사업을 보건의료 정책근거 산출 기전으로 활용하기 위해서는 기존의 보건의료 연구 관련 기관이나 학술단체들이 개별적으로 수행하는 것보다는 관련 법체계를 보완하고 유관기관들의 참여 방안을 마련하여 연구개발 및 정책 활용 역량을 최적화하여야 할 것이다. 이를 위한 핵심적인 개념은 공공과 민간의 관련 기관이나 전문가 단체 등 비교효과연구에 참여 가능한 주체들의 역량을 모으기 위한 파트너십을 구축하는 것인데, 이는 유관기관들의 기능과 역할을 고려한 역량을 최대한 활용하기 위한 것이다. 공공 부문이 갖고 있는 강점과 민간 부문의 강점을 적절한 역할 분담과 협력 체계로 연결하여 비교효과연구라는 정책근거 연구사업의 수행체계로 발전시킬 수 있다. 또한 이러한 민간-공공 파트너십이 효율적으로 작동할 수 있도록 하기 위하여 연구사업의 기본계획을 수립하고 총괄하는 역할을 비롯하여 과제공모, 선정, 평가 등 연구관리 및 지원, 연구수행, 연구결과 확산 및 정책화를 위한 일련의 과정을 체계화할 필요가 있다. 이를 위해 기존의 보건의료 연구개발사업 경험을 갖고 있는 기관들과 자원조달 및 연구자료 등 인프라 연계 지원 역할을 담당할 수 있는 기관들은 물론 실질적인 연구수행과 관련된 기능과 역할들인 과제도출, 연구수행, 자문 등을 위한 민간 전문기관과 단체들이 원만한 협력 관계로 연계되어야 한다. 민간-공공파트너십의 구축과 이러한 연구참여 주체들의 기능과 역할을 통합하고 조정하기 위해 (가칭) '근거기반CER위원회'와 같은 기구의 설립·운영을 고려해 볼 만하다.

한편 비교효과연구를 위해 필수적인 소요재정과 관련하여 정부재정(일반재정, 건강증진기금 등) 뿐만 아니라 건강보험, 민간보험, 자동차보험, 산재보험과 제약회사 등 산업체로부터 조달하는 방안도 고려해 볼 수 있다. 연구의 정책적 활용도를 중장기적으로 지속해 나가기 위해서는 연구수행 뿐만 아니라 인프라 확충이나 연구관리 및 정책화 부문에 대한 투자도 고려하여야 한다. 사업 부문별로 투자 규모를 조정할 필요가 있는데, 사업의 초기에는 인프라 확충을 위한 재정 소요 비중이 상대적으로 크겠지만, 연구 기반이 정착됨에 따라 정책화를 위한 투자 비중을 증대시켜 나갈 필요가 있다. 비교효과연구는 두 가지 이상의 대안이 있는 의료기술간의 효과의 비교이며 그 목적이 보다 공적인 의사결정에 도움을 주는데 있다는 특성을 볼 때 민간주도투자나 의학계에서 선도적으로 투자하여 연구를 수행하는 것이 현실적으로 어렵다. 따라서 공적 부문에서 이러한 연구에 대한 재정지원을 함으

로써 연구수행의 동기를 유발하고, 연구 결과에 따른 후속 의사결정과정에도 도움을 주어야 할 것이다.

비교효과연구의 성과를 정책에 적절히 활용하기 위해서는 국가적으로 어떤 분야의 의사결정 과정에서 이러한 연구를 필요로 하는지에 대한 분명한 수요 파악이 선행되어야 하고 이러한 필요성이 절실한 분야와 연계하여 비교효과연구개발 투자의 기획 작업이 이루어져야 할 것이다. 연구수행의 주체가 결국 의료계와 연구자들이 될 것이므로 연구의 주체가 될 집단을 파악하고 이들과의 협력 관계를 설정하는 것 역시 중요한 선행 작업이다.

비교효과연구의 수요 파악을 위해서는 정책관련 정부 부처, 유관기관, 보건의료계에 대한 설명회가 필요하리라 보며 핵심적 인사들과의 회의를 통해 그들의 필요를 자각하게 돕고 동기를 불러일으켜야 할 것이다. 이러한 비교효과연구를 필요로 하는 분야를 고려한다면 공적의료보장체계에서의 의사결정과정, 국가적 보건의료사업에서의 의사결정, 보훈대상자의 의료보장을 위한 의사결정, 국가가 지원하는 대규모 연구 사업을 통해 임상진료지침이 산출되는 경우 등이 있다.

먼저 공적의료보장체계에서의 의사결정에는 국민건강보험과 의료급여에 대한 급여여부에 대한 의사결정, 급여기준 마련, 기존 급여항목에 대한 재평가 및 보장성 강화의 우선순위 결정과 같은 국가적인 차원에서 영향을 주는 과정을 고려해 볼 수 있다. 신약 개발과 관련하여서는 신약과 기존의 대체 가능한 약과의 직접 비교임상연구가 부족하므로 최근에는 간접비교연구를 통한 자료를 갖고 비교효과를 가늠하려하고 있는데 국가적 부담이 큰 경우 일정 기간 급여를 인정하면서 비교효과임상연구를 진행할 필요가 있다. 위험분담제도(risk sharing scheme)하에 조건부급여를 인정하는 것도 정부가 적극적으로 고려할 수 있고 조건이 된다면 이러한 임상연구는 반드시 비교효과연구로 진행하는 것이 그 취지에 있어서 맞다.

약제를 제외한 의사의 행위와 관련된 신의료기술의 경우 진단법을 제외한 치료적 신의료기술의 경우도 반수 가량이 권고 등급 C 혹은 D에 속하여 낮은 근거 수준 하에 인정된 경우여서 이에 대해 급여든 비급여든 인정하게 될 경우 후속 임상연구지원이 없다면 근거가 불충분한 의료기술의 확산이 우려된다. 특히 국가적 의료비 부담이 크고 질병의 위중성이 있는 급여결정을 하게 될 경우 조건부 급여결정을 통해 일정기간 전향적 데이터 수집과 연계된 급여결정제도를 확립할 필요가 있고 이 경우 반드시 비교효과연구를 수행할 필요가 있다. 급여항목에 대한 재평가 과정과 건강보험권에서 보장성 강화와 관련된 경우에도 의사결정과정에도 비교효과연구가 사용될 수 있다.

국가적 보건의료사업의 의사결정과정에도 이러한 연구가 필요할 수 있다. 예를 들어 국가검진사업의 의사결정이나 국가치매 관리사업에서 치매 검진방법 도입, 응급의학 분야 제

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

도 도입 등 많은 분야에서 특정 의료기술의 사용이나 의료서비스 제공에 대해 비교대안과의 기대 이득과 위해를 평가하여 그 근거 하에 사업을 도입하기 위한 체계의 정비도 필요하다. 또한 보훈처의 의료보장체계 의사결정과정에 있어서도 기존의 급여되지 않는 항목들도 보훈대상자의 의료혜택 제공 측면에서 보장의 강화가 필요할 수 있다. 또한 국가가 지원하는 임상연구결과로 임상진료지침을 개발하는 경우 역시 이러한 비교효과연구의 활성화가 필요한 분야이다.

1. 비교효과연구의 개념과 배경

1.1. 비교효과연구의 개념: Old concept, New term

비교효과연구는 Comparative Effectiveness Research의 영문 이름이 말해주듯이 아래 세 가지의 개념을 내포한다. 첫째로는 기존에 존재하는 둘 이상의 대체할 수 있는 의료기술의 이득과 위해를 비교하는 것이다. 이는 신약을 포함한 신의료기술이 시장에 진입하기 위해 위약이나 비치료와 비교하여 위해와 이득의 결과를 보고해온 것과 차별화 되는 점이다. 두 번째로는 실제 그 해당 의료기술이 사용되는 임상현실에 노출 되었을 때 나타난 이득인 효과(effectiveness)를 중시하는 것이다. 이는 임상연구 대상을 비교적 동질하게 가져가기 위해 엄격한 포함, 배제기준을 두어 대상을 선정하고, 명료한 프로토콜에 따라 통제된 실험적 조건에서 이득을 보는 효능(efficacy)과는 상이한 개념이다. 마지막으로 '연구'라는 말은 과학적 노력의 결과 산물을 내포하며 그 앞에 다른 방법론적 수식어가 없는 것은 이러한 연구의 방법론적 제한이 크게 없고 보다 포괄적임을 시사한다.

이러한 비교효과의 개념은 최근에 생성된 새로운 개념이라기보다 과거부터 사용되어 온 개념을 최근에 정책적 함의를 담아 보다 목적의식을 가지고 사용되는 용어라 할 수 있다.

1753년 James Lind는 "A Treatise of the Scurvy in Three Parts"이라는 제목의 연구보고를 하게 되는데 당시 괴혈병(scurvy)의 치료로 감귤류와 식초, 사과주스 등을 비교한 결과 감귤류의 복용이 괴혈병의 증세를 완화하는데 도움이 된다는 연구는 비교효과연구의 개념을 잘 설명한 역사적인 연구라 할 수 있다(Concato, 2010).

당시 유럽은 해외로 팽창하면서 긴 항해를 하는 일이 잦아지게 되고 긴 항해 후에 돌아온 선원들 중에 잇몸이 붓고 피가 나며 심한 피로감 그리고 관절에 출혈로 종창이 생기고 망막 출혈로 실명하는 사례까지 생기며 심각한 문제로 대두되었다. 그 원인은 몰랐으나 스코틀랜드 출신 외과의사인 Lind 박사는 음식물에서 그 해답을 찾았다. 그는 장기간 항해로 인하여 부족한 식품들 중 어떤 것을 보충할 때 회복되는지 보고자 하였던 것이다. 이것은 괴혈병이 비타민 C의 부족으로 기인한다는 것이 밝혀지기 200여 년 전의 일이었다.

또한 thalidomide에 따른 단지증이나 다른 출생 시 기형이 보고됨에 따른 약제의 인허가단계에서의 법적 규제에 대한 사회적 관심이 커지면서 1960년대 미국에서는 약의 인허가 단계에서 효능(efficacy)을 입증하도록 하였다. 제 I상부터 III상에 이르는 임상시험의 기틀이 확립된 후 규제적 임상시험은 최근까지 발전되어 왔다.

1.2. 비교효과연구의 사회적 필요성 대두

이러한 규제 임상연구로부터 발전해온 임상시험은 몇 가지 점에서 새로운 방향성이 필요하게 되었다.

첫째, 규제적 임상 연구(regulatory trial)의 한계이다. 앞서 언급한 규제적 성격의 임상연구는 종종 사망률, 심근경색발생률 등과 같은 최종 건강 결과(end health outcome)를 그 효능 측정의 지표로 사용하기보다 중간대리자(surrogate marker)를 사용하고 그 추적 기간도 짧은 편이다. 또한 실제 그 의료기술이 사용될 임상현장의 실제 상황을 반영해주지 못하여 규제임상의 결과 시장에 들어왔지만 임상 의사나 정책결정자들에게는 여전히 필요로 하는 정보가 부재하다는 문제가 있어왔다. 특히 많은 경우 기존의 최선의 대안과 비교하여 연구가 진행되기 보다는 위약이나 비치료와 비교하는 경우가 많았으며, 해당 신의료기술의 효능을 보려다 보니 프로토콜을 엄격히 준수하여 실제 필요한 정보의 생성에 제한이 있게 되었다. 예를 들어 프로토콜에 병용사용을 허용하지 않으면, 임상 시험 과정에서 병용사용을 제한하게 된다. 만일 실제 임상에서 도입 시 병용이 예견되는 경우에도, 프로토콜대로 임상시험을 수행해야 하기 때문에 병용사용에 따른 의료기술의 효능은 알 수 없다. 즉, 임상시험의 결과는 의료기술의 단일한 적용에 대한 결과만 보게 되는 한계점을 가지게 된다.

즉 실제 임상 현장에서는 궁극적으로 그 신기술을 적용한 결과 어떤 임상적인 건강의 결과들이 개선되는지 알고 싶고 적용할 환자 층도 보다 보편적이고 보다 폭 넓게 적용할 필요성을 느끼게 되며 한 가지 의료기술로 해결 안 될 경우 두 가지 세 가지 병용하여 사용할 필요도 느끼게 되나 이에 대한 잘 연구된 임상연구가 적다 보니 경험이나 질적 수준이 낮은 관찰연구 결과에 근거하여 사용이 확대되게 된다. 공적 보장 체계에서는 이러한 의료기술의 급여를 인정할지에 대해 의사결정을 내릴 때, 근거자료가 부족하여 급여 인정여부에 대한 의사결정에서 난항을 겪게 된다. 엄격한 잣대로 제한하면 의료계와의 해답 없는 갈등들을 초래하게 되고 아무 대책 없이 허용하다 보면 실제 효과가 없을 수도 있는 의료기술의 사용 확대로 공적 재원의 불필요한 소모와 환자 치료의 질 저하라는 결과도 초래할 수 있게 되어 다른 해답이 필요함을 느끼게 된다. 미국에서 의료개혁의 일환으로 비교효과임상 연구에 대한 대대적인 투자를 시작한 것도 이러한 맥락에 기인한다. 사회적 의료를 구현하는 나라에 비해 미국은 의료인의 자율성이 강조되고, 국민들의 신의료에 대한 호응도가 높아 고가의 신의료기술의 사용이 영국, 호주, 캐나다 등의 여러 유사 선진국보다 빠르고 확산되는 속도도 빠르다. 미국의 경우 국민 총 의료비가 가장 높은 수준이지만 의료의 질적 수준은 다른 비교가능한 수준의 나라들에 비해 높지 않아 도입되고 있는 신의료기술이 정

말 제 가치를 하는지에 대한 의구심도 갖게 된다. 또한 어떤 특정의료기술의 사용량이 지역별로 변이가 많으며 이러한 변이의 주된 요인은 의학적 근거에 대한 정보의 부족 때문이며 이는 임상연구를 통해 해소될 수 있다는 의견이 Institute of Medicine(이하 IOM)으로부터 제기되었다. 이러한 IOM의 보고서에 기초하여 미국에서는 수조원에 달하는 비교효과임상연구비를 투자하게 된다(Eden, 2008).

둘째, 의학의 발전에 따라 기존에 사용되어 온 의료기술의 축적 또한 이러한 비교효과연구의 필요성과 연구의 실행 가능성을 재촉하는 요인이 된다. 예를 들어 만성 골수성백혈병의 치료에 과거 busulfan을 주축으로 하는 치료가 주를 이루었으나(Hehlmann, 2000), interferon-alpha와 citarabin 병용치료의 도입으로 그 자리를 내어주게 되고 관련 유전자와 세포내 전달물질에 대한 이해가 깊어지면서 tyrosine kinase inhibitors인 imatinib을 사용하게 되었고 그 결과 치료의 결과에 혁신적 향상을 가져오게 되었다(Schiffer, 2007). 그 이후 유사한 약제들로서 신약으로 nilotinib과 dasatinib이 개발되어 도입되면서 기존의 imatinib과 이득과 위해를 비교할 필요가 생기게 된다(Baccarani, 2012). 실제로 영국의 National Institute of for Health and Clinical Excellence (이하 NICE)에서는 이 세 가지 약제를 비교하고 가치를 판단하여 National Health Service(이하 NHS)에서 급여여부에 대한 상세 권고를 내리게 된다(NICE, 2012).

셋째, 비교효과 연구의 필요성이 대두되는 또 다른 이유는 근거의 불확실성이다. 기존에 보편적으로 사용되는 의료기술도 20~30%가량이 근거가 부족하다는 연구결과가 있고(박병주, 2009), 2007년 7월에서 2010년 12월 까지 평가 완료된 약제를 제외한 치료적 의료기술의 50%가 권고등급 C, D에 속하는 것에서 알 수 있는 것과 같이 근거의 수준이 높지 않은 기술들도 근거의 불확실성을 지닌 채 당시 의료시장에 진입하는 경우가 다수 있다.

요통에서의 주사치료는 좋은 사례이다. 요통의 환자 수는 2008년 청구 자료로 파악하면 212만 명 규모이며, 청구된 국소부위 주사치료비용은 요통환자 청구진료비의 3.1%에 해당되는 200억 원 규모였다. 체계적 문헌 고찰결과 에 의하면 요통에서 반복적인 주사치료가 장기적으로 볼 때 어떠한 영향을 주는지에 대한 연구가 희박하고, 간접적으로 보았을 때도 대조군에 비해 치료실패율에서 차이가 있다고 말할 수 없었다(한국보건 의료연구원, 2009). 이 연구 결과에 대해 신경외과, 마취통증의학과, 재활의학과, 정형외과 전문가를 초청하여 논의한 결과 전문과목 과 간, 전문가 간에 요통의 국소 주사요법에 대한 효과 및 사용권장 여부에 대해 이견이 좁혀지지 못하였다. 이를 반영하듯 당시 연구 결과에서 주사치료의 사용률이 지역 간 네 배의 차이를 보이고 있었다(한국보건 의료연구원, 2009).

이것은 근거가 불확실하고 이로 인해 전문가의 합의를 도출할 수 없고 이와 관련되어 사용량의 변이가 존재하는 한 사례라 할 수 있다. 실제 스웨덴의 의료기술평가결과(Jonsson, 2010) 이 요법은 근거가 없는 것으로 평가되기도 하였다. 이러한 경우 실제 치료법 간의 비교효과연구를 수행하는 것이 궁극적인 해답이 될 수 있다.

기존의 사용되고 있는 의료기술들 간의 효과 차이의 불확실성을 안고 사용되고 있는 다른 의료 기술의 예로서 골다공증 진단기술을 들 수 있다. 건강보험요양급여비용(건강보험심사평가원, 2012)에 의하면 몇 가지 골다공증 진단법의 상대가치 점수와 이를 의원급에 적용한 가격을 보면 아래와 같다(표 1).

표 1 골다공증 진단기술의 상대 점수와 가격

진단검사법	점수	2012년 의원급(원)
양방사선 골밀도 검사 1부위	449.33	30779
양방사선 골밀도 검사 2부위	531.08	36379
정량적 전산화 단층 골밀도검사 QCT, PQCT	470.05	32198
방사선 흡수측정기 방식	176.33	12079
기타 방법(초음파 골밀도측정, 등)	284.00	19454

양방사선 골밀도 검사와 초음파 골밀도 측정의 비용이 크게는 두 배 차이가 날 수 있는데 보건복지부 고시 제2012-139호의 급여기준에 따르면 양방사선 골밀도 검사(DXA)를 사용한 골밀도 측정 시에는 T-score가 -2.5이하에서 급여하며 초음파 등을 사용한 기타 진단법의 경우는 -3.0이하에서 급여한다고 공표하였다. 이는 초음파 등을 이용한 진단법의 정확도가 떨어지기 때문에 엄격한 기준을 적용한 것으로 추측할 수 있다. 그러나 DXA 검사와 초음파 검사의 결과 값이 -2.5와 -3.5가 서로 상응하는 값이란 근거는 없다. 실제로 Nayak 등이 양방사선골밀도검사(DXA)를 참조기준으로 하여(Nayak, 2006) 초음파진단기기의 진단정확성에 대한 체계적 문헌고찰의 결과를 보면 다음 표와 같다(표 2).

표 2 초음파 골다공증 진단기기의 골밀도 값에 따른 정확도

정량적 초음파 T-score threshold	민감도(%)	특이도(%)
0.0	90-94	15-32
-0.5	84-89	32-45
-1.0	76-82	56-60
-1.5	58-70	72-77
-2.0	37-57	81-90
-2.5	21-45	88-96

즉 문턱값을 낮출수록 특이도는 올라가나 민감도는 현저히 떨어지게 되어 -3.0 의 값을 기준으로 급여하게 되면 실제 치료 받아야 할 많은 사람들이 누락되게 되고 그 결과 장기적으로 골절 발생이 증가하고 이에 따른 환자의 삶의 질의 저하와 의료비용의 증가가 예상된다. Nayak 등은 초음파검사로는 DXA로 진단된 골다공증에 대한 진단의 포함이나 배제를 하는데 불확실하여 골다공증의 스크리닝에 어떤 역할을 할 수 있을지 불확실하기 때문에 추가적인 임상연구가 필요하다고 결론 내리고 있다. 그러나 현행 급여는 두 검사 다 인정하고 있고 임의로 정한 차별된 T-score의 문턱 값을 제시하고 있어 현재로서는 최선의 급여기준 결정이라고 할 수 있을지 모르나 합리적인 기준이라고 볼 수는 없다. 골다공증 환자가 국민건강보험공단의 통계로 볼 때 2003년 44만 명, 2006년에는 49만 명, 2008년에는 62만 명으로 계속 증가 추세에 있는 점을 감안한다면 이는 국민건강의 질적 수준과 관련되고 의료비 지출의 효율적 사용과도 관련된 중요한 이슈임이 분명하다. 그러나 그럼에도 불구하고 누구도 이와 관련된 진단법 간 비교효과 연구에 투자를 하지 않고 있고 다른 대안이 없이 진행되고 있는 불편한 진실로 남아있다. 이에 대해서도 비교효과연구가 진행되어야 할 필요가 있다.

이상을 요약하면 규제적 성격의 허가를 위한 임상연구는 제한된 정보를 제공하고 있고 의학의 발전으로 많은 기존의 축적된 대체할 만한 의료기술들이 존재한다는 점, 그리고 불확실성이 있는 상태로 확산된 의료기술들이 상존하고 있고 새로 도입되는 신의료기술 중에서도 불확실성이 있는 상태에서 시장에 확산되고 있다는 점, 의료기술의 사용량 변이가 존재하고 어떤 의료기술이 그 상황에 가장 적절한 것인지에 대해서 전문가들 간에도 합의가 부족하다는 것 그리고 공적 재원의 합리적 사용을 위한 더 많은 근거를 필요로 한다는 점에서 이러한 비교효과연구의 필요성에 대한 사회적 공감대 형성이 필요하고 투자가 필요하다.

2. 미국과 유럽의 비교효과연구의 역사적 배경과 추진전략

2.1. 배경 및 목적

우리나라의 국민총의료비, 건강보험급여비 및 가계부담 의료비는 급속도로 증가하는 추세에 있다. 우리나라 의료비 지출은 2009년 현재 73.7조 원으로 GDP의 6.9%를 차지하고 있으나 머지않아 OECD 평균인 9.6%선으로 증가할 것으로 예측된다(OECD, 2011). 의료비 급증으로 인한 보험재정 위기는 세계적으로 나타나고 있는 현상이며, 이를 해결하기 위하여 국민건강의 질적 향상과 함께 보험재정의 효율성을 향상시키려는 목적으로 의료 중재 간의 효과를 객관적이고 체계적으로 비교하려는 노력이 여러 나라에서 나타나고 있다. 이러한 노력은 비교효과연구라는 개념을 등장시켰다. 우리나라도 급증하는 의료비 지출을 적정화하고 효율화하기 위한 방안을 고심하고 있는데, 이러한 방안의 일환으로 여러 중재 간의 효과를 서로 비교하는 근거를 생성하고 합성하는 세계적인 추세를 이해하고 이를 한국에 적용시키고자 하는 노력이 필요하다. 이에 따라 본 장에서는 국외의 사례 분석을 통해 각국의 비교효과연구와 관련된 움직임을 파악하고자 한다.

2.2. 국외 비교효과연구의 역사적 배경과 추진전략

여러 나라에서 국가주도 또는 비영리단체의 공익을 목적으로 한 비교효과연구와 비슷한 형태의 연구를 찾기 위하여 Medline, Google, 여러 의료기술평가기관 홈페이지를 방문하여 비교효과연구 관련 개념이 어떻게 제시되어 있는지 검토하였다. 1차 검토는 2012년 5월 1일 부터 2012년 6월 30일까지 이루어졌으며, 2차 추가검색을 통하여 2012년 12월 31일까지의 업데이트된 자료를 반영하였다. 검색어는 “comparative”, “relative effectiveness” 등을 활용하였고 관련 문헌들의 참고문헌들도 수기 검토하였다. 검색된 문헌을 검토하여 국가 별로 역사적 맥락, 전략(strategic framework), 조직, 자원, 사업수행절차, 주요 사업, 영향, 추후 전망 등을 분석하고자 하였다.

2.2.1. 미국

2.2.1.1. 역사적 맥락

미국의 보건의료비 지출 규모는 해마다 가파르게 상승하고 있으며 2009년에는 GDP의 17.6%퍼센트를 차지하였다. 미국에서의 막대한 보건의료 지출은 고령화 사회, 의료기술의 발전, 보험 체계 등이 크게 작용하였지만, 무엇보다도 다양한 인구집단에서 여러 의료기술들의 이점에 대한 질 높은 근거의 부재 때문에 환자진료 형태의 큰 차이가 발생하였

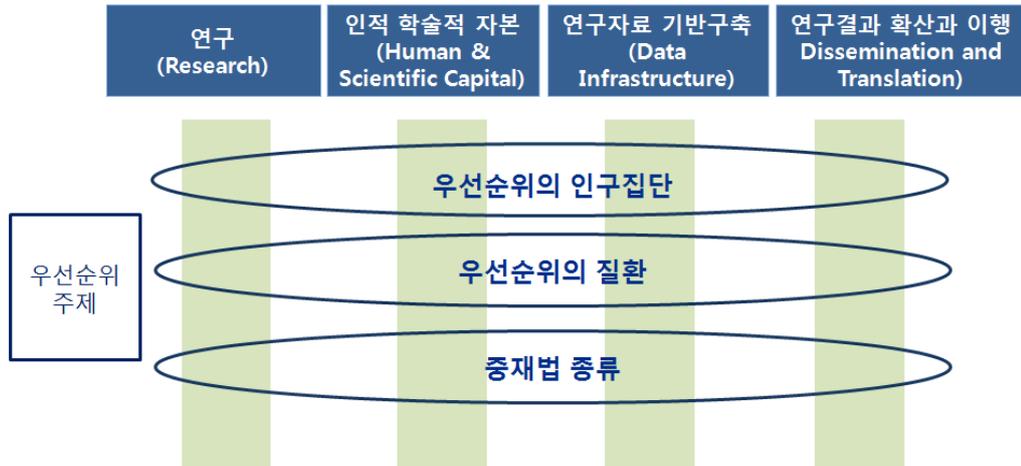
고, 결국에는 보건의료체계의 낭비를 가속화한 것으로 나타났다(Robert, 2009). 이에 따라 최상의 결과를 가져오는 효과적인 중재법들을 적절한 환자들에게 제공하는 보건의료전달체계를 구축하는 것이 필요하다는 의견이 대두되었고, 실제 현실에서 다양한 환자집단에 대해서 여러 의료기술들을 비교하여 해당 중재법의 점증적 가치를 이해하는 것이 선결되어야 한다는 중론이 모아졌다(Deloitte, 2011). 이에 따라 비교효과연구 개념이 제안되었다. 2009년 오바마정부는 미국경제 회생정책을 위한 법안인 American Recovery and Reinvestment Act(이하 ARRA)를 통해 보건의료 부문에 비교효과연구를 처음으로 도입하였으며 2010년 Affordable Care Act를 통해 비교효과연구를 즉각적이고 효과적으로 담당하게 될 Patient-Centered Outcomes Research Institute(이하 PCORI)를 설립하였다(Sox, 2010).

2.2.1.2. 전략(Strategic framework)

비교효과연구의 목적은 소비자, 임상 의사, 구매자, 정책결정자가 개인 수준 혹은 인구집단 수준에서 보건의료를 향상시킬 의사결정을 할 수 있도록 정보를 제공하는 것이다(IOM, 2009).

미국에서는 비교효과연구의 정의와 우선순위에 대한 기준을 정한 뒤, 비교효과연구의 활동과 재정지원에 대한 전략적 틀을 개발하였다(그림 1). 이 전략적 틀은 비교효과연구의 현재 활동을 분류하고 근거 간극(gap)을 확인하며 우선순위가 높은 권고사항에 대한 결정을 알려주는 것을 목적으로 하고 있다. 이 전략적 틀을 통해 비교효과연구 중에서 우선순위가 높은 주제를 선정하고, 연관 있는 연구기반을 구축하기 위해 신속하게 재정지원 결정을 하고, 장기간의 전략적 결정을 내리게 된다. 본 전략적 틀의 핵심은 비교효과연구가 필요하다고 의견이 대두되는 주제에 대해 시의적절하게 대응하여 환자, 의사, 그리고 보건의료관련 종사자들이 의사결정을 내릴 때 도움을 주고자 하는 것이다(US DHHS, 2009).

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시



출처: modified from US DHHS, 2009

그림 1 비교효과연구의 전략적 틀(종류와 주제)

전략적 틀은 비교효과연구의 활동을 크게 네 가지로 구분하고 있는데 연구(research), 인적 학술적 자본(human & scientific capital for CER), 연구자료 기반 구축(data infrastructure), 연구결과 확산과 이행(dissemination and translation of CER)이 그것이다.

첫 번째 연구는 일차연구나 메타분석과 같은 활동이나 투자를 의미한다. 예를 들면 특정 질환에 대한 치료법들을 비교하여 재입원률에 미치는 영향을 조사하는 것이다. 이러한 활동이나 투자에 연관된 조직들은 연구에 대한 재정지원을 하거나 그들이 직접 연구를 수행하거나 연구의 우선순위를 정립하는 데에 도움을 줄 수 있다.

두 번째 인적 학술적 자본은 비교효과연구를 위한 미국의 역량을 향상시키는 활동이나 투자를 의미한다. 예를 들면 비교효과연구를 수행하기 위하여 새로운 연구자들을 교육하거나 비교효과연구 방법론을 개발하는 것이다. 이러한 활동이나 투자에 연관된 조직들은 1) 인력 양성이나 교육에 직접적으로 관여하거나, 2) 새로운 비교효과연구 방법론을 개발하거나 비교효과연구 결과들의 타당성을 검증하거나, 3) 비교효과연구의 타당한 접근방법에 대해 의견일치를 이루는데 관여한다.

세 번째 연구자료 기반 구축은 연구자료 저장 기반, 시스템, 도구들을 개발하고 구축하며 유지하는 일련의 활동이나 투자를 의미한다. 예를 들면 임상진료 자료 네트워크 개발, 보험청구 자료 또는 전자 건강관련 기록 자료를 장기적으로 연계, 환자 레지스트리 구축 등이 있다. 이러한 활동이나 투자는 1) 새로운 연구 자료를 조성하거나, 2) 현존하는 여

러 자료들을 합치거나, 3) 이미 존재하는 자료들을 분석하는 새로운 도구를 개발하거나, 4) 새로운 자료 수집 기준을 만드는 것을 포함한다.

네 번째 연구결과 확산과 이행은 비교효과연구의 결과를 확산하고 실제 임상현실에 반영하는 활동이나 투자를 의미한다. 예를 들어 임상가와 환자들이 비교효과연구 결과를 이해하고 현실에 반영할 수 있게 하는 도구와 방법들을 개발하는 것이다. 이러한 활동이나 투자는 비교효과연구 결과를 확산하고 배포하는 것부터 이런 결과를 이행하고 적용하는 것을 통해 보건의료의 과정이나 성과, 보건의료시스템을 개선하는 것을 포괄한다.

지금까지 비교효과연구의 네 가지 활동들을 설명하였다. 비교효과연구는 특정 주제를 가지는데, 특정 주제와 관련된 활동이나 투자는 앞서 설명한 비교효과연구의 네 가지 종류를 하나 또는 그 이상 포함할 수 있다. 특정 주제들은 크게 질환별, 환자 집단별, 중재법 종류별로 구분할 수 있는데, 이들 종류 중에서 우선순위가 높은 주제들이 비교효과연구의 주제가 된다.

특정 질환이나 질병 상태에 대해 연구비를 투자하고 지원하는 것은 일반적인 연구지원 형태이다. 특정 질환(예를 들어 암이나 심부전)에 대한 네 가지 종류의 비교효과연구 활동은 그 질환 분야에서의 환자 중심의 성과를 개선시킬 수 있는데, 이러한 비교효과연구 활동의 예로 종양학 분야의 일차적 비교효과연구 지원, 완화치료에 대한 비교효과연구의 새로운 방법론 개발, 암등록 자료의 확대, 비교효과연구 이행 전략의 시범사업을 위한 암센터와의 협력 등이 있다.

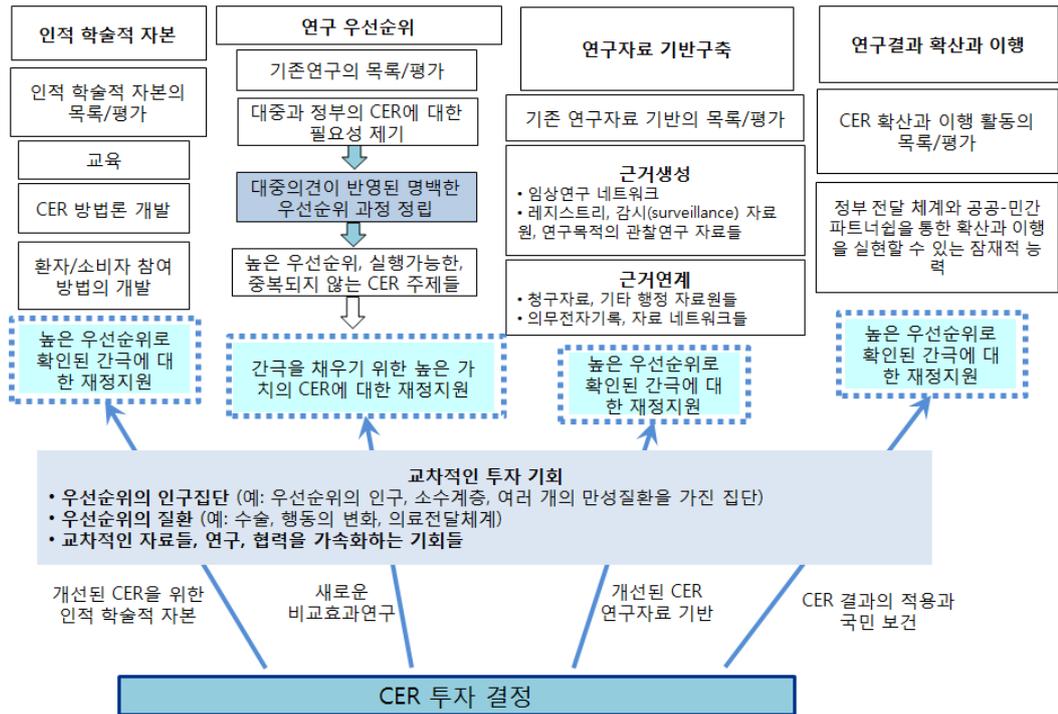
환자집단은 예를 들어 노인층이나 소수계층, 아동, 장애인 등을 의미하는데, 일반적인 임상시험연구는 해당 환자에 대한 정보를 제공하지만 그 연구의 시험 대상이 아닌 환자집단에 대한 정보는 취약하다. 미국의 사설조직에서 지원하는 임상연구는 노인층, 소수인종, 아동, 장애인을 포함하기도 한다. 그러나 미 국립보건원(the National Institutes of Health, 이하 NIH)은 모든 공적인 지원을 받는 임상연구들에 적절한 수의 여성과 소수인종을 포함할 것을 요구한다. 이에 따라 이러한 인구집단의 정보를 반영한 연구활동이나 이에 대한 투자는 모든 미국인들이 비교효과연구로부터 수혜 받는 것을 보장할 수 있다.

중재법의 종류에는 의약품, 의료기기, 수술이나 시술, 행동의 변화, 진단검사, 의료전달체계 전략이 포함되는데, 이들 각각에 대해 비교효과연구의 네 가지 활동 영역인 연구, 인적 학술적 자본, 연구자료 기반 구축, 연구결과 확산과 이행 모두에 대한 활동이나 투자가 가능하다. 추가로, 예방, 진단, 치료, 관리 등의 질환의 특정 단계에서의 중재법에 대한 주제로 비교효과연구 활동을 할 수 있다.

미국에서는 비교효과연구 전략적 틀에 따라 현재와 과거의 정부의 연구에 대한 지원이나 활동을 목록화하여 계속 유지하는 것이 비교효과연구 지원에 대한 의사결정에 있어서 중요

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

하다고 보고 있다. 이 목록은 비교효과연구에 대한 연례보고서의 중요한 요소이다. 연구사업을 목록화 하고 근거 간극에 대한 분석(gap analysis)을 하고 향후 지원해야 할 우선순위 활동을 정립하는 과정은 반복적이어야 한다. 이에 대한 과정은 아래 그림과 같다(그림 2).



출처: modified from US DHHS, 2009

그림 2 비교효과연구의 전략적 틀을 사용한 목록과 투자 결정

결론적으로 미국에서는 비교효과연구에 대한 전략적 틀을 마련하여 이를 연방정부에서 진행 중인 비교효과연구 활동이나 투자를 정리하고 미 보건복지부의 ARRA에 의한 투자 전략 개발을 도우며 여러 각도로 비교효과연구의 수행을 지속적으로 추적하고 감독하는 전략적이고 분석적인 도구로 유용하게 사용하고 있다(US DHHS, 2009).

2.2.1.3. 조직

미국의 비교효과연구에 관련된 조직으로 살펴보면 할 조직은 크게 두 개가 있는데 복지부(the U.S. Department of Health & Human Services (이하 DHHS) 산

하에 있는 12개 조직 중 하나로 보건의료연구및질관리청 (Agency for Healthcare Research and Quality, 이하 AHRQ)와 비영리독립법인인 환자중심 성과연구원 (Patient-Centered Outcomes Research Institute, 이하 PCORI)가 그것이다.

2.2.1.3.1. AHRQ

AHRQ는 1989년 12월 19일 Omnibus Budget Reconciliation Act of 1989에 의해 Agency for Health Care Policy and Research로 설립되었고 1999년 12월 6일 Healthcare Research and Quality Act of 1999에 의해 quality research를 수행하는 주도적인 연방 조직으로 Agency for Healthcare Research and Quality라는 이름으로 재인가 받았다(AHRQ, 2012). 2003년의 Medicare Prescription Drug, Improvement, and Modernization Act의 1013조에 따라 AHRQ는 Effective Health Care Program을 새로 신설하여 여러 종류의 중재법이나 임상적 접근방식들의 효과와 성과를 비교하는 연구를 수행하고 지원하여 보건의료의 질, 효과, 효율성을 증진시키는 중추적인 역할을 맡게 되었다. Effective Health Care Program은 2005년에 처음으로 천 오백만 달러 규모의 예산을 배정 받아 위 역류성 질환에 관한 치료 대안들의 비교효과에 대한 첫 연구 결과를 생산하였다. 2009년 2월 19일, the American Recovery and Reinvestment Act (ARRA)에 의하여 오바마 정부의 \$787 billion economic stimulus package 중 11억 달러는 comparative effectiveness research (CER)에 배정되었는데 AHRQ의 Effective Health Care Program이 3억 달러를 수혜받았다(EHC, 2012).

AHRQ가 지원하는 Effective Health Care Program은 비교효과연구를 위한 세 개 부분 프로그램으로 구성이 되어 있다. 이를 통해 근거의 간극을 확인하고 새로운 근거를 생성하여 이를 확산하고 이행하려 한다(Sox, 2010).

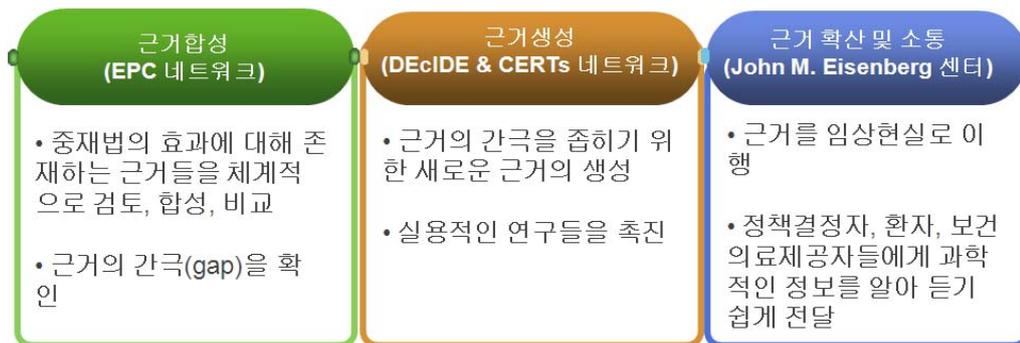
첫 번째 프로그램은 근거를 합성하는 Evidence-based Practice Centers(이하 EPC)를 포함하는데, 이는 1997년에 처음으로 형성되었다. 이들 센터들은 체계적 문헌고찰을 수행하여 보건관련 의사결정에 있어 도움이 되는 근거를 제공하고 근거의 간극을 확인하고 있다. 본래 EPC의 세 가지 활동 목적은 미국의 Centers for Medicare & Medicaid Services에 제공하기 위한 의료기술평가를 수행하고, U.S. Preventive Services Task Force의 업무를 지원하며, Effective Health Care Program을 위한 비교효과 문헌고찰(comparative effectiveness review)의 형태를 지닌 체계적 문헌고찰을 수행하는 것이다. 2012년 8월에 네 번째로 5년 계약을 11개 센터와 맺었다(EPC, 2012).

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

두 번째 프로그램은 2005년에 형성된 Developing Evidence to Inform Decisions about Effectiveness (DEcIDE) 센터들의 네트워크를 포함한다. 이들의 주된 임무는 근거 생성인데, 의사결정자들의 요구에 따라 이미 존재하는 자료들을 분석하여 빠른 시간 내에 이에 대한 근거를 제공함을 목적으로 한다. 특정 중재법에 대한 새로운 지식과 정보를 수집하여 성과, 효과, 안전성과 유용성에 대한 결과를 제공한다. 현재 11개 센터가 DEcIDE 네트워크를 구성하고 있다. 두 번째 프로그램에는 근거를 생성하는 Centers for Education and Research in Therapeutics (이하 CERTs) 네트워크도 포함되는데, 이미 존재하는 또는 새로운 중재법들이나 병용요법에 대한 이득과 유해에 대한 연구를 하고 대중을 교육함을 목적으로 한다. 또한 개별 연구자에 대한 연구비를 지원하거나 조직이나 개인의 교육비도 지원하고 있다. 현재 6개의 센터가 CERTs 네트워크를 구성하고 있으며 이들 각각은 심혈관계 질환, 정신건강, 근골격계 질환 등의 광범위한 치료학적 주제에 주안점을 두고 있다(EHC, 2012; Sox, 2010).

세 번째 프로그램은 근거를 확산하는 John M. Eisenberg Center를 포함한다. 여기서는 비교효과연구의 결과를 소비자, 임상가, 정책결정자들에게 충분히 잘 전달하기 위하여 연구 결과 요약본을 제공하고 도구를 개발하여 비교효과연구의 결과로 나온 근거를 확산하고 이행함을 목적으로 한다(EHC, 2012).

지금까지 설명한 AHRQ가 지원하는 Effective Health Care Program의 세 개 부분 프로그램은 아래 그림과 같이 정리할 수 있다(그림 3).



EPC = Evidence-based Practice Centers
 DEcIDE = Developing Evidence to Inform Decisions about Effectiveness
 CERTs = Centers for Education and Research in Therapeutics

그림 3 AHRQ의 Effective Health Care Program의 구성

2.2.1.3.2. PCORI

2010년 3월 23일, Obamacare라고도 불리는 the Patient Protection and Affordable Care Act (PPACA)가 의료보험 혜택을 받지 못하는 사람의 수를 줄이고 보건의료 비용을 감소시킬 목적으로 제정 공포되었다. 이 중에서 6301 조는 국민들이 정보에 근거하여 건강관련 의사결정을 내리도록 도움을 주고 중재법의 성과와 보건의료제공이 개선될 수 있도록 도움을 주기 위한 목적으로 PCORI를 설립하는 내용이 담겨져 있다. PCORI를 구성하는 두 개의 중요한 위원회가 있는데, 간사회(Board of Governors)와 방법론위원회(Methodology Committee)가 그것이다. 이 두 위원회는 미국 Government Accountability Office (GAO)의 수장인 감사원장에 의하여 임명된다.

2010년 9월에 구성된 간사회는 여러 다양한 전문가 21인(AHRQ의 Director, 미국립보건원의 Director, 환자와 소비자 대표 3인, 외과의사 1인을 포함한 의사 4인, 간호사 1인, 주 면허가 있는 통합의료제공자 1인, 병원 대표 1인, 사보험 대표 3인, 산업계 대표 3인, 보건서비스 연구자 1인, 연방정부나 주정부 대표 2인)으로 구성된다(NPC, 2010).

방법론위원회는 17인으로 구성되어 연구의 방법론적 기준을 정의하고 환자 중심의 성과 연구를 위한 최상의 방법을 개발하고 정기적으로 갱신하는 것을 목적으로 한다. 방법론 위원회는 크게 세 개의 소위원회로 구성이 되는데, 환자중심(patient-centeredness), 연구 우선순위(research prioritization), 연구 방법(research methods) 소위원회가 그것이다.

환자중심 소위원회는 여러 단계에서 환자의 관점을 포함하는 방법론적 기준을 규정함을 목적으로 한다. 환자의 관점을 포함해야 하는 단계는 연구주제를 도출하고 우선순위를 정하는 단계, 중재법과 비교대안 및 성과를 결정하는 연구를 디자인하는 단계, 의사결정이나 보건의료 전달을 하는 단계이다.

연구 우선순위 소위원회는 연구들의 우선순위를 부여하는 방법을 정립함을 목적으로 하는데, 이를 PCORI 간사회에 제시하여 미래의 연구 우선순위 정립을 도와주고 다방면의 이해관계 당사자들에게 제시하여 PCORI의 연구 우선순위 접근방식의 이해를 도와줌과 동시에 우선순위 설정 과정에의 참여를 독려하고자 한다. 이 소위원회는 주제 생성, 체계적 문헌고찰을 통한 근거 간극 분석, 정보의 가치에 대한 분석, 동료검토 측면에서 우선순위를 부여하는 방법론적 기준을 규정하고 있다. 첫 번째 측면인 주제 생성에 대해서는 향후 연구의 우선순위 분야를 확인하는 전략을 제안하여 그 방법론적 기준을 정립한다. 두 번째 측면인 근거 간극 분석은 새로운 연구 주제를 생성하기 위해 어떻게 PCORI 체계적 문헌고찰을 수행해야 하며 그 결과를 어떻게 이용할 수 있는지 그 방법론적 기준을 정립한다. 세 번째 측면인 정보의 가치에 대한 분석은 연구의 결과를 통해 기대되는 가치를 계량화하

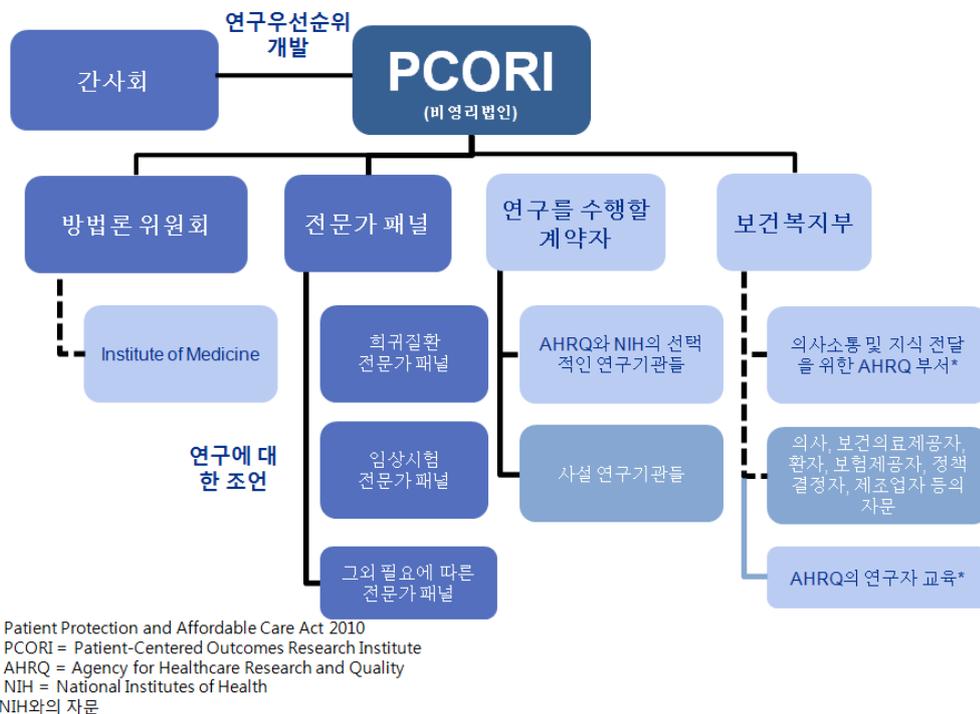
우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

는 도구를 PCORI 간사회나 연구비 수혜자에게 제공하여 연구의 우선순위에 대한 정보를 제공하고자 한다. 네 번째 측면인 동료 검토는 PCORI가 동료 검토 과정을 어떻게 디자인하고 평가하며 지속적으로 개선시켜야 하는지에 대한 정보를 주는 자료를 제공함으로써 방법론적 기준을 정립한다.

연구 방법 소위원회는 다음의 세 가지 방법을 통해 방법론적 기준을 정립하고자 한다. 첫 번째, 연구주제로부터 연구의 디자인과 분석을 도출할 수 있는 이행 표(translation table) 또는 도구를 개발한다. 두 번째, 전문가들이 제시하는 현재 상태에서 최상의 방법들을 검토하여 PCORI 연구 수행을 돕는다. 세 번째, 임상현실에서 수집된 자료로부터 인과관계를 탐구할 수 있도록 하는 기존의 자료 체계를 검토하고, 이 분야에서의 PCORI의 역할을 정립한다(PCORI, 2012).

PCORI는 앞서서 제시한 방법론 위원회 뿐 아니라 임상시험, 희귀질환, 그 외 필요에 따라 구성된 전문가 패널로부터 자문을 받을 수도 있다.

지금까지 살펴본 PCORI의 구조와 AHRQ 등 그 외의 기관과의 관계는 아래 그림과 같다(NPC, 2010)(그림 4).



출처: modified from NPC, 2010

그림 4 PCORI의 구성과 다른 조직과의 관계

다시 정리하자면 PCORI는 비영리 법인으로 미 정부 조직이 아니다. 전문가 자문 패널을 구성하여 연구 우선순위를 정립하고 연구 사업 주제들을 수립할 수 있으며 방법론 위원회가 상설되어 비교효과연구의 방법을 개발하고 개선시키는 역할을 수행한다. 연방정부 조직이나 민간 기관과 계약을 맺어서 연구 수행과 재정관리를 맡길 수 있다.

PCORI의 주요 기능은 다음과 같다(Sox, 2010).

첫째, 근거의 질과 연관성을 개선시켜 환자, 임상가, 구매자, 정책결정자들이 정보에 근거한 건강관련 결정을 내릴 수 있도록 돕는 것이다.

둘째, 연구의 국가적인 우선순위를 확인하는 것이다.

셋째, 확인된 우선순위 연구 주제에 대하여 연구사업 목록(inventory)을 확립하고 갱신하는 것이다.

넷째, 연구사업 목록에 일차 연구와 체계적 문헌고찰을 포함한다.

다섯째, 방법론 위원회가 추천하고 간사회에서 승인한 무작위 배정 비교임상시험, 관찰연구, 기타 방법의 일차연구를 포함한다.

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

여섯째, 여러 다양한 인구집단에서의 중재법의 효과를 평가할 수 있는 연구를 디자인한다.

일곱째, 일차연구의 과학적 타당도와 방법론적 기준에 부합하는 정도를 평가하기 위하여 일차연구에 대한 동료검토(peer review) 과정을 정립한다.

여덟째, 연구결과를 임상가, 환자, 그리고 일반 대중에게 연구 결과가 도출된 후 90일 안에 확산한다.

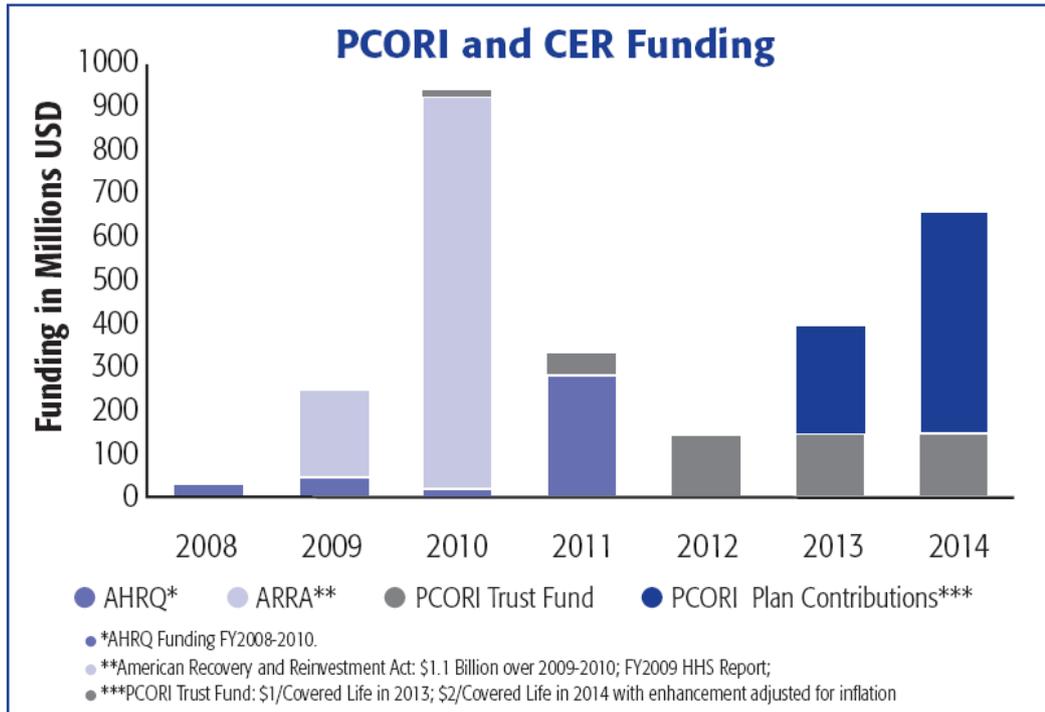
마지막으로 의회와 대통령에서 연례보고서를 제출한다.

2.2.1.4. 재원

미국에서는 2009년도에 American Recovery and Reinvestment Act에 의거 미화 11억 달러를 비교효과연구에 배정하였다. 이는 세 개의 기관으로 배분되었는데, NIH에 4억 달러, AHRO에 3억 달러, OS-DHHS에 4억 달러가 배정되었다.

미국에서는 American Recovery and Reinvestment Act가 제정된 2009년 그 다음 해인 2010년도에 Patient Protection and Affordable Care Act (PPACA)가 제정되어 비교효과연구를 지원하기 위한 민간 비영리 독립기관인 PCORI가 설립되었다. 2013년도부터 미국의 Medicare와 모든 민간 건강보험 회사들은 보험 수혜자 수에 비례하여 세금을 납부해야 하고, 이는 PCORI를 지원하기 위한 신탁기금인 Patient-Centered Outcomes Research Trust Fund (PCORTF)로 조성된다. 이에 따라 PCORI에 대한 재원은 의회의 예산 결정 과정에서 논의가 되지 않을 것이다 (Sox, 2010). PCORI는 2019년 9월 30일까지 PCORTF를 통해 총 35억 달러를 받게 될 것으로 추정된다. PCORI에 대한 재정은 PPACA 1183 조와 9511 조에 자세히 기술되어 있는데 간단히 살펴보면 다음과 같다. 연도별 재정규모를 보면 2010년에 1천만 달러, 2011년에 5천만 달러, 2012년에 1억 5천만 달러가 국가 일반재정에서 배정되었다. 2013년에는 국가 일반재정에서 1억 5천만 달러가 배정되고, Medicare와 모든 민간 건강보험 회사들의 가입자 1인 당 연간 1달러가 추가되어 총 3억 2천만 달러의 재정규모를 가질 것으로 추정된다. 2014년부터 2019년까지는 국가 일반재정에서 1억 5천만 달러가 배정되고, 보험 회사들의 가입자 1인당 연간 세금이 2달러로 인상되어 추가된다. 또한 보건의료 지출의 증가를 보정하기 위하여 전년도의 1인당 세금액(2013년에는 1달러, 2014년부터 2019년까지 2달러)에 1인당 보건의료지출 추정액(projected per capita amount of National health Expenditures)에 대한 증가 백분율을 곱한 금액을 추가한다. 이렇게 되면 2014년부터 2019년까지 매년 총 6억 5천만 달러의 재정규모를 가질 것으로 추정된다. PPACA는 해마다 PCORTF 재정의 20 퍼센트를

Department of Health and Human Services에 이전하여 연구결과 확산과 연구 기반 구축을 지원하도록 하고 있다. 이 중에 80%는 같은 목적으로 AHRQ로 이전된다 (PCORI, 2012). PCORI와 AHRQ의 비교효과연구 재정은 아래 그림과 같다(NPC, 2010)(그림 5).



출처: modified from NPC, 2010

그림 5 PCORI와 CER의 재정 규모

2.2.1.5. 사업수행절차

사업수행절차라 함은 사업의 주제선정, 우선순위 선정, 연구공모, 연구관리, 연구평가, 연구 확산 등을 말한다. 앞서서 설명했듯이 미국의 비교효과연구의 우선순위에 대한 사항은 2009년도에 이미 IOM에서 그 초안이 마련되었다(IOM, 2009). AHRQ의 Effective Health Care program을 통해 EPC, CERTs 네트워크, DEcIDE 네트워크 등이 연구를 수행하고 있으며 이에 대한 연구관리, 연구평가, 연구 확산 등도 AHRQ에서 진행하고 있다. 비교효과연구를 주도적으로 수행하게 될 PCORI는 그 사업수행절차가 아직 뚜렷하게 제시되지 않았고 그 절차를 정립하는 과정에 있다.

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

PICORI의 사업 수행 절차는 아직 명확하지 않으나 다음과 같은 단계나 절차에 대한 논의가 진행 중이다(NPC, 2010).

첫 번째, 감사원장이 간사회를 구성하는 위원들을 임명한 후 간사회가 국가적인 연구 우선순위를 확인한다. PCORI는 연구 사업 목록을 정립하고 동료 검토 과정을 확립하며 임상시험과 희귀질환 등에 대한 전문가 패널을 구성한다.

두 번째, 대중의 의견을 받는 단계이다. 사업 수행 최소한 60일 전에 45일 동안 국가적 연구 우선순위, 연구 사업 목록, 동료 검토 과정에 대하여 대중의 의견을 수렴한다. 이후 간사회는 국가적 연구 우선순위, 연구 사업 목록, 동료 검토 과정을 받아들이고 PCORI는 연구 사업 목록에 따른 비교효과 연구를 수행하고 재정을 관리하기 위하여 계약을 맺는다.

세 번째, PCORI는 그 활동에 대하여 연례 보고서를 발행하고 회계감사를 받으며 감사원장은 이들을 모두 검토하여 필요시 입법제안도 한다.

네 번째, PCORI의 간사회가 구성된 이후 방법론위원회는 필요 시 IOM, 여러 학회의 자문을 받는다. 방법론 위원회는 방법론적인 기준에 대하여 대중의 의견을 수렴한 후 이를 발표하고 간사회가 사용할 이행 표(translation table)를 발표한다.

다섯 번째, 방법론 위원회의 방법론적 기준과 이행 표를 적용하기 최소한 60일 전에 이에 대해서 45일 간 대중의 의견을 받은 후에 간사회는 방법론적 기준과 이행 표를 받아들인다.

여섯 번째, 5년 마다 감사원장은 PCORI의 연구 우선순위와 연구사업을 검토하고, Human and Health Services의 확산과 교육, 연구자료 기반 구축에 대한 사업 내용도 검토한다. 이어 감사원장은 PCORI 활동의 효과 및 혁신성과 보건 의료 경제에 미치는 영향을 검토한다.

마지막으로 8년 차에는 감사원장이 PCORI의 재정을 검토한다.

2.2.1.6. 주요 사업

미국에서 2009년도에 제정된 American Recovery and Reinvestment Act는 크게 세 가지의 내용을 포함한다. 첫째, 11억 달러를 비교효과연구에 대한 공적인 연구비로 제공하는 것과 둘째, 비교효과연구를 위한 연구 주제 우선순위를 IOM에서 결정하는 것, 그리고 마지막으로 일상적 진료 세팅을 반영하는 비교효과연구를 수행할 수 있는 국가적인 연구 기반을 향상시키는 것이다. 이와 관련된 주요 사업은 연구(research), 인적 학술적 자본(human & scientific capital for CER), 연구자료 기반 구축(data infrastructure), 연구결과 확산과 이행(dissemination and translation of CER)

으로 구분할 수 있다(US DHHS, 2009).

11억 달러가 세 개의 기관, AHRQ, NIH, OS-DHHS에서 사용된 사업 내용을 보면 다음과 같다. AHRQ에 배정된 3억 달러는 아래 7가지 사업 내용으로 쓰이고 있다(Sox, 2010).

- 비교효과연구가 다루어야 할 새롭고 중요한 주제를 검색하는 과정을 지속적으로 지원
- 8개의 EPC를 지원하여 근거를 합성하고 근거의 간극(gap)을 확인하는 연구를 계속 하게 하여 AHRQ의 사업계획에 필요한 정보를 제공
- 비교효과연구 결과를 임상현실에 반영하기 위한 전략을 개발하고 검증하는 사업을 지원
- 임상적인 효과를 비교하는 근거를 생성하기 위하여 AHRQ에서는 Clinical and Health Outcomes Initiative in Comparative Effectiveness (CHOICE) 연구비를 제공. 천만 달러 규모의 연구비를 10개의 사업에 제공하여 AHRQ의 14개 우선순위 질환 중 최소한 한 개의 질환에 대한 대규모 실용적 임상연구를 지원
- 특정질환을 가진 환자 또는 특정 임상서비스를 제공받은 환자에 대한 임상적 정보를 수집하는 레지스트리 구축을 지원
- 비교효과연구를 수행하기 위한 인적자원 개발을 지원
- 비교효과연구 사업에 시민을 참여하게 하는 사업을 지원

NIH에 배정된 4억 달러는 임상적 질문에 대해 직접적으로 근거를 제공할 수 있는 165개의 연구 사업을 지원하고 있다.

DHHS에 배정된 4억 달러는 비교효과연구를 지원하기 위한 연구기반 구축을 강화시키는데 주로 사용되고 있다. 비교효과연구의 중요 초점인 지역사회에서의 치료에 대한 관찰 연구를 수행할 수 있는 대표성 있는 인구집단 자료를 제공할 수 있게 상당수의 재정을 투자하고 있다. DHHS의 사업 내용은 다음의 4가지 항목 중 하나에 속한다. 첫 번째는 패널로 구성된 청구자료 데이터베이스, 자료 네트워크, 환자 레지스트리 개발과 구축을 위한 자료 연구기반 사업이다. 두 번째는 비교효과연구를 통해 제시된 근거를 임상 현실에 적용할 수 있는 확산과 이행 사업이다. 세 번째는 여러 다양한 의료 중재법들의 상대적인 강점과 단점을 확인하는 연구 사업이다. 마지막으로 비교효과연구에 국가적으로 투자 되는 내용을 추적하기 위하여 비교효과연구 활동과 연구기반시설을 목록화 하는 평가 사업이 있다(Sox, 2010).

앞에서 살펴본 각 기관 별 사업 내용을 주요 항목(연구(research), 인적 학술적 자본(human & scientific capital for CER), 연구자료 기반 구축(data

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

infrastructure), 연구결과 확산과 이행(dissemination and translation of CER) 별로 분석 정리하여 아래 표로 제시하였다(Sox, 2010)(표 3). 참고로 PCORI는 앞서서 제시한 대로 현재 방법론 위원회를 구성하여 각 소위원회에서 여러 각도의 방법론을 마련 중이다.

표 3 미 보건복지부의 재정지원을 받는 사업 내용

항목	AHRQ	보건복지부 장관실	기타 기관들
연구자료 기반 구축	<ul style="list-style-type: none"> · CER 영향을 분석하고 추적하는 임상적으로 개선된 추정부 자료 · 연구자료 네트워크 · 건강성과를 추적하고 질과 수행결과를 측정하는 환자 레지스트리 · 환자 레지스트리들의 레지스트리 · 여러 개의 만성질환을 가진 인구집단에 대한 자료와 연구 	<ul style="list-style-type: none"> · CER을 가능하게 하는 여러 보험자들의 청구자료원 	<ul style="list-style-type: none"> · CMS: CER을 위한 medicare 자료원 사용의 개선, Medicaid와 SCHIP을 지원하기 위한 medicaid 자료원 구축 · HRSA: 지역사회 건강을 위한 연구 네트워크, 소아 관리 네트워크 · CDC: CER을 위한 암 레지스트리 자료 체계의 개선 · CMS: 대중이 사용하는 자료, CER 자료원 개발을 위한 전략적 계획
연구결과 확산과 이행	<ul style="list-style-type: none"> · CME, 학술 디테일링, 기타 전략들을 통한 CER의 확산 · AHRQ의 네트워크를 사용한 확산 전략 	<ul style="list-style-type: none"> · CME, 학술 디테일링, 기타 전략들을 통한 CER의 확산 · 전달체계를 통한 CER 적용과 확산의 가속화 · Medicaid에서 정신질환 치료에 있어 CER의 적용 개선 	
연구	<ul style="list-style-type: none"> · 의료전달체계에 대한 CER · 행동을 변화시키기 위해 장려금을 제공함으로써 나오는 CER 결과를 최대한 이용 	<ul style="list-style-type: none"> · 장애관리에 대한 연구 	<ul style="list-style-type: none"> · NIH: 행동을 변화시키기 위해 장려금을 제공함으로써 나오는 CER 결과를 최대한 이용 · CDC: 만성질환예방을 위한 임상적이고 보건적인 접근방법 통지 · Office of Minority Health, NIH: 소수 인종을 대상으로 하는 CER 수행하는 센터들
목록과 평가		<ul style="list-style-type: none"> · 기존과 진행되는 CER의 목록 · 영향평가 	

AHRQ = Agency for Healthcare Research and Quality
 CDC = Centers for Disease Control and Prevention
 CER = Comparative Effectiveness Research
 CMS = Centers for Medicare & Medicaid Services
 CME = continuing medical education
 HRSA = Health Resources and Services Administration
 NIH = National Institutes of Health
 SCHIP = State Children's Health Insurance Program

*출처: Sox HC. Comparative effectiveness research: a progress report. Annals of internal medicine. 2010;153(7):469-72.

2.2.1.7. 영향(Impact)

비교효과연구가 보건의료비 지출에 어떤 영향을 미칠 지는 현재로서는 명확한 결론을 내

리기는 어렵지만 지금까지 나온 여러 연구들을 보면 제한적인 영향을 주는 것으로 보인다. 2007년에 AHRO 내에 CER 센터를 설립하자는 취지의 입법제안에 대해서 미 의회 예산처에서 분석한 바에 따르면 비교효과연구는 임상진료에 일정 정도의 영향을 미치고, 10년간 정부의 보건 의료 지출을 감소시키지만 그 정도는 1 퍼센트 이하로 미미할 것으로 예상되었다(Deloitte, 2011). RAND는 PPACA에 의하여 보험 적용을 받게 되는 사람의 수와 정부의 지출 등 여러 가지 측면에서의 영향을 추정하기 위하여 COMPARE (Comprehensive Assessment of Reform Efforts) microsimulation model 을 개발하였는데, 이를 5개 주(캘리포니아, 코네티컷, 일리노이, 몬타나, 텍사스)에 적용한 결과, 2016년에는 보험 적용을 받는 사람들이 거의 97%에 육박할 것으로 나타났다. 또한 보건 의료 지출은 3~10 퍼센트 정도 증가할 것으로 추정되었다(RAND, 2011). 그러나 이는 비교효과연구에 자체에 대한 영향이 아닌 PPACA 전체 법에 의한 것이기 때문에 해석에 주의가 필요하다.

비교효과연구의 건강과 보건 의료 지출에 대한 영향을 평가하기 위하여 항정신성의약품에 대한 Medicaid의 지출을 추정한 연구에 의하면, 비교효과연구에 의하여 진료의 질이 제고될 뿐 아니라 지출 또한 증가할 것으로 나타났다. 이는 모든 환자가 동일한 치료 효과를 가진다는 전제 하에서 나타난 결과였다. 만일 환자들 간에 치료 효과가 일정하지 않게 나타난다면 시장이 비교효과연구 결과에 어떻게 반응하느냐에 따라 비교효과연구는 지출을 증가시킬 뿐 아니라 건강에서 안 좋은 영향을 끼칠 수도 있을 것으로 내다보았다. 따라서 연구자들은 비교효과연구가 어떻게 계층화되어야 하는지에 대해 이해하기 위해서 충분한 연구가 진행되어야 하고 이에 따라서 맞는 환자 계층에서 맞는 중재법의 사용이 결정되어야 한다고 제언하였다(Basu, 2010).

지금까지 나온 비교효과연구의 결과가 정책이나 보험급여결정, 임상진료 등 여러 가지 방면에서 어떻게 영향을 주었는지에 대해서는 아직 알려져 있지 않다. 그러나 PPACA에 의해 설립된 PCORI는 법 조항에 의하면 생성한 근거에 기반하여 임상적이나 보험 급여 결정에 대한 권고사항을 제안하면 안 된다고 명시하고 있다. 또한 의사결정을 위해 질보정 생존연수(QALY, quality adjusted life year)를 사용하는 것도 금지하고 있다. 즉, PCORI의 주요 목적은 연구 사업들의 목록을 조성하여 과학적인 근거를 제시하는 것이기 때문에 정책이나 보험급여결정, 임상진료 등에 직접적으로 영향을 주는 것을 제한하고 있다(Sox, 2010). 그 구체적인 조항은 PPACA 1182 조에 언급되어 있는데, (a)항에 의하면 대중들의 의견을 반영하는 등의 반복적이고 투명한 과정을 통해 비교효과연구 결과를 보험관련 의사결정에 사용할 수는 있다고 되어 있다. (b)항에서는 비교효과연구 결과에만 의존하여 특정 중재의 보험급여를 제한하는 일이 있어서는 안 된다고 명시되어 있다. (c)

항에서는 노년층 중 장애가 있고 심각한 말기 질환에 걸리지 않은 사람들의 생명을 연장시키는 일이 젊은 연령 중 장애가 없고 심각한 질환에 걸리지 않은 사람들의 생명을 연장시키는 일과 비교하여 낮은 가치가 있다고 나온 비교효과연구 결과를 사용하여 보험급여 결정을 해서는 안 된다고 되어 있다. (e)항에는 질보정 생존연수를 사용하여 어떤 중재법이 비용효과적이라고 결론짓거나 권장해서는 안 되며 질보정 생존연수 등과 같이 개인의 장애를 사용하여 삶의 가치를 감하는 개념의 측정치를 개발 또는 사용하여 비용효과성을 결정하는 임계치를 사용하는 연구를 해서는 안 된다고 규정하고 있다. 비록 이러한 제한점들로 인해 비교효과연구가 건강관련 정책이나 임상진료 패턴 등에 그리 큰 영향을 끼치지 못할 것이라는 회의적인 비판도 있지만 영국이나 캐나다 같은 외국의 사례를 비추어 보았을 때 중재법의 질이나 가치에 긍정적인 영향이 있을 것이라는 기대도 있다. 비교효과연구가 본격적으로 논의된 지 얼마 되지 않았으므로 향후에는 비교효과연구를 통해 나온 질 높은 근거들과 일련의 활동을 통해 보건의료 비용이나 정책 등 여러 방면에서 어떠한 영향을 미쳤는지에 대한 충분한 연구가 필요하다.

2.2.1.8. 추후 전망 및 우리나라에서의 정책적 함의

미국의 비교효과연구와 이를 전격적으로 수행하는 PCORI는 세 개의 요인에 의해 그 성패가 달라질 것으로 예상된다(Deloitte, 2011). 첫째, 근거에 기반한 보건의료와 이에 따른 환자치료 성과의 개선에 대해서 일반대중과 환자들을 교육시키는 것이다. 둘째, 보건의료제공자, 소비자, 보험자들이 의사결정을 할 때 사용할 수 있는 의미 있고 실시간으로 사용할 수 있는 정보기술을 개발하는 것이다. 셋째, PCORI와 비교효과연구의 전반적인 과정들이 정치와 식품의약품안전청과 같은 규제기관들로부터 독립성을 유지하는 것이다.

비교효과연구가 성공적으로 안착되기 위해서는 비교효과연구를 통해 다양한 인구집단에서의 중재법들 간 효과를 비교하여 그 가치를 극대화하는 최상의 근거를 제시함과 동시에 여러 이해관계당사자들의 의견을 반영하여 이를 어떻게 현실에 적용할 것인지가 가장 중요한 관건으로 보인다. 우리나라에서 비교효과연구를 성공적으로 수행하고자 한다면 미국에서 논의되고 있는 비교효과연구의 전략적 틀을 참고삼아 우선순위 주제 선정의 기틀을 마련하고, 목록을 만들어 앞으로 수행하고, 지원해야 할 연구가 무엇인지 지속적으로 파악하는 것이 필요하겠다.

2.2.2. 유럽의 상대적 효과평가

2.2.2.1. 추진과정

2000년 12월, European Commission(이하 유럽연합 집행위원회)은 보건의료산업 부문의 지적이고 지속가능하며 포괄적인 성장이라는 전략적 목표를 설정하고, 그 일부분으로 제약산업 분야에 직면한 문제들을 새로운 시각으로 바라보고자 High Level Group on Innovation and Provision of Medicines(이하 G10 Medicines Group)을 구성하였다. 유럽연합 회원국들은 국가 간 의료기술과 관련한 경험의 교환을 용이하게 하고, 투명성의 증가로 유럽연합 회원국들 간 급여와 약가결정 과정에서 질, 일관성, 속도를 향상시킬 수 있는 Relative Effectiveness Assessment(이하 상대적 효과평가)의 가치에 주목하기 시작했다. 유럽에서 사용되는 용어인 상대적 효과평가는 대체 치료방법과 비교하였을 때 특정 중재의 치료적 순편익에 대한 정보를 보건의료전문가, 환자, 의사결정자에게 제공하는 것을 목적으로 하며, 미국의 비교효과연구와 마찬가지로 엄격하게 통제된 환경이 아닌 일반적인 임상 현실에서 중재의 임상적 순편익을 평가하는 것에 초점을 두고 있으므로(Kleijnen, 2011) 미국의 용어인 비교효과연구와 가장 유사한 개념으로 볼 수 있다. G10 Group은 2002년 5월, 유럽연합 회원국들이 상대적 효과평가에 대한 책임감을 갖고 경험과 자료를 공유함으로써, 불확실성을 줄이고 모든 이해관계당사자들의 신뢰를 높임으로써 HTA를 발전시키고 가치를 높여야 한다는 내용을 포함하는 recommendation(이하 권고안)을 발표하였다(G10 Medicines Group, 2002).

그로부터 3년 후인 2005년, 제약산업 측면에서 보건의료의 문제점에 대하여 산업경쟁력과 국가 보건의료체계의 지속가능성을 보장하면서 적절한 해결책을 찾고, 이러한 권고안과 관련하여 깊이 있는 논의를 진행하고자 Pharmaceutical Forum이 만들어졌다. 이 조직은 상대적 효과평가에 대한 전체적인 논의와 진행과정을 정책적으로 이끌어가기 위해 High Level Pharmaceutical Forum이라는 회의체를 구성하였고 이를 2006-2008년 동안 3회에 걸쳐 열 개최하였다.

High Level Pharmaceutical Forum의 목적은 전략적 방향성을 제시하고 정책적 탄력을 주는 것이며, Relative effectiveness working group(이하 상대적 효과평가 전문가 소위원회)를 구성하는 것이다. 상대적효과평가 전문가 소위원회는 논의를 구체화하고 명확한 성과를 낼 수 있도록 업무를 지원하였다. 그들은 논의 끝에 최종 권고안으로 상대적 효과평가에 대하여 동의된 표준수행원칙을 준수할 것과 자료의 가용성과 이동가능성을 향상시키기 위하여 상대적 효과평가에 대한 정보의 교환을 증진시킬 것을 도출하였다. 또한 상대적 효과평가의 핵심 원칙으로 상대적 효과평가를 수행하기 위한 자료의 가용성

(Availability of data to conduct relative effectiveness assessments), 네트워킹과 협력 발전(Development of networking and collaboration)이라는 제목의 합의문을 발표하였다(High Level Pharmaceutical Forum, 2008).

High Level Pharmaceutical Forum이 종료된 후, European Network for Health Technology Assessment(이하 EUnetHTA)는 최종 권고안에 따라 방법론을 개발하고 적용함으로써 상대적 효과평가의 발전을 이끌고자, EUnetHTA Joint Action 1(이하 EUnetHTA JA1, 2010-2012)을 통하여 상대적 효과평가에 대한 Work package 5(이하 WP5)를 개발하였다(Kleijnen, 2011). 그들은 EUnetHTA Joint Action 2(이하 EUnetHTA JA2, 2012-2015)를 통해, 개발된 방법론과 가이드라인을 실제적으로 적용하고 유럽 국가 간 협력을 강화하여 유럽 내 지속가능한 의료기술평가를 위한 공동의 전략, 원칙, 시행계획을 개발하고자 한다.

2000년, 유럽연합이 보건의료산업부문의 지적이고 지속가능하며 포괄적인 성장이라는 목표를 설정하고 제약산업 부문에서 상대적 효과평가의 가치에 관심을 갖기 시작한 이래, 2012년 12월 현재 EUnetHTA JA1 WP5가 개발되기까지의 위와 같은 진행과정을 요약하면 아래 그림과 같다(그림 6).

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

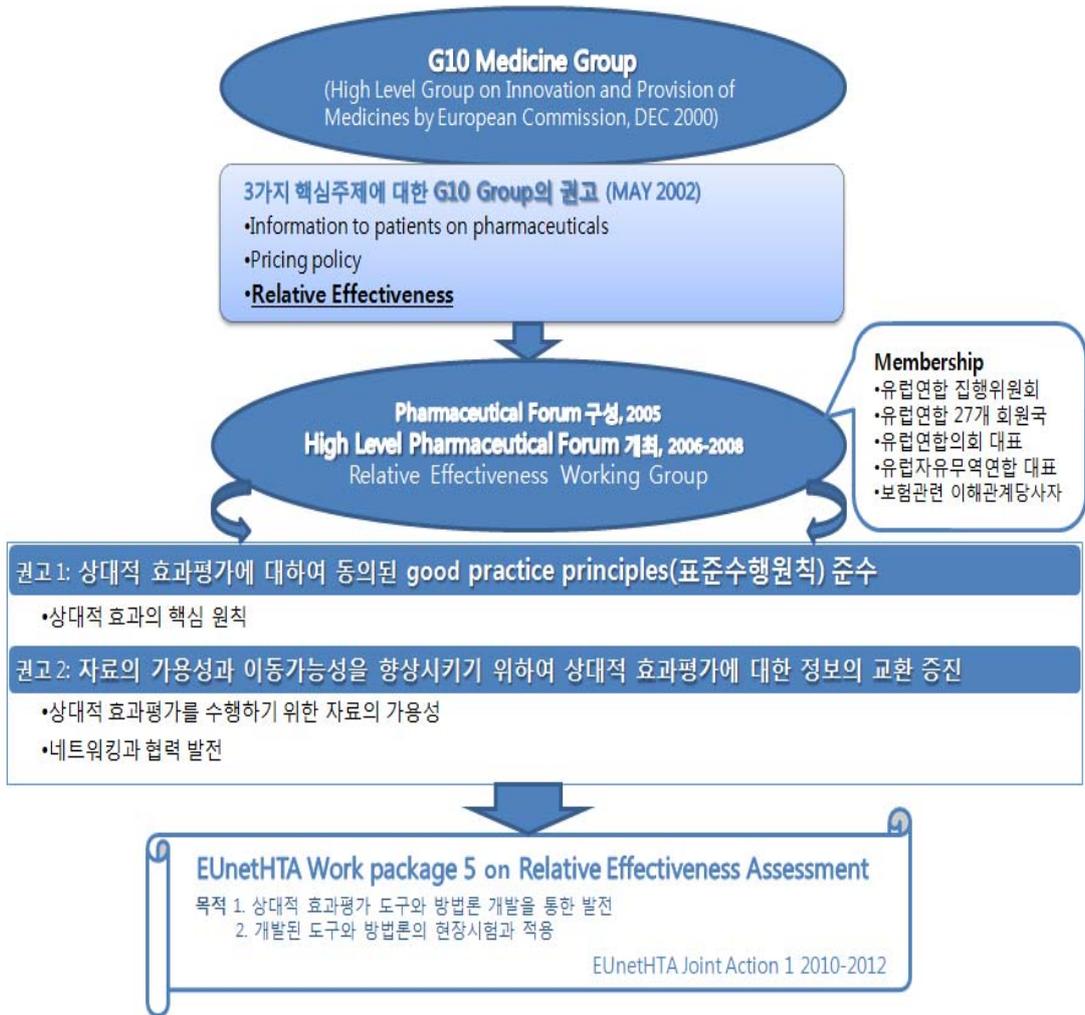


그림 6 유럽의 상대적 효과평가 추진과정

2.2.2.2. 관련조직

2.2.2.2.1. 유럽연합 집행위원회(ec.europa.eu)

유럽연합 집행위원회는 유럽연합의 행정부로 정책을 개발할 기본적인 권한을 갖으며, 법안을 제안하고 개발하여 회원국들의 이익을 수호하는 중심기구이다. 유럽연합은 기업과 산업분야의 지속가능하며 포괄적인 성장을 위하여 과제를 수행하고 있으며, 그 결과물에 대한 보고서를 발간한다(European Commission, 2012). 유럽연합 집행위원회는 이러한 활동의 일환으로 제약산업과 보건, 기업정책과 관련하여 공공보건과 사회적 필요성을 충족시키면서 혁신과 경쟁을 이끌고자 하는 목적의 G10 Medicines Group을 구성하였으며, 그들은 2002년 5월에 상대적 효과평가와 관련한 권고안을 발표하였다(G10 Medicines Group, 2002). 또한 2005년에는 Pharmaceutical Forum을 설치하고 상대적 효과평가를 전략적으로 추진하기 위한 상대적 효과평가 전문가 소위원회를 구성하였다. Pharmaceutical Forum은 유럽연합 집행위원회, 27개 회원국, European Parliament (이하 유럽연합의회) 대표 3인, European Free Trade Association (이하 유럽자유무역연합) 대표, 사회보험과 민간보험의 주요 이해관계당사자(환자조직, 보건의료전문가, 보험자, 제약업계)로 구성된다.

2.2.2.2.2. EUnetHTA(www.eunetha.eu)

EUnetHTA는 유럽 연합과 유럽자유무역연합 4개국을 포함하는 총 33개국 정부기관과 유럽에서 의료기술 평가에 기여하거나 직접 수행하는 비영리 조직과 적절한 지방기관을 포함하는 유럽 내 정부 네트워크 조직이다. 2004년 유럽연합 집행위원회와 의회는 정치적 우선순위로 의료기술평가를 지목하고, 빠른 시일 내에 지속가능한 유럽 네트워크 조직을 구성할 필요가 있음을 인지했다. 2005년 덴마크의 의료기술평가 활동을 이끄는 보건의료당국의 주도 하에, 유럽 전역에 걸친 35개 기관이 조직구성을 합의하였고, 2009년 EUnetHTA를 설립했다.

유럽의 의료기술평가를 위한 효과적이고 지속가능한 네트워크를 조직함으로써 유럽 국가 간 적절한 시점에 신뢰할 수 있고 투명한 이동가능성 있는 정보를 교환하고자 하는 목적으로 조직된 EUnetHTA는 JA1 2010-2012를 통하여 유럽 전체 국가가 동일한 방법론 도구와 가이드라인을 통해 상대적 효과평가를 수행하기 위한 WP5를 개발하였다. 지금 현재 EUnetHTA JA2 2012-2015를 수행중이다(EUnetHTA, 2012).

2.2.2.2.3. European Medicines Agency(www.ema.europa.eu)

European Medicines Agency (이하 EMA)는 예방, 진단, 치료 목적의 사람과 동물 의약품의 유럽시장 시판허가를 위하여 과학적 평가를 수행하는 유럽연합의 분권화된 조직이다(Kleijnen, 2011). 현재까지 상대적 효과평가와 관련한 활동으로 EMA는 의약품의 상대적 효과평가를 위한 유용한 가이드라인을 개발해왔다. Committee for Medicinal Products for Human Use (이하 CHMP)는 사람 대상 의약품과 관련한 EMA의 모든 의견에 대비하여 평가를 직접 수행하고 보고서를 출판할 의무가 있다. 또한 EUnetHTA의 협력 파트너인 EMA는 CHMP가 출판하는 유럽공개평가보고서(European public assessment report, EPAR)를 상대적 효과평가에 활용하기 위한 노력을 진행 중이다(Kleijnen, 2011).

2.2.2.2.4. Medicine Evaluation Committee(www.esip.org)

Medicine Evaluation Committee (이하 MEDEV)는 유럽 내 의료기술평가와 약가책정의 권한이 있는 관계당국 간의 비공식적 협력조직이다. 그 위원회는 European Social Insurance Platform의 사무국에 의해 조직된다. MEDEV의 주요 활동은 약물 평가, 평가 방법론, 급여와 약가 결정, 국제 의약품 정책, 관련된 유럽 규정과 관련한 모든 정보를 시기적절하게 제공하고 교환하는 것에 초점을 맞춘다. 그들은 1년에 5번의 대면회의를 통하여 신약의 상대적 효과와 치료 가치에 대한 정보를 신속하게 교환한다. 또한 여러 나라의 평가 결과에 기반한 공동 보고서를 출판한다. EUnetHTA의 협력 파트너로써, MEDEV는 유럽공개평가보고서에 포함될 자료를 제공하고 있다(Kleijnen, 2011).

2.2.2.2.5. Pharmaceutical Pricing and Reimbursement Information (whocc.goeg.at)

Pharmaceutical Pricing and Reimbursement Information (이하 PPPI)는 공공보건 관점에서 의약품 정책의 이슈에 대한 정보를 공유하는 협력조직이다. 유럽연합과 스위스, 캐나다, 노르웨이, 한국, 남아프리카, 아이슬란드, 세르비아, 터키 등을 포함한 60개의 정부기관과 보험자를 회원으로 두고 있다. 상대적 효과평가와 관련한 활동으로는 유럽 국가에서 합리적인 의약품 사용, 급여와 약가결정 정책, 보건의료체계와 의약품체계에 대한 포괄적인 분석 보고서 출판을 수행한다.

2.2.2.3. 상대적 효과평가 전문가 소위원회의 활동

상대적 효과평가 전문가 소위원회는 유럽연합과 유럽자유무역연합 회원국 내 이해관계당사자들이 혁신에 대하여 공정하게 보상받고 제약산업 비용을 관리하는 방안으로 상대적 효과평가 체계를 활용하도록 지원하는 것을 목적으로 구성되었다. 2006년부터 2008년까지 개최된 High Level Pharmaceutical Forum의 최종 권고안으로 첫째, '상대적 효과평가에 대하여 동의된 표준수행원칙을 준수할 것' 을 제안하였고, 그와 관련하여 '상대적 효과의 핵심원칙' 에 대한 합의문을 내놓았으며, 둘째, '자료의 가용성과 이동가능성을 향상시키기 위하여 상대적 효과평가에 대한 정보의 교환을 증진시킬 것' 을 권고하면서 '상대적 효과평가를 수행하기 위한 자료의 가용성' 과 '네트워킹과 협력발전' 이라는 제목의 합의문을 발표하였다. 그들이 협력하여 개발한 상대적 효과평가 소위원회 합의문(High Level Pharmaceutical Forum, 2008)의 세부내용은 다음과 같다.

2.2.2.3.1. 상대적 효과의 핵심원칙에 대한 합의문

상대적 효과평가 전문가 소위원회는 상대적 효과평가에 대한 표준수행원칙을 개발하였다. 각 나라의 보건의료체계가 상이하므로 목적과 우선순위의 차이로 인하여 어떤 중재가 상대적으로 가치가 있는지 다르게 평가될 수 있다. 유럽 각국에서 합의된 상대적 효과평가의 핵심 원칙을 준수하여 동일한 자료 활용기전과 일관성 있는 방법으로 수행한 상대적 효과평가에 대하여 국가 간 정보, 방법론, 경험을 교환하는 것은 상당한 가치가 있다. 그들은 상대적 효과평가를 수행할 때, 동기가 이루어진 최상의 원칙을 준수하고 적절한 시점에, 적합한 곳에서 정보를 교환하고 소통하는 것을 권장하였다(High Level Pharmaceutical Forum, 2008a).

(1) 상대적 효과 용어 정의

상대적 효과평가 전문가 소위원회는 상대적 효과평가의 정의에 합의하였다. 용어를 모든 과학적 문헌과 보고서에 통일하여 사용함으로써, 상대적 효과평가가 여러 나라에서 수행되었을 때 이해를 돕고, 정보교환이 용이하도록 하였다. 상대적 효과와 관련한 용어로 효과는 '일반적인 임상 현실에서 특정 중재 방법이 위해보다는 이득이 더 큰 정도', 효능은 '이상적인 환경에서 특정 중재 방법이 위해보다는 이득이 더 큰 정도', 상대적 효능은 '이상적인 환경에서 특정 중재 방법이 하나 또는 그 이상의 다른 중재 방법들 보다 위해보다는 이득이 더 큰 정도'라고 정의하였다. 이와 함께 상대적 효과평과는 아래와 같이 정의하였다.

※ 상대적 효과 정의

상대적 효과는 '일반적인 임상 현실에서 특정 중재 방법이 하나 또는 그 이상의 다른 중재 방법들 보다 위해보다는 이득이 더 큰 정도'를 의미한다. 본 정의는 다음의 세 가지 중요한 요소를 포함한다.

- 위해보다는 더 큰 이득이 있는지에 대한 평가
- 특정 중재 방법은 하나 또는 그 이상의 대안이 되는 중재 방법들과 비교되어야 함 따라서 특정 중재 방법의 비교된 대안에 대한 상대적 가치를 보는 것
- 결과들은 임상 시험 세팅이 아닌 일상적인 임상 상황에서 나온 것이어야 함

High Level Pharmaceutical Forum, 2008a

(2) 상대적 효과평가를 위한 체크리스트 개발

정부와 관계자들이 그들 국가의 상대적 효과평가 체계를 평가하고 합의된 핵심원칙을 준수 하면서 상대적 효과평가를 수행하고 있는지 평가할 목적으로 자가 체크리스트를 개발하였다. 체크리스트는 국가의 상대적 효과평가체계 영역에서 목적, 책임, 투명성, 근거기반, 이해당사자, 수행과정과 관련된 14문항, 특정 의약품의 상대적 효과평가 영역에서 평가의 질, 소통, 기타 8문항을 포함한 총 22문항으로 구성된다. 체크리스트는 (부록 7.2)에 제시하였다.

2.2.2.3.2. 상대적 효과평가를 수행하기 위한 자료의 가용성에 대한 합의문

(1) 상대적 효과평가를 수행하기 위한 자료의 가용성 향상을 위한 방안

High Level Pharmaceutical Forum은 상대적 효과평가를 수행할 때, 적합한 자료를 잘 사용하며, 가용성을 극대화하기 위하여 시판허가 이후 뿐 아니라 허가 이전에도 관계당국과 회사 간의 소통과 협력을 권고하였으며, 적절한 자료를 생산하기 위하여 다음의 박스에 제시한 다양한 방안을 탐색할 것을 상대적 효과평가 전문가 소위원회에 요청하였다.

※ 상대적 효과평가를 위한 적절한 자료 생산 방안

- 상대적 효과평가에 도움이 될 수 있는 자료원 확인
- 상대적 효과평가 결과의 가용성을 향상시킬 수 있는 연구디자인에 대한 방법론, 분석 원칙에 대한 합의
- 회원국 간 자료의 이동가능성을 높일 수 있는 세부적 방법 개발
- 더 적합한 자료를 생산하도록 권고하기 위하여 회원국에 옵션 제공

High Level Pharmaceutical Forum, 2008b

그리고 이러한 요청에 대하여 실제 현실에서 상대적 효과평가를 시범으로 수행하고, 자료의 가용성을 향상시키기 위한 도구박스를 개발하는 업무를 포함하는 사업계획을 세웠다.

(2) 유럽연합 27개 회원국 내 기관을 대상으로 인터뷰

상대적 효과평가를 위한 자료의 가용성을 탐색하고, 상대적 효과평가 과정과 전반적인 급여결정과정에서 적용되는 상대적 효과평가에 대하여 조사하기 위하여, 유럽연합 27개 회원국에서 급여결정의 목적으로 임상적 평가를 수행하는 기관을 대상으로 인터뷰를 수행하였다. 인터뷰 결과, 효과와 효능에 대하여 명백하게 구분하여 사용하고 있지 않은 경우가 있으며, 급여결정과 약가책정 과정에서 효과를 평가하는 것의 중요성을 확인하였고, 시판 허가에서 급여결정 간 신뢰할만한 정보의 교환이 이루어지지 않는 점과, 경제성 평가를 인정하지 않는 곳이 있음을 알 수 있었다. 급여결정과정의 다양성과 복잡한 이슈로 인하여 한 가지 해결책을 제시하기 어렵다는 것이 명백하게 드러났으므로, 동일한 문제에 대하여 관심이 있는 집단이 함께 노력하고 유럽의 여러 국가 간 협력을 향상시키는 것이 중요하다. 이러한 결과를 토대로 내려진 결론은 다음과 같다.

- ※ 급여결정 목적으로 임상적 평가를 수행하는 기관(유럽연합 27개국) 인터뷰 결론
- 효과와 상대적 효과의 자료원이 충분하지 않음
 - 가장 논란이 있는 부분은 경제성 평가를 범주 내 포함시킬지 여부임
 - 이해관계가 얽힌 회원국은 유럽연합 국가 간 상대적 효과평가와 경제성 평가에 대한 정보를 공유하고 교환하는 것이 과학적으로 타당할 수 있음
 - 모든 이용 가능한 근거를 평가하는 것과 급여결정을 위한 가치 판단을 명확하게 구분하는 것이 의사결정과정의 투명성을 향상시킬 수 있음
 - 시판허가 자료와 정보를 급여결정 기관에 전달하는 것이 유럽연합의 법적 체계 안에서 설명되어야 함

High Level Pharmaceutical Forum, 2008b

2.2.2.3.3. 네트워킹과 협력 발전에 대한 합의문

2007년 High Level Pharmaceutical Forum에서 상대적 효과평가 관계당국과 유럽 내 이해관계당사자들의 네트워킹을 강화하여 자료를 공유하고 수행원칙을 개발하고 지원하는 기전을 심사숙고 할 것을 요청하였다. 이에 따라 상대적 효과평가 전문가 소위원회는 스웨덴에서 수행된 상대적 효과평가에 대한 기존 네트워킹을 대상으로 한 설문조사 결과와 유럽에서 네트워킹을 위한 권고안을 합의문으로 발표하였다(High Level Pharmaceutical Forum, 2008c).

(1) 상대적 효과평가에 대한 기존의 네트워크를 대상으로 한 설문조사

모든 유럽의 회원국들은 여러 방면으로 네트워킹을 형성하고 있는데, 기존에 활동하는 네트워킹 조직을 맵핑하고 그들의 경험을 공유하고자 설문조사를 수행하기 위하여 상대적 효과평가를 위한 목적으로 네트워킹하고 협력하기에 가장 적합하다고 여겨지는 조직을 조사 대상으로 선정하였다. 조사대상이 된 대부분의 조직은 만들어진지 3년이 안된 신생조직이었으며, 90% 정도는 상대적 효과평가와 관련된 활동을 하고 있다고 응답하였다. 그들은 네트워킹을 통해 각 나라가 최상의 상대적 효과평가를 하기 위하여 원칙을 준수하고 있는지 서로 검토하면서 상대적 효과평가 방법론과 이용 가능한 자료원에 대한 정보, 약물의 상대적 효과평가 결과를 정기적으로 공유하고자 하였다. 또한 그들은 회원국들이 조직적으로 협력함으로써 유럽 국가들 간 상대적 효과평가를 수행하는 원칙과 자료 활용의 일관성이 향상되기를 기대하고 있었다.

(2) 유럽에서 네트워킹을 위한 권고

유럽 내에서 상대적 효과평가를 위한 네트워킹을 할 때, Policy/strategy network (이하 정책/전략적 네트워크)와 Technical/scientific network (이하 기술/과학적 네트워크)의 두 가지 측면이 구분될 필요가 있다. 각 네트워크는 자신들의 아이디어 교환을 증진함으로써 공동의 편익을 얻는 것과 더불어 각자 역할에 맞는 목적을 추구해야 한다. 다음은 각 네트워크의 목적을 제시하고 있다.

※ 정책/전략적 네트워크의 목적

- 다른 기관의 정책과 전략의 성공과 실패로부터 교훈
- 문제 해결을 위한 협력
- 적절하게 방법론과 정책, 전략을 조화시키는 것
- 이해관계당사자들의 스피킹 파트너 역할

※ 기술/과학적 네트워크의 목적

- 상대적 효과평가의 공유를 통해 서로 배울 것은 배우고 각 나라의 평가의 질 향상
- 상대적 효과평가에 있어서 의료기술평가 보고서, 가이드라인이 적절하게 존재하는지 확인하는 조직(clearinghouse)의 역할
- 추후 수행할 상대적 효과평가 연구의 중복을 피하고 협력할 수 있도록 정보교환

High Level Pharmaceutical Forum, 2008c

또한 상대적 효과평가 전문가 소위원회는 이미 활동하고 있는 조직 중, 정책/전략적 기능과 기술/과학적 기능을 경쟁력 있게 수행할 수 있는 적합한 조직들을 확인하였고, 그들이 서로 협력함으로써 잠재적인 기능을 적합하게 해 낼 수 있을 것으로 예상하면서 다음 박스의 내용과 같은 상대적 효과평가 네트워킹을 위한 권고안을 발표하였다.

※ 상대적 효과평가 네트워킹을 위한 권고

- 상대적 효과평가의 정책/전략적 이슈와 과학/기술적 이슈를 담당하기에 적합한 기존의 네트워크를 확인하여, 상호 협력하도록 할 것
- 새로운 네트워크를 조직하기보다는 기존에 존재하는 네트워크의 활동 활성화
- 재원의 부족을 해결하는 것도 중요하지만, 네트워킹을 위하여 시간을 투자할 것
- 네트워킹에 규제 기관과 다양한 이해관계당사자들을 포함할 것을 강력하게 권고

High Level Pharmaceutical Forum, 2008c

2.2.2.4. EUnetHTA Joint Action 1 2010-2012

EUnetHTA는 High Level Pharmaceutical Forum의 최종 권고안에 따라 방법론을 개발하고 적용함으로써 상대적 효과평가의 발전을 이끌고자, 33명의 참여국 대표의 합의 하에 2009년 EUnetHTA JA 계획서가 제출, 승인되었다. EUnetHTA JA은 유럽 전체 국가, 유럽인들에게 이익을 주기 위한 실용적이고 효과적이며 지속가능한 의료기술평가를 목표로 많은 유럽 국가들이 협력하고 있는 활동이다. 이러한 유럽 의료기술평가의 발전을 위한 JA의 주요 활동으로 상대적 효과평가와 관련된 활동이 수행되었으며, EUnetHTA JA1 2010-2012를 통하여 WP5를 개발하였다.

상대적 효과평가에 대한 EUnetHTA JA1 WP5의 목적은 다음과 같다.

첫째, 상대적 효과평가 도구와 방법론을 개발하고자 한다. HTA Core Model의 특별 버전으로 유럽 여러 나라가 공통적으로 약물의 상대적 효과평가를 수행할 것을 제안하면서, 상대적 효과평가에 대한 방법론 가이드라인이 필요한 영역을 확인하고 제공함으로써 상대적 효과평가를 발전시키고자 하였다.

둘째, 개발된 약물의 상대적 효과평가 도구와 방법론을 시험해보고 적용하고자 한다.

2.2.2.4.1. 상대적 효과평가 방법론 모델과 가이드라인 개발

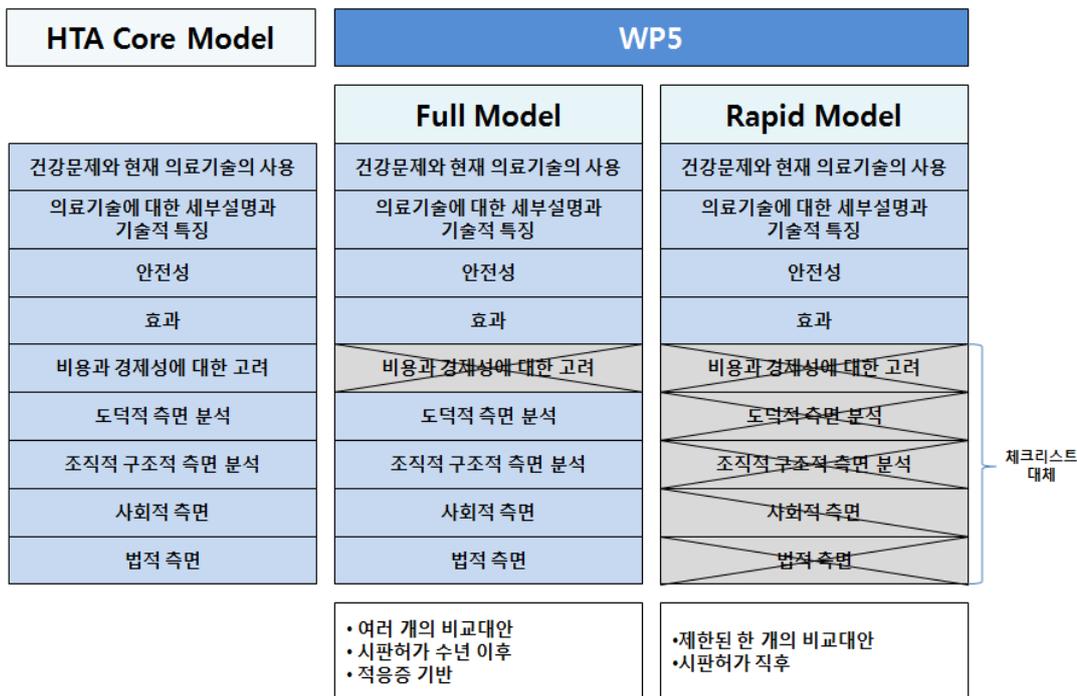
High Level Pharmaceutical Forum의 상대적 효과평가 전문가 소위원회에서 상대적 효과평가 정의를 도출한 것을 토대로, EUnetHTA는 의료기술평가 결과를 국제적으로 활용하고 중복작업을 피하기 위하여 개발한 HTA Core model(Lampe, 2009)의 특별한 버전으로 상대적 효과평가를 위한 방법론 모델을 개발하였다.

EUnetHTA JA1 WP5는 2010년 5월부터 2011년 5월까지 1년 동안, 유럽 26개국, 호주, 캐나다, 뉴질랜드, 미국을 대상으로 현재 각 나라에서 사용하고 있는 약물의 상대적 효과평가의 방법론에 대하여 인터뷰를 통한 설문조사를 수행하였으며, 그 결과를 새로운 도구와 방법론에 적용하고자 하였다. 또한 환자와 보건의료 소비자 조직, 보건의료제공자(전문가와 병원), 보험자, 제약업계를 포함한 적절한 이해관계당사자의 의견을 반영하여, 다음과 같은 두 가지의 상대적 효과평가 방법론 모델을 개발했다.

첫 째, 약물의 상대적 효과에 대한 신속 평가모델인 Rapid Model(이하 신속 평가모델)은 '시판허가 직후에 표준 치료와 비교한 하나의 신기술을 신속하게 평가하기 위한 방법'이며, 둘째, 약물의 상대적 효과에 대한 완전한 평가모델인 Full Model(Non-rapid, 이하 완전한 평가모델)은 '특이적 상태에 대하여 치료방법의 특정 단계에서 가능한 모든 기술들을 완전하게 평가하기 위한 방법'을 의미한다. 이러한 상대적 효과평가 방법론 모델은 세 가지 주요사항을 고려하여 개발되었는데 그 세 가지는 1) 주제, 영역, 항목이 다를지라도 HTA core Model의 원칙에 따라 개발할 것, 2) 국가 간 공유하기에 적절하도록 상황 비특이적일 것, 3) 국제적 가이드라인을 가능한 준수할 것이다.

High Level Pharmaceutical Forum에서 비용과 편익에 대한 경제성 평가와 상대적 효과평가를 서로 다른 것으로 구별하기로 하였으므로, WP5 모델의 범주에서 비용효과는 배제되었다. 신속 평가모델과 완전한 평가모델은 유사하지만, 완전한 평가모델은 비교대안 가지 수가 많다는 점과, 평가 시점이 신속 평가모델은 시판허가 직후에 신속하게 수행되는 반면, 완전한 평가모델은 더 많은 임상적 효과 자료가 이용 가능한 시판 몇 년 후에 수행된다는 것이 가장 큰 차이점이다. 상대적 효과평가를 평가하는 방법론 모델은 건강 문제와 현재 의료기술의 사용, 의료기술에 대한 세부설명과 기술적 특징, 안전성, 임상적 효과의 4가지 핵심 영역에 도덕적 측면, 조직적 구조적 측면, 사회적 측면, 법적 측면의 비교를 포함한다. 또한 신속 평가모델에서 배제된 범주는 앞서 상대적 효과평가 전문가 소위원회에서 개발한 체크리스트(부록 7.2)에 의한 평가로 대체된다(EUnetHTA WP5, 2012).

2012년 11월에 유럽 ISPOR에서 파일럿 시험을 반영하여 발표한 신속 평가모델 두 번째 수정버전을 포함한 현재 시점에서의 상대적 효과평가 모델은 아래 그림과 같다(그림 7).



출처: modified from Kleijnen, 2011; ISPOR 15th Annual European Congress 2012

그림 7 유럽의 상대적 효과평가 모델

추가적으로 현재 WP5는 기존에 존재하는 상대적 효과평가와 관련한 각 유럽국가의 가이드라인과 AHRQ, PBAC, EMA, ISPOR의 가이드라인을 참고하여 주제를 선정하고, 상대적 효과평가 모델과 관련된 방법론적 이슈에 대한 통합적인 가이드라인을 개발하고 있다.

예를 들어, 시판허가 직후에 활용이 가능한 효과자료가 부족한 시점에서 신속 상대적 효과평가를 수행할 때, 국가 간 효과 자료를 사용하는 방법의 차이가 논란을 가져올 수 있다. 어떤 나라는 효능 자료만을 활용하여 신속 상대적 효과평가를 수행하는 반면, 다른 나라는 효능 자료를 질적, 양적으로 외삽하여 추정된 효과 값을 활용할 수도 있다.

간접비교와 관련한 가이드라인을 살펴보면, 대부분의 경우 두 중재를 직접 비교한 자료가 없을 경우에는 두 치료법의 상대적 효과를 결정하기 위하여 간접비교를 사용할 수 있다. 조사 결과, 터키를 제외한 유럽 25개국은 신속 상대적 효과평가를 수행할 때, 직접비교가 불가능한 경우 간접비교를 사용하고 있으며, 각 나라마다 권고되는 통계적 분석방법의 가이드라인이 존재한다. 그러나 독일, 스웨덴, 터키의 경우 완전한 상대적 효과평가를 수행할 때는 간접비교를 허용하지 않는다.

이처럼 EUnetHTA JA1 WP5는 유럽의 여러 국가마다 조금씩 상이한 상대적 효과평가의 모든 방법론적 옵션을 확인하고 합의를 통하여 유럽에서 통합적으로 적용 가능한 다음과 같은 가이드라인 초안을 개발하였다.

※ 상대적 효과평가 방법론 가이드라인 개발

- 상대적 효과평가와 관련된 결과변수 (임상적 결과변수, 대리 결과변수, 복합 결과변수(composite endpoints), 건강관련 삶의 질과 안전성)
- 가장 적절한 비교대안 선택의 기준
- 직접비교와 간접비교
- 근거의 수준(내적 타당도, 외적 타당도, 효능결과를 실제 임상적 효과결과로 외삽)

2.2.2.4.2. 상대적 효과평가 모델의 파일럿 시험

개발된 방법론 모델과 가이드라인 초안의 유용성을 확인하고자 EUnetHTA JA1은 약물의 상대적 효과에 대한 신속 평가모델과 완전한 평가모델의 파일럿 시험을 계획하였다. 2012년 11월, ISPOR 15th Annual European Congress에서 신속 상대적 효과평가 파일럿 시험의 첫 성과물을 발표하였으며, EUnetHTA 공식 홈페이지에 최종보고서가 공개되었다.

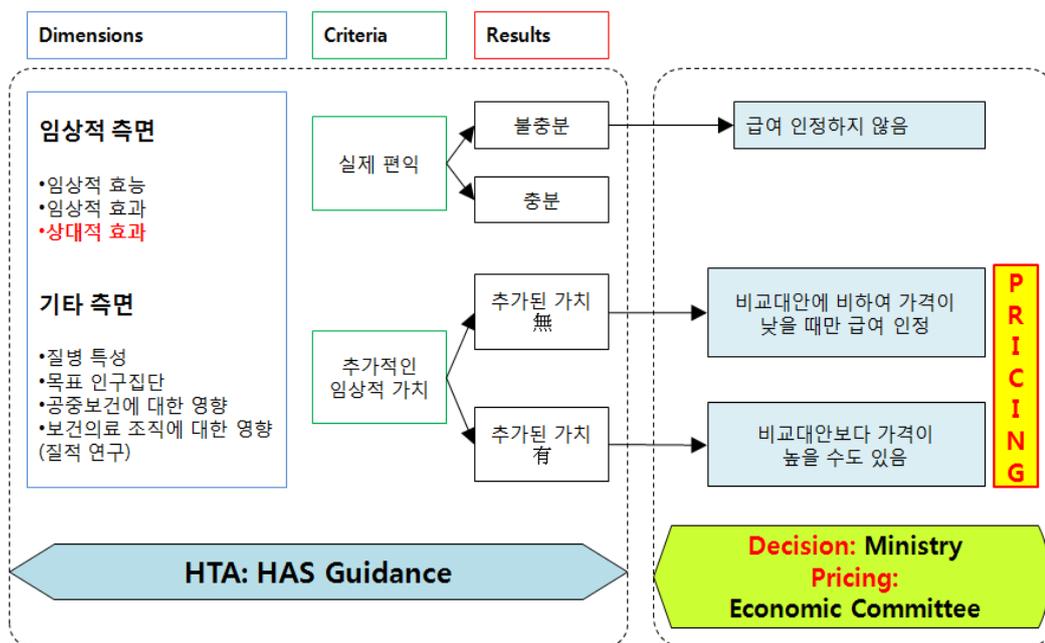
신속 상대적 효과평가 파일럿 시험을 위하여 WP5에 의하여 선정된 약물은 metastatic renal cell cancer(전이성 신세포 암) 일차 치료제인 Pazopanib이다. 실제로 상대적 효과평가를 수행하는 29개 기관의 참여자들이 평가 모델의 평가 영역(건강 문제와 현재 의료기술의 사용, 의료기술에 대한 세부설명과 기술적 특징, 안전성, 임상적 효과, 도덕적 측면분석, 조직적 구조적 측면 분석, 사회적 측면, 법적 측면)별로 팀을 구성하여 각 영역의 자료를 수집하였으며, 최종적으로 전체 자료를 통합하였다. 이러한 과정을 통하여 모델이 구조적으로 유용한지, 가이드라인이 상대적 효과평가에 도움이 되었는지를 평가하였다. 5개월이 소요된 평가기간 동안의 경험, 업무량, 국제적 협력의 용이성, 평가 보고서 등의 요소를 고려하여 약물의 상대적 효과평가에 대한 신속 평가모델 수정안을 제시하였다(그림 7). 첫 파일럿 시험 결과, 유럽 내에서 신속 상대적 효과평가를 수행하는 것은 다소 수정이 필요하지만, 국가 의료기술평가 과정에서 매우 중요하며, 중복작업을 줄일 수 있고, 시간단축의 효과가 있으며, 의료기술평가 보고서의 수를 늘릴 수 있다고 결론 내리고 있다(EUnetHTA WP5, 2012).

2.2.2.5. 상대적 효과평가의 정책적 활용

2.2.2.5.1. 정책적 활용사례(프랑스)

오늘날, 유럽에서 의료기술평가를 활용한 약가책정과 급여결정의 과정에서 상대적 효과평가가 정책적으로 어떻게 활용되고 있는지 알아보고자, 프랑스에서 의료기술평가를 수행하는 보건당국인 Haute Autorite de Sante(이하 HAS)를 중심으로 그 과정을 살펴보았다.

현재 프랑스는 Service Médical Rendu(이하 SMR) 평가를 통한 실제 편익 (Actual benefit)을 급여결정의 기준으로 삼는다. SMR이란 질병의 중증도, 약물의 임상적 효과, 보건의료에 미치는 영향을 고려한 의료편익을 의미한다. SMR이 충분하다고 평가되면 그 수준에 따라 사회보험에 의한 급여율이 결정되며, 불충분하다고 평가되면 급여를 인정하지 않는다. SMR평가에 이어 Amélioration du Service Médical Rendu(ASMR) 평가를 통해 추가적인 임상적 편익(Added clinical benefit)을 측정함으로써 가격책정의 가장 중요한 기준으로 삼는다. ASMR이란 동일한 치료목적으로 사용되는 다른 약물의 치료가치와 비교한 상대적인 의료편익을 의미한다(Ikeda, 2009). 이러한 급여결정과 약가책정의 과정에서 임상적 측면을 고려하는 요소로 상대적 효과평가를 활용하고 있다(그림 8).



출처: modified from Harousseau, ISPOR 15th Annual European Congress 2012

그림 8 프랑스의 의료기술평가로부터 급여결정과 약가책정의 과정

HAS는 오늘날 프랑스는 사회보험으로 인한 재정적 부담이 증가하고 있으며, 그 중 약가가 차지하는 비중이 크고, 신약의 비용이 다른 나라에 비하여 고가이기 때문에 정책변화의 필요성을 인지하고 있으며, 하나의 방안으로 HAS Guidance를 통하여 상대적 효과평가의 정책적 활용을 강화하기 위한 방안을 제시한다(Harousseau, ISPOR 15th Annual European Congress 2012).

HAS annual 보고서에 따르면, 2011년 신약의 93%가 SMR이 충분하다고 판단되어 급여가 결정된 반면, ASMR 평가결과 단 8%만이 추가적인 임상적 편익이 있는 것으로 판명되었다. 이처럼 많은 신약이 추가적인 임상적 편익을 제공하지 못하지만 급여가 되고 있는 가운데, 프랑스에서는 신약이 급여를 위한 선별등재목록에 포함되는 것이 기존의 치료법에 대한 비교 임상연구와 연결되어야 한다는 약물 안전성과 관련한 새로운 법안이 최근 개정되었다(Recent law on Drug Safety, Dec 29th 2012). 이러한 분위기와 맞물려 HAS Guidance는 상대적 효과평가와 관련하여 다음과 같은 사항을 권고하고 있다.

※ 상대적 효과평가와 관련한 HAS Guidance

임상적 평가: 더 단순하고 동질적이며 투명한 기준을 적용할 것

- 급여결정 기준인 SMR과 가격책정 기준인 ASMR을 대체하여 'Relative Therapeutic Index(상대적 치료지표)' 사용
- 상대적 효과평가가 약가책정을 위한 추가적인 임상적 편익의 평가 뿐 아니라, 급여 적합성과 급여율 결정의 기초 도구로 활용될 것임
- 상대적 효과평가 방법론의 투명성 향상

Harousseau, ISPOR 15th Annual European Congress 2012

또한 이처럼 프랑스 HAS는 의료기술평가를 활용한 약가책정과 급여결정의 과정에서 상대적 효과평가를 더욱 명확하게 적용하여 정책적으로 활용하기 위해, 유럽 대부분 국가가 참여하여 협력 중인 EUnetHTA Joint Action의 일원으로 활동 중이다.

2.2.2.5.2. 유럽의 정책적 활용과 전망

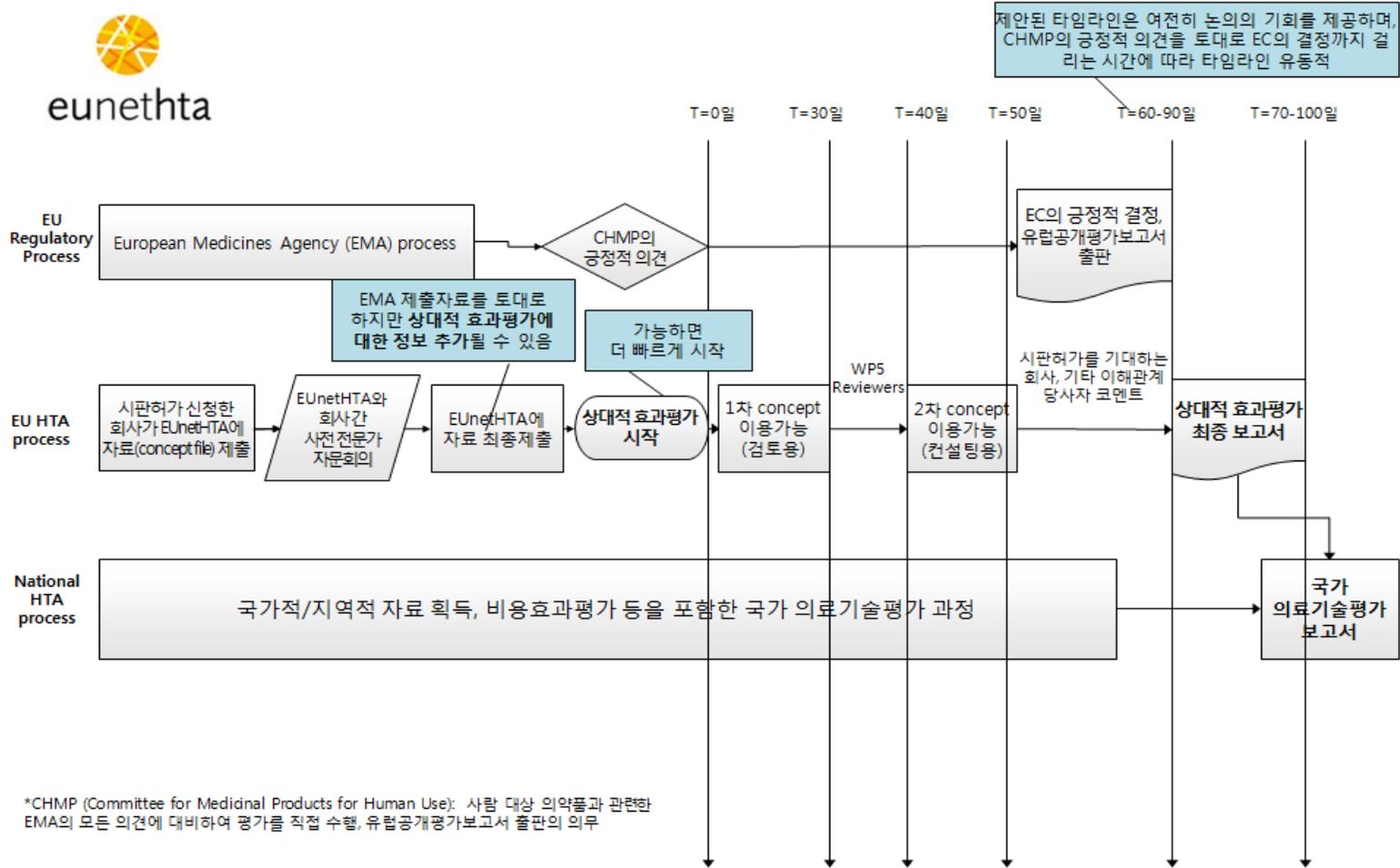
유럽연합과 유럽자유무역연합 회원국과 주요 이해관계당사자로 구성된 비영리 조직인 EUnetHTA의 JA1을 통하여 유럽 26개국, 호주, 캐나다, 뉴질랜드, 미국을 대상으로 조사한 결과, 미국을 제외한 모든 나라에서 약물의 급여를 결정하는 과정에서 다른 대안과

비교한 약물의 효과에 대한 분석을 정책적으로 반영하고 있었다. 30개국을 대상으로 특정 약물과 대안이 되는 약물의 급여결정을 할 때 'Clinical effectiveness assessment of pharmaceutical A vs. intervention B (relative effectiveness assessment)' 를 포함하는가 물었을 때, '항상 그렇다' 41%, '때때로 그렇다' 고 응답한 나라는 55%로 미국을 제외한 97%가 급여결정을 위한 평가의 범위에 상대적 효과평가 결과를 반영하고 있었다. 각 나라마다 용어는 'comparative(clinical) effectiveness, evaluation of (medical-)therapeutic value, clinical added value, clinical 또는 therapeutic evaluation, benefit assessment' 로 상이하게 사용하고 있었지만, 그 핵심 의미는 동일했다(Kleijnen, 2011).

이처럼 유럽 내에서 정책적으로 활용되고 있는 상대적 효과평가를 유럽 국가 간 합의된 동일한 방법론을 사용하여 수행함으로써 정보 교환을 용이하게 하고, 의료기술평가를 발전시키고자 EUnetHTA JA1에 이어 EUnetHTA JA2 2012-2015를 2012년 10월 개시하였다. JA2는 개발된 방법론과 가이드라인을 실제적으로 적용하고 유럽 국가 간 협력을 강화하여 유럽 내 지속가능한 의료기술평가를 위한 공동의 전략, 원칙, 시행계획을 개발하려는 전략적 목적을 설정하고, 2013년 1월 첫 미팅을 시작하여 3년의 활동을 통해 총 8개의 Work packages를 수행할 예정이다(EUnetHTA activities, 2012).

특히 JA2 Work packages5는 유럽 24개국 36개 관련기관이 협력하여, JA1을 통해 수정된 신속 상대적 효과평가 모델을 적용하여 10개의 파일럿 시험을 수행하고자 한다. 이러한 과정을 거쳐 최종적으로 약물의 상대적 효과평가 모델을 확정하고, 비약물의 신속 평가모델을 만들고 결과물에 대한 보고서를 작성하고자 한다. 유럽 국가적 차원에서 수행되는 JA2 WP5의 파일럿 신속 상대적 효과평가를 위하여 EUnetHTA JA1은 상대적 효과평가를 포함하는 유럽 내 의료기술평가 과정에 대한 기전을 제안하고 있다(그림 9).

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시



출처: modified from Goettsch, ISPOR 15th Annual European Congress 2012

그림 9 EUnetHTA JA10이 제안한 유럽 내 상대적 효과평가 수행 기전

2.2.2.6. 우리나라에서의 정책적 함의

전 세계적으로 비슷한 효과의 의약품이 쏟아지고 있으며, 다양한 의료가 빠르게 도입되고 있는 오늘 날, 보건의료분야가 직면한 공통적인 문제점은 고령화와 만성질환 증가, 건강에 대한 기대치 증가에 따른 국민 의료비 증가이다. 또한 공적의료보험체계를 운영하는 국가는 급증하는 의료비로 인하여 건강보험 재정의 지속가능성이 위협받고 있다(윤희숙, 2008). 유럽 및 세계 각국은 보건의료분야가 대면한 이러한 공통적인 문제들을 해결하기 위한 방안 중 하나로 상대적 효과평가를 발전시키고 정책적 활용도를 높이고자 한다. 즉, 하나의 의료기술과 대안이 되는 의료기술 비교를 통해 추가적인 임상적 효과를 평가하여 가장 가치 있는 의료기술을 확인하고, 궁극적으로는 의료기술의 적절하고 합리적인 사용도도모하며 의료의 질을 높이고자 유럽 국가 간 네트워크를 조직하여 구체적인 활동을 수행하고 있다(High Level Pharmaceutical Forum, 2008).

우리나라 또한 보건의료분야에서 유사한 문제점에 직면하고 있으며, 그 해결을 위하여 지속가능한 의료기술평가의 발전 측면에서 유럽 및 기타 국가의 활동을 참고할 필요가 있다. 특히 유럽에서는 다른 나라보다 앞선 2000년 대 초반부터 상대적 효과평가의 가치에 주목하기 시작하였으며, 각 국가마다 의료기술평가의 틀 안에서 정책적으로 활용하는 것을 넘어서, 전체 유럽 국가가 협력하여 동일한 방법으로 상대적 효과평가를 수행하고 자료와 결과를 급여와 약가 결정과 관련된 의사결정에 활용하기 위해 협력하고 있다. 이처럼 미국 뿐 아니라 유럽에서도 상대적 효과평가를 정치적 우선순위가 되는 이슈로 선정하고 정책적 활용도를 높이기 위해 많은 시간과 노력을 투자하며, 구체적인 성과물을 도출하고 있다는 점을 미루어 볼 때, 현 시점에서 상대적 효과평가는 우리나라 보건의료계가 직면한 문제를 해결하기 위해 주목할 만한 이슈이며, 정치적 우선순위로 고려할 가치가 있다고 할 수 있다. 우리나라에서도 상대적 효과를 명확하게 정의하고, 평가 결과가 급여와 약가 결정 과정에서 정책적으로 활용될 수 있도록 역할을 분명히 함으로써, 궁극적으로 적절하고 합리적인 의료기술의 사용을 통해 의료의 질을 높이는 일에 기여해야 한다.

구체적으로는 유럽에서 상대적 효과를 발전시키기 위한 방안으로 제시한 수행원칙과 방법론, 가이드라인, 정책 활용기전을 참고하여 우리나라에서 비교효과연구를 의사결정과정에서 활용하기 위한 기반을 마련하고 정책적 추진전략을 세우는데 활용할 수 있다. 예를 들어, 우리나라에서의 비교효과연구 정의를 도출하기 위하여 이미 정립된 미국이나 유럽의 정의를 토대로 설문지 항목을 개발하였다. 추후 비교효과연구 관련 자료의 가용성을 높이기 위하여 유럽에서 제시한 효과 자료생산 방안 등을 참고할 수 있으며, 실제로 사용할 세부적인 평가 영역을 포함하는 방법론을 개발하고 적용할 때, 유럽의 상대적 효과평가 모델에 포함되는 영역과 주요 쟁점이 되는 비교대안 선정, 간접비교, 결과변수 등에 대한 가이드

라인을 활용할 수 있다. 특히, 이러한 것을 토대로 상대적 효과평가를 급여와 약가 결정을 위한 정책에 반영하기 위하여 연구를 수행하는 조직과 의사결정을 하는 조직 간의 네트워크를 구성하고, 구체적인 정책 활용의 기전을 마련할 때, 이미 상대적 효과평가를 의사결정과정에서 활용하고 있는 유럽의 예를 참고하여 우리나라의 상황에 맞는 정책적 추진전략을 제시할 수 있다. 이와 같은 활동을 통해서 유럽과 마찬가지로 우리나라도 의료기술평가를 통해 급여와 약가를 결정하는 과정에서 상대적 효과평가가 약가책정을 위한 추가적인 임상적 편익의 평가 기준이 되며, 급여 적합성과 급여율 결정을 위한 기본적인 도구로써 활용되기를 기대한다.

2.2.3. 국가 별 비교

2.2.3.1. 유럽과 미국의 비교효과연구 개념의 비교

유럽의 상대적 효과평가는 미국보다 앞선 2000년 대 초에 그 가치가 주목받기 시작하였고, 2002년 유럽연합의 G10 Group은 상대적 효과평가에 대한 책임감을 갖고 경험과 자료를 공유함으로써 유럽 내 의료기술평가를 발전시키고 가치를 높여야 한다는 내용을 포함하는 권고안을 발표하였다(G10 Medicines Group, 2002). 또한 2006-2008년에 개최된 High Level Pharmaceutical Forum을 통하여 상대적 효과평가에 대한 합의된 정의를 도출하여 2010년 12월 발표하였으며(High Level Pharmaceutical Forum, 2010), 그 발표 시기는 미국 IOM이 비교효과연구의 정의를 발표한 2009년 보다 빠른 시점이다.

그러나 이처럼 유럽의 상대적 효과평가라는 용어와 개념은 유럽 국가마다 Relative effectiveness, Comparative effectiveness, Evaluation of therapeutic value, Clinical added value 등의 다양한 용어로 사용되어지면서 미국보다 먼저 등장하였다. 상대적 효과평가는 대안과 비교하였을 때 특정 중재의 치료적 순편익에 대한 정보를 보건의료전문가, 환자, 의사결정자에게 제공하는 것을 목적으로 하며, 미국의 비교효과연구와 마찬가지로 엄격하게 통제된 환경이 아닌 일반적인 임상 현실에서 중재의 임상적 순편익을 평가하는 것에 초점을 두고 있으므로(EUnetHTA, 2011) 미국의 용어인 비교효과연구와 가장 유사한 개념으로 볼 수 있다.

유럽 연합과 유럽자유무역연합 회원국, 주요 이해관계당사자를 중심으로 조직된 EUnetHTA에 따르면, 유럽의 상대적 효과평가는 의료기술평가와 별개가 아닌 의료기술평가의 일부에 해당하는 개념으로 HTA core Model의 일부임을 전제한다. 유럽 의료기술평가 과정에서 상대적 효과평가는 경제성 평가를 포함하지 않지만, 의료기술평가의 요소로 경

제성 평가가 포함되어져 있으며, 약물의 급여결정과 가격책정을 할 때 정책결정의 기준으로 상대적 효과평가와 비용 효과성 평가가 모두 반영되고 있다는 점에서 미국과 차이가 있다.

현재는 EUnetHTA JA1 2010-2012, JA2 2012-2015을 통하여 유럽 국가 간 공동으로 활용할 수 있는 표준수행원칙과 상대적 효과평가 방법론 모델, 가이드라인이 개발되고 수정 중이며, 이러한 방법론적 지침을 개발할 때 이미 만들어진 미국 AHRQ, ISPOR의 가이드라인 등을 참고하기도 하였다. 이처럼 유럽 국가들이 협력하여 파일럿 시험을 수행하고 결과물을 보고서로 발간하는 활동을 통해 유럽 내 의료기술평가의 발전을 이끌고 있다.

2.2.3.2. 주요국 비교효과연구 관련 기구의 비교

지금까지 미국, 유럽에서 논의되고 있는 비교효과연구와 그와 유사한 개념인 상대적 효과평가에 대해서 살펴보았는데 영국의 NICE, 캐나다의 The Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health Care(이하 CADTH), 독일의 IQWiG, 호주의 Pharmacy Benefits Advisory Committee (이하 PBAC), 미국의 PCORI를 각 항목 별로 구분하여 아래 <표 4>와 같이 제시해 보았다(Deloitte, 2011; Kalipso, 2009).

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

표 4 주요국 비교효과연구 관련 기구의 비교

항목	영국: National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE)	캐나다: The Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health Care (CADTH)	독일: Institute for Quality and Efficiency in Health Care (IQWiG)	호주: Pharmacy Benefits Advisory Committee (PBAC)	미국: Patient-Centered Outcomes Research Institute (PCORI)
미션	신기술과 기존기술의 임상적 효과와 비용효과성에 대한 권위있는 지침 제공	적합한 시점에, 적절하고 엄격하게 도출된 근거에 기반한 정보를 의사결정자에게 제공하고 의사결정과정을 지원하는 것	치료와 진단서비스가 용이하고 가치있는지 조사하고 보건의료전문가, 환자, 국민에게 정보를 제공하는 것	신약(PBAC), 신의료기술과 조기기술(MSAC)에 대한 급여결정을 위하여 안전성, 질, 효능, 비용효과성 검토 수행	질환, 장애, 기타 건강문제를 효과적이고 적절하게 예방, 진단, 치료, 모니터, 관리할 수 있는 방법에 대한 양질의 관련된 근거를 제공하는 연구사업 수행
위원회의 구성	학계, 공중보건, 컨설팅, 사회정책, 보건부, 의사, 감사 등 다양한 분야의 12인	보건당국, 학계, 일반국민의 대표를 포함한 13인	과학계, 고용주, 제약회사와 기타 집단 대표를 포함한 30인	소비자, 보건경제학자, 약사, 일반의, 임상약리학자, 전문의를 최소한 1명씩 포함한 최대 18인	- 다양한 분야의 임상 보건서비스 연구 전문가 21인으로 구성된 간사회: 역학, 보건경제학, 통계학, 정부대표 등 포함 - 보건서비스 연구, 임상연구, 비교임상효과연구, 의학통계학, 유전학, 연구방법론 전문가 등을 포함한 15인의 방법론 위원회
재정	보건부의 현재 재원은 미화 \$70M	2009년 캐나다 보건부의 한 해 예산은 미화 \$19.4M	2008년, 2009년 한해 예산은 미화 19.67M: IQWiG은 보건의료서비스에 대한 세금의 추가부담금 또는 보건연방정부로부터 지원받음	보건복지부 한해 예산은 미화 \$10M	- 2010-2012년 동안 PCORTF(신탁기금); 2010년 \$10M; 2011년 \$50M; 2012년 \$150M - 2013-2019년 동안 매년 예산은 일반재정에서 \$150M 배정되고, 메디케어와 민간보험에서 가입자 1인당 세금 부과
연구의 범위	- 약물·기기·진단법을 포함하는 의료기술, 임상지침, 질병	약물, 의료기기, 진단시약, 장비, 의료와 수술적 과정,	약물, 기기, 품질관리중재, 수술과정, 진단시험, 임상진료지침, 질병	보조금지급을 위한 처방약, 국가면역프로그램에 포함된	질병예방, 진단, 치료, 모니터링, 관리를 하는 약물, 기기,

항목	영국: National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE)	캐나다: The Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health Care (CADTH)	독일: Institute for Quality and Efficiency in Health Care (IQWiG)	호주: Pharmacy Benefits Advisory Committee (PBAC)	미국: Patient-Centered Outcomes Research Institute (PCORI)
	예방관련 공중보건지침, 환자 와 국민을 위한 정보(단, 기 기에 관하여는 NICE의 권고 가 법적 권한 없음)	보건의료시스템(원격의료)	관리프로그램, 환자에 대한 근거 중심정보	백신, 신의료기기와 조기기 술(MSAC)	시술 및 수술, 의료전달체계
우선순위 선정 과정	NICE는 '정책적 우선순위, 잠 재적 예산 영향, 건강결과를 증진시킬 가능성, 임상현실의 변수, 적절한 근거의 이용가 능성, 가치추가위한 NICE 지 침의 잠재력' 등의 기준에 근 거하여 우선순위를 검토, 영 국 보건부장관의 최종승인	약물과 기기 자문위원회, 보 건의료시스템 자문위원회에 의해 걸러지고 우선순위화: 국가적 관심이 있는 주제를 주로 선택	-연방합동위원회가 보건서비스의 임상적 적합성과, 그것과 관련된 위험과 비용을 고려함 -IQWiG이 환자와 국민을 위해 이 해하기 쉬운 근거기반 보건정보를 제공하기 위하여 독립적으로 주제 를 선정	우선순위 선정과정이 요구 되지 않음. 의약품급여자문 위원회는 연 3회 신청받음	- IOM이 100가지 우선순위주 제를 선정하여 의회와 HHS에 제출 - PCORI가 아직 공식적 우선 순위 선정과정을 정립하지 않 았음
연구디자인의 종류	실험연구와 관찰연구에 대한 메타분석과 체계적 문헌고찰, 환자조사와 환자와 전문가 의 견	실험연구와 관찰연구를 포 함하는 출판/비출판 근거, 경 제성 분석	- 약물의 편익평가를 위하여 RCT 고려, 정당한 예외적인 경우에만 비무작위배정 중재연구 또는 관찰 연구 포함 - 비약물중재 평가를 위하여 비무 작위배정 연구 - 비용효과분석은 적어도 하나의 동등한 기존기술이 존재할 때, 급 여에서 치료를 제외하고자 할 때 만 사용	한 개 이상의 직접비교 (head-to-head RCTs)가 없을 경우, 각각의 대안을 reference와 비교한 두 세 트의 무작위임상시험(간접비 교)을 선호함. 일반적으로 비용효과연구 요구됨	체계적 문헌고찰과 기존의 연 구와 향후의 연구에 대한 평 가; 무작위배정 임상시험과 관 찰연구 등을 포함한 일차 연 구; 방법론 위원회가 권고하 는 방법론 연구 비용효과연구는 포함되지 않 는 것으로 법 조항에 명시되 어 있음
제3자의 의견 반영 (stakeholder involvement)	주요 이해관계당사자들로 구 성되는 협력단체의 협의회는 보건부장관에 의해 직접 임명 됨	CDR 과정에 환자집단 투입	정보제공자, 전문가, 산업계, 환자 집단이 방법과 권고에 대하여 의 견을 줄 기회가 법적으로 보장됨	의사결정에 공공부문의 개 입증가	일차연구를 위한 동료 검토 과정을 기관이 정립해야 함(또 한 검토자 목록을 대중에 공 개해야 함)
연구결과의 보 험결정에의 이	그동안 검토된 대부분의 치료 법은 보증을 위한 권고를 해	- 의료기술평가 454건, 30 건의 일반약물심사원(CDR)	IQWiG 자문위원회가 권고하면, 그에 따른 최종의사결정은 연방합	보건부가 모든 약의 급여 결정 권한이 있음. 그러나	보고서와 연구결과가 법적 강 제성, 지침, 정책적 권고로 활

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

항목	영국: National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE)	캐나다: The Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health Care (CADTH)	독일: Institute for Quality and Efficiency in Health Care (IQWiG)	호주: Pharmacy Benefits Advisory Committee (PBAC)	미국: Patient-Centered Outcomes Research Institute (PCORI)
용	왔으며, NICE의 결정이 보건부에 의해 기각될 수 있지만 아직까지 그런 적은 한번도 없음	검토 완료(2008-2009년) - 약물 제조업체가 CDR에 신청하면, 약물전문가자문위원회의 평가에 의하여 약물 공급계획 포함여부(급여 여부)심사	동위원회	PBAC의 긍정적인 권고가 전제되어야 함	용되지 않을 수도 있음 HHS 장관은 보험결정을 위하여 반복적이고 투명한 과정을 통해 연구 결과를 사용할 수 있지만, 연구 결과에만 의존하여 보험결정을 내려서는 안 됨
연구결과에 대한 항소 과정 (appeal process)	- 이해관계당사자들은 'perversity, 절차상의 위배, 책무범위에 대한 위배'를 근거로 항소할 수 있음 - 패널의 구성은 NICE 비상 임이사, 환자옹호자, 산업계, NHS대표자	일반약물심사원(CDR) 권고와 관련된 약물의 모든 제조업자는 이의신청서류 제출할 권리가 있음	IQWiG 보고서는 법적 구속력이 없기 때문에 항소도 이루어질 수 없지만, 연방합동위원회에 의하여 보고서에 기반한 지시가 개발, 승인, 시행되면, 항소 가능함	절차에 대한 항소, merit 항소(PBAC에서 다시 보고서 독립적으로 검토하는 과정), 스폰서가 재승인 신청하거나 부정적 권고가 나왔을 때 독립적으로 검토 요청	연구결과는 90일 이내에 대중에게 공개되어야 하며, 45-60일간 대중의 의견을 받음

M=백만

미국의 PCORI가 영국의 NICE, 캐나다의 CADTH, 독일의 IQWiG, 호주의 PBAC과 다른 점을 여러 각도로 기술해 보면 다음과 같다(Deloitte, 2011).

첫째, 기관의 미션을 살펴보면 영국, 캐나다, 독일, 호주의 비교효과연구 관련기관들은 보험자의 필요사항을 충족시키고자 존재하나 미국의 PCORI는 비용분석이나 비용효과분석을 포함하지 않는다. 또한 미국 외의 기관은 연구결과 사용자의 입장이지만 미국의 PCORI는 연구결과 생성자의 입장이다.

둘째, 위원회의 구성을 보면 미국의 PCORI는 간사회 이외에도 수행된 연구들의 질과 과학적 엄격성을 위하여 15명으로 구성된 방법론 전문가 위원회가 구성되어 있다. 반면 다른 나라들은 미국의 간사회 같은 위원회 구성은 있으나 방법론 전문가들만으로 구성된 위원회는 별도로 두지 않았다.

셋째, ACA는 PCORI의 재정을 위해 신탁기금(PCORTF) 조성을 명하였고, 2012년부터 Medicare와 민감 보험회사들로부터 재정지원을 받기 시작한다. 현재, PCORI는 비교효과연구 관련기관들 중에서 가장 많은 재정지원을 받는 동시에 그 역할도 가장 광범위하다. 절대적인 재정규모를 보면 미국이 다른 나라들과 비교해 보았을 때 가장 크다.

넷째, 연구의 범위를 보면 다른 비교효과연구 관련기관들과는 달리 PCORI는 약물, 기기, 시술 및 수술법에 덧붙여 의료전달체계에 대한 평가도 포함하여 보건의료의 가치를 개선시키기 위해 통합적인 접근방식을 취한다.

다섯째, 우선순위 선정 과정을 살펴보면 미국의 경우에는 초기의 연구 우선순위 선정은 IOM이 수행하여 상위 100개의 우선순위 연구주제를 도출하였다. 이와는 달리 미국 외의 나라들에서는 주제의 우선순위는 이미 정해진 기준에 의하거나 제조업자의 제출 자료에 의해 결정된다.

여섯째, 연구디자인의 종류를 살펴보면 PCORI는 근거의 합성 뿐 아니라 임상시험을 포함한 일차 연구까지 포함하는 최초의 비교효과연구 관련기관이다. 전향적 연구들이 의사결정자들이 필요로 하는 근거를 가장 잘 제공하지만 이는 시간과 돈의 한계로 수행하기가 어렵다. 일차 연구가 부재한 상황에서 여러 비교효과연구 관련기관들은 조건부 급여나 조건부 근거창출 급여라는 전략을 사용하여 좀 더 나은 근거가 생길 때 까지 중재법들을 사용할 수 있는 방법들을 시험 중이다. PCORI 연구결과가 직접적으로 보험결정에 사용되는 것은 제한되고 있기 때문에 이와 같은 전략들을 미국에서 사용하였을 때 그 효용성은 불확실하다. NICE, CADTH, IQWiG, PBAC과는 달리 PCORI는 Quality-Adjusted Life Years (QALYs) 등을 이용하여 비용효과성을 계산하거나 비용효과 임계치를 결정하는 등의 연구를 못하게 되어 있다. 추가적으로 다른 기관들과는 달리 PCORI의 방법론 위원회는 기존의 방법들과는 다른 관찰연구들을 포함하여 좀 더 광범위한 방법론들을 사용하여

평가를 하도록 하고 있다.

일곱째, 제3자의 의견 반영(stakeholder involvement) 측면을 살펴보면 PCORI의 경우에는 일차 연구에 대하여 동료 검토 과정을 실시할 예정이고 검토자 목록을 대중에게 공개할 계획이다. 여타 기관들과는 달리 PCORI는 대중에게 연구 결과 등을 알리기 위한 조직을 설립하였다. 포럼과 공식적으로 대중의 의견을 받는 기간들을 통해 PCORI는 연구 결과들에 대한 인식을 증가시키고 연구의 우선순위, 연구내용, 방법론적 기준, 동료 검토 과정, 확산 전략들을 도입하기 전에 대중의 의견을 구하고자 한다.

여덟째, 연구결과의 보험결정에의 이용 측면을 살펴보면, PCORI의 연구결과들은 지침이나 정책적 권고사항으로 활용되지 않을 수 있으며 HHS는 이 연구결과에만 의존하여 보험결정을 내려서는 안 된다. 미국 외의 나라들에서는 비교효과연구에 비용자료를 포함하는 것이 의료기술평가의 유용성을 증가시키는 것으로 나타났으나 미국에서는 ACA에 의해 비용 자료와 QALYs 등의 비용효과 결과를 계산하는 것을 엄격히 금하고 있다.

아홉째, 연구결과에 대한 항소 과정(appeal process)을 살펴보면, 미국의 PCORI는 모든 이해 관계자가 연구결과에 대해 항소할 수 있게 하였다. ACA는 모든 연구 결과가 나온 후 90일 이내에 대중에게 공개할 것을 강제하고 있고, 45-60일 동안 의견을 청취하도록 규정하고 있다.

앞서 살펴본 바와 같이 여러 국가에서 다양한 형태로 비교효과연구의 개념이 사용되고 있음을 알 수 있었다. 국가 별로 각국의 역사와 상황에 맞게 비교효과연구가 수행되고 있으나 결국에는 증가하는 보건 의료 재정의 효과적인 관리와 보건 의료 의사 결정을 함에 있어 사용할 수 있는 객관적이고 유용한 근거를 제시하는 것이 공통적인 최종 목표임을 알 수 있었다. 이러한 세계적인 추세를 이해함과 동시에 우리나라도 이에 발맞추어 나가는 것이 필요하겠다.

3. 우리나라 상황에 맞는 비교효과연구 정의 도출

3.1. 서론

비교효과연구에 대한 여러 가지 정의가 있다. 2009년 IOM 보고서에 따르면 Congressional Budget Office, IOM Roundtable on Evidence-Based Medicine, American College of Physicians, IOM Committee on Reviewing Evidence to Identify Highly Effective Clinical Service, Medicare Payment Advisory Commission, Agency for Healthcare Research and Quality 등에서 비교효과연구에 대한 나름의 정의를 하였다(IOM 2009).

이후에도 Patient-Centered Outcomes Research Institute(PCORI 2012), Federal Coordinating Council for Comparative Effectiveness Research(Federal Coordinating Council for Comparative Effectiveness Research 2009) 등에서 독자적인 정의를 도출하였다.

유럽의 European network Health technology assessment(EUnetHTA)에서는 비교효과연구와 유사한 상대적 효과성(Relative effectiveness)이라는 개념을 도출하여 나름의 정의를 내렸다(EUnetHTA 2011).

우리나라에서 독자적으로 비교효과연구에 대한 정의를 도출해야하는 지에 대한 논란이 있을 수 있다. 기존의 정의가 다소 다르기는 하지만 전체적인 내용이 유사하고 핵심적인 내용은 동일하기 때문에 기존의 정의를 그대로 수용하여 사용할 수 있다. 하지만 다음과 같은 몇 가지 이유로 우리나라의 비교효과연구의 정의가 필요하다.

첫째, 기존 정의는 몇 가지 점에서 다소 다르다. 특히 포함 요소, 목적, 중재, 범위, 결과, 방법론 등에서 약간의 차이가 있다.

둘째, 연구 기획의 차원에서 명확한 정의가 필수적이다. 국가적으로 필요한 비교효과연구의 범위는 국가별로 다소 다를 수 있으며 이는 국가별로 정의와 포함 요소를 달리 할 수 있는 근거가 된다.

셋째, 연구의 우선순위 선정에 국가별 정의가 필요하다. 연구의 우선순위는 국가마다 다를 수 있으며 이는 의료 제도, 의료 상황이 모든 나라가 상이하기 때문이다. 이런 점에서 한국적 상황에 맞는 정의가 필요하다.

넷째, 인프라 구성에도 국가별 정의가 필요하다. 국가별로 필요한 연구의 범위나 방법론이 다를 수 있고 이는 연구 인프라 투자 결정에도 영향을 미칠 수 있다.

결국 학문적 차원에서 비교효과연구의 정의는 국가별로 다를 이유가 없지만 실제 연구의 기획, 실행의 차원에서는 국가의 상황에 맞는 정의와 구성 요소를 결정하고 이에 따라 사

업을 진행하는 것이 필요하다.

그런 점에서 한국적 상황에 맞는 비교효과연구의 정의를 RAND 방법론에 입각하여 도출하는 연구를 시행하였다.

3.2. 방법

연구는 합의 방법론인 RAND 법에 기초하여 진행하였고 패널구성, 설문작성, 설문조사, 대면회의, 분석 등의 순서로 진행되었다.

3.2.1. RAND 법

공식적 합의 방법론 중 하나인 RAND/UCLA Appropriateness Method(RAM)를 사용하였다. RAM은 1980년대 중반에 의료서비스의 적정성을 측정하기 위해서 개발되었으며, 과학적인 근거와 전문가들의 의견을 결합하여 중재(intervention)의 적절성에 대한 공식적 합의를 도출하는 방법 중 하나이다. RAM 수행 방법은 주제를 선정하고 문헌고찰을 통해서 결정이 필요한 항목에 대한 평가 설문을 개발한 후, 전문가 패널을 구성하여 필요성에 대해 평가하는 것이다. 평가 척도는 1-9점으로 구성되며, 9점은 '매우 필요하다', 1점은 '매우 불필요하다', 5점은 '불확실하다'로 정의한다. 전문가 패널은 연구 주제와 관련된 전문가 그룹에서 선정하며, 직종 및 의견이 다양하게 반영되도록 구성한다. 패널의 수는 충분한 논의가 될 수 있도록 7-15인으로 구성하는 것이 일반적이다. 1차 라운드는 문헌 근거, 의견 등을 바탕으로 독립적으로 각 항목의 필요성에 대한 점수를 매기고, 2차 라운드는 1차 라운드의 평가 결과 값(중앙값, 표준편차, 동의여부 등)을 바탕으로 패널 중 한 명이 사회자로서 토론을 진행한다. 토론은 대부분 1차 라운드의 불일치 항목을 중심으로 진행이 되며, 각 항목의 필요성에 대한 토론 후 전문가 패널들이 독립적으로 재평가 한다. 간혹 필요에 따라 3, 4차 라운드를 진행 할 수 있다. 최종 라운드의 결과 값을 확인하여 각 지표에 대한 동의여부, 필요성 및 적합성을 판단한다(Fitch 2001).

3.2.2. 전문가 패널

전문가 패널은 총 10인의 국내 임상연구 분야 전문가로 구성하였다. 구성은 학계 4인(임상 의사 1명, 예방의학 2명, 보건경제 1명), 기관 4인(건강보험심사평가원, 국민건강보험공단, 한국보건사회연구원, 한국보건의료연구원), 연구진 2인으로 구성하였다.

3.2.3. 설문의 작성

지침 작성에 포함될 정의를 선정하였다. 선정된 정의는 아래의 5가지이다.

- IOM 정의(2009)
- Patient-Centered Outcomes Research Institute(PICORI) 정의
- Agency for Healthcare Research and Quality(AHRQ) 정의
- Federal Coordinating Council for Comparative Effectiveness Research 정의(2009)
- European network Health technology assessment(EUnetHTA) 정의

해당 정의는 아래와 같다.

3.2.3.1. Institute of Medicine

Comparative effectiveness research(CER) is the generation and synthesis of evidence that compares the benefits and harms of alternative methods to prevent, diagnose, treat, and monitor a clinical condition or to improve the delivery of care. The purpose of CER is to assist consumers, clinicians, purchasers, and policy makers to make informed decisions that will improve health care at both the individual and population levels.

비교효과연구는 질병/문제를 예방, 진단, 치료, 모니터 하거나 진료의 제공을 향상시키는 여러 중재 방법들의 이득과 위해 비교에 대한 근거를 창출 혹은 합성하는 것이다. 비교효과연구의 목적은 소비자, 임상 의사, 구매자, 정책결정자가 개인 수준 혹은 인구집단 수준에서 보건의료를 향상시킬 의사 결정을 할 수 있도록 정보를 제공하는 것이다(IOM 2009).

Six CHARACTERISTICS OF CER

1. CER has the objective of directly informing a specific clinical decision from the patient perspective or a health policy decision from the population perspective.
2. CER compares at least two alternative interventions, each with the potential to be “best practice.”
3. CER describes results at the population and subgroup levels.
4. CER measures outcomes—both benefits and harms—that are important to patients.
5. CER employs methods and data sources appropriate for the decision of interest.
6. CER is conducted in settings that are similar to those in which the intervention will be used in practice

비교효과연구의 여섯 가지 특징

1. 비교효과연구의 목적은 환자관점의 특정 임상적 결정이나 인구집단 관점의 보건정책에 직접적으로 도움을 주는 것이다.
2. 비교효과연구는 최상의 중재 방법을 포함하여 최소한 두 개의 중재 방법들을 비교한다.
3. 비교효과연구는 인구집단 수준과 하위그룹 수준에서에서의 결과를 표현한다.
4. 비교효과연구는 환자들에게 중요한 이득과 위해에 대한 결과를 측정한다.
5. 비교효과연구는 의사결정을 내리고자 하는 주제에 적절한 방법과 자료를 사용한다.
6. 비교효과연구는 중재 방법이 실제로 사용될 환경과 유사한 세팅에서 수행되어야 한다.

3.2.3.2. Patient-Centered Outcomes Research Institute

Comparative Effectiveness Research(CER) – The direct comparison of existing health care interventions to determine which interventions work best for which patients and which interventions pose the greatest benefits and harms. The core question of comparative effectiveness research is which treatment works best, for whom, and under what circumstances.

비교효과연구는 기존의 중재 방법들을 직접 비교하여 어떤 환자들에서 중재 방법들이 가장 효과적인지, 그리고 어떤 중재 방법이 최선의 이득과 위해를 주는지 결정하는 것이다. 비교효과연구의 핵심질문은 어떤 중재 방법이 어떤 환자들에서, 그리고 어떤 상황 하에서 최선인 지에 관한 것이다(PCORI 2012).

3.2.3.3. Agency for Healthcare Research and Quality

Comparative effectiveness research is designed to inform health-care decisions by providing evidence on the effectiveness, benefits, and harms of different treatment options. The evidence is generated from research studies that compare drugs, medical devices, tests, surgeries, or ways to deliver health care.

비교효과연구는 서로 다른 중재 방법들에 대한 효과, 이득, 그리고 위해에 관한 근거를 제공함으로써 보건의료 의사결정에 도움을 주기 위한 연구이다. 근거는 약물, 의료기기, 검사, 수술, 혹은 보건의료 제공 방법들을 비교하는 연구들로부터 생성된다(AHRQ 2012).

3.2.3.4. Federal Coordinating Council for Comparative Effectiveness Research

Comparative effectiveness research is the conduct and synthesis of systematic research comparing different interventions and strategies to prevent, diagnose, treat and monitor health conditions. The purpose of this research is to inform patients, providers, and decision-makers, responding to their expressed needs, about which interventions are most effective for which patients under specific circumstances. To provide this information, comparative effectiveness research must assess a comprehensive array of health-related outcomes for diverse patient populations. Defined interventions compared may include medications, procedures, medical and assistive devices and technologies, behavioral change strategies, and delivery system interventions. This research necessitates the development, expansion, and use of a variety of data sources and methods to assess comparative effectiveness.

비교효과연구는 질병을 예방, 진단, 치료, 그리고 모니터하는 여러 다른 종류들의 중재 방법들과 전략들을 비교하는 체계적인 연구를 수행하고 합성하는 것이다. 본 연구의 목적은 환자들, 의료제공자들, 의사결정자들이 필요로 하는 정보들, 특정 환경에서 어떤 환자들에 어떤 중재법들이 가장 효과적인지에 대한 정보들을 제공하는 것이다. 이러한 정보를 제공하기 위하여, 비교효과연구는 다양한 환자집단들에서 포괄적인 건강관련 결과들에 대해 평가해야 한다. 비교하는 중재 방법들은 약물, 수술, 의료기기/보조기기와 기술, 행동 변화 전략들, 그리고 의료 제공 방법들을 포함한다. 이 연구는 중재 방법의 효과를 비교 평가하기 위하여 다양한 자료원과 방법의 개발 및 확장, 그리고 사용을 필요로 한다(Federal Coordinating Council for Comparative Effectiveness Research 2009).

3.2.3.5. European network Health technology assessment

Relative effectiveness: can be defined as the extent to which an intervention does more good than harm compared to one or more intervention alternatives for achieving the desired results when provided under the usual circumstances of health care practice.

Essentially this definition contains three important elements:

1. The balance between doing more good than harm;
2. The intervention should be compared to one or more intervention alternatives. Hence the value of the intervention depends on its value relative to alternatives;
3. Results should be achieved when applied under usual circumstances of health care practice as opposed to within a clinical trial setting.

상대적 효과는 일반적인 임상 현실에서 특정 중재 방법이 하나 또는 그 이상의 다른 중재 방법들 보다 위해보다는 이득이 더 큰 정도로 정의될 수 있다.

상기 정의는 다음의 세 가지 중요한 요소를 포함 한다:

1. 위해보다 이득이 더 큰지에 대한 평가
2. 특정 중재 방법은 하나 또는 그 이상의 대안이 되는 중재 방법들과 비교되어야만 한다. 따라서 특정 중재 방법의 비교된 대안에 대한 상대적 가치를 보는 것이다.
3. 결과들은 임상 시험 세팅이 아닌 일상적인 임상 상황에서 나온 것이어야 한다

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

(EUnetHTA 2011).

설문에 포함되는 요소는 중재의 범위(임상 범위, 신의료 기술 등), 세팅(의사결정 세팅, 일상적 진료 등), CER의 목적(정보 제공 등), 연구방법론(근거의 합성, 창출 등), 결과(이득, 위해, 비용 등)의 5가지로 하였고 각각의 구성 요소는 다음과 같다(표 5).

표 5 설문에 포함되는 요소와 세부구성요소

설문에 포함되는 요소	세부 구성 요소
중재의 내용	임상 범위(진단, 예방, 모니터링, 치료 등) 중재의 종류(약물, 기기, 검사, 수술 등) 서비스의 효과(교육프로그램, IT기술 등) 보건의료시스템 효과(일차 진료, 지불보상제도 등)
중재 범위	신의료 기술(식약청 품목허가 이후) 기존(existing) 기술 쇠퇴(obsolete) 기술
CER의 목적	환자에게 정보 제공 진료제공자에게 정보제공 정책결정자(보험자 포함)에게 정보제공 의료기술평가에 정보제공 임상진료지침 개발 일반 국민에게 정보제공
연구의 범위	Head-to-head RCT 등 일부 효능(efficacy)연구 효과(effectiveness) 연구 가치 연구(비용-효과성 등)
결과 수준	인구집단수준결과 하위집단(subgroup)결과 개인수준결과
결과의 단계	대리(surrogate) 결과 환자 보고 결과 (patient-reported outcome[PRO], 만족도, 삶의 질 등) 건강관련(사망, 주요 질병발생 등) 결과
결과의 내용	이득 위해 비용
연구방법론	근거의 합성(체계적 문헌고찰 등) 근거 창출(임상시험연구) 근거 창출(관찰연구) 개별환자 특성 연구(genomics) 간접비교연구

3.2.4. 제 1라운드 설문조사

제 1라운드 설문조사는 패널로 선정된 10인에게 우편 설문을 통해 설문지(부록 7.1)를 참고문헌(IOM 2009, Luce 2010)과 함께 배포하고 응답하도록 하였다. 개별 구성요소에 대해 아래와 같은 양식으로 필요성과 적합성을 9점 척도로 답하게 하였다(그림 10).

1) 비교효과연구 (CER) 정의에 포함되어야 하는 요소는?

중재의 범위(임상범위, 신의료 기술 등)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		

그림 10 설문지의 예

3.2.5. 제 2 라운드 대면회의

제 2라운드 조사는 대면조사로 이루어졌다. 제 1라운드에서 동의에 이른 것은 제외하고 나머지에 대해서 중간값과 개별 평가 값을 제시한 결과표를 개별 패널에게 제공하고 개별 항목에 대해 토의 한 뒤 다시 응답하도록 하는 방식으로 진행하였다. 제2라운드 조사에서는 패널 중 1명이 불참하여 9인의 패널로 대면조사가 진행되었다.

3.2.6. 평가 방법

RAND 법에 따라 응답에 대한 판단은 동의 여부와 필요성 여부로 나누어 진행하였다.

동의 여부는 아래와 같은 기준으로 판단하였다.

- 동의(agreement): 9명 중 2명 이하가 3점 구역(1~3, 4~6, 7~9) 밖에 존재하는 경우
- 비동의(disagreement): 3명 이상이 7~9점 사이에 있고, 다른 3명 이상이 1~3에 위치하는 경우
- 불확실(uncertain): 동의, 비동의 이외의 모든 경우

포함 여부(필요성 여부)는 아래와 같은 판단기준으로 결정하였다.

- 7-9점 구역에서 동의 된 경우 -> 포함
- 1-3점 구역에서 동의 된 경우 -> 포함하지 않음
- 4-6점 구역에서 동의 된 경우 -> 포함 여부에 대한 결정을 내릴 수가 없다. 필요할 경우 포함 가능

3.2.7. NECA 연구진의 평가

실제로 추후 비교효과연구를 수행할 연구진이 생각하는 비교효과연구에 대한 정의에 포함되는 요소가 무엇인지에 대해서 추가적인 조사를 하였다. NECA의 책임급 연구원 20명에게 1차 설문지를 배포하였으나 RAND법으로 분석 가능한 숫자가 15인이었기 때문에 20명 중 15인을 무작위로 추출하여 이들의 응답지만을 분석하였다. 전문가 평가와 마찬가지로 15인에 대해서 2차 대면회의를 시행하기로 하였지만 5인이 불참하여 총 10인의 응답에 대해서 RAND 방법에 의거하여 포함 요소를 결정하였다.

3.3. 결과

3.3.1. 제 1라운드

제 1라운드 결과 총 35개 항목 중 25개 항목에서 7-9점 구역에서 동의되어 필요한 항목으로 평가되었다.

3.3.2. 제 2라운드

제 2라운드는 제 1라운드 결과 동의되지 않은 항목에 대해서 토론을 진행한 후 추가적으로 다시 평가하였으며 2개 항목에 대해서만 추가적으로 7-9점에서 동의되어 정의에 포함되는 항목으로 선정되었다. 1-3점으로 동의되어 필요성이 없는 항목으로 간주된 것은 없었다.

1, 2라운드 결과는 다음과 같다(표 6).

표 6 1, 2라운드 결과

영역	항목	중간값	표준편차	동의여부	필요성	의사결정라운드
정의포함요소	증재의 범위	8.00	2.12	동의	필요함	1차
	세팅	8.00	1.42	동의	필요함	1차
	CER의 목적	8.00	1.37	동의	필요함	1차
	연구방법론	8.00	1.29	동의	필요함	1차
	결과(outcome)	9.00	1.32	동의	필요함	1차
증재의 내용	임상 범위	8.50	.95	동의	필요함	1차
	증재의 종류	9.00	.48	동의	필요함	1차
	보건 서비스의 효과	7.00	1.41	불확실		2차
	보건의료시스템 효과	5.00	2.19	불확실		2차
증재의 범위	신의료기술	9.00	1.63	동의	필요함	1차
	기존(existing) 기술	9.00	.97	동의	필요함	1차
	쇠퇴(obsolete) 기술	5.00	2.46	비동의		2차
비교효과연구의 목적	환자에게 정보 제공	8.50	1.25	동의	필요함	1차
	진료제공자에게 정보제공	9.00	.48	동의	필요함	1차
	정책결정자에게 정보제공	9.00	.42	동의	필요함	1차
	의료기술평가에 정보제공	8.50	1.33	동의	필요함	1차
	임상진료지침 개발	8.00	1.42	동의	필요함	1차
	일반 국민에게 정보제공	8.00	.78	동의	필요함	2차
	일부 효능(efficacy) 연구	7.00	1.88	불확실		2차
연구의 범위	효과(effectiveness) 연구	9.00	.48	동의	필요함	1차
	가치연구(비용-효과성 등)	8.00	1.72	동의	필요함	1차
	인구집단수준결과	9.00	.48	동의	필요함	1차
결과의 수준	하위집단(subgroup)결과	8.00	.67	동의	필요함	1차
	개인수준결과	6.00	1.42	불확실		2차
결과의 단계	대리(surrogate) 결과	4.00	1.09	불확실		2차
	환자 보고 결과	8.00	1.05	동의	필요함	1차
	건강관련(사망, 주요질병발생 등)결과	9.00	.42	동의	필요함	1차
결과의 내용	이득(benefit)	9.00	.71	동의	필요함	1차
	위해(harm)	9.00	.71	동의	필요함	1차
	비용(cost)	8.00	.83	동의	필요함	2차
연구방법론	근거의 합성(체계적 문헌고찰 등)	9.00	2.18	동의	필요함	1차
	근거 창출(임상시험연구)	9.00	1.89	동의	필요함	1차
	근거 창출(관찰연구)	9.00	.71	동의	필요함	1차
	개별 환자 특성 연구(genomics)	5.00	1.69	불확실		2차
	간접비교연구	5.00	1.65	동의	결정불가	1차

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

3.3.3. 정의 도출

7-9점으로 동의되어 정의에 포함하기로 합의된 27개 항목은 다음과 같다(표 7).

표 7 영역별 포함 항목

영역	항목
정의포함요소	중재의 범위, 세팅, 비교효과연구의 목적, 연구방법론, 결과(outcome)
중재의 내용	임상 범위, 중재의 종류
중재의 범위	신의료기술, 기존(existing) 기술
비교효과연구의 목적	환자에게 정보 제공, 진료제공자에게 정보제공, 정책결정자에게 정보제공 의료기술평가에 정보제공, 임상진료지침 개발, 일반 국민에게 정보제공
연구의 범위	효과(effectiveness) 연구, 가치 연구(비용-효과성 등)
결과의 수준	인구집단수준결과, 하위집단(subgroup)결과
결과의 단계	환자 보고 결과, 건강관련(사망, 주요 질병발생 등)결과
결과의 내용	이득(benefit), 위해(harm), 비용(cost)
연구방법론	근거의 합성(체계적 문헌고찰 등), 근거 창출(임상시험연구), 근거 창출(관찰연구)

이를 통해 우리나라에 적합한 비교효과연구의 정의 초안을 도출하였다.

3.3.4. 정의에 대한 전문가 자문 및 반영

도출한 우리나라에서의 비교효과연구의 정의에 대해 전문가 자문을 받았고 이에 대해 연구진과 협의하여 일부 내용을 반영하고 내용을 수정하였다(표 8).

표 8 전문가 자문 내용 및 반영 결과

피드백 내용	반영 여부	반영 후 내용
'진료제공자'보다는 '의료공급자'가 더 낫은 표현임.	'진료제공자'가 더 많이 쓰이기 때문에 바꾸지 않음.	없음
비교효과연구에서 '대리결과'는 결과로 볼 수 없는지 여부, 즉 부득이한 경우 '대리결과'에 의한 결과 변수를 볼 수밖에 없는 경우는?	'대리결과'가 포함되는 경우가 가능하지만 이를 명시하기는 어려움.	
'경제성평가'가 근거 합성에 포함되는지 여부, '경제성평가' 중 outcomes research를 통해 근거를 창출한 경우가 있는 문제.	설명문에 포함.	'경제성평가'의 경우 주된 요소는 근거창출에 해당함.
임상적중결점(clinical endpoint), 최종중결점(final endpoint)은 임상적결과변수, 최종결과변수로 수정.	반영.	제안대로 수정함.

이를 통해 확정된 비교효과연구의 정의는 아래와 같다.

비교효과연구는 일상 진료 환경에서 특정 질병 또는 상태를 예방, 진단, 치료, 모니터링 하기 위한 둘 이상의 중재들(약물, 의료기기, 검사, 수술 등)의 이득, 위해 혹은 비용 측면에서의 건강관련 결과를 인구집단수준이나 하위집단수준에서 비교하는 것이다. 비교효과연구는 임상시험, 관찰연구, 경제성 평가를 통해 근거를 창출하거나 체계적 문헌고찰 등을 통해 근거를 합성하여 환자, 진료제공자, 정책결정자, 일반국민에게 정보를 제공하고 보건의료정책결정, 의료기술평가와 임상진료지침 개발에 도움을 주는 것을 목적으로 한다.

이에 대한 명확한 이해를 위해 아래와 같은 설명문을 넣었다.

- 비교 효과에 대한 정의에서 주요한 개념 중의 하나는 효과(effectiveness)와 효능(efficacy)의 차이에 대한 것이다. 효능이란 특정한 의료적 중재가 이상적 상황에서 환자에게 제공할 수 있는 이득의 정도를 의미한다. 실험적 접근을 통하여 동질성이 높은 환자 집단을 대상으로 중재 이외에 결과에 영향을 미칠 수 있는 다른 요소들을 통제하고 상당히 엄격한 프로토콜을 준수하여 처치를 수행한 후 평가된다. 효과란 특정한 의료적 중재가 일상의 다양한 임상 현장에서 환자에게 제공할 수 있는 이득의 정도를 의미한다. 실제 임상 현장에 높은 연관성과 영향력을 지니며 효능에 대한 근거에 비해 상대적으로 낮은 내적 타당도와 높은 외적 타당도를 나타낸다.
- 일상진료 환경(routine care setting)이란 임상시험 환경과 같은 실험적 환경, 이상적 환경이 아닌 일반적이고 일상적인 실제 임상 현장을 의미한다.
- 건강관련결과(health related outcome)이란 연구에서 사망, 질병의 발생 등과 같은 특정 중재의 목표가 되는 효과 측정치로서 임상적 결과변수(clinical endpoint), 최종 결과변수(final endpoint)과 유사한 의미로 사용되고 혈압 수치의 감소이나 혈청지질 수치의 감소와 같은 대리 결과(surrogate outcome)에 대한 반대 의미로 사용된다. 건강관련결과에는 건강관련 삶의 질 같은 환자보고결과(Patient Report Outcome[PRO])도 포함된다.
- 비교효과연구를 위해서는 인구집단수준에서의 결과를 근거로 이용하는 것이 개인 간 변이를 종합하여, 보다 일반화된 결과로 요약 가능하다는 점에서 개연성이 높고 활용도를 제고할 수 있는 자료를 산출할 수 있다. 인구집단수준의 결과를 보다 구체화하기 위해서는 대상자의 성, 지역, 직업, 교육 등 사회인구학적 요인을 비롯하여 응답자의 성격을 구분할 수 있는 세분화된 특성에 따라 하위집단수준에서 제시할 수도 있다.
- 관찰연구란 연구자가 참여자를 특정 중재법에 대해 배정하지 않고 관찰한 결과를 보고한 것이다.

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

- 근거 합성(evidence synthesis)이란 기존 자료를 통합하여 최선의 근거를 제공하는 기법을 말한다. 대표적인 연구방법론으로 체계적문헌고찰이 있다. 경제성평가의 경우 기존 자료를 통합한다는 의미에서 근거합성으로 볼 수 있으나 효율에 대한 근거를 생성한다는 의미에서 근거창출로 보는 것이 일반적이다.

3.3.5. NECA 연구진들에 대한 포함요소 조사

제 1라운드 결과 총 35개 항목 중 24개 항목에서 7-9점 구역에서 동의되어 필요한 항목으로 평가되었다.

제 2라운드는 제 1라운드 결과 동의되지 않은 항목에 대해서 토론을 진행한 후 추가적으로 다시 평가하였으며 4개 항목에 대해서만 추가적으로 7-9점에서 동의되어 정의에 포함되는 항목으로 선정되었다. 1-3점으로 동의되어 필요성이 없는 항목으로 간주된 것은 없었다.

1, 2라운드 결과는 다음과 같다(표 9).

표 9 NECA 연구진들의 합의 결과

영역	항목	중간값	표준편차	동의여부	필요성	의사결정라운드
정의포함요소	중재의 범위	8.0	1.71	동의	필요함	2차
	세팅	8.0	.63	동의	필요함	2차
	CER의 목적	8.0	1.11	동의	필요함	1차
	연구방법론	7.0	1.21	동의	필요함	1차
	결과(outcome)	8.0	.94	동의	필요함	1차
중재의 내용	임상 범위	9.0	1.58	동의	필요함	1차
	중재의 종류	9.0	1.46	동의	필요함	1차
	보건 서비스의 효과	7.0	.82	불확실		2차
	보건의료시스템 효과	6.5	1.65	불확실		2차
중재의 범위	신의료기술	8.0	1.22	동의	필요함	1차
	기존(existing) 기술	8.0	1.68	동의	필요함	1차
	쇠퇴(obsolete) 기술	7.5	1.07	동의	필요함	2차
	환자에게 정보 제공	8.0	1.06	동의	필요함	1차
비교효과연구의 목적	진료제공자에게 정보제공	8.0	.92	동의	필요함	1차
	정책결정자에게 정보제공	9.0	.46	동의	필요함	1차
	의료기술평가에 정보제공	8.0	1.16	동의	필요함	1차
	임상진료지침 개발	8.0	1.61	동의	필요함	1차
	일반 국민에게 정보제공	7.0	1.57	동의	필요함	1차
연구의 범위	일부 효능(efficacy) 연구	3.5	2.25	불확실		2차
	효과(effectiveness) 연구	9.0	.49	동의	필요함	1차
	가치연구(비용-효과성 등)	8.0	.96	동의	필요함	1차
결과의 수준	인구집단수준결과	8.0	1.08	동의	필요함	1차
	하위집단(subgroup)결과	8.0	1.26	동의	필요함	1차
	개인수준결과	5.0	.97	동의	결정불가	2차
결과의 단계	대리(surrogate) 결과	5.0	1.81	비동의		2차
	환자 보고 결과	8.0	1.05	동의	필요함	1차
	건강관련(사망, 주요질병발생 등)결과	9.0	.64	동의	필요함	1차
결과의 내용	이득(benefit)	9.0	1.10	동의	필요함	1차
	위해(harm)	9.0	.74	동의	필요함	1차
	비용(cost)	8.0	1.16	동의	필요함	1차
연구방법론	근거의 합성(체계적 문헌고찰 등)	9.0	.82	동의	필요함	1차
	근거 창출(임상시험연구)	8.0	.67	동의	필요함	2차
	근거 창출(관찰연구)	8.0	2.07	동의	필요함	1차
	개별 환자 특성 연구(genomics)	5.0	1.69	불확실		2차
	간접비교연구	7.0	2.17	불확실		2차

전문가 조사에서 포함요소로 결정된 것과 NECA 연구진 조사에서 포함요소로 결정된 것을 비교하였을 때 NECA 연구에서 중재의 범위 영역 중 '쇠퇴기술'이 포함된 것을 제외하고는 동일하였다.

3.4. 고찰

비교효과연구(Comparative Effectiveness Research)는 미국에서 의료개혁의 일환으로 제안된 연구 영역으로 기존의 대안들과 비교하여 특정 의료기술의 위해와 이득이 어떠한가를 비교 분석하는 것이 골자이며, 연구를 통하여 얻어진 정보가 보건의료분야의 의사결정에 활용되고자 하는 것이다. 유럽의 경우는 상대적 효과 평가(Relative Effectiveness Assessment)라는 개념을 제안하고 있다.

우리나라에서도 신약의 등재 및 신의료기술평가 시 일부 이러한 개념이 사용되어 오고 있지만 본격적으로 보건의료제도하에 어떻게 활용할지 아직 공론화 된 적은 없다. 이런 점에서 우리나라에서 비교효과연구에 대한 정의를 하는 것은 비교효과 연구에 대한 연구를 기획하고 연구를 수행하는데 중요한 시발점이 된다고 할 수 있다.

이번 연구에서 정의에 포함되기로 합의된 것은 중재의 내용에서는 임상 범위와 중재의 종류, 중재 범위에서는 신의료기술과 기존 기술, 비교효과연구의 목적에서는 환자에게 정보 제공, 진료제공자에게 정보제공, 정책결정자에게 정보제공, 의료기술평가에 정보제공, 임상 진료지침 개발, 일반 국민에게 정보제공, 연구의 범위는 효과 연구와 가치 연구(비용-효과성 등), 결과(outcome)의 수준은 인구집단수준결과와 하위집단결과, 결과의 단계는 환자 보고 결과, 건강관련(사망, 주요 질병발생 등)결과, 결과의 내용은 이득(benefit), 위해(harm), 비용(cost), 연구방법론은 근거의 합성(체계적 문헌고찰 등), 근거 창출(임상시험연구), 근거 창출(관찰연구)이었다.

정의에 포함된 이러한 요소는 몇 가지 점에서 논란이 될 수 있다.

첫째는 중재의 내용에 보건서비스와 보건체계가 포함될 것인가이다. 보건서비스 연구는 사회적 요인, 의료 제도, 정부 정책 등이 보건의료 접근성, 보건의료의 질과 비용 등에 어떠한 영향을 미치는가를 연구하는 학문이다(Lohr 2002). IOM은 보건의료 서비스의 이용, 비용, 질, 접근성, 전달, 기구, 재정, 결과에 대해 연구하는 것이라고 정의하였다(Field 1995). 기존의 정의에서 보면 IOM의 정의는 “보건의료 제공을 향상 시키는 중재”(IOM 2009), AHRQ의 정의는 “보건의료 제공 방법을 비교하는 연구”(AHRQ 2012)라는 문구를 넣어서 이러한 보건의료서비스라는 중재를 전부는 아니지만 일부 포함하는 것으로 정의하였으나 이번 연구에서는 보건서비스 연구의 영역이 전혀 포함되지 않았다. 연구 결과에서 보건서비스, 보건의료 체계 모두 필요성에 대해 동의가 이루어지지 않았다. 이 부분에 대해서는 좀 더 논의가 필요할 것으로 예상된다.

둘째는 경제성 평가 연구에 대한 것이다. IOM 보고서에 의하면 현재까지 나와 있는 CER 정의 10개 중에서 경제성 연구를 포함한 것은 American College of

Physicians(American College of Physicians 2008) 정의를 제외하고는 없지만 우리나라의 정의에는 포함하는 것이 적절하다는 동의가 되었다. 이는 한국적 상황을 반영한 결과일 수 있고 더 깊이 있는 논의가 필요하다는 사실을 의미할 수도 있다.

셋째는 간접비교 연구가 포함되는지 여부이다. 간접비교 연구와 같은 성격의 근거 합성이 포함될지 여부가 명백히 정의되어 있는 문서는 아직 없다. 다만 일부 기구에서 신속한 의사 결정이 필요할 경우 간접비교와 같은 방법론을 이용할 수 있을 것이라는 언급 정도이다. 이번 조사에서는 9점 만점에 5점으로 동의되어서 포함여부가 불확실하다는 동의가 이루어졌음을 알 수 있다. 따라서 배제가 동의된 것은 아니기 때문에 여러 상황에 따라 포함 여부가 결정될 수도 있을 듯하다.

이번 연구는 몇 가지 제한점이 있다.

첫째는 전문가 패널의 전문성이다. 현재 우리나라에서 비교효과연구라는 새로운 연구 영역의 전문가라고 할 수 있는 전문가군이 매우 부족한 상황이다. 이번 연구에 참여한 10인의 전문가는 해당 직능(학계, 기관, 연구진)을 대표하는 분들이어서 전문성을 담보하였다고 평가할 수 있지만 개별 패널 등의 경험이나 연구 분야가 현재의 패널에 적합하고 충분한가에 대해서는 논란의 여지가 있을 수 있다.

둘째는 포함과 배제 여부에는 해석이다. 현재 포함된 부분이 비교효과연구의 정의에 포함된다는데 대해서는 의심할 여지가 없지만, 포함되지 않은 부분에 대해 어떠한 의사 결정을 할 것인가에 대해서는 분명한 문제가 있다. 즉 다양한 목적으로 수행되는 연구의 경우 방법론이나 결과의 내용 등이 현재 포함된 부분만으로는 부족한 부분이 발생할 수 있고 이를 어디까지 허용해야 하는지에 대해서 이번 연구는 해답을 주지 않는 문제가 있다.

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

4. 비교효과연구의 수행 및 활용 방안

4.1. 정책 환경 변화와 비교효과연구 활용분야

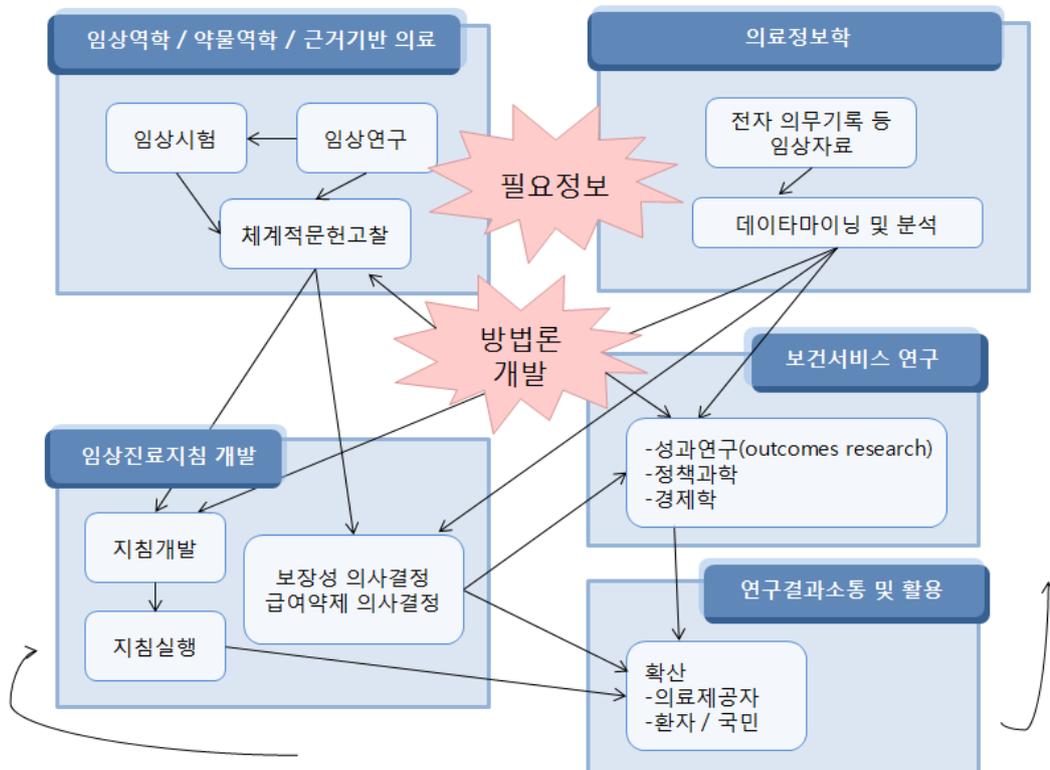
최근 고령화로 인한 만성 질환의 증가 및 그에 따른 의료비 상승을 비롯하여 사회 전반적인 변화 흐름이 보건의료와 관련한 각종 정책적 요구의 증대로 이어지고 있다. 이에 대응하기 위하여 정부는 보건의료 분야에 있어서 여러 유형의 R&D 투자를 적극적으로 추진해 오고 있으나(보건복지부, 2012), 기존의 보건의료 R&D 사업들은 대부분 학술적 차원의 연구결과물 산출에 머물거나 보건의료 산업 기반을 지원하기 위한 자료 도출에 초점이 맞추어져 있어 실제 정책 현장을 지원하여 보건의료 제도를 개선하거나 정책적 개입이 필요한 현안에 대한 합리적 대안을 제시하기에는 미흡한 실정이다. 특히 보건의료 제도 개선을 위한 정책 근거 제공을 위해 특화된 R&D 사업은 뚜렷하게 부각되고 있지 않고 있어 객관적인 정책 판단 근거 제공을 위한 차별화된 연구개발 사업이 필요해 보인다.

이와 관련하여 근거중심의료에 대한 기대를 의료개혁에 접목시키기 위한 연구 패러다임의 하나로 미국의 의료정책 환경에서 추진되고 있는 비교효과연구가 주목된다. 비교효과연구의 개념을 통해 특정 의료기술 대안들을 비교하여 위해와 이득을 분석하여 얻어진 정보를 보건의료 분야의 의사결정에 적극적으로 활용할 수 있기 때문이다. 이미 신약의 등재나 신의료기술평가의 근거 마련을 위하여 이러한 개념이 사용되고 있지만 본격적으로 보건의료 정책이나 제도 개선에 어떻게 활용할지는 공론화되지 않은 상태이다. 비교효과연구가 일반 국민과 환자, 보호자, 의사, 보험자, 정책 담당자 등의 의사결정을 지원하기 위해 보다 나은 정보를 제공함으로써 보건의료의 질 개선 및 성과 확산의 기회를 부여할 수 있다는 점에서 우리나라의 보건의료 현실에서도 시사하는 바가 크다.

비교효과연구는 임상시험이나 관찰연구를 통해 근거를 창출하거나 체계적 문헌고찰 혹은 경제성 평가를 통해 근거를 합성하여 환자, 진료제공자, 정책결정자, 일반국민에게 정보를 제공하고 보건의료 정책결정, 의료기술평가와 임상진료지침 개발에 도움을 주는 것을 목적으로 한다. 비교효과연구의 영역은 임상 역학 또는 약학 연구 결과 및 근거기반 의료의 임상시험 등의 결과에 대한 체계적 문헌고찰과 생의학적 정보과학에서의 전산임상데이터에 대한 데이터마이닝 분석 등에 의한 정보들을 적절한 방법론을 통해 분석하여, 임상지침 개발과 실행, 보험급여 의사결정, 보장성이나 보험급여약제 목록에 대한 의사결정, 임상 의사나 환자·소비자에 대한 연구결과 확산 등에 활용하는 활동 전반을 포괄하고 있다(그림 11).

이는 비교효과연구의 잠재적인 목표 범위가 광범위하다는 것을 의미한다. 또한 비교효과연구는 개별 환자의 진료와 관련하여 예방, 검진, 진단, 치료, 모니터링, 재활을 위한 중재를 포함하며, 정책과 관련해서는 지식의 합성과 전파, 공중보건프로그램, 의료조직, 서비스

제공, 보건서비스에 대한 지불 제도를 포함하는 제안을 통한 인구집단의 건강을 도모할 수 있다. 이러한 특징은 비교효과연구가 관련 이해당사자와 의사결정자들이 합리적으로 의사결정을 할 수 있도록 한다는 점에서 중요하다는 점을 잘 보여준다. 비교효과연구에서 얻어진 정보가 의료비 지불자, 의료제공자, 환자와 보호자, 정책당국(기술에 대한 규제자) 등에 의하여 건강보험의 급여정책, 보장성에 대한 의사결정, 환자관리 등에 활용될 수 있고, 이를 통해 의료비를 효율적으로 지출하고 국민의 건강상태와 삶의 질을 향상시킬 수 있는 것이다.



출처: modified from Olsen 등. 2011

그림 11 비교효과연구의 주요 관련 영역

비교효과연구는 환자 및 의료제공자, 정책결정자(보험자 포함) 그리고 일반 국민에게 정보를 제공하고 의료기술평가와 임상진료지침에 활용하여 국민건강 보호 및 보건의료 자원의 효율적 활용을 목적으로 한다. 비교효과연구는 특히 정책적 활용에 있어서 보장성 강화 및 건강보험 급여정책 근거지원, 의료기술 개발 근거 산출과 제공을 통한 보건의료체계의 기반

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

강화, 그리고 임상진료지침 개발 근거로의 활용 등을 기대할 수 있다.

단적으로 비교효과연구는 여러 대안의 치료법 중 가장 효과적이고 효율적인 치료법이 무엇인지 규명하는데 유용한 수단이 될 수 있으며, 이러한 점에서 급여 우선순위 결정이나 보장성을 높이기 위해 상대적으로 효과적인 기술의 범위와 그 보장수준의 근거를 제공할 수 있다. 예를 들어, 임상적 비교효과연구를 통해 조기 위암에서 수술적 요법과 ESD의 효과에 대한 비교 근거를 가지고 급여 여부를 결정한다거나, 관상동맥 조영술과 관상동맥 CT 촬영술의 비교를 통해 급여 기준을 설정한다면 합의에 도달하는데 불필요한 사회적 논쟁을 줄이고 합리적 건강보험 재정의 활용을 가능하게 할 것이다.

현재의 보험급여 체계에서는 질병이 발생한 후 또는 질병이 진행된 후에 급여가 가능한데, 이는 단기적으로 비용을 절약하는 것처럼 보이지만, 질병의 중증도가 높아지면 의료비를 증대시켜 장기적으로 비용 지출을 증가시키게 된다. 그런데 비교효과연구는 최선의 치료법에 대한 정보를 주어 이러한 치료법의 사용을 유도하는 등의 기전에 의해 보험재정을 건전화하는데 기여할 가능성이 높다. 즉 의료기술을 비교 평가하는 연구는 건강보험 재정 건전화에도 기여할 수 있을 뿐만 아니라 의료기술을 개선하거나 발전시키며, 임상진료지침 개발을 위한 근거를 제공함으로써 노령화나 만성질환 증가에 보다 적절하게 대처할 수 있는 보건의료체계의 기초를 강화해 줄 수 있을 것으로 기대된다.

4.2. 비교효과연구의 수행체계

4.2.1. 보건의료연구 관련 법규 정비

현행 보건의료 분야의 연구개발사업들은 보건의료기술진흥법 등의 법 체계에 근거를 두고 있다. 이 법은 보건의료기술의 진흥에 관한 기본 계획의 수립, 연구개발사업의 수행, 보건신기술의 인증 및 보건의료정보 등에 관한 사항을 규정하고 보건의료기술에 대한 분석 등의 업무를 수행하는 한국보건의료연구원을 설립함으로써 보건의료산업의 건실한 발전과 국민건강 증진에 이바지함을 목적으로 하고 있다.

이 법에서 사용하는 “보건의료기술”이라는 용어는 의과학·치의학·한의학·의료공학 및 의료정보학 등에 관련되는 기술, 의약품·의료기기·식품·화장품·한약 등의 개발 및 성능 향상에 관련되는 기술, 그 밖에 인체의 건강과 생명의 유지·증진에 필요한 상품 및 서비스와 관련되는 보건·의료 관련 기술을 의미하는 것으로 규정되어 있다. 그리고 정부가 보건의료기술의 진흥을 위한 연구개발 활동과 보건신기술을 장려하고 보호·육성하기 위한 정책을 마련하여 시행하여야 하며, 이에 필요한 비용을 지원할 수 있음을 명시하고 있다. 진흥법에

의하면 중장기계획의 수립 시 보건의료기술의 방향과 목표, 국내외 환경 분석, 중장기 중점 기술개발 전략, 보건의료기술의 진흥을 위한 중장기 투자계획 및 인력 수급 및 육성 방안이 포함되어야 함을 명시하고 있다.

중장기계획을 효율적으로 추진하기 위하여 정부는 보건의료기술 연구개발사업을 수행하고, 보건복지부장관은 연구개발 사업으로 연도별·분야별 연구과제를 선정하여 기관이나 단체 등과 협약을 맺어 연구를 할 수 있다. 또한 보건복지부장관 소속으로 보건의료기술정책심의위원회를 두고 중장기계획의 수립, 중장기 보건의료기술 개발전략의 수립, 연구개발과제의 우선순위 결정, 지원 자금의 배분, 정보·통계 관리 및 전산화, 학계·연구기관 및 산업계 간의 보건의료기술 공동연구에 관한 사항 등 중요 사항을 심의한다. 보건복지부장관은 '한국보건산업진흥원법'에 따라 한국보건산업진흥원이나 보건의료 분야의 기관·단체를 연구개발사업 전문기관으로 지정하여 보건의료산업체에 대한 연구·기술개발 지원, 연구개발사업의 조사·기획·평가 및 관리 등을 수행하게 한다. 그밖에 보건의료정보의 생산·유통 및 활용을 위하여 보건의료정보를 관리하기 위한 전문연구기관을 육성하고 전산화를 촉진하기 위한 업무의 표준에 관한 연구·개발 및 관리, 보건의료정보의 공동이용 활성화 사업을 추진하며 보건의료기술을 효율적으로 개발·육성하기 위한 학계·연구기관 및 산업계 간의 협동연구를 촉진하고 협동연구개발을 우선적으로 지원할 수 있다.

이러한 법적 근거는 향후 비교효과연구를 정책적으로 활용하기 위해 우선 고려하여야 할 사항들이다. 기존의 법 체계 하에서도 비교효과연구를 수행할 수는 있지만, 이러한 연구사업이 국가적 정책근거 지원사업으로 자리잡기 위한 동력을 얻기 위해서는 의료법이나 보건의료기술진흥법 등 관련 법들에 행정적, 재정적인 지원근거를 마련하는 것이 바람직하다. 미국의 경우 급변하는 보건의료 정책환경에 대응하고자 의료개혁을 적극 추진하는 가운데 ARRA 등의 제정을 통하여 비교효과연구를 효율적으로 지원하기 위한 법적 근거를 마련한 바 있다. 이러한 국제적인 동향을 참고하여, 우리나라의 보건의료체계의 개선과 발전을 위하여 새로운 법을 제정하거나 기존의 의료법, 보건의료기술진흥법, 국민건강보험법 등 관련 법 체계의 미비점을 검토할 필요가 있다. 예를 들어 비교효과연구의 정의와 보건의료 정책 근거 마련을 위한 지원의 당위성 등 활성화 취지를 비롯해 이러한 연구의 주관기관, 연구수행체계 및 연구결과의 정책화를 위한 절차, 연구를 위한 재원조달 방안 등이 규정될 때 명확한 법적 기반 위에서 보건의료 분야의 정책 연계성을 극대화한 연구개발사업으로 발전할 수 있을 것이다. 즉 건강보험, 의료기술평가 등 보건의료 분야의 많은 유관 제도와 기관들 간의 역할 분담 등 관계 설정을 위해 법규 체계에 대한 검토와 정비는 필수적이다. 이 점에 대해서는 행정적, 재정적 지원은 물론 연구자료 활용과 연계 등 연구수행의 기본적인 여건을 획기적으로 마련하는 등 비교효과연구를 지원하는 방안에 대한 구체적인 검토

차원에서 별도의 정책기획 연구를 통해 전문가 의견수렴과 사회적 합의 과정을 거쳐야 할 것이다.

4.2.2. 유관기관들의 역할분담

향후 비교효과연구를 국가적인 연구 사업으로 발전시키기 위해서는 우선 기존의 보건의료 연구 및 관련 사업 수행 기관들의 실태를 파악하고 이들의 보건의료 정책지원 및 보건의료 R&D 사업에서의 기능과 역할에 대해 살펴볼 필요가 있다. 보건의료 정책을 지원하는데 관련되는 주요 기관들로는 정책기관인 보건복지부와 직·간접적으로 연관되고 다양한 형태의 기능과 역할을 담당하는 공공기관 및 병의원 등의 의료기관, 대학 및 연구기관, 학술단체 등의 민간조직들이 있다.

보건복지부는 '빈곤 질병 노령 등 사회적 위험으로부터 국민을 보호하고, 일자리와 균등한 사회참여 기회를 제공하며, 평생복지를 위한 생애주기별 맞춤형 보건복지 정책으로 국민 삶을 향상 시킨다'는 비전과 임무를 설정하고 국가보건의료정책을 관장하는 정부기관으로서의 역할을 담당하고 있다. 보건의료 부문에서 포괄적 영역의 정책근거를 지원하는 조직으로는 국민건강보험공단과 건강보험심사평가원의 연구부서와 보건사회연구원, 그리고 보건의료 R&D 관련 기능과 역할을 담당하고 있는 보건산업진흥원이 있고, 건강증진정책과 관련한 기능을 갖고 있는 한국건강증진재단, 국가 질병관리를 위한 연구와 관리 사업을 주관하는 질병관리본부 국립보건연구원, 암 분야의 정책 개발 및 연구를 수행하는 국민암센터 연구소 등이 있다(표 10).

표 10 비교효과연구 유관 기관들의 기능과 역할

기관	주요 기능 및 역할
건강보험정책연구원 (국민건강보험공단)	- 건강보험 및 의료보장에 관한 효율적 제도개선 - 정책 자료 생산, 합리적인 정책대안 연구
심사평가연구소 (건강보험심사평가원)	- 심사평가업무의 질 향상을 위한 과학적 근거 연구개발 - 건강보험 급여정책 수립에 필요한 정책 정보의 분석 및 근거자료의 개발·제공 - 정부 정책수립에 필요한 현상분석 및 정책 근거자료 제공 - 보건의료환경 변화에 따른 선제적 아젠다 설정 및 기획
포괄적 영역에 대한 정책 근거 지원 기관	- 보건으로-국민연금-건강보험-사회복지 등과 관련된 정책과제 연구 분석 - 주요정책과제에 대한 국민의 의견수렴과 이해증진을 위한 활동을 수행함으로써 국가의 장단기 보건의료 사회복지 정책 수립에 기여
보건사회연구원	- 보건산업 발전전략 수립 및 정책개발 - 보건산업 정책이슈 및 실태·동향분석 - 보건산업 통합통계DB구축 - 보건산업체 육성 발전 - 보건의료기술 R&D 지원
보건산업진흥원	- 건강증진정책 개발지원 - 건강증진 및 지역보건사업에 필요한 지표개발, 각종 통계생산 등 연구사업
한국건강증진재단	- 국가 질병연구관리 - 전염병 연구 및 관리와 생명과학연구 수행
특정 세부 영역에 대한 정책 근거 지원 기관	- 항암 신약개발, 암 발생 기전 연구 - 첨단 암 진료기술 및 의료기기 개발 - 신기술 실용화 지원체계 구축
질병관리본부 국립보건연구원	
국립암센터 연구소	

4.2.3. 비교효과연구 수행 조정기구

비교효과연구를 효과적으로 수행하기 위한 거버넌스 시스템은 기존의 기관이나 기구 중 어느 한 곳에서 이 분야 연구를 전담하도록 하거나, 새로운 연구기구를 설립하여 수행하는 방법의 두 가지의 대안이 가능하다. 그런데 현재 보건의료 영역의 연구와 관련된 기관들이 많고 각각의 전문성과 영역을 갖추고 있음을 감안할 때 비교효과연구를 기존의 어느 한 기관이 전담하도록 하는 것은 현실성이 미약하다. 그렇다면 새로운 기구를 설립하는 방안을 고려하여야 하는데, 완전히 독립적인 새로운 기구를 만드는 것은 비교효과연구의 개념과 정의가 정립되지 않은 상태에서 단기적으로 기대하기 어렵다. 이에 대한 차선책으로서 기존의 유관기관들의 협력체계를 만들고 위원회와 같은 조정기구를 설치하여 주요 의사결정과 연구

수행을 권장하도록 하는 방안이 가능해 보인다.

즉 비교효과연구를 국가적인 연구 사업으로 발전시켜 보건 의료 정책 근거 산출 기전으로 활용하기 위해서는 일부 연구기관이나 조직에 의존하는 것보다는 기존의 관련 법체계를 보완하고 유관기관들의 참여 방안을 마련하여 연구수행 역량을 최적화하는 것이 바람직하다. 이를 위한 핵심적인 개념은 많은 공공과 민간기관들의 역량을 모으기 위한 파트너십을 구축하는 것인데, 이는 유관 기관들의 기능과 역할을 고려한 강점들을 활용하는 방안을 모색하기 위한 것이다. 공공 부문의 기관들이 갖고 있는 강점과 민간 부문 기관들의 강점을 적절한 역할 분담과 협력체제로 연결하여 비교효과연구라는 정책 근거 연구사업의 수행체제로 발전시킬 수 있다.

비교효과연구를 국가보건 의료 정책지원을 위한 연구 사업으로 확대 발전시킬 것을 전제로 한다면, 예를 들어 보건 의료정책의 중추기관인 보건복지부는 비교효과연구사업의 기본계획을 수립하고 총괄하는 역할이 적절할 것이다(표 11). 과제공모, 선정, 평가 등 연구관리 및 지원, 연구수행, 연구결과 확산 및 정책화는 보건 의료 정책 관련 연구기능을 갖고 있는 한국보건 의료 연구원과 같은 공공기관 가운데서 담당할 수 있을 것이다.

표 11 비교효과연구 관련 주요 주체들의 참여 방식

기관 또는 단체	비교효과연구 참여 방식
보건복지부	연구사업 기본계획 수립, 총괄
한국보건 의료 연구원	과제공모, 선정, 평가 등 연구관리 및 지원 및 연구수행, 연구결과 확산 및 정책화 등
한국보건 산업진흥원, 식품의약품 안전청, 질병 관리본부, 국립 암센터 등 공공 부문	기존의 보건 의료 R&D 사업 경험을 활용한 자원조달 및 연구자료 등 인프라 연계 지원
국민건강 보험공단, 건강 보험 심사평가원	연구자료 연계, 정책화 지원
대한 의학회, 대학, 연구기관, 의료기관(병원) 등 민간 부문	과제도출, 연구수행, 자문 등

기존의 보건 의료 연구개발사업 경험을 갖고 있는 한국 보건 산업진흥원, 식품의약품 안전청, 질병 관리본부, 국립 암센터 등은 자원조달 및 연구자료 등 인프라 연계 지원 등의 역할을 갖고 참여할 수 있을 것이고, 국민건강 보험공단, 건강 보험 심사평가원과 같은 기관들은 건강 보험 급여자료, 검진자료, 장기요양자료 등 국민의 질병과 의료서비스 이용 관련 2차 자료 원들을 연구자료로 연계하여 지원하는 역할 등이 가능할 것이다. 이러한 기능과 역할은 주로 공공기관으로서의 기관 고유기능과 연관되어 있다는 점에서 비교효과연구를 위한 공공 부문의 참여 방식이 될 수 있을 것이다.

이에 비하여 실질적인 연구수행과 관련된 기능과 역할에서 과제도출, 연구수행, 자문 등은 대한의학회와 같은 학술단체, 대학, 연구기관, 의료기관(병원) 등과 같은 민간 부문에서 참여가 가능할 것이다. 특히 비교효과연구를 통한 건강보험 정책이나 진료지침 개발을 위해서는 전문가 단체의 전문성 활용과 사회적 합의가 필수적이라는 점에서 학술단체와 대학 등 민간 연구기관 및 의료서비스 현장의 경험이 반영될 수 있는 기전이 매우 중요하다. 이와 관련하여 최근 정부에서 추진하고 있는 연구중심병원사업이나 만성질환관리사업 등의 사례에서 공공과 민간의 협력관계 중요성을 알 수 있다. 즉 향후 비교효과연구가 국가적인 보건의료정책 연구개발의 한 축으로 발전하려면 공공부문의 기능과 민간부문에서의 역할이 원만하게 협력할 수 있는 관계 정립이 필수적이다.

한편 다양한 기관과 조직들이 이러한 연구 사업에 참여하여 효율적으로 성과물을 산출해 내기 위해서는 참여 주체들의 기능과 역할을 통합하고 조정하기 위한 기구가 필요하다. 이 역할은 장기적으로 독립적인 기관을 설립하여 부여하는 것도 고려할 수 있지만, 현실적으로는 기존의 다양한 기관과 조직들의 기능을 극대화시켜 활용한다는 측면에서는 다수의 기관들이 참여하는 위원회와 같은 조직 형태의 조정 기구를 상정하고 참여 기관들 중 한 기관에서 사무국 기능을 지원하는 방식을 고려해 볼 만하다. 이 기구의 명칭은 정책근거 마련을 위해 특화된 연구로서의 정체성을 강조하기 위하여 잠정적으로 (가칭) '근거기반CER위원회'로 칭하며 그 기능과 구성, 운영방식 등을 검토하면 아래 그림과 같다(그림 12).

근거기반CER위원회의 목적은 정책근거 연구개발의 지속적이고 안정적인 지원이며 그 구성은 의료기술평가 관련 전문가와 유관기관이 참여하는 공공-민간 파트너십 형태로 이루어질 수 있다. 연구과제 도출부터 연구결과의 활용 단계에 이르기까지의 주요 의사 결정을 진행하고 재원조달 및 배분 등의 재정운영, 연구과제 선정, 수행지원, 평가 그리고 인력, 자원 인프라 확충 및 연계 지원, 연구결과 확산 및 정책화 등의 기능 및 역할을 담당하도록 하는 방안이 유용할 것이다.

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시



그림 12 비교효과연구 수행의 조정·통합 기구로서의 ‘근거기반CER위원회’

4.3. 자원조달 및 재정운영

국내의 의료기술 관련 R&D의 정부투자는 현재 약 1조 1,000억 원 규모를 넘어선 것으로 추산되며 2012년 보건복지부 R&D 예산 규모는 4,039억 원(한국보건산업진흥원 295,184백만원, 질병관리본부 19,500백만원, 국립암센터 29,571백만원, 식품의약품안전청 59,734백만원)으로 최근 5년간 연평균 16%씩 성장하고 있는 것으로 나타났다(보건복지부, 2012). 보건복지부에서 관장하고 있는 연구개발사업을 살펴보면 한국보건산업진흥원, 질병관리본부, 국립암센터, 식품의약품안전청 등의 기관을 중심으로 보건의료기술연구개발사업, 한의약선도기술개발사업, 질병관리연구사업, 기관고유연구사업, 암정복추진연구개발사업, 식의약연구개발사업 등이 있으며 해당 사업비 및 전년도 대비 예산 증감은 아래 표와 같다(표 12).

표 12 최근의 보건복지부 R&D 투자규모 (단위: 백만원)

소관기관	단위사업	2011 실적	2012 예산	비교
한국보건산업진흥원	보건의료기술연구개발	236,578	288,330	22.5%↑
	한의학선도기술개발	6,804	6,854	0.3%↑
	소계	243,382	295,184	21.3%↑
질병관리본부	질병관리연구사업	16,192	19,500	20.4%↑
	기관고유연구사업	14,700	15,100	2.7%↑
국립암센터	암정복추진연구개발사업	14,010	14,471	3.3%↑
	소계	28,710	29,571	3.0%↑
식품의약품안전청	식의약품연구개발	58,278	59,734	2.5%↑
총 사업비		346,562	403,989	16.6%↑

출처: 보건복지부, 2012

미국의 경우 ARRA에 의해 2009년 11억 달러(약 1조 3200억 원)를 비교효과연구에 투입하였으며 이는 AHRQ에 3억 달러, 국립보건원(NIH)에 4억 달러, 보건복지부(DHHS)에 4억 달러가 각각 배분되어 연구사업에 투자되었다. 이는 국민의료비 총액 규모(약 2조 달러)의 0.05% 수준에 해당하는데 이 기준을 우리나라에 적용한다면 국민의료비 규모를 60조 원으로 가정할 때 연간 300억 수준의 재정 규모가 추정된다. 미국에서는 신탁기금(Trust Fund)으로 운영되는 비영리 독립기관인 PCORI를 설립하여 비교효과연구를 관리하고 있으며 이에 대한 투자는 2010년부터 지속적으로 국고 신탁기금 및 미국 민간보험 가입자 일인당 연간 1달러(약 1200원)에 해당하는 금액을 신탁기금에 투자해야 한다. 이러한 사례는 우리나라에서 비교효과연구 추진을 위한 자원 마련에 대해 시사하는 바가 많은데, 정부재정(일반재정, 건강증진기금 등)에만 의존하기보다는 건강보험, 민간보험, 자동차보험, 산재보험과 제약회사 등 산업체로부터 조달하는 방안을 고려해 볼 수 있다. 이를 통해 단기적인 수요재정 충당이 가능할 뿐만 아니라 연구 주제 도출로부터 결과의 확산과 정책화에 이르는 연구사업의 전과정에 대한 사회적인 관심과 참여도 제고를 위한 유인이 될 수도 있다.

비교효과연구를 국가적인 연구개발 사업으로 발전시키기 위해서는 순수하게 연구수행 부문에만 투자할 수는 없고, 이러한 연구의 정책적 활용도를 중장기적으로 지속해 나가기 위해서는 인프라 확충이나 연구관리 및 정책화 부문에 대한 투자도 고려하여야 한다. 예를 들면 연구 수행 50%, 인프라 확충 30%, 연구 관리 및 정책화 20% 정도 등과 같이 사업 부문별로 투자 규모를 조정할 필요가 있는데, 이는 비교효과연구 사업의 초기에는 인프라 확충을 위한 비중이 상대적으로 클 것이고, 연구 기반이 정착됨에 따라 정책화를 위

한 투자 비중이 증대에 갈 것이다.

비교효과연구를 위한 재정투자에 대한 미국의 사례를 살펴보면, ARRA에 의한 2009년도 투자분 11억 달러를 국립보건원(NIH)의 약물, 식이, 운동습관 변화에 따른 제2형당뇨병 예방의 비교효과를 평가하기 위한 다기관 임상시험과 같은 당뇨예방프로그램에 4억 달러, 미국 보건복지부에서 주관하는 연구용 보험청구데이터베이스 개발, 환자등록자료 구축, 데이터베이스 연계 등 비교효과연구 기반 강화 사업에 4억 달러, AHRQ의 의료서비스 질, 안전성, 효율성, 효과성 제고를 위한 사업에 3억 달러 등을 배분하여 집행한 바 있다. 이 가운데 AHRQ의 연구사업은 특히 최신 비교효과연구 이슈 모니터링, 근거기반진료센터들에 대한 지원, 임상지침에 반영하기 위한 전략과 시험연구, 비교임상효과 관련 근거생성을 위한 보조금 지원, 특이질환자나 특정 서비스를 받는 환자 임상정보를 수집하기 위한 레지스트리 구축, 비교효과연구에 대한 국민적 관심을 제고하기 위한 사업 등을 포함하고 있다.

4.4. 비교효과연구 개념을 이용한 의사결정, 정책 결정

4.4.1. 비교효과연구의 의사결정 연결을 위한 고려

비교효과연구는 두 가지 이상의 대안이 있는 의료기술간의 효과의 비교이며 그 목적이 보다 공적인 의사결정에 도움을 주는데 있다는 배경을 볼 때 민간산업체가 주도하여 투자한다든지 의료계에서 선도적으로 투자하여 연구를 진행하는 것은 현실적으로 어렵고 공적 부문에서 이러한 연구에 대한 투자의 동기가 있어야 하며 투자에 대한 분명한 기대 이득과 연구 결과에 따른 후속 의사결정과정에 도움을 주는 것이어야 한다는 것에는 의심할 여지가 없다. 즉 비교효과연구는 불확실성을 해결할 목적과 기대를 가지고 투자되는 것이니 만큼 연구 결과 합리적인 의사결정에 기여할 수 있어야 한다. 따라서 국가적으로 어떤 분야의 의사결정 과정에 이러한 비교효과연구를 필요로 하는지에 대한 분명한 수요 파악이 선행되어야 하고 이러한 필요성이 절실한 분야와 연계하여 비교효과연구에 대한 투자의 기획 작업이 이루어져야 할 것이고 자연스럽게 그 연구 결과의 활용은 순차적으로 이루어지게 될 것이다. 수요파악 및 기획 작업부터 협력적 접근이 필요하며 연구수행의 주체가 결국 의료계와 연구자들이 될 것이므로 연구의 주체가 될 집단을 파악하고 이들과의 협력 관계를 설정하는 것 역시 중요한 선행 작업이 될 것이다. 비교효과연구에 대한 수요 파악을 위해서는 본 한국보건 의료연구원에서의 연구 결과를 요약하여 정책관련 정부 부처, 관련 기

관, 보건의료계에 설명회가 필요하리라 보며 핵심적 인사들과의 회의를 통해 그들의 필요를 자각하게 돕고 동기를 불러일으킬 필요가 있겠다.

4.4.2. 비교효과연구를 필요로 하는 정책/의사결정 영역

본격적인 수요조사 전에 일반적으로 이러한 비교효과연구를 필요로 하는 분야를 고려한다면 공적의료보장체계에서의 의사결정과정, 국가적 보건의료사업에서의 의사결정, 보훈처 의료보장체계에서의 의사결정, 국가가 지원하는 대규모 연구비에서 임상진료지침이 산출되는 경우를 생각해 볼 수 있을 것이다(그림 13).

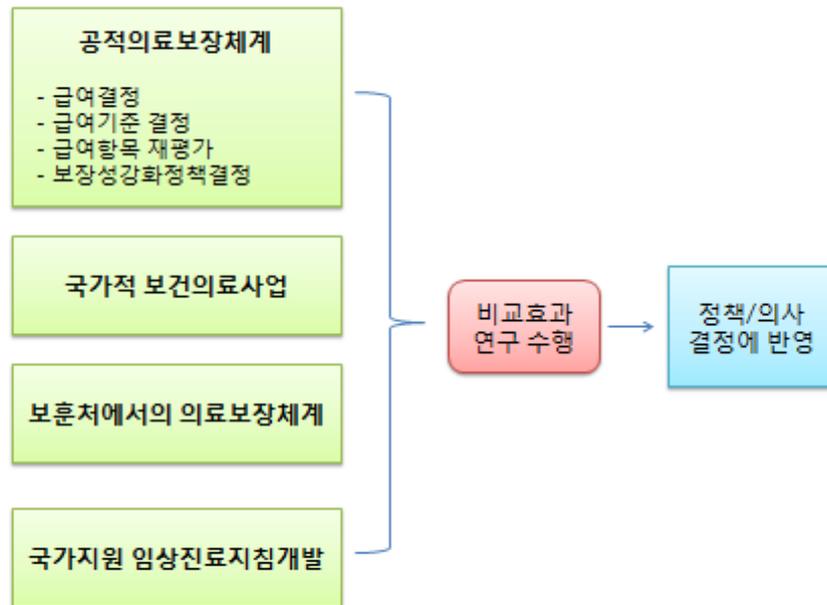


그림 13 비교효과연구를 통한 정책/의사 결정 영역의 사례

4.4.2.1. 공적의료보장체계에서의 의사결정

먼저 공적의료보장체계에서의 의사결정에는 국민건강보험과 의료급여의 급여 여부에 대한 의사결정, 급여기준 마련, 기존 급여항목에 대한 재평가 및 보장성 강화의 우선순위 결정과 같은 국가적인 차원에서 영향을 주는 과정을 고려해 볼 수 있다. 이중 급여 여부에 대한 의사결정은 신의료기술의 도입과정에 대한 것으로서 신약의 급여 결정 및 의사의 행위에 대한 신의료기술의 급여 결정을 고려할 수 있다. 현재까지는 신약의 경우 효과의 개선과 이와 더불어 가격의 상승을 가져오는 경우 해당 제약사에서 경제성 평가 자료를 제출

하고, 건강보험심사평가원의 약제급여전문위원회에서 이에 대한 평가를 하여 급여 여부를 결정하며 급여로 결정된 경우에는 건강보험공단에서 가격협상을 통해 가격을 결정한 후 건강보험정책심의위원회에서 최종 승인을 걸쳐 결정하는 프로세스를 갖고 있는데 많은 경우 신약과 기존의 대체 가능한 약 간의 직접 비교임상연구가 부족하므로 최근에는 간접비교연구를 통한 자료를 갖고 비교효과를 가늠하려고 하는데 국가적 부담이 큰 경우 일정 기간 급여를 인정하면서 비교효과임상연구를 진행할 필요가 있다. 이는 위험분담제도(risk sharing scheme)하에 조건부급여를 인정하는 것도 정부가 적극적으로 고려하고 있어서 이러한 임상연구는 조건이 된다면 반드시 비교효과연구로 진행하는 것이 그 취지에 있어서 맞다. 이런 경우 연구의 설계, 비용의 분담 정책 그리고 연구의 수행 및 데이터 수집 분석의 주체에 대한 게임의 룰이 있어야 하며 이 과정에서 비교효과연구의 개념이 충분히 반영되어야 할 것이다.

또한 약제를 제외한 의사의 행위와 관련된 신의료기술의 경우 현재 한국보건 의료 연구원 산하의 신의료기술평가사업본부의 체계적 문헌고찰을 주축으로 한 평가연구보고서를 활용하여 복지부 산하의 신의료기술평가위원회에서 안전성과 효과성에 대한 평가를 하게 되고 여기서 연구단계기술로 평가되지 않고 일상적인 진료로 사용할 수 있다고 권고된 항목에 대해서는 복지부가 고시를 하게 되며 이 경우 그 결과를 제시하여 건강보험의 요양급여항목으로 결정되는 과정을 거치도록 되어 있다. 앞서 비교효과연구의 필요성에 대한 배경설명에서 기술한 바와 같이 사용할 수 있는 기술로 판정된 경우에도 진단법을 제외한 치료적 신의료기술의 경우도 반수 가량이 권고등급 C 혹은 D에 속하여 낮은 근거 수준 하에 인정된 경우여서 이에 대해 급여든 비급여든 인정하게 될 경우 후속 임상연구지원이 없으면 근거가 불충분한 상태에서 의료기술의 확산이 우려되고 이 중 비용 효과적이지 못해 의료자원을 낭비할 요소가 있을 가능성이 있으므로 이에 대한 대책 마련이 필요하다.

특히 국가적 의료비 부담이 크고 질병의 위중성이 있는 경우 급여결정을 하게 될 경우 조건부 급여결정을 통해 일정기간 전향적 데이터 수집과 연계된 급여 결정제도를 확립할 필요가 있다(이상무, 2009; 박실비아, 2011). 이 경우 역시 공적 연구의 성격이 강하고 그 결과 해당 의료기술에 대한 추후 급여 유지 여부에 대한 의사결정이 필요한 만큼 조건이 성립되는 경우라면 반드시 비교효과연구를 수행하여야 할 것이며, 약제와 마찬가지로 연구의 설계, 비용의 분담 정책 그리고 연구의 수행 및 데이터 수집 분석의 주체에 대한 게임의 룰이 있어야 하며 이 과정에서 비교효과연구의 개념이 충분히 반영되어야 할 것이다.

급여항목에 대한 재평가가 이루어질 필요성도 있는데 전체적인 목록 정비사업은 연구의 현실성도 없고 시범 사업에 대한 산업체의 반발도 심하여 일괄 인하라는 결과를 초래하였

고 일부 교과서적으로도 근거가 없는 약제 한하여 조건부 급여유지 상태로 결정하여 일단 급여를 유지하되 임상연구를 통하여 근거에 대한 임상연구 결과를 제시하도록 한 바 있다. 이와 관련하여 현재 임상연구가 진행 중인데 기존의 급여 항목에 대한 체계적 재평가 작업을 통해 비교효과연구를 통한 목록 정비가 필요한 기술들을 선별해 내고 이에 대하여 비교효과 연구를 진행한 후 그 결과에 따라 급여 유지 여부를 결정하는 것이 필요하겠다. 이는 다만 약제에 국한된 일은 아니며 배경설명에서 예를 든 대로 골다공증의 진단기술에 대한 비교효과연구처럼 의료의 행위와 연관되어서도 필요한 항목에 대한 비교효과연구의 진행이 필요하다.

이 외에도 건강보험권에서 의사결정 항목 중 보장성 강화와 관련된 문제가 있다. 현재 비급여로 정해진 항목들 중에서 보장성 강화 차원에서 급여권 내로 들어오려 할 때 어떤 의료기술부터 급여해야 할 것인가는 건강보험 정책결정자들의 해묵은 고민이고 이에 대한 명쾌한 해답이 아직까지도 없다는 것이 고민거리이다. 이 과정에서 마찬가지로 일정 수준 이상의 국가적 부담이 있고 위중한 질환에 대한 기술들에 대해서는 기존 급여항목들과의 비교효과연구를 진행하여 그 득과 실에 대한 근거의 생성 혹은 합성을 통해 양질의 정보를 제공하고, 이를 기초로 한 보장성 강화 정책이 수립될 필요가 있다. 지금까지는 전문가와 사회를 대표하는 의견을 가능한 한 반영하여 결정하였지만, 충분치 않은 근거에 기반한 결정으로 인식되어 항상 불만족스럽고 비판의 의견이 있어 왔으며 합의되지 못한 결정이라는 비난이 상존하여 온 것도 사실이다.

4.4.2.2. 국가적 보건의료사업에서의 의사결정

공적의료보장 체계에서의 비교효과연구의 수요 외에도 국가적 보건의료사업에서의 의사결정과정에도 이러한 연구가 필요하다. 예를 들어 국가검진사업의 의사결정이나 국가치매관리 사업에서 치매검진 방법 도입, 응급의학 분야에서 제도 개선 등 많은 분야에서 특정 의료 기술의 사용이나 의료서비스 제공에 대해 비교대안과의 기대 이득과 위해를 평가하여 그 근거 하에 사업을 도입하는 체계의 정비도 필요하다. 또한 보훈처 의료보장체계에서의 의사결정과정에도 있어서도 기존의 급여되지 않는 항목들도 보훈대상자의 의료서비스 제공 측면에서 보장의 강화가 필요할 수 있는데 이 경우도 이러한 연구를 수행하여 그 결과를 토대로 의사결정을 할 수 있다. 실제로 미국의 보훈처에서는 비교효과연구를 진행하여 의사결정에 사용한 바가 있는데(Concato, 2010) 무작위임상연구로 진행된 좌주관상동맥질환으로 인한 협심증에서 외과적 수술과 약물요법의 비교효과연구나 양성전립선증식증에서 수술요법과 주의 깊은 추적관찰의 전략의 비교효과연구 같은 예를 들 수 있겠다.

우리나라의 경우도 보훈처에서 비급여항목에 대한 급여전환시의 우선순위에 대한 고민을

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

하고 있고 이에 대한 전문가위원회도 구성하여 체계적인 대처를 하려 하는 만큼 필요시 비교효과연구를 도입하여 활용할 수 있겠다.

4.4.2.3. 국가지원 임상진료지침 개발

National Heart, Lung, and Blood Institute(NHLBI)의 지원으로 연구가 진행된 ALLHAT(Antihypertensive and Lipid-Lowering Treatment to Prevent Heart Attack Trial)은 1994년부터 5년 이상 지속된 대규모 비교효과임상연구였는데 그 연구의 첫 부분이 장기효과를 내는 이뇨제인 chlorthalidone 고혈압 약과 당시 비교적 새로이 도입된 새로운 고혈압 약제간의 효과 비교연구였다. 55세 이상 고혈압이 있는 4만 명이 넘는 환자를 대상으로 한 연구에서 doxazosin은 심부전증의 발병율이 높아 중단되었고 amlodipine과 lisinopril과의 비교에서 치명적인 관상동맥질환이나 급성심근경색증과 같은 주요 결과 지표에서 차이를 보이지 못하였고 사망률, 말기신질환 발생률, 말초혈관질환 발생률과 같은 이차 지표에서도 차이를 보이지 못하였다. 이러한 비교효과연구 결과는 저명한 JNC-7의 임상진료지침에 영향을 주어 특정 고혈압 약제를 써야만 하는 임상적 상황이 아닌 한 고혈압의 첫 치료에 이뇨제를 사용할 것을 권고하였다. 이 임상연구에서 병합 약제의 허용과 배합에 논란이 있고(Chrysant, 2003) 장기적 효과를 나타내는 이뇨제로 임상 연구한 것이 특히 우리나라 같이 단기적 효과를 나타내는 이뇨제가 주로 사용되는 경우에도 적용될 것인지 다소의 논란은 있지만(정진원, 2011), 비교효과연구의 결과를 국제적으로 인정받는 임상진료지침에 적용한 중요한 예이다.

산업성 성격이 강한 의뢰자주도 임상연구(sponsor initiated clinical trial)에 비하여 연구자의 학문적 관심에 의해 주도되며 비교적 공익적 필요의 성격을 지닌 연구자주도 임상연구(investigator initiated clinical trial)는 공적 지원이 없이는 활성화되기 힘든 부문이나 시장 진입 후 근거의 공백을 채워줄 수 있는 중요한 연구형태이다.

우리나라에서도 2004년부터 시작한 세 개의 질환별 임상연구센터를 국가가 지원하면서 육성하기 시작하여 11개 질환별 임상연구센터로 성장한 근거창출을 위한 질환별 임상연구센터에 대한 연구지원사업의 경우 연구의 최종 결과를 임상진료지침에 녹여 놓아 실제 임상현장에서 연구의 결과를 반영할 수 있도록 기획되었다. 이렇게 제작된 임상진료지침은 KGC(Korean guideline clearing house)에 등재되고 확산되고 있다. 2010년까지 총 20개의 임상진료지침이 제작되었고 2011년 현재 제작 중인 지침은 16개에 달하고 기획에 들어가 있는 지침까지 합하면 향후 예상되는 제작될 지침은 53개에 달한다.

이중 노인성치매연구센터에서 제작된 임상진료지침은 미국의 AHRQ에서 운영하는 National guideline clearing house의 임상진료지침 포털에 등재되어 확산되기도 하

였다. 이와 같은 국가에서 지원하는 임상연구에 따른 임상진료지침 제작의 경우 ALLHAT 연구가 국제적으로 인정받는 JNC-7의 임상진료지침에 결과가 반영되듯이 비교효과연구를 수행함으로써 보다 현장에 맞는 임상근거 정보를 제공할 필요가 있겠다.

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

5. 결론 및 정책제언

비교효과연구(Comparative Effectiveness Research)는 첫째로 기존의 대체의료기술과의 이득과 위해를 비교한다는 개념, 둘째로 실제 진료 환경에 노출되었을 때 이득의 결과인 효과를 중시하는 개념을 담고 있다. 이러한 비교효과의 개념은 최근에 만들어진 것이 아니라 과거부터 사용되어 온 개념에 정책적 함의를 담아 보다 목적의식을 가지고 재정의된 개념이라 할 수 있다.

규제적 성격의 허가를 위한 임상연구는 제한된 정보를 제공하고 있고 의학의 발전으로 많은 기존의 의료기술을 대체할 만한 기술들이 존재한다는 점, 그리고 불확실성이 있는 상태로 확산된 의료기술들이 상존하고 있고 새로 도입되는 신의료기술 중에서도 불확실성이 있는 상태에서 시장에 확산되는 경우가 많다는 점, 의료기술의 사용량 변이가 존재하고 어떤 의료기술이 그 상황에 가장 적절한 것인지에 대해서 전문가들 간에도 합의가 부족하다는 점 그리고 공적 재원의 합리적 사용을 위한 더 많은 근거를 필요로 한다는 점에서 이러한 비교효과연구의 필요성에 대한 사회적 공감대 형성과 적정 수준의 투자를 필요로 하고 있다.

보건 의료 부문의 국제적 동향을 살펴보면, 전 세계적으로 급증하는 의료비 지출을 효과적으로 감소시킬 수 있는 방안을 고심하고 있고 이러한 방안의 일환으로 여러 중재 간의 효과를 서로 비교하는 근거를 생성하고 합성하는 연구 결과를 활용하여 정책 결정에 사용하는 추세를 확인 할 수 있었다. 미국의 비교효과연구, 유럽의 상대적 효과평가라는 개념이 그것이다. 또한 이러한 개념들을 통해 나온 연구 결과를 정책 결정 시 사용하는 영국의 NICE, 캐나다의 CADTH, 독일의 IQWiG, 호주의 PBAC 등과 같은 여러 기구들도 있었다. 국가별로 각국의 역사와 상황에 맞게 비교효과연구가 수행되고 있으나 결국에는 증가하는 보건 의료 재정의 합리적인 관리와 보건 의료 의사 결정을 함에 있어 사용할 수 있는 객관적이고 유용한 근거를 제시 하는 것이 공통적인 최종 목표임을 알 수 있다. 우리나라도 급증하는 의료비 지출을 적절하게 관리할 수 있는 방안을 고심하고 있는데, 이러한 세계적인 추세를 이해함과 동시에 우리나라도 이에 발맞추어 비교효과연구라는 개념을 국가적인 차원에서 장려하고 그 연구 수행 체계를 마련하는 전략이 필요하다. 우리나라에서 비교효과연구를 성공적으로 발전시키고자 한다면 외국의 비교효과연구의 전략적 틀을 참고삼아 우선순위 주제 선정 기틀을 마련하고, 이에 대해서 목록을 만들어 앞으로 수행하고, 지원해야 할 연구가 무엇인지에 대해서 지속적으로 파악하는 것이 필요하겠다.

우리나라에서 요청되는 우선순위가 무엇인지, 비교효과연구 수행에 필요한 인프라나 인력은 누구인지를 정하기 위해서는 우리나라 상황에 맞는 비교효과연구에 대한 정의가 필요하다. RAND 기법을 이용하여 우리나라 상황에 맞는 비교효과연구의 정의를 도출하였을 때 정의에 포함되는 내용은 외국의 정의와 크게 다르지 않았지만 경제성 평가 관련 내용, 연구에 포함시킬 중재의 내용, 간접비교 연구 등의 측면에서 외국의 정의와 비교하였을 때 다소 차이를 보였다. 후 비교효과연구의 수행 과정에서 우리나라에 적합한 비교효과연구에 대한 정의를 지속적으로 개선해 나가려는 노력이 필요할 것으로 보인다.

비교효과연구 수요 파악을 위해서는 정책관련 정부 부처, 관련 기관, 보건의료계에 설명회가 필요하리라 보며 핵심적 인사들과의 의사소통을 통해 그들의 필요를 자각하게 돕고 동기를 불러 일으킬 필요가 있다. 비교효과연구를 필요로 하는 분야에는 공적의료보장체계에서의 의사결정과정, 국가적 보건의료사업에서의 의사결정, 보훈처에서의 의료보장체계에서의 의사결정, 국가가 지원하는 대규모 연구사업을 통해 임상진료지침이 산출되는 경우 등이 있다. 국가적 보건의료사업에서의 의사결정과정에도 이러한 연구가 필요할 수 있다. 예를 들어 국가검진사업의 의사결정이나 국가치매 관리사업에서 치매검진 도입, 응급의학 분야의 제도적 정비 등 많은 분야에서 특정 의료기술의 사용이나 의료서비스 제공에 대해 비교대안과의 기대 이득과 위해를 평가하여 그 근거 하에 사업을 도입하는 체계의 마련도 필요하다. 또한 국가 유공자들에 대한 의료보장 의사결정과정에 있어서도 기존의 급여되지 않는 항목들에 대한 검토 및 근거 제공 등을 통해 보훈대상자의 의료 보장을 강화하는 것도 그러한 사례가 될 수 있다. 국가가 지원하는 임상연구결과로 임상진료지침을 개발하는 경우 역시 이러한 비교효과연구의 활성화가 필요한 분야이다.

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

6. 참고문헌

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

- AHRQ <http://www.guidelines.gov/content.aspx?id=34444> 2012.12.13 search.
- AHRQ (Agency for Healthcare Research and Quality). www.ahrq.gov/about (accessed on 2012.09.01).
- AHRQ : What Is Comparative Effectiveness Research[internet]. Rockville: Agency for Healthcare Research and Quality [cited 2012. December 12]. Available from : <http://effectivehealthcare.ahrq.gov/index.cfm/what-is-comparative-effectiveness-research1/>
- American College of Physicians. 2008. Improved availability of comparative effectiveness information: An essential reature for a high-quality and efficient United States health care system. Philadelphia, PA.
- Baccarani M, Pileri S, Steegmann JL, Muller M, Soverini S, Dreyling M; ESMO Guidelines Working Group. Chronic myeloid leukemia: ESMO Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up. Ann Oncol. 2012 Oct;23 Suppl 7:vii72-7.
- Basu A and Phipson TJ. The impact of comparative effectiveness research on health and health care spending. NBER Working Paper 15633 (<http://www.nber.org/papers/w15633>). January 2010.
- Chrysant. The ALLHAT study: results and clinical implications. Q J MEd 2003;96:771-3
- Concato J, Peduzzi P, Huang GD, O'Leary TJ, Kupersmith J. Comparative effectiveness research: what kind of studies do we need? J Investig Med. 2010 Aug;58(6):764-9.
- Deloitte Center for Health Solutions. Comparative Effectiveness Research in the United States: update and implications. June 2011.
- Eden J. Knowing what works in health care: A roadmap for the nation, IOM, 2008. The national academies press. Washington DC, USA.
- EHC (Effective Health Care Program). www.effectivehealthcare.ahrq.gov

- (accessed on 2012.09.01).
- EMA. <http://www.ema.europa.eu/ema/>
- EPC (Evidence-based Practice Centers). www.ahrq.gov/clinic/gov (accessed on 2012.09.01).
- EUnetHTA activities, 2012. Available at URL: <http://www.eunethta.eu/activities>
- EUnetHTA WP5, Relative effectiveness of pharmaceuticals. Pilot assessment using the draft REA Model, Final version. December 2012.
- EUnetHTA. <http://www.eunethta.eu/>
- Eunethta. EUnetHTA JA WP5: Relative Effectiveness Assessment (REA) of Pharmaceuticals. Background review July 2011 (version 5B) Available from http://ec.europa.eu/pharmaforum/docs/rea_principles_en.pdf
- European Commission, 2012. http://ec.europa.eu/index_en.htm
- Federal Coordinating Council for Comparative Effectiveness Research. Report to the President and Congress. Washington, DC: Department of Health and Human Services, June 2009. (Accessed July 6, 2009, at <http://www.hhs.gov/recovery/programs/cer/cerannualrpt.pdf>).
- Field MJ, Tranquada RE, Feasley JC, editors. Institute of Medicine. Health Services Research: Work Force and Educational Issues. Washington DC: National Academy Press; 1995.
- Fitch L, Bernstein SJ, Aguilar MD, Burnand B, LaCalle JR, Lazaroet P et al. The RAND/UCLA Appropriateness Method User's Manual. Arlington : RAND ; 2001.
- G10 Medicines Group. High Level Group on Innovation and Provision of Medicines recommendations for action. European Commission. 2002 May; 173
- Goettsch W. Will the EUnetHTA model for Rapid Relative Effectiveness Assessment of pharmaceuticals work?, ISPOR 15th Annual European Congress 2012
- Hehlmann R, Hochhaus A, Berger U, Reiter A. Current trends in the management of chronic myelogenous leukemia. Ann Hematol. 2000 Jul; 79(7):345-54.

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

- High Level Pharmaceutical Forum. Availability of data to conduct relative effectiveness assessments. 2008b. Available at URL: http://ec.europa.eu/pharmaforum/effectiveness_en.htm
- High Level Pharmaceutical Forum. Core principles on relative effectiveness. 2008a. Available at URL: http://ec.europa.eu/pharmaforum/docs/rea_principles_en.pdf
- High Level Pharmaceutical Forum. Development of networking and collaboration. 2008c. Available at URL: http://ec.europa.eu/pharmaforum/docs/rea_networking_en.pdf
- High Level Pharmaceutical Forum. High Level Pharmaceutical Forum 2005-2008. Final Conclusions and Recommendations of the High Level Pharmaceutical Forum. 2008. Available at URL http://ec.europa.eu/pharmaforum/docs/final_conclusions_en.pdf
- Ikeda S, Tomita N. Health Technology Assessment in France. The Japanese Journal of Social Security Policy. 2009 Dec;8(2):77-87.
- IOM (Institute of Medicine). Initial National Priorities for Comparative Effectiveness Research. Washington, DC: The National Academies Press, 2009.
- IOM (Institute of Medicine). Learning What Works: Infrastructure Required for Comparative Effectiveness Research: Workshop Summary. National Academic Sciences. 2009.
- Jonsson E. Health technology assessment and comparative effectiveness in Sweden. Value Health. 2010 Jun;13 Suppl 1:S6-7.
- Kleijnen S, Goettsch W, d'Andon A, Vitre P, George E. EUnetHTA JA WP5: Relative Effectiveness Assessment (REA) of Pharmaceuticals Background review(version 5B), EUnetHTA , July 2011
- Lampe K, Mäkelä M, Garrido MV, Anttila H, Autti-Rämö I, et al. The HTA core model: a novel method for producing and reporting health technology assessments. Int J Technol Assess Health Care. 2009 Dec;25 Suppl 2:9-20.
- Lohr KN, Steinwachs DM. Health services research: an evolving definition of the field. Health Serv Res. 2002 Feb;37(1):7-9.

- Luce BR, Drummond M, Jönsson B, Neumann PJ, Schwartz JS, Siebert U, Sullivan SD. EBM, HTA, and CER: clearing the confusion. *Milbank Q.* 2010 Jun;88(2):256-76.
- MEDEV. <http://www.esip.org>
- Nayak S, Olkin I, Liu H, Grabe M, Gould MK, Allen IE, Owens DK, Bravata DM. Meta-analysis: accuracy of quantitative ultrasound for identifying patients with osteoporosis. *Ann Intern Med.* 2006 Jun 6;144(11):832-41.
- NICE <http://guidance.nice.org.uk/TA251>, 2012.12.13 search.
- NPC (National Pharmaceutical Council). The Patient-Centered Outcomes Research Institute: Resource Guide. November 2010.
- OECD. Health at a Glance 2011: OECD Indicators, OECD Publishing. http://dx.doi.org/10.1787/health_glance-2011-en.
- PCORI (Patient-Centered Outcomes Research Institute). www.pcori.org/about (accessed on 2012.09.01).
- Pharmaceutical Pricing and Reimbursement Information (PPRI). <http://whocc.goeg.at>.
- PICORI : Glossary [internet]. Washington, DC : Patient-Centered Outcomes Research Institute [cited 2012. December 12]. Available from : <http://www.pcori.org/glossary/>
- RAND Health COMPARE. "Analysis of Comparative Effectiveness." <http://www.randcompare.org/analysis-of-options/analysis-of-comparative-effectiveness> (accessed on 2012.10.01). RAND Research Brief. RB-9589-CSG.
- Robert K. White Paper: Where can \$700 billion in waste be cut annually from the U.S. healthcare system? Thomson Reuters. October 2009. <http://www.factsforhealthcare.com/whitepaper/HealthcareWaste.pdf>.
- Schiffer CA. BCR-ABL tyrosine kinase inhibitors for chronic myelogenous leukemia. *N Engl J Med.* 2007 Jul 19;357(3):258-65.
- Sox HC, Greenfield S. Comparative effectiveness research: a report from the Institute of Medicine. *Ann Intern Med.* 2009;151(3):203-5.
- Sox HC. Comparative effectiveness research: a progress report. *Annals of*

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

internal medicine. 2010;153(7):469-72.

US Department of Health and Human Services(US DHHS). Federal coordinating council for comparative effectiveness research. Report to the President and the Congress. June 30, 2009.

Washington AE, Lipstein SH. The Patient-Centered Outcomes Research Institute – Promoting Better Information, Decisions, and Health. New England Journal of Medicine. 2011;365(15):e31.

박병주 등. 근거중심보건의료. 군자의학간. 2009년

박실비아, 이상무. 근거중심 의사결정과 조건부 의사결정의 필요성 J Korean Med Assoc. 2011 54(12): 1319-1329

보건복지부. 2012년 보건의료 R&D 시행계획. 2012년

윤희숙, 건강보험약가제도의 문제점과 개선방향, 한국개발연구원(KDI), 2008건강보험심사평가원. 건강보험요양급여비용. 2012년

이상무. 근거중심보건의료 끊어진 선순환의 고리를 찾아서. J Korean Med Assoc 2009; 52(6): 532 - 535

정진원. 고혈압의 최신진료지침과 약제선택. 대한내과학회지. 2011;80:280-5

한국보건의료연구원. 만성 요통에 주사치료의 통증감소 효과. 2009년

7. 부록

7.1. 비교효과연구의 정의에 대한 설문조사

비교효과연구의 정의에 대한 설문조사

비교효과연구(comparative effectiveness research)는 미국에서 의료개혁의 일환으로 제안된 연구 영역입니다. 기존의 대안들과 비교하여 특정 의료기술의 위해와 이득이 어떠한가를 비교 분석하는 것이 골자이며, 연구를 통하여 얻어진 정보가 보건의료분야의 의사결정에 활용되고자 하는 것입니다. 유럽의 경우는 상대적 효과 평가(relative effectiveness assessment)라는 개념을 제안하고 있습니다.

우리나라에서도 신약의 등재 및 신의료기술평가 시 일부 이러한 개념이 사용되어 오고 있지만 본격적으로 보건의료제도 하에 어떻게 활용할지 아직 공론화 된 적은 없습니다. 한국보건의료연구원에서는 우리나라에서 비교효과연구를 어떻게 수행하며 활용해야 할지에 대한 연구를 수행하고 있으며 전체 연구 중 한 부분으로 세계 여러 나라의 비교효과연구 정의를 참조하여 우리나라에 적합한 정의를 정립하려고 합니다.

우리나라 보건의료제도 하에서 **우리나라에 적합한 비교효과연구의 정의는 무엇인가를 결정**하는 것은 추후 이를 활용한 의사결정 지침제정 및 의사결정에 큰 영향을 미치는 중요한 사항이 될 것으로 예상합니다. 이에 여러 전문가 분들을 모시고 우리나라에서의 정의를 모색하고자 합니다.

먼저 제시된 각국 각 기관의 정의를 살펴보신 후 우리나라에서 이러한 연구들을 활용하여 의사결정까지 연결하여 제도적으로 활용될 것을 가정하셔서 답하여 주시면 감사하겠습니다.

의사결정은 RAND에 의해 제안된 Modified delphi 방법으로 이루어질 것입니다. 우선 일차적으로 패널에 포함된 9인의 의견을 이메일을 통하여 얻고, 해당 내용의 결과를 가지고 이차 대면회의를 통해 비교효과연구의 정의에 대한 합의가 이루어집니다.

참고를 위해 정의와 관련된 두 가지 문헌을 첨부합니다.

- IOM (Institute of Medicine). 2009. *Initial National Priorities for Comparative Effectiveness Research*. Washington, DC: The National Academies Press. 중 정의 관련 부분
- Luce BR, Drummond M, Jönsson B, Neumann PJ, Schwartz JS, Siebert U, Sullivan SD, EBM, HTA, and CER: clearing the confusion, *Milbank Q*. 2010 Jun;88(2):256-76.

2012년 7월 23일
한국보건의료연구원 연구 책임자 이상무

문의처	의료기술분석실 주임연구원 이동효 02-2174-2766 / dhlee@neca.re.kr
-----	--

가. 주요 정의

1) Institute of Medicine (IOM, 2009)¹⁾

Comparative effectiveness research (CER) is the generation and synthesis of evidence that compares the benefits and harms of alternative methods to prevent, diagnose, treat, and monitor a clinical condition or to improve the delivery of care. The purpose of CER is to assist consumers, clinicians, purchasers, and policy makers to make informed decisions that will improve health care at both the individual and population levels.

비교효과연구는 질병/문제를 예방, 진단, 치료, 모니터 하거나 진료의 제공을 향상시키는 여러 중재 방법들의 이득과 위해 비교에 대한 근거를 창출 혹은 합성하는 것이다. 비교효과연구의 목적은 소비자, 임상 의사, 구매자, 정책결정자가 개인 수준 혹은 인구집단 수준에서 보건의료를 향상시킬 의사 결정을 할 수 있도록 정보를 제공하는 것이다.

Six CHARACTERISTICS OF CER

1. CER has the objective of directly informing a specific clinical decision from the patient perspective or a health policy decision from the population perspective.
2. CER compares at least two alternative interventions, each with the potential to be "best practice."
3. CER describes results at the population and subgroup levels.
4. CER measures outcomes—both benefits and harms—that are important to patients.
5. CER employs methods and data sources appropriate for the decision of interest.
6. CER is conducted in settings that are similar to those in which the intervention will be used in practice.

비교효과연구의 여섯 가지 특징

1. 비교효과연구의 목적은 환자관점의 특정 임상적 결정이나 인구집단 관점의 보건정책에 직접적으로 도움을 주는 것이다.
2. 비교효과연구는 최상의 중재 방법을 포함하여 최소한 두 개의 중재 방법들을 비교한다.
3. 비교효과연구는 인구집단 수준과 하위그룹 수준에서에서의 결과를 표현한다.
4. 비교효과연구는 환자들에게 중요한 이득과 위해에 대한 결과를 측정한다.
5. 비교효과연구는 의사결정을 내리고자 하는 주제에 적절한 방법과 자료를 사용한다.
6. 비교효과연구는 중재 방법이 실제로 사용될 환경과 유사한 세팅에서 수행되어야 한다.

1) IOM (Institute of Medicine). 2009. Initial National Priorities for Comparative Effectiveness Research. Washington, DC: The National Academies Press.

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

2) Patient-Centered Outcomes Research Institute (PCORI, <http://www.pcori.org/>)

Comparative Effectiveness Research(CER) - The direct comparison of existing health care interventions to determine which interventions work best for which patients and which interventions pose the greatest benefits and harms. The core question of comparative effectiveness research is which treatment works best for whom, and under what circumstances.

비교효과연구는 기존의 중재 방법들을 직접 비교하여 어떤 환자들에서 중재 방법들이 가장 효과적인지, 그리고 어떤 중재 방법이 최선의 이득과 위해를 주는지 결정하는 것이다. 비교효과연구의 핵심질문은 어떤 중재 방법이 어떤 환자들에서, 그리고 어떤 상황 하에서 최선인 지에 관한 것이다.

3) Agency for Healthcare Research and Quality (AHRQ, <http://www.ahrq.gov>)

Comparative effectiveness research is designed to inform health-care decisions by providing evidence on the effectiveness, benefits and harms of different treatment options. The evidence is generated from research studies that compare drugs, medical devices, tests, surgeries, or ways to deliver health care.

비교효과연구는 서로 다른 중재 방법들에 대한 효과, 이득, 그리고 위해에 관한 근거를 제공함으로써 보건의료 의사결정에 도움을 주기 위한 연구이다. 근거는 약물, 의료기기, 검사, 수술, 혹은 보건의료 제공 방법들을 비교하는 연구들로부터 생성된다.

4) Federal Coordinating Council for Comparative Effectiveness Research (2009)²⁾

Comparative effectiveness research is the conduct and synthesis of systematic research comparing different interventions and strategies to prevent, diagnose, treat and monitor health conditions. The purpose of this research is to inform patients, providers, and decision-makers, responding to their expressed needs, about which interventions are most effective for which patients under specific circumstances. To provide this information, comparative effectiveness research must assess a comprehensive array of health-related outcomes for diverse patient populations. Defined interventions compared may include medications, procedures, medical and assistive devices and technologies, behavioral change strategies, and delivery system interventions. This research necessitates the development, expansion, and use of a variety of data sources and methods to assess comparative effectiveness.

2) Federal Coordinating Council for Comparative Effectiveness Research. Report to the President and Congress. Washington, DC: Department of Health and Human Services, June 2009. (Accessed July 6, 2009, at <http://www.hhs.gov/recovery/programs/ceer/ceerannualrpt.pdf>.)

비교효과연구는 질병을 예방, 진단, 치료, 그리고 모니터하는 여러 다른 종류들의 중재 방법들과 전략들을 비교하는 체계적인 연구를 수행하고 합성하는 것이다. 본 연구의 목적은 환자들, 의료제공자들, 의사 결정자들이 필요로 하는 정보들, 특정 환경에서 어떤 환자들에 어떤 중재 방법들이 가장 효과적인지에 대한 정보들을 제공하는 것이다. 이러한 정보를 제공하기 위하여, 비교효과연구는 다양한 환자집단들에서 포괄적인 건강관련 결과들에 대해 평가해야 한다. 비교하는 중재 방법들은 약물, 수술, 의료기기/보조기기와 기술, 행동 변화 전략들, 그리고 의료 제공 방법들을 포함한다. 이 연구는 중재 방법의 효과를 비교 평가하기 위하여 다양한 자료원과 방법의 개발 및 확장, 그리고 사용을 필요로 한다.

5) European network Health technology assessment* (EUnetHTA, <http://www.eunetha.eu/>)

Relative effectiveness can be defined as the extent to which an intervention does more good than harm compared to one or more intervention alternatives for achieving the desired results when provided under the usual circumstances of health care practice.

Essentially this definition contains three important elements:

1. The balance between doing more good than harm;
2. The intervention should be compared to one or more intervention alternatives. Hence the value of the intervention depends on its value relative to alternatives;
3. Results should be achieved when applied under usual circumstances of health care practice as opposed to within a clinical trial setting

상대적 효과는 일반적인 임상 현실에서 특정 중재 방법이 하나 또는 그 이상의 다른 중재 방법들 보다 유효하다는 이득이 더 큰 정도로 정의될 수 있다.

상기 정의는 다음의 세 가지 중요한 요소를 포함 한다:

1. 유효보다 이득이 더 큰지에 대한 평가
2. 특정 중재 방법은 하나 또는 그 이상의 대안이 되는 중재 방법들과 비교되어야만 한다. 따라서 특정 중재 방법의 비교된 대안에 대한 상대적 가치를 보는 것이다.
3. 결과들은 임상 시험 세팅이 아닌 일상적인 임상 상황에서 나온 것이어야 한다.

5) High Level Pharmaceutical Forum. Core principles on relative effectiveness. Available at URL: http://ec.europa.eu/pharmaforum/docs/rea_principles_en.pdf (accessed December 2010).

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

나. 설문 내용

- 비교효과연구의 정의에는 '비교', '효과', '연구'에 대한 각각의 정의가 필요합니다.
- 중재의 범위, 세팅, 비교효과연구의 목적, 연구방법론, 결과의 범주 등에 대한 합의가 필요합니다.
- 중재의 범위에서 경제성평가, 신의료기술평가, 보건의료서비스 연구 등의 포함 여부에 대한 합의가 필요합니다.
- 비교효과연구의 목적에서 의료기술평가에 정보제공, 임상진료지침개발에 정보제공 등에 대한 합의가 필요합니다.
- 비교효과연구의 연구 방법론에서 genomics 간접비교연구 등이 포함될 수 있는지에 대한 합의가 필요합니다.

1) 비교효과연구 (CER) 정의에 포함되어야 하는 요소는?

중재의 범위(임상범위, 신의료 기술 등)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
세팅(의사결정 세팅, 임상적 진료 등)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
CER의 목적 (정보 제공 등)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
연구 방법론(근거의 합성, 창출 등)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
결과(outcome)이득, 위해, 비용 등)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		

* 비교효과연구 정의에 포함되어야 할 다른 요소에 대해 자유롭게 적어주시기 바랍니다.

2) 비교효과연구의 대상이 되는 중재(intervention)의 범위로 적절한 것은?

임상 범위(진단, 예방, 모니터링, 치료 등)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
중재의 종류(약물, 기기, 검사, 수술 등)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
서비스의 효과(교육프로그램, IT기술 등)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
보건의료시스템 효과(일차 진료, 지불보상제도 등)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		

※ 중재의 범위에 포함되어야 할 **다른** 요소에 대해 자유롭게 적어주시기 바랍니다.

3) 의료기술의 발전단계로 볼 때 비교효과연구의 대상이 되는 중재의 범위로 적절한 것은?

신의료 기술(직약형 품목허가 이후)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
기존(existing) 기술	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
쇠퇴(obsolete) 기술	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		

※ 의료기술의 발전단계로 볼 때 비교효과연구의 대상이 되는 중재의 범위에 포함되어야 할 **다른** 요소에 대해 자유롭게 적어주시기 바랍니다.

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

4) 비교효과연구의 목적은?

환자에게 정보 제공	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
진료제공자에게 정보제공	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
정책결정자(보험자 포함)에게 정보제공	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
의료기술평가에 정보제공	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
임상진료지침 개발	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
일반 국민에게 정보제공	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		

* 비교효과연구의 목적에 포함되어야 할 **다른** 요소에 대해 자유롭게 적어주시기 바랍니다.

5) 비교효과연구의 범위는?

Head-to-head RCT 등 일부 효능(efficacy)연구	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
효과(effectiveness) 연구	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
가치 연구(비용-효과성 등)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		

* 비교효과연구의 범위에 포함되어야 할 **다른** 요소에 대해 자유롭게 적어주시기 바랍니다.

6) 비교효과연구의 결과(outcome)의 수준은?

인구집단수준결과	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
하위집단(subgroup)결과	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
개인수준결과	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		

* 비교효과연구의 결과의 수준에 포함되어야 할 **다른** 요소에 대해 자유롭게 적어주시기 바랍니다.

7) 비교효과연구의 결과(outcome)의 단계는?

대리(surrogate) 결과	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
환자 보고 결과 (patient-reported outcome [PRO], 만족도, 삶의 질 등)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
건강관련(사망 주요 질병발생 등) 결과	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		

* 비교효과연구의 결과의 단계에 포함되어야 할 **다른** 요소에 대해 자유롭게 적어주시기 바랍니다.

8) 비교효과연구의 결과(outcome)의 내용은?

이득(benefit)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
위해(harm)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
비용(cost)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		

* 비교효과연구의 결과의 내용에 포함되어야 할 **다른** 요소에 대해 자유롭게 적어주시기 바랍니다.

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

9) 비교효과연구의 연구방법론은?

근거의 합성 체계적 문헌고찰 등)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
근거 창출(임상시험연구)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
근거 창출(관찰연구)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
개별환자 특성 연구(genomics)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		
간접비교연구	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다						필요성이 매우 크다		

※ 비교효과 연구의 연구 방법론에 포함되어야 할 다른 요소에 대해 자유롭게 적어주시기 바랍니다.

다. 기타 우리나라에서 비교임상연구에 대한 경의를 경험함에 있어 도움이 될 다른 요소에 대해 자유롭게 적어주시기 바랍니다.

7.2. 상대적 효과평가를 위한 체크리스트

3. 2. Content of the checklist

Comments:

NATIONAL RELATIVE EFFECTIVENESS ASSESSMENT SYSTEMS

Purpose and responsibilities

1. The purpose of RE assessments is specifically described.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

2. The organisation(s) responsible for its conduct is clearly identified.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

Transparency

3. RE assessment processes are transparent to all parties.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

4. RE selection of products to be assessed are transparent to all parties.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

5. RE working methodologies are transparent to all parties.

Strongly Agree Strongly Disagree

6. RE quality assurance processes are transparent to all parties.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

Evidence-base

7. RE assessments are evidence-based.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

Stakeholders

8. The relevant stakeholders are able to contribute to the development of assessment methodologies.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

9. The sources of evidence that form the relevant RE input have been specifically discussed between the key stakeholders.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

10. The key stakeholders are able to submit evidence or arguments for appraisals.

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

Processes

11. RE assessment processes are separate from product market authorisation procedures.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

12. RE assessment processes are time-framed.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

13. RE assessment processes minimise or avoid causing any unnecessary procedural delays and are consistent with any associated Transparency Directive requirements (timing, appeals, etc.), where applicable.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

14. The national assessment body has established contacts with other national or international agencies to exchange views, methodologies and information.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

RELATIVE EFFECTIVENESS ASSESSMENTS OF SPECIFIC PHARMACEUTICALS

Quality of assessment

15. The RE assessment is capable of addressing uncertainty in the evidence base transparently.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

16. The RE assessment is capable of addressing uncertainty in the methodological challenges transparently.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

17. The RE assessment includes comparison with the most appropriate healthcare interventions. Such comparison should build on the results of active controlled clinical trials, where available.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

Communication

18. Outcomes of the RE assessment are communicated clearly and in good time to all interested parties. Communication by means of publishing the supporting evaluation on a publicly accessible website is strongly encouraged.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

19. Outcomes of the RE assessment are published on a publicly accessible website.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

Other aspects

20. RE assessment is capable of subsequent revision and updating as the evidence base develops.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

21. RE assessment identifies areas in which the evidence base on an intervention could most usefully be developed in the future.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

22. RE assessment includes input from other national or international agencies on the same or closely related projects.

Strongly Agree Strongly Disagree

Comments:

우리나라에서 비교효과연구의 추진전략 및 방향제시

발행일 2013. 12. 31
발행인 이선희
발행처 한국보건의료연구원

이 책은 한국보건의료연구원에 소유권이 있습니다.
한국보건의료연구원의 승인없이 상업적인 목적으로
사용하거나 판매할 수 없습니다.

