

소아암·희귀질환지원사업단

2024 공동연구사업부 공모 제안요청서(RFP)

I. 제안요청 과제분류 및 과제명

세부	수요조사분류	RFP 과제명	지원규모	지원 기간	선정예정 과제수
1세부	코호트	복잡심실유출로 심장기형 질환의 장기 예후 향상을 위한 코호트 연구	과제당 2.2억/년	3(2+ 1)년	1개 이내

II. 제안요청서

세부/분류	1세부 / 코호트
RFP 과제명	복잡심실유출로 심장기형 질환의 장기 예후 향상을 위한 코호트 연구
지원규모 및 기간	○ 사업 기간: 3(2+1)년 ○ 사업비: 2.2억/년 ○ 선정 과제 수: 1개 이내
제안배경 및 필요성	○ 사업 배경 - 복잡심실유출로 심장기형은 각 질병의 절대 빈도가 비교적 낮아 표준 치료법 설정이 어렵고, 각 환자의 병태생리적 특성과 치료 기관 및 임상치의 상황에 따른 맞춤형 치료법이 이루어지고 있다. 2022년부터 2024년까지 연구에서 후향적으로 국내 복잡심실유출로 심장기형 질환 환자의 장기 예후 (생존율, 재수술율, 합병증 발생율)와 위험 요인 분석을 진행하였다. ○ 사업 필요성 - 선행 연구의 결과를 바탕으로 대상 환자의 장기 치료 성적을 향상시키고, 합병증 예방 및 치료를 위한 추가 연구가 필요하다. - 또한, 본 코호트 연구의 특성상 수술 및 치료 방법이 시기에 따라 변화되고 있어 10년, 20년 전 시행되었던 치료법과 최근 10년 이내에 시행되는 치료법이 다른 경우에 대해 치료법 비교가 필요하고, 최근에 새롭게 진단되는 성인 환자도 있어 본 코호트 연구의 연장이 필요하다. - 추가 연구를 통하여 진료 지침의 개발, 질병으로 인한 합병증 예방 및 치료를 위한 추가 연구가 필요하다.
연구 목표	○ 향후 3년 목표 - 1차년도: 연구 대상 환자의 전향적 코호트 연구 참여 동의서 획득

	<p>정신 건강 설문조사, 대상 환자의 정신 건강 현황 파악, 증례보고서 작성</p> <ul style="list-style-type: none"> - 2차년도: 연구 대상 환자의 전향적 코호트 연구 참여 동의서 획득 질병 진료 지침 개발 - 3차년도: 국내 건강보험 비인정 약물의 사용 증례 확인 후 사용 효과 및 부작용 확인 정신 건강 현황 보고 지방 및 수도권 연계 진료 시스템 시범 적용 및 환자의 만족도 평가 <p>○ 장기목표</p> <ul style="list-style-type: none"> - 대상 환자의 전향적 코호트 연구 참여 - 질병 진료 지침 개발 - 국내 건강보험 비인정 약물의 효과 및 부작용 보고 - 대상 환자의 정신 건강 현황 파악 지방 및 수도권 연계 진료 시스템 시범 적용
<p>연구 내용</p>	<p>○ 세부 추가 연구 방향</p> <ul style="list-style-type: none"> ▷ 기존 연구에서 후향적으로 질병 환자의 현황을 파악하였고, 동의 절차를 통해 전향적 코호트 연구에 참여시킨다. ▷ 대상 질환에 대한 진료 지침 개발 : 급성기 이후 환자의 추적 관찰에 대해 진료 지침 개발 : 추적 검사의 종류와 시기 / 시술 및 수술의 적응증 및 시기에 대한 진료 지침 개발 : 완전혈관전위, 수정대혈관전위, 폐동맥판막폐쇄증 장기추적관찰 진료 지침 각 1편 ▷ 국내 건강보험 미승인 약물 사용의 증례 보고서 - 복잡심실유출로 심장기형의 특성상 환자 수가 많지 않고, 질병의 세부 특성이 다양하여 성인 심부전에서 사용되고 있는 약제들의 임상 시험이 적용되지 못하고 있다. 이에 국내에서는 건강보험 급여화에 대한 근거가 부족하고, off-label로 사용되는 경우가 많아 이러한 약물의 사용 증례를 코호트 그룹 내에서 수집하여 향후 임상시험의 근거 자료가 될 수 있고, 국내 건강보험의 등재를 통해 환자들의 진료비 부담 경감 및 삶의 질 향상에도 기여할 수 있을 것으로 예상됨. - 예시> 성인에서 효과가 입증된 약물의 소아에서 사용 증례 및 좌심실 부전에 효과가 입증된 약물의 우심실 사용 증례 등을 수집하여 효과 및 부작용을 확인하고 임상 경과를 발표. ▷ 코호트 대상 환자군의 정신 건강 실태 조사 - 본 연구과제를 통해 후향적으로 분석한 결과 국내 복잡심실유출로 심장기형 환자의 초기 치료 생존률은 매우 우수하며, 장기 생존율이 세계적 수준에 도달해 있는 것을 확인할 수 있다. - 그러나, 장기 생존자들을 위한 심리사회적 평가 및 지원에 대한 연구는 부족한 상황임. - 이에 반복되는 시술 및 수술치료, 운동 능력 감소, 수술 흉터 등으로 인한 정신 건강 부정적 요인으로 인한 우울감 및 자존감 저하 등 정신 건강 상태를 확인하고, 향후 이에 대한 프로그램 개발의 기본 자료로 활용. ▷ 지방 환자를 위한 수도권 연계 진료 시범 사업 - 복합 심장 질환 특성상 지방 환자의 수도권 진료가 빈번하여 환자 및 보호자의 불편함이 크고, 심리적/경제적 부담감이 큰 상황임. 따라서, 지방 환자의 경우 지역 인근 병원, 수도권 병원들의 동의 절차를 거쳐 온라인 통합 진료의 시범 사업 시행.

	<ul style="list-style-type: none"> - 표준화된 진료 프로토콜을 통해 검사 결과 및 환자 상태를 온라인 진료를 통해 실시간 공유하여 지역 병원의 선천성 심장질환의 진료 활성화로 과도한 수도권 집중화를 완화하고, 환자/보호자 만족도 상승과 전체적인 진료의 상향 평준화를 도모.
성과 지표	<ul style="list-style-type: none"> ○ 대상 질환에 대한 진료 지침 개발 <ul style="list-style-type: none"> - 완전혈관전위, 수정대혈관전위, 폐동맥판막폐쇄증 장기추적관찰 진료 지침 각 1편 ○ 국내 건강보험 미승인 약물 사용의 증례 보고서 <ul style="list-style-type: none"> - 국내 건강보험 미승인 약물에 대한 증례 시리즈 논문 발표 ○ 코호트 대상 환자군의 정신 건강 실태 조사 <ul style="list-style-type: none"> - 코호트 대상 환자의 정신 건강 실태 보고서 발간 ○ 수도권 및 지방 지역 연계 진료 체계 시범 사업 <ul style="list-style-type: none"> - 시범 사업의 시행 보고서 및 만족도 설문 조사 결과 발표
기대 및 파급 효과	<ul style="list-style-type: none"> ○ 대상 질환에 대한 진료 지침 개발 <ul style="list-style-type: none"> - 진료 지침 개발로 치료 성적 향상과 국내 기관의 진료 상향 평준화 추구 ○ 국내 건강보험 미승인 약물 사용의 증례 보고서 <ul style="list-style-type: none"> - 건강보험 미승인 약물치료의 효과 보고로 치료와 보험 승인의 근거 확립 ○ 코호트 대상 환자군의 정신 건강 실태 조사 <ul style="list-style-type: none"> - 대상 환자 및 가족의 정신 건강 상태를 확인하고, 향후 이에 대한 프로그램 개발의 기본 자료로 활용. ○ 수도권 및 지방 지역 연계 진료 체계 시범 사업 <ul style="list-style-type: none"> - 수도권 및 지방 지역 연계 진료를 통한 환자/보호자 만족도 상승과 전체적인 진료의 상향 평준화.