

# - 2026년도 이견희 소아암·희귀질환 극복사업 - 암·희귀질환사업부 사전수요조사 실시

소아암·희귀질환지원사업단에서는 소아 암·희귀질환자들의 진단 및 치료를 위한 unmet needs를 파악하기 위하여 사전수요조사를 실시하오니 소아암, 소아희귀·극희귀질환, 중증 난치질환의 진단과 치료에 관심 있는 의료진들의 많은 참여 바랍니다.

2026년 9월 28일

소아암·희귀질환지원사업단장

## 1 사업목표

| 사업부     | 사업목표                                                                                                                                   |
|---------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 암사업부    | <ul style="list-style-type: none"> <li>○ 다기관 공동으로 수행 가능한 진단/치료 지원 사업</li> <li>○ 소아암 환자에게 양질의 진단/치료 제공</li> </ul>                       |
| 희귀질환사업부 | <ul style="list-style-type: none"> <li>○ 소아 희귀질환 극복을 위한 확장 가능한 첨단기술 치료 플랫폼의 구축</li> <li>○ 소아 희귀질환 첨단 치료의 임상 적용을 위한 치료 체계 마련</li> </ul> |

## 2 목표질환

| 사업부     | 목표질환                                                                                                                                                                                                                                                                                                                        |
|---------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 암사업부    | 1) 소아 혈액암, 림프종 및 희귀혈액질환<br>2) 소아 암환자 전주기 관리 (삶의 질, 보존치료, 부작용 예측 및 관리, 장기 생존자 관리 등)                                                                                                                                                                                                                                          |
| 희귀질환사업부 | 1) 보건복지부 지정 희귀질환, 극희귀질환<br>2) 중증난치질환, 산정특례해당질환<br>3) 1), 2)에 해당하지 않는 경우 별도의 사유서 제출이 필요<br>(미국 NORD, GARD에 등재된 희귀질환 추천<br><a href="https://rarediseases.org/">https://rarediseases.org/</a> , <a href="https://rarediseases.info.nih.gov/">https://rarediseases.info.nih.gov/</a><br>또는 국내 질병관리청 희귀질환 헬프라인 → 희귀질환정보에서 검색 가능) |

## ○ 암사업부 과제요건

| 세부          | 과제구분                  | 과제요건                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                              |
|-------------|-----------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 1세부<br>(혈액) | 소아 혈액암<br>및<br>희귀혈액질환 | <ul style="list-style-type: none"> <li>○ 소아 혈액암 및 희귀혈액질환의 진단과 치료 개선을 위한 사업 <ul style="list-style-type: none"> <li>▶ 임상연구 <ul style="list-style-type: none"> <li>- 향후 연구 설계에 필요한 다기관 구성과 연구계획서 주요 사항 (대상 환자, 적용하고자 하는 중재 및 치료, 비교 대상, 결과 지표 등)이 구체화된 경우 우선 검토 가능</li> <li>- 다기관 구성 및 연구계획서가 구체화되지 않은 경우에도 연구 방향 및 아이디어 제안 가능 <ul style="list-style-type: none"> <li>· 해당 아이디어는 향후 신규사업 공모 RFP 개발시 ‘단기(1년) 착수형 기획과제’로 반영될 수 있음</li> <li>· 추후 ‘착수형 기획과제’로 공모시, 과제 종료 시점에 다기관 구성을 포함한 본 과제 계획서 최종본 제출이 필수 요건이며 평가를 통해 본 과제 지원 여부를 결정할 계획</li> </ul> </li> </ul> </li> <li>▶ 임상연구 외 연구 <ul style="list-style-type: none"> <li>- 중재 및 비교 대상을 전제로 하지 않는, 질환의 진단과 치료 개선에 기여하는 연구도 가능 (코호트 연구, 레지스트리 등)</li> </ul> </li> </ul> </li> </ul> |
| 공통          | 소아 암환자<br>전주기 관리      | <ul style="list-style-type: none"> <li>○ 소아 암환자의 삶의 질 향상을 위한 보존 치료, 부작용 예측 및 관리, 장기 생존자 관리를 위한 사업</li> <li>○ 환자 대상 임상연구뿐만 아니라 빅데이터, AI, 디지털 헬스케어 등을 활용한 연구도 가능</li> </ul>                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                         |

○ 희귀질환사업부 과제요건

| 세부                                       | 과제구분                        | 과제요건                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                      |
|------------------------------------------|-----------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 2세부<br>(희귀질환<br>첨단기술<br>치료<br>플랫폼<br>구축) | 해외 개발<br>치료제<br>신속 도입<br>연구 | <ul style="list-style-type: none"> <li>○ 국내에 치료 접근 경로가 없는 소아 희귀질환을 대상으로, 해외에서 승인되었거나 임상시험이 진행 중인 치료제(n-of-1, n-of-few 포함)를 국내 환자에게 신속히 적용하기 위한 도입 연구</li> <li>○ n-Lorem 등 비영리 개발기관, 해외 선도 연구소 및 학술기관, 환우회/재단과의 협력 네트워크(MOU, 공동연구, 공동 임상시험 설계)를 구축하고, 연구기간 내 실제 국내 환자 적용을 목표로 하는 계획을 제시</li> <li>○ 단순히 약제를 구매하여 신속 도입하는 연구는 대상이 아니며, 도입심의, 규제대응과 국내 대상환자 탐색(진단지원사업 연계) 전략을 제시</li> <li>○ 연간 1~6억, 2년간 총 7억 예산 규모로 작성 (과도한 예산은 탈락 또는 조절 가능성이 있음)</li> </ul> |
|                                          | 치료제 매칭<br>플랫폼<br>구축 연구      | <ul style="list-style-type: none"> <li>○ 희귀질환 유전진단 결과(변이, 기전)를 바탕으로 치료전략을 연결하는 웹기반 매칭 플랫폼 구축 및 운영 연구</li> <li>○ 기존 진단지원사업과 연계하여 확진 환자가 자동 등록되고 전국 의료진·연구자가 환자정보를 등록·조회할 수 있는 개방형 구조로 설계하며, 동일 변이 환자의 다기관 매칭(n-of-few 코호트화)을 지원</li> <li>○ 변이 종류에 따라 적용가능한 치료 플랫폼 (ASO, siRNA, gene editing 등)을 제시</li> <li>○ 연간 1-2억, 2년간 총 3억 예산 규모로 작성 (과도한 예산은 탈락 또는 조절 가능성이 있음)</li> </ul>                                                                            |
|                                          | 치료제 개발<br>생태계 구축<br>연구      | <ul style="list-style-type: none"> <li>○ 국내에 희귀질환 치료제 개발·도입·적용이 지속될 수 있도록 규제, 제조(GMP), 국제표준 정보를 분석하여, 국내 실정에 맞는 운영방안과 정책보고서를 작성하는 연구</li> <li>○ 도출된 규제대응 체계를 해외개발 치료제 신속도입 과제와 연계하여 실제 치료제 도입, 환자 적용 과정에 적용하고, 사업 종료 후에도 시스템이 유지되도록 지속가능한 인력, 운영 체계를 제시</li> <li>○ 1년 총 1억 예산 규모로 작성 (과도한 예산은 탈락 또는 조절 가능성이 있음)</li> </ul>                                                                                                                                |

## ○ 작성요령

| 사업부     | 작성요령                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                 |
|---------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 암사업부    | <ul style="list-style-type: none"> <li>모든 과제는 명확한 연구 목표 및 성과 지표를 제시</li> <li>실제 질환의 진단, 치료 및 관리 등 임상적 활용 가능성이 높은 연구 또는 치료 기술 개발 연구 권장</li> <li>빅데이터 및 AI 활용 연구의 경우 참여 연구진의 해당 분야 역량을 입증하는 자료 제시</li> <li>연구 계획에 맞는 적절한 예산 규모로 작성 (과도한 예산은 탈락 또는 조절 가능성이 있음)</li> <li>4 page 이내 분량으로 작성</li> </ul>                                                    |
| 희귀질환사업부 | <ul style="list-style-type: none"> <li>사업기간 내 명확한 연구 목표와 성과 지표를 제시</li> <li>사업종료시의 장기적인 목표 또는 Exit plan 제시<br/>예) 대규모 정부 과제로의 전환, 기업 연계로의 발전 전략</li> <li>과제요건 별 배정된 예산 규모로 작성<br/>(과도한 예산은 탈락 또는 조절 가능성이 있음)</li> <li>실험비가 많이 들고, 환자에게 직접적인 혜택이 없는 기초연구보다는 실제 질환의 진단과 치료에 도움이 될 만한 연구 장려</li> <li>전국 의료진 참여를 통해 지방 거주 환자들에게 혜택을 줄 수 있는 설계</li> </ul> |

## 4 신청대상

- 사업주제 수요조사에서 채택된 과제가 공고될 경우, 지원할 수 있는 사업책임자는 임상 의사이어야 함.  
(수요조사 이후 시행될 과제 공고에는 사업책임자가 소아청소년 진료를 주로 하는 것이 증명되어야 함.  
해당 내용을 포함한 소속 기관장의 직인을 받을 예정임)

## 5 활용방안

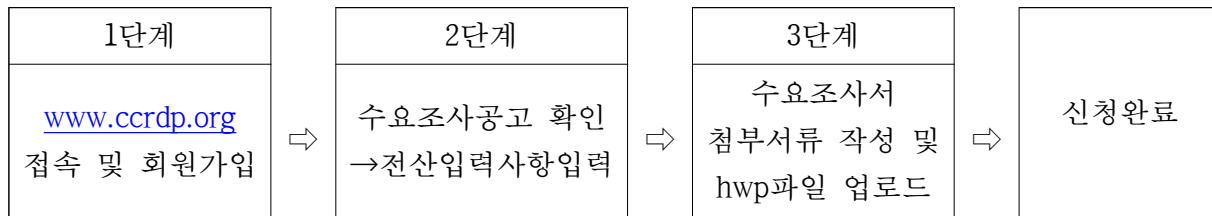
- 제출된 수요조사서는 사전 승인된 평가표에 따라 평가 후 전문가 위원회(사업부)를 거쳐 종합적으로 검토하여 사업공모 주제를 최종 결정할 예정

## 6

## 제출 및 문의처

○ 제출자료: [붙임1] 수요조사서, [붙임2] 개인정보활용 동의서

○ 신청방법 및 절차



※ 수요조사신청은 '사업참여자' 유형으로 회원가입

○ 접수기간: **2026.9.28.(월) ~ 2026.10.16.(금) 16:00** 까지

※ 접수 기간 내 전산입력 및 신청완료 해야 하며, **접수 시간 이후 입력 불가**

○ 홈페이지 : [www.ccrdp.org](http://www.ccrdp.org)

○ 문의처 : 소아암·희귀질환지원사업단

- 수요조사 내용 관련 문의 : 암 / 희귀질환사업부(☎ 010-7340-2072 / 02-2072-1516)

- 접수 시스템 관련 문의 : 행정팀(☎ 02-2072-1510)

## 7

## 추진일정(안)

| 구 분              |             | 일 정                             |
|------------------|-------------|---------------------------------|
| 사전수요조사 접수        |             | 26.9.28.(월) ~ 10.16.(금) (3주)    |
| 수요조사 평가 및 RFP 작성 |             | 26.10~11월                       |
| 운영위원회 승인         |             | 26.12.16.(수)                    |
| 공모 접수            |             | 26.12.28.(월) ~ 27.1.15.(금) (3주) |
| 평가 및 선정          | 서면평가 및 구두평가 | 27.1~2월                         |
|                  | 사업부 내부 승인   | 27.2월                           |
| 운영위원회 최종 승인      |             | 27.3월(예정)                       |
| 협약 및 사업 개시       |             | 27.4월(예정)                       |

※ 상기 일정은 내부 상황에 따라 변동될 수 있음