

임상시험 용어 치트시트

자주 쓰이는 약어

- AE (Adverse Event, 이상사례): 임상시험용 의약품 투여 후 발생한 모든 바람직하지 않은 증상이나 질환. 약물과의 인과관계 여부와 상관없이 발생한 모든 사건을 포함함.
- CI (Confidence Interval, 신뢰구간): 동일 연구를 반복할 때 95% 확률로 나타나는 값의 범위. 신뢰구간이 겹치지 않는 차이가 유의미하다.
- DLT (Dose-Limiting Toxicity, 용량 제한 독성): 투여 후 발생하는 심각한 부작용으로 인해, 그 이상의 용량 증량이 불가능하다고 판단되는 독성 수준. MTD 결정의 직접적인 기준이 됨.
- EHR(Electronic Health Record): 병원 정보시스템에 저장된 환자의 진단, 처치, 약 처방, 검사 결과 등을 포함한 디지털 기록.
- FIH (First In Human): 사람을 대상으로 하는 최초 임상시험(보통 1상 초기)을 의미.
- HR (Hazard Ratio, 위험비): 생존 분석에서 두 그룹의 사건 발생 속도(위험률) 비율을 의미합니다. HR > 1이면 기준군 대비 위험이 증가한 것입니다.
- MAD (Multiple Ascending Dose, 다중 용량 상승 시험): 약물을 여러 번 반복 투여하며 용량을 높여가는 시험. 체내 약물 축적 및 정상상태(Steady-state)에서의 독성을 평가함.
- MTD (Maximum Tolerated Dose, 최대 내약 용량): DLT가 허용 범위를 넘지 않으면서 투여할 수 있는 가장 높은 용량. 즉, '안전한 최대치'를 의미함.
- OR (Odds ratio, 오즈비): 사건 발생 확률(p)을 비발생 확률(1-p)로 나눈 값(p/(1-p)). "노출이 있는 집단에서 사건이 일어날 가능성의 비율이, 노출이 없는 집단에 비해 몇 배인지"를 나타내는 지표. OR > 1이면 노출이 사건 위험을 높임.
- P (P-value): 결과가 우연일 확률(통상 0.05 기준)이 극히 낮아 통계적으로 유의미함을 나타냄.
- RDE (Recommended Dose for Expansion): 용량 증량 단계 종료 후, 특정 환자군을 대상으로 더 넓게 시험하기 위해 선정된 추천 용량. 보통 MTD와 동일하거나 그 이하에서 결정됨.
- RR (Relative Risk, 상대위험도): 노출군과 비노출군 간 사건 발생 확률의 비율을 나타내는 통계 지표. 코호트 연구에서 주로 사용되며 오즈비(OR)와 유사, 차이점은 실제 확률을 직접 비교하는 것.
- RP2D (Recommended Phase 2 Dose, 2상 권장 용량): 1상(용량 탐색) 시험 결과를 분석하여 안전성과 유효성이 가장 균형 잡혔다고 판단된, 차기 2상 시험용 최적 용량.

- SAD (Single Ascending Dose, 단일 용량 상승 시험): 코호트별로 약물을 한 번만 투여하며 용량을 단계적으로 높여 안전성과 내약성을 평가하는 기초 단계 시험.
- TTR (Time To Response, 반응 도달 시간): 치료 시작부터 객관적인 종양 반응(PR 또는 CR)이 처음 관찰될 때까지 걸린 시간.
- Q3W (Every 3 Weeks): Q는 라틴어 Quaque(매번)에서 온 단어, 3주(21일) 간격의 약물 투여 주기.

임상 프로토콜

- 3+3 디자인: 보통 1상 용량 증량에 쓰이는 고전적 설계(3명 시작, 필요시 3명 추가), 가장 낮은 용량에서 3명 투약 → DLT 0명이면 다음 단계 증량. DLT 1명이면 3명 추가. DLT 2명이면 이전 단계 용량이 MTD로 결정
- BOIN 디자인: Bayesian Optimal Interval(베이지안 최적 구간), DLT 비율을 escalation/de-escalation 경계와 비교해 용량 조정 (3+3보다 정확·유연)
- 2L 디자인: 2nd line(1차 치료 실패 후) 대상 시험 설계, 2L 표준 치료 vs 신약 비교.
- Arm1/2/3: Arm은 임상시험 내에서 서로 다른 치료를 받는 군(group)을 의미. 예를 들면 Arm 1(기준 표준 치료), Arm 2(신약 + 표준치료) Arm 3(신약 단독)으로 PFS/OS를 비교하는 식.

피험자 집단 (Analysis set)

- 분석 목적에 따라 피험자를 ITT, FAS, PPS, EAS, SS로 나눔.
- ITT (Intention-To-Treat): 무작위 배정된 모든 피험자를 최초 치료군대로 분석하는 기본 원칙. 완벽 적용은 추적 어려움으로 FAS로 대체.
 - FAS (Full Analysis Set): ITT에 가까운 집단으로, 최소 정당한 제외 사유(투여 미실시, 데이터 없음 등)만 제거.
 - PPS (Per Protocol Set, PP): 프로토콜 완전 준수, 치료 완료, 데이터 완전한 피험자만 포함. EAS보다 엄격.
 - EAS (Efficacy Analysis Set): 유효성 평가를 위한 사전 기준 충족 피험자 집단.
 - SS (Safety Analysis Set): 시험약 1회 이상 투여받은 모든 피험자. 안전성(부작용) 분석용.

RECIST 1.1

RECIST(Response Evaluation Criteria In Solid Tumors)는 고형암 환자의 항암 치료 효과를 객관적으로 평가하기 위한 국제 표준 기준으로, 주로 CT나 MRI 같은 영상 검사를 통해 종양 크기 변화를 측정. 치료 전 베이스라인 스캔 후 일정 주기(보통 6-8주)로 재평가하며, PR/CR 확인 시 최소 4주간격 두 번 측정함. 최대 5개 병변(장기당 2개까지)을 선택해 가장 긴 직경 합(SLD)을 기준으로 평가함.

반응 평가 (Response Evaluation)

- Target lesions (표적 병변): 치료 효과 평가를 위해 베이스라인에서 선정된 측정 가능한 병변. 병변 장경(Longest diameter)의 합을 추적 관리함. (최대 5개, 한 장기당 2개까지 선정)
- CR (Complete Response, 완전 관해): 모든 표적 병변이 사라지고, 림프절 전이가 있었던 경우 단축이 10mm 미만으로 감소한 상태. 신규 병변이 없어야 함.
- PR (Partial Response, 부분 관해): 베이스라인 대비 표적 병변 장경 합이 30% 이상 감소한 상태.
- SD (Stable Disease, 안정 병변): PR 기준에 도달할 만큼 충분히 줄어들지도, PD 기준에 해당할 만큼 늘어나지도 않은 상태.
- PD (Progressive Disease, 질환 진행): 치료 중 기록된 가장 작은 장경 합(Nadir) 대비 20% 이상 증가하고, 절대수치로도 최소 5mm 이상 증가한 상태. 또는 신규 병변이 발생한 경우.

반응 유형	표적 병변 기준	신규 병변
CR	완전 소실	없음
PR	30% 이상 감소	없음
SD	PR/PD 사이 유지	없음
PD	20% 이상 증가	발생 시 즉각 PD

주요 평가 지표 (Endpoints)

- OS (Overall Survival, 전체 생존 기간): 무작위 배정(또는 치료 시작)부터 어떤 원인에 의한 사망까지의 시간. 항암제 임상에서 가장 신뢰받는 골드 스탠다드 지표임.
- ORR (Objective Response Rate, 객관적 반응률): 전체 환자 중 CR 또는 PR을 달성한 환자의 비율. 약물의 직접적인 항종양 효과를 보여줌.
- DCR (Disease Control Rate, 질병 조절률): 종양이 줄어들거나(CR, PR) 최소한 더 커지지 않은(SD) 환자의 비율(CR + PR + SD).

- PFS (Progression-Free Survival, 무진행 생존 기간): 무작위 배정부터 질병이 진행(PD)되거나 사망하기까지의 시간. '병이 나빠지지 않고 생존하는 기간'을 의미함.
- DoR (Duration of Response, 반응 지속 기간): CR 또는 PR에 도달한 환자들을 대상으로, 반응이 처음 나타난 시점부터 질병 진행(PD) 또는 사망까지의 시간. 약효의 지속성을 확인하는 지표임.

지표	정의	분석 대상
PFS	시작 → PD/사망	전체 환자
OS	시작 → 사망	전체 환자
DoR	응답 → PD/사망	반응군(CR/PR)

치료 차수 (Line of Therapy)

- 1st Line (1차 치료): 해당 질환에 대해 처음으로 시도하는 표준 치료.
- 2nd Line (2차 치료): 1차 치료 실패(내성 발생 등) 후 진행되는 다음 단계의 치료.
- 3rd Line (3차 치료): 2차 실패 후 시도. 선택적 치료로, 임상시험 참여나 타겟 치료제가 주로 적용되며 효과가 제한적.
- Later Line (4차 이상): 여러 차수 실패 후 시도하는 치료. 치료 차수가 깊어질수록 일반적인 항암제 독성 및 체력 저하가 누적되어 환자 관리 난이도가 증가.

이상사례 (Adverse Events)

- TRAE (Treatment-Related Adverse Event): 투여한 약물과의 인과관계를 배제할 수 없는(관련이 의심되는) 이상사례임.
- TEAE (Treatment-Emergent Adverse Event): 약물 투여 전에는 없었으나 투여 후 새로 발생하거나 기존 증상이 악화된 모든 이상사례임.
- TESAE (Treatment-Emergent Serious Adverse Event): 치료 과정 중 발생한 '중대한' 이상사례(SAE). 입원, 생명 위협, 영구적 장애 등이 해당됨.
- irAE (Immune-Related Adverse Event): 면역항암제 투여로 인해 면역 체계가 과활성화되어 정상 조직을 공격하며 발생하는 부작용.
 - 피부 반응: 발진, 가려움증(pruritus)이 가장 흔하며, 전체 irAE의 30-50%를 차지. 일반적으로 경증이지만 스테로이드로 관리.
 - 갑상선 기능 이상: 갑상선염으로 인한 갑상선 기능 저하증(hypothyroidism)이 15% 정도 발생, pembrolizumab 환자에서 빈번.

*주의: 위의 내용에 오류가 있을 수도 있음

- 장염(colitis): 설사와 복통으로 나타나며, 중증(grade 3 이상) 시 입원 필요. ipilimumab 치료에서 높음.
- SAE (Serious Adverse Event, 중대한 이상사례): 사망, 생명의 위협, 입원 연장, 지속적 장애 등을 초래하는 사건. 발생 시 24시간 이내에 규제 기관 보고 대상임.
- AST/ALT (간 효소 수치): 간 세포 손상 정도를 나타내는 지표. 약물 유도성 간 손상(DILI) 확인을 위해 필수적으로 모니터링함.

CTCAE

CTCAE(Common Terminology Criteria for Adverse Events)는 미국 국립암연구소(NCI)가 개발한 이상사례의 심각도 분류 시스템. 2025년 7월 기준 최신 버전은 CTCAE v6.0이다.

- Grade 1 (Mild): 경미 (무증상 또는 약한 증상).
- Grade 2 (Moderate): 중등도 (국소적 치료 필요, 일상생활 일부 제한).
- Grade 3 (Severe): 중증 (입원 필요, 자가 관리 제한).
- Grade 4 (Life-threatening): 생명 위협 (긴급 처치 필요).
- Grade 5 (Death): 사망.

임상시험 시각화 기법

Survival plot(Kaplan-Meier 곡선)

OS/PFS 생존 분석에 사용됨. 곡선의 높이는 특정 시점까지 생존(무진행 생존)할 확률을 의미하며, 곡선이 급격히 떨어질수록 사건(사망/진행) 발생률이 높다는 뜻으로 해석함.

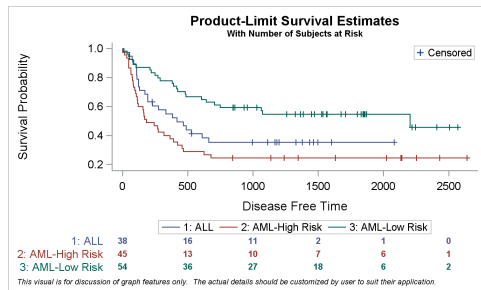


Figure 1: Kaplan-Meier Curve

Spider plot

시간별 중앙 반응 추적이 활용됨. 각 선은 한 환자를 나타내며, 기준 대비 중앙 크기 변화(%)가 시간이 지남에

따라 어떻게 증가/감소하는지 확인해 반응의 시작·지속·진행 시점을 파악함.

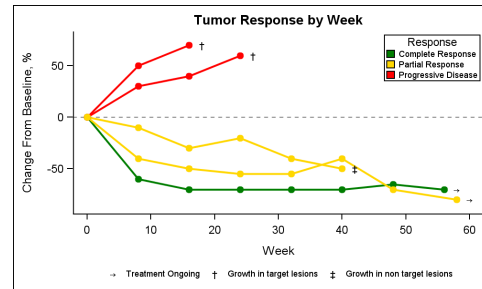


Figure 2: Spider plot

Swimmer plot

환자별 사건 발생 타임라인을 보여줌. 각 막대는 환자 한 명의 추적 기간을 나타내며, 막대의 길이와 표시된 기호를 통해 치료 기간, 반응 발생/소실, 진행, 중단 시점 등을 직관적으로 해석함.

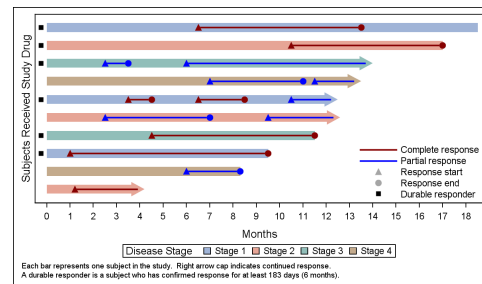


Figure 3: Swimmer plot

Waterfall plot

환자별 중앙 크기 변화를 나타냄. 각 막대는 환자별 최대 중앙 크기 변화를 의미하며, 0선 아래로 내려간 막대는 중앙 축소(부분/완전 반응 가능성), 위로 올라간 막대는 중앙 증가(진행 또는 비반응)를 시각적으로 보여줌.

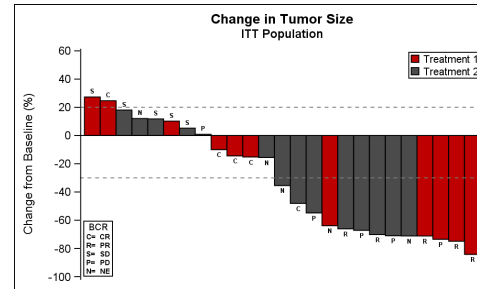


Figure 4: Waterfall plot

Forest plot

메타분석 결과를 요약함. 각 가로선은 개별 연구의 효과 추정치와 신뢰구간을, 다이아몬드는 전체 통합 효과와 신뢰구간을 나타내며, 수직 기준선(효과 없음) 기준으로 왼쪽/오른쪽 위치에 따라 유의한 이득 또는 위험 증가 여부를 판단함.

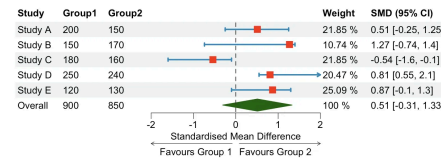


Figure 5: Forest plot

약동학/약력학 관련 용어

- PK (Pharmacokinetics): 약동학. 몸이 약을 어떻게 처리하는가? (흡수, 분포, 대사, 배설: ADME)
- PD (Pharmacodynamics): 약력학. 약이 몸에 어떤 작용을 하는가? (생리적 반응, 기전 연구)
- Cmax (Maximum Concentration): 약물 투여 후 혈중 농도가 가장 높게 올라가는 시점의 농도.
- Tmax (Time to Maximum Concentration): Cmax에 도달하기까지 걸리는 시간.
- AUC (Area Under the Curve): 농도-시간 곡선 아래 면적. 체내 약물 노출량을 나타냄.
- Half-life (T_{1/2}, 반감기): 혈중 약물 농도가 절반으로 감소하는 데 걸리는 시간.
- Bioavailability (생체이용률): 투여된 약물 중 실제 전신 순환에 도달하는 비율.
- Clearance (CL, 청소율): 약물이 체내에서 제거되는 속도. 간 대사, 신장 배설 등에 영향받음.
- Volume of Distribution (Vd, 분포용적): 약물이 체내에 분포하는 정도를 나타내는 가상 체적.

- Steady State: 반복 투여 시 약물의 투입량과 제거량이 평형에 도달한 상태.

자주 사용되는 암종 약어

임상에서 가장 흔히 사용되는 암종 약어 목록. NCCN/ESMO 가이드라인 기준 표준 치료법을 포함.

- AML (Acute myeloid leukemia): 급성골수성백혈병, 표준 치료: 화학요법/Veno+Azacitidine
- BC (Breast cancer): 유방암, 표준 치료: 수술/방사선/호르몬요법/Trastuzumab
- CC (Cervical cancer): 자궁경부암, 표준 치료: CCRT(Cisplatin+방사선)
- CRC (Colorectal cancer): 대장암, 표준 치료: 수술/FOLFOX(항암화학요법)/FOLFIRI+Bevacizumab
- EOC (Epithelial ovarian cancer): 난소상피암, 표준 치료: 수술+Platinum기반요법
- GC (Gastric cancer): 위암, 표준 치료: 수술/FLOT/XELOX
- HCC (Hepatocellular carcinoma): 간암, 표준 치료: TACE/Sorafenib/Lenvatinib
- HNSCC (Head and neck squamous cell carcinoma): 두경부편평상피세포암, 표준 치료: 수술/CCRT
- MM (Malignant melanoma): 흑색종, 표준 치료: 수술/면역치료(PD-1/MEK inhibitor)/표적치료(BRAF inhibitor)
- NSCLC (Non-small cell lung cancer): 비소세포 폐암, 표준 치료: 수술/방사선/표적치료(EGFR TKI)/면역치료
- PC (Prostate cancer): 전립선암, 표준 치료: 수술/방사선/호르몬요법
- PDAC(Pancreatic ductal adenocarcinoma): 췌장암, 표준 치료: 수술/Gemcitabine+nab-Paclitaxel/FOLFIRINOX.
- RCC (Renal cell carcinoma): 신세포암, 표준 치료: 수술/표적치료(Sunitinib)/면역치료
- SCC (Squamous cell carcinoma): 편평세포암, 표준 치료: CCRT/수술
- SCLC (Small cell lung cancer): 소세포폐암, 표준 치료: 화학요법(Platinum+ETP)+방사선
- TC (Thyroid cancer): 갑상선암, 표준 치료: 수술+방사선요오드치료
- UBC (Urothelial bladder cancer): 방광암, 표준 치료: BCG/수술/Cisplatin 기반 화학요법

*주의: 위의 내용에 오류가 있을 수도 있음