

IV. Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명: 졸겐스마주) 성과평가(9사례)

- 우리원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2022-181호, 2022.8.1.)에 따라 졸겐스마주 투여 성과를 평가하고 있음.
- 「Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명: 졸겐스마주) 세부인정기준 및 방법」 보건복지부 고시(제2022-181호, 2022.8.1. 시행)에 의거하여
 1. 투여 전과 투여 후 매 6개월마다 5년까지 임상평가를 실시하여야 하고, 임상평가에 대한 진료기록부 등 객관적인 자료를 반드시 제출하여야 함
 2. 다음 중 어느 하나에 해당하는 경우 약제 투여 실패로 정의함
 - 가) 영구적 호흡기 사용 또는 사망
 - 나) CHOP-INTEND 점수가 약제 투여 전 기저치 대비 4점 이상 개선되지 않은 경우
 - 다) 나)항의 개선이 이루어졌다 하더라도, 이후 반응평가에서 2회 연속하여 CHOP-INTEND 4점 이상 또는 HFMSE 3점 이상 감소된 경우

□ 심의결과

(단위: 사례)

전체	성과평가				
	소계	의미있는 개선	기타	자료보완	실패
9	9	9	0	0	0

□ [Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명: 졸겐스마주) 성과평과 결과]

○ 성과평가(9사례)

연번	승인 유형*	성별	투여 시 나이	투여년월	평가시점	심의결과	심의내용
1	A	여	8개월	2024.5.	6개월	의미있는 개선	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」의 「Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명: 졸겐스마주) 세부인정기준 및 방법」(보건복지부 고시 제2022-181호, 2022. 8. 1. 시행)에서 정의한 약제 투여 실패에 해당하지 아니하고, 운동 기능검사의 점수 증가가 확인되므로 약제투여 후 의미 있는 개선이 된 것으로 판단함.
2	A	여	3개월	2024.8.	6개월		
3	A	남	4개월	2023.11.	12개월		
4	A	여	4개월	2024.1.	12개월		
5	B	여	11개월	2023.11.	12개월		
6	A	여	2개월	2022.10.	24개월		
7	A	여	4개월	2022.10.	24개월		
8	A	여	8개월	2022.11.	24개월		
9	C	여	24개월	2022.8.	24개월		

* 승인유형: A=생후 9개월 미만, B=생후 9개월~12개월, C=스핀라자 교체투여

※ 평가 전체 현황

- 현재까지 총 22명 투여 (2명은 투여 후 6개월 평가 前)
 - 20명 중 19명은 의미 있는 개선이며, 1명은 투여 실패(사망)함

[2025. 2. 12. 졸겐스마주 분과위원회]
 [2025. 3. 10. ~ 3. 12. 중앙심사조정위원회(서면)]