

I. Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명: 졸겐스마주) 성과평가

- 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	의미 있는 개선	기타	자료보완	실패
9	9	8	1	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	6개월	2023.9.	12개월	의미 있는 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 약제투여 실패에 해당하지 아니하고, 운동기능검사의 점수 증가가 확인되므로 약제투여 후 의미 있는 개선이 된 것으로 판단함.
2	B	여	9개월	2023.8.	12개월		
3	B	남	12개월	2023.9.	12개월		
4	A	여	4개월	2023.2.	18개월		
5	B	남	10개월	2023.2.	18개월		
6	C	여	24개월	2022.8.	24개월		
7	C	남	21개월	2022.9.	24개월		
8	C	여	18개월	2022.9.	24개월		
9	C	남	20개월	2022.9.	24개월	기타	이 사례는 급여기준(보건복지부 고시 제2022-181호, 2022. 8. 1. 시행)에서 정의한 약제투여 실패에 해당하지 아니하나, HFMSE 가 3점 이상 감소된 경우에 해당하므로 다음 평가 시 HFMSE를 통한 운동기능을 확인하고, 필요 시 운동기능평가(HFMSE)에서 획득된 점수를 확인할 수 있는 동영상 자료를 제출토록 함.

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

※ 평가 전체 현황

- 현재까지 총 21명 투여 (3명은 투여 후 6개월 평가前)
 - 18명 중 17명은 의미 있는 개선이며, 1명은 투여 실패(사망)함

[2024. 11. 14. 졸겐스마주 분과위원회]
[2024. 11. 25. ~ 11. 27. 중앙심사조정위원회(서면)]