

VI. Nusinersen sodium 주사제(품명: 스피라자주) 및 Risdiplam 경구제(품명: 에브리스디건조시럽), Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명: 졸겐스마주) 요양급여 대상 여부(32사례)

- 우리원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행), 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2024-235호, 2024. 12. 1. 시행)에 따라 스피라자주 및 에브리스티건조시럽 요양급여 여부를 결정하는 사전 승인제도를 실시하고 있음.
- 「사전심사의 절차 등에 관한 세부사항」 건강보험심사평가원 공고 (제2024-281호, 2025. 1. 1. 시행)에 의거하여
 1. 요양급여를 신청하고자 하는 경우에는 별지 제6-1호 서식에 따른 **요양급여 신청서를 제출**하여야 함(제4조제1항).
 2. 스피라자주 요양급여를 계속하고자 하는 경우에는 5차 투여 전 및 이후 매 투여 전, 에브리스티건조시럽 요양급여를 계속하고자 하는 경우에는 4개월마다 별지 제6-2호 서식에 따른 **지속투여 신청서를 제출**하여야 함(제4조제2항).
 3. 사전심사 승인을 받은 요양기관은 심의결과를 통보 받은 날부터 **60일 이내에 투여**하여야 하고, 해당 기간을 경과하여 투여하고자 하는 경우에는 **재신청**하여야 함(제4조제3항).
 4. 사전심사 승인을 받고 **투여하지 않은** 요양기관은 투여 기간 종료일로부터 30일 이내에 별지 제20호 서식(사전심사 승인 취소 신청서)를, 투여를 종료한 경우에는 마지막 투여일로부터 30일 이내에 별지 제21호 서식(지속투여 · 추적관찰 종료 보고서)를 제출하여야 함(제4조제4항).

- 우리원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」(보건복지부고시 제2022-181호, 2022. 8. 1. 시행)에 따라 줄겐스마주 요양급여 여부를 결정하는 사전승인제도를 실시하고 있음.
- 사전심사의 절차 등에 관한 세부사항(건강보험심사평가원 공고 제2024-281호, 2025. 1. 1.시행)에 의거하여 줄겐스마주의 요양급여를 신청하고자 하는 경우에는 별표3 제2호에 따른 줄겐스마주 요양급여 신청서를 제출하여야 함(제4조제1항).

☐ 스피라자주 요양급여 대상여부(29사례)

(단위: 사례)

전체	요양급여 신청				지속투여 신청				이의신청			
	소계	승인	자료 보완	불승인	소계	승인	자료 보완	불승인	소계	인정	자료 보완	기각
29	-	-	-	-	27	27	-	-	2	-	-	2

☐ 에브리스디건조시럽 요양급여 대상여부(2사례)

(단위: 사례)

전체	요양급여 신청				지속투여 신청				이의신청			
	소계	승인	자료 보완	불승인	소계	승인	자료 보완	불승인	소계	인정	자료 보완	기각
2	-	-	-	-	2	1	-	1	-	-	-	-

☐ 졸겐스마주 요양급여 대상여부(1사례)

(단위: 사례)

[illegible]

1. 스피라자주 요양급여 대상여부

가. 스피라자주 지속투여 신청(27사례)

연번	성별	나이	SMA type	최초 투여일	투여 예정차수	심의 결과	심의내용
1	남	2세 4개월	1	2022-11-24	10	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
2	여	8세 1개월	1	2018-04-09	24	승인	
3	남	2세 5개월	2	2023-11-22	7	승인	이 사례는 운동기능평가에서 HMF 점수가 6차 투여 전 26점에서 금번 28점, CHOP-INTEND 점수는 치료 시작 전 33점에서 금번 36점으로 제출되어 운동기능의 개선을 입증하지 못하였으나, 운동기능평가 총점의 일부 증가 및 신경 발달이 지속되는 연령으로 잠재적인 효과를 고려해 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 1. 다. 중단기준에 해당하지 않는 것으로 판단하여 금번 스피라자주 요양급여를 승인함.
4	여	3세 7개월	2	2023-04-21	9	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
5	여	5세 11개월	2	2020-11-25	16	승인	
6	여	6세 1개월	2	2020-07-27	17	승인	
7	여	6세 8개월	2	2021-07-27	14	승인	
8	남	7세 6개월	2	2019-07-24	20	승인	
9	남	7세 8개월	2	2019-05-14	20	승인	
10	여	7세 8개월	2	2019-07-22	20	승인	
11	여	8세 9개월	2	2019-08-05	20	승인	
12	남	9세 10개월	2	2019-07-09	20	승인	
13	여	10세 2개월	2	2019-10-29	19	승인	이 사례는 운동기능평가(HMF) 총점이 18차 투여 전 14점에서 금번 5점으로 하락하였으나, 제출된 진료기록을 확인한 결과 2024년 10월 척추측만증 수술로 인한 일시적인 운동기능의 저하가 확인됨. 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
14	여	10세 5개월	2	2019-07-09	20	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
15	남	15세 8개월	2	2019-06-27	20	승인	
16	여	20세	2	2020-03-04	18	승인	

연번	성별	나이	SMA type	최초 투여일	투여 예정차수	심의 결과	심의내용
17	여	26세	2	2023-04-27	9	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
18	여	30세	2	2019-12-18	19	승인	
19	여	32세	2	2020-04-01	18	승인	
20	여	41세	2	2024-03-20	6	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 1. 다. 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
21	여	7세 9개월	3	2022-11-23	10	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
22	남	10세 3개월	3	2023-11-23	6	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 1. 다. 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
23	여	12세 3개월	3	2019-10-29	19	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
24	남	17세 4개월	3	2023-04-11	9	승인	
25	남	21세	3	2019-06-21	20	승인	
26	남	25세	3	2020-04-21	18	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
27	남	44세	3	2024-03-28	6	승인	이 사례는 운동기능평가(HFMSE) 총점이 치료시작 전 9점에서 6차 투여 전 7점으로 평가되었으나, 투약에 대한 반응을 추가적으로 관찰할 필요가 있다는 분과위원회의 의견에 따라 금번 지속 투여 신청은 승인함. 다만, 다음 지속투여 신청에서 운동기능의 개선이 입증되지 않을 경우 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 1. 다. 중단기준에 따라 중단을 고려할 수 있음.

나. 스피라자주 지속투여 신청 - 이의신청(2사례)

연번	성별	나이	SMA type	최초 투여일	투여 예정 차수	심의 결과	심의내용
28	여	12세 3개월	1	2018-04-19	21	기각	<p>이 사례는 스피라자주 20차 지속투여 신청 심의에서 운동기능평가(HFMSE) 결과 2회 이상 0점으로 스피라자주 투여에 따른 운동기능의 유지로 볼 수 없어 불승인된 사례로 스피라자주 21차 지속투여에 대한 요양급여를 신청했으나, 20차 지속투여 신청이 불승인된 상태에서 21차 지속투여 여부를 판단하는 것이 적절하지 않아 불승인되었음.</p> <p>금번 심의에서도 기존 분과위원회의 불승인 결정이 타당하다고 판단되므로 이의신청을 기각함.</p>
29	여	38세	2	2019-11-20	17	기각	<p>이 사례는 16차, 17차 투여 전 제출한 동영상에서 HFMSE의 Plinth/chair sitting 항목의 2점 획득이 확인되지 않고 총점이 0점으로 평가되는 등 스피라자주 투여에 따른 운동기능의 유지 또는 개선을 2회 연속 입증하지 못하여 불승인된 사례로, 재촬영한 동영상과 주치의 소견서를 추가하여 이의신청함.</p> <p>금번 제출한 자료에서도 Plinth/chair sitting 항목에서 2점을 제출하였으나 동영상 확인 결과 양팔이 체간에서 떨어진 자세를 유지하지 못하여 0점으로 평가됨. 따라서, 스피라자주의 효과에 따른 운동기능의 유지 또는 개선을 2회 연속 입증하지 못하였다는 기존 분과위원회의 불승인 결정이 타당하다고 판단되므로 이의신청을 기각함.</p>

2. 에브리스티건조시럽 요양급여 대상여부

가. 에브리스티건조시럽 지속투여 신청(2사례)

연번	성별	나이	SMA type	최초(교체) 투여일	심의 차수	심의 결과	심의내용
30	남	14세 3개월	2	2019-08-01 (2024-02-09)	3차 (12개월)	승인	<p>이 사례는 기존 스피라자주 투여 중 환자가 고시 시행일(2023. 10. 1.) 이후 에브리스티건조시럽으로 교체투여하는 경우로서 「요양급여의 적용 기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2024-235호, 2024. 12. 1. 시행)의 부칙 제3조, 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 에브리스티건조시럽 요양급여를 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 추후(' 25년 5월) 지속투여 신청서를 제출하도록 함.</p>
31	남	50세	3	2024-01-24	3차 (12개월)	불승인	<p>이 사례는 운동기능평가(HFMSE) 점수가 치료시작 전과 비교 시 동일하여 에브리스티건조시럽 투여에 따른 운동기능의 개선을 2회 이상 입증하지 못함. 이에, 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2024-235호, 2024. 12. 1. 시행)의 1. 다. 중단기준에 해당하여 에브리스티건조시럽 지속투여 신청을 불승인함.</p>

3. 줄겐스마주 요양급여 대상여부

가. 줄겐스마주 요양급여 신청(1사례)

연번	성별/월령	생년월일	심의결과	심의내용
32	여/6개월	2024-07-08	승인 (생후 9개월 미만 투여)	이 사례는 심의일 기준 6개월 월령으로, 생후 5개월 경 hypotonia, frog leg posture 등의 증상이 발현되어 시행한 유전자검사 결과 5q SMN1 유전자 결손이 확인된 사례임. 제출된 자료를 검토한 결과, 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항 (약제)」(보건복지부 고시 제2022-181호, 2022. 8. 1. 시행) Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명: 줄겐스마주) 세부인정기준 및 방법 제1항 가. 투여대상 조건을 모두 만족하고, 나. 제외기준에 해당하지 않으므로 Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명: 줄겐스마주)의 요양급여를 승인함.

[2025. 1. 8. 스피라자주 · 에브리스디건조시럽 · 줄겐스마주 분과위원회]
[2025. 2. 11. 중앙심사조정위원회]