

#### IV. Nusinersen sodium 주사제(품명: 스피라자주) 및 Risdiplam 경구제(품명: 에브리스디건조시럽), Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명: 졸겐스마주) 요양급여 대상 여부(50사례)

- 우리원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)에 따라 스피라자주 및 에브리스디건조시럽 요양급여 여부를 결정하는 사전승인제도를 실시하고 있음.
- 「사전심사의 절차 등에 관한 세부사항」 건강보험심사평가원 공고 (제2024-83호, 2024. 4. 1. 시행)에 의거하여
  1. 요양급여를 신청하고자 하는 경우에는 별지 제6-1호 서식에 따른 요양급여 신청서를 제출하여야 함(제4조제1항).
  2. 스피라자주 요양급여를 계속하고자 하는 경우에는 5차 투여 전 및 이후 매 투여 전, 에브리스디건조시럽 요양급여를 계속하고자 하는 경우에는 4개월마다 별지 제6-2호 서식에 따른 지속투여 신청서를 제출하여야 함(제4조제2항).
  3. 사전심사 승인을 받은 요양기관은 심의결과를 통보 받은 날부터 60일 이내에 투여하여야 하고, 해당 기간을 경과하여 투여하고자 하는 경우에는 재신청하여야 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 졸겐스마주 요양급여 여부를 결정하는 사전승인제도를 실시하고 있음.
- 사전심사의 절차 등에 관한 세부사항(건강보험심사평가원 공고 제2024-83호, 2024. 4. 1. 시행)에 의거하여 졸겐스마주의 요양급여를 신청하고자 하는 경우에는 별표3 제2호에 따른 졸겐스마주 요양급여 신청서를 제출하여야 함(제4조제1항).

□ 스피노라자주 요양급여 대상여부(42사례)

(단위: 사례)

| 전체 | 요양급여 신청 |    |      |     | 지속투여 신청 |    |      |     | 이의신청 |    |      |    |
|----|---------|----|------|-----|---------|----|------|-----|------|----|------|----|
|    | 소계      | 승인 | 자료보완 | 불승인 | 소계      | 승인 | 자료보완 | 불승인 | 소계   | 인정 | 자료보완 | 기각 |
| 42 | -       | -  | -    | -   | 42      | 41 | 1    | -   | -    | -  | -    | -  |

□ 에브리스디건조시럽 요양급여 대상여부(7사례)

(단위: 사례)

| 전체 | 요양급여 신청 |    |      |     | 지속투여 신청 |    |      |     | 이의신청 |    |      |    |
|----|---------|----|------|-----|---------|----|------|-----|------|----|------|----|
|    | 소계      | 승인 | 자료보완 | 불승인 | 소계      | 승인 | 자료보완 | 불승인 | 소계   | 인정 | 자료보완 | 기각 |
| 7  | 1       | 1  | -    | -   | 6       | 6  | -    | -   | -    | -  | -    | -  |

□ 졸겐스마주 요양급여 대상여부(1사례)

(단위: 사례)

| 전체 | 요양급여 신청 |    |      |     | 이의신청 |    |      |    | 심판청구 |    |    |
|----|---------|----|------|-----|------|----|------|----|------|----|----|
|    | 소계      | 승인 | 자료보완 | 불승인 | 소계   | 인정 | 자료보완 | 기각 | 소계   | 인정 | 기각 |
| 1  | 1       | 1  | -    | -   | -    | -  | -    | -  | -    | -  | -  |

1. 스피노라자주 요양급여 대상여부

가. 스피노라자주 지속투여 신청(42사례)

| 연번 | 성별 | 나이      | SMA type | 최초 투여일     | 투여 예정 차수 | 심의 결과 | 심의내용   |
|----|----|---------|----------|------------|----------|-------|--|
| 1  | 여  | 0세 8개월  | 1        | 2024-04-25 | 5        | 승인    | 이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 1.다. 중단기준에 해당하지 않으므로 스피노라자주 요양급여를 승인함.       |
| 2  | 여  | 6세 10개월 | 1        | 2018-08-30 | 22       | 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 스피노라자주 요양급여를 승인함. |
| 3  | 남  | 6세 10개월 | 1        | 2018-04-07 | 23       | 승인    |  |
| 4  | 남  | 7세 11개월 | 1        | 2018-09-13 | 22       | 승인    |  |
| 5  | 여  | 9세 8개월  | 1        | 2019-05-27 | 20       | 승인    |  |
| 6  | 여  | 3세 3개월  | 2        | 2022-08-11 | 10       | 승인    |  |
| 7  | 여  | 4세 3개월  | 2        | 2021-12-29 | 12       | 승인    |  |
| 8  | 여  | 7세 5개월  | 2        | 2019-05-15 | 20       | 승인    |  |
| 9  | 남  | 8세 6개월  | 2        | 2019-12-13 | 18       | 승인    |  |
| 10 | 남  | 10세 1개월 | 2        | 2018-07-19 | 20       | 승인    |  |

| 연번 | 성별 | 나이       | SMA type | 최초 투여일     | 투여 예정 차수 | 심의 결과 | 심의내용  |
|----|----|----------|----------|------------|----------|-------|---|
| 11 | 여  | 11세 0개월  | 2        | 2019-08-09 | 19       | 승인    |   |
| 12 | 남  | 13세 5개월  | 2        | 2019-07-13 | 19       | 승인    |   |
| 13 | 여  | 13세 10개월 | 2        | 2019-05-21 | 19       | 승인    |   |
| 14 | 남  | 14세 7개월  | 2        | 2019-05-28 | 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 스피노라자주 요양급여를 승인함.<br>다만, 다음 지속투여 신청 시 급여기준에서 정한 투여 시점 연령에 맞는 운동기능평가도구에서 획득된 점수를 확인할 수 있는 동영상 자료를 제출하도록 함.(운동기능평가는 점수 획득 기준을 준수하여 검사를 요함.)  |
| 15 | 남  | 15세 4개월  | 2        | 2019-06-28 | 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 스피노라자주 요양급여를 승인함.  |
| 16 | 여  | 16세 8개월  | 2        | 2019-07-29 | 19       | 승인    |   |
| 17 | 남  | 16세 8개월  | 2        | 2019-08-08 | 19       | 승인    |   |
| 18 | 여  | 17세 9개월  | 2        | 2019-08-12 | 19       | 승인    |   |
| 19 | 여  | 18세 6개월  | 2        | 2019-09-24 | 19       | 승인    | 이 사례는 이전 심의에서 운동기능평가(HFMSE)에서 획득된 점수를 확인 할 수 있는 동영상 자료를 제출토록 요청함.<br>제출된 동영상을 검토한 결과, 운동기능평가(HFMSE)에서 획득됐다고 제출한 운동기능이 확인되는 등 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피노라자주 요양급여를 승인함.<br>다만, (HFMSE)에서 양 팔을 들어올려 3초 유지하는 게 충분하지 않아 운동기능평가 동영상 확인이 추가로 필요하다는 위원회의 의견이 있었으며, 다음 지속투여 신청 시 급여기준에서 정한 투여 시점 연령에 맞는 운동기능평가도구에서 획득된 점수를 확인할 수 있는 동영상 자료를 제출하도록 함.(운동기능평가는 점수 획득 기준을 준수하여 검사를 요함.) |
| 20 | 남  | 19세      | 2        | 2020-01-16 | 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 스피노라자주 요양급여를 승인함.  |
| 21 | 남  | 20세      | 2        | 2020-05-06 | 17       | 승인    |   |
| 22 | 남  | 21세      | 2        | 2020-04-22 | 17       | 승인    |   |
| 23 | 여  | 21세      | 2        | 2019-07-23 | 19       | 승인    |   |
| 24 | 여  | 22세      | 2        | 2020-01-08 | 18       | 승인    | 이 사례는 이전 심의에서 운동기능평가(HFMSE)에서 획득된 점수를 확인 할 수 있는 동영상 자료를 제출토록 요청함.<br>제출된 동영상을 검토한 결과, 한 손을 지지한 상태로 운동기능평가 (HFMSE) Plinth/chair sitting 및 long sitting 각각 2점으로 총점 4점 획득이 확인되지 않고 총점 2점 수준으로 평가되는 등 스피노라자주 투여에 따른 운동 기능의 유지 또는 개선으로 보기 어렵다고 판단됨.<br>이에, 운동기능의 유지 또는 개선을 2회 연속 입증하지 못하는 경우에 해당하지 아니하여 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 18차 지속투여 신청은 승                                    |

| 연번 | 성별 | 나이      | SMA type | 최초 투여일     | 투여 예정 차수 | 심의 결과 | 심의내용   |
|----|----|---------|----------|------------|----------|-------|--|
|    |    |         |          |            |          |       | 인하되, 다음 지속투여 신청 시 급여기준에서 정한 투여 시점 연령에 맞는 운동기능평가도구에서 획득된 점수를 확인할 수 있는 동영상 자료를 제출하도록 하며,(운동기능평가는 점수 획득 기준을 준수하여 검사를 요함) 이후 평가 시 운동기능의 유지 또는 개선이 없을 경우 중단을 고려 할 수 있음.   |
| 25 | 여  | 25세     | 2        | 2023-09-07 | 7        | 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 스피노라자주 요양급여를 승인함. 다만, 다음 지속투여 신청 시 급여기준에서 정한 투여 시점 연령에 맞는 운동기능평가도구에서 획득된 점수를 확인할 수 있는 동영상 자료를 제출하도록 함.(운동기능평가는 점수 획득 기준을 준수하여 검사를 요함.)        |
| 26 | 여  | 24세     | 2        | 2022-01-07 | 12       | 승인    | 이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」   |
| 27 | 여  | 25세     | 2        | 2019-09-10 | 18       | 승인    | 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피노라자주 요양급여를 승인함.  |
| 28 | 남  | 27세     | 2        | 2019-09-02 | 19       | 승인    |  |
| 29 | 여  | 29세     | 2        | 2021-12-23 | 12       | 승인    |  |
| 30 | 여  | 30세     | 2        | 2020-03-03 | 17       | 승인    |  |
| 31 | 여  | 30세     | 2        | 2019-12-19 | 18       | 자료 보완 | 이 사례는 제출된 자료로는 스피노라자주 투여에 따른 운동기능의 유지 또는 개선을 2회 연속 입증하지 못하는 경우(직전 평가시점의 운동기능평가와 비교)에 해당되며 운동 기능의 유지 또는 개선을 2회 연속 입증할만한 추가적인 자료가 필요하다고 판단함<br>이에, 급여기준에서 정한 투여 시점 연령에 맞는 운동기능평가도구에서 획득된 점수를 확인할 수 있는 동영상 자료를 제출하도록 함.(운동기능평가는 점수 획득 기준을 준수하여 검사를 요함.) |
| 32 | 여  | 32세     | 2        | 2020-04-01 | 17       | 승인    | 이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」   |
| 33 | 여  | 32세     | 2        | 2020-04-01 | 17       | 승인    | 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피노라자주 요양급여를 승인함.  |
| 34 | 남  | 32세     | 2        | 2020-12-02 | 15       | 승인    | 이 사례는 이전 심의에서 운동기능평가(HFMSE)에서 획득된 점수를 확인할 수 있는 동영상 자료를 제출도록 요청함.<br>제출된 동영상을 검토한 결과, 운동기능평가(HFMSE)에서 획득됐다고 기재한 운동기능이 확인되는 등 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피노라자주 요양급여를 승인함.       |
| 35 | 남  | 5세 3개월  | 3        | 2023-04-28 | 8        | 승인    | 이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」   |
| 36 | 남  | 7세 6개월  | 3        | 2022-08-19 | 10       | 승인    | 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피노라자주 요양급여를 승인함.  |
| 37 | 여  | 12세 3개월 | 3        | 2019-07-29 | 19       | 승인    |  |
| 38 | 여  | 27세     | 3        | 2019-08-05 | 19       | 승인    |  |
| 39 | 여  | 28세     | 3        | 2019-07-02 | 19       | 승인    |  |
| 40 | 여  | 29세     | 3        | 2020-01-09 | 18       | 승인    |  |
| 41 | 남  | 34세     | 3        | 2024-04-08 | 5        | 승인    | 이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」   |
| 42 | 여  | 42세     | 3        | 2024-01-11 | 6        | 승인    | 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 1.다. 중단기준에 해당하지 않으므로 스피노라자주 요양급여를 승인함.  |

## 2. 에브리스디건조시럽 요양급여 대상여부

### 가. 에브리스디건조시럽 요양급여 신청 - 교체투여 (1사례)

| 연번 | 성별 | 나이  | SMA type | 최초 투여일     | 심의 결과 | 심의내용   |
|----|----|-----|----------|------------|-------|--|
| 43 | 여  | 28세 | 2        | 2020-03-04 | 승인    | 이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 교체투여대상에 부합하므로 에브리스디건조시럽 요양급여를 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 지속투여 신청서를 제출하도록 함. |

### 나. 에브리스디건조시럽 지속투여 신청 (6사례)

| 연번 | 성별 | 나이  | SMA type | 최초(교체) 투여일                 | 심의 차수      | 심의 결과 | 심의내용   |
|----|----|-----|----------|----------------------------|------------|-------|--|
| 44 | 남  | 33세 | 2        | 2019-07-22<br>(2024-02-20) | 2<br>(8개월) | 승인    | 이 사례는 기존 스피란자주 투여 중 환자가 고시 시행일(2023. 10. 1.) 이후 에브리스디건조시럽으로 교체투여하는 경우로서 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제3조, 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않고 교체투여가 필요한 임상적 사유가 있는 것으로 판단되므로 에브리스디건조시럽 요양급여를 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 지속투여 신청서를 제출하도록 함. |
| 45 | 남  | 35세 | 2        | 2024-06-13                 | 1<br>(4개월) | 승인    | 이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 1.다. 중단 기준에 해당하지 않으므로 에브리스디건조시럽 요양급여를 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 지속투여 신청서를 제출하도록 함.   |
| 46 | 남  | 19세 | 3        | 2022-11-11                 | 2<br>(8개월) | 승인    | 이 사례는 기존 스피란자주 투여 중 환자가 고시 시행일(2023. 10. 1.) 이후 에브리스디건조시럽으로 교체투여하는 경우로서 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제3조, 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 에브리스디건조시럽 요양급여를 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 지속투여 신청서를 제출하도록 함.                              |
| 47 | 여  | 42세 | 3        | 2019-07-08<br>(2024-02-20) | 2<br>(8개월) | 승인    | 이 사례는 기존 스피란자주 투여 중 환자가 고시 시행일(2023. 10. 1.) 이후 에브리스디건조시럽으로 교체투여하는 경우로서 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제3조, 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 에브리스디건조시럽 요양급여를 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 지속투여 신청서를 제출하도록 함.                              |
| 48 | 남  | 44세 | 3        | 2024-02-24                 | 2<br>(8개월) | 승인    | 이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 1.다. 중단 기준에 해당하지 않으므로 에브리스디건조시럽 요양급여를 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 지속투여 신청서를 제출하도록 함.   |
| 49 | 남  | 49세 | 3        | 2022-12-22                 | 2<br>(8개월) | 승인    | 이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 1.다. 중단 기준에 해당하지 않으므로 에브리스디건조시럽 요양급여를 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 지속투여 신청서를 제출하도록 함.   |

### 3. 졸겐스마주 요양급여 대상여부 심의

#### 가. 졸겐스마주 요양급여 신청 (1사례)

| 연번 | 성명   | 성별/월령 | 생년월일        | 심의결과                                 | 심의내용   |
|----|------|-------|-------------|--------------------------------------|--|
| 50 | 01** | 남/9개월 | '23. 12. 27 | 승인<br>(생후 9개월<br>이상에서 생후<br>12개월 투여) | 이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항 (약제)」(보건복지부 고시 제2022-181호, 2022. 8. 1. 시행) Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명: 졸겐스마주) 세부인정기준 및 방법 제1항 가.투여대상 조건을 모두 만족하고, 나.제외기준에 해당하지 않으므로 Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명: 졸겐스마주)의 요양급여를 승인함. |

[2024. 10. 10. 스피란자주 · 에브리스디건조시럽 · 졸겐스마주 분과위원회]

[2024. 10. 29. 중앙심사조정위원회]