

IV. Nusinersen sodium 주사제(품명: 스피라자주) 및 Risdiplam 경구제(품명: 에브리스디건조시럽), Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명: 줄겐스마주) 영양급여 대상 여부(42사례)

- 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 에브리스디건조시럽 영양급여 여부를 결정하는 사전 승인제도를 실시하고 있음.

○ 「사전심사의 절차 등에 관한 세부사항」 건강보험심사평가원 공고 (제2024-281호, 2025. 1. 1. 시행)에 의거하여

 1. 영양급여를 신청하고자 하는 경우에는 별지 제6-1호 서식에 따른 영양급여 신청서를 제출하여야 함(제4조제1항).
 2. 스피라자주 영양급여를 계속하고자 하는 경우에는 5차 투여 전 및 이후 매 투여 전, 에브리스디건조시럽 영양급여를 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 줄겐스마주 영양급여 여부를 결정하는 사전승인제도를 실시하고 있음.

○ 사전심사의 절차 등에 관한 세부사항(건강보험심사평가원 공고 제2024-281호, 2025. 1. 1.시행)에 의거하여 줄겐스마주의 영양급여를 신청하고자 하는 경우에는 별표3 제2호에 따른 줄겐스마주 영양급여 신청서를 제출하여야 함(제4조제1항).

□ 스피라자주 영양급여 대상여부(32사례)

(단위: 사례)

전체	요양급여 신청				지속투여 신청				이의신청			
	소계	승인	자료 보완	불승 인	소계	승인	자료 보완	불승 인	소계	인정	자료 보완	기각
32	-	-	-	-	31	30	1	-	1	1	-	-

□ 에브리스디건조시럽 영양급여 대상여부(8사례)

(단위: 사례)

전체	요양급여 신청				지속투여 신청				이의신청			
	소계	승인	자료 보완	불승 인	소계	승인	자료 보완	불승 인	소계	인정	자료 보완	기각
8	2	1	-	1	6	5	-	1	-	-	-	-

□ 줄겐스마주 영양급여 대상여부(2사례)

(단위: 사례)

전체	요양급여 신청				이의신청			
	소계	승인	자료 보완	불 승 인	소계	인정	자료 보완	기각
2	2	2	-	-	-	-	-	-

1. 스피라자주 요양급여 대상여부

가. 스피라자주 지속투여 신청(27사례)

연번	성별	나이	SMA type	최초 투여일	투여 예정 차수	심의 결과	심의내용
1	남	5세 4개월	1	2020-06-02	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.
2	여	10세 1개월	1	2019-05-27	21	승인	
3	여	10세 4개월	1	2018-07-26	21	승인	
4	남	2세 9개월	2	2023-09-27	8	승인	
5	남	3세 11개월	2	2022-02-14	13	승인	
6	남	4세 5개월	2	2021-09-29	14	승인	
7	여	4세 6개월	2	2021-10-15	14	승인	
8	여	4세 10개월	2	2022-02-09	13	승인	
9	여	7세 6개월	2	2019-05-14	21	승인	
10	여	9세 8개월	2	2019-05-30	21	승인	
11	남	10세 9개월	2	2019-09-30	20	승인	
12	여	11세 9개월	2	2018-05-21	24	승인	
13	여	12세 3개월	2	2019-05-15	21	승인	
14	여	14세 10개월	2	2018-03-14	22	승인	
15	남	15세 0개월	2	2019-05-28	21	승인	이 사례는 이전 심의(2024년 10월)에서 운동기능평가(HFMSE)에서 획득된 점수를 확인할 수 있는 동영상 자료를 제출도록 함. 제출된 자료를 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 스피라자주 요양급여를 승인함.
16	여	15세 10개월	2	2018-03-08	21	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.
17	여	16세 0개월	2	2019-05-31	21	승인	

연번	성별	나이	SMA type	최초 투여일	투여 예정차수	심의 결과	심의내용
18	여	16세 0개월	2	2019-06-06	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.
19	여	16세 10개월	2	2019-08-28	20	승인	
20	여	16세 10개월	2	2019-06-04	21	승인	이 사례는 직전 평가시점의 운동기능평가 점수와 비교 시 운동기능의 유지를 입증하지 못했으나, 「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. 다만, 다음 지속투여 신청 시 운동기능의 유지 또는 개선을 입증하지 못하는 경우 중단을 고려할 수 있음.
21	여	18세	2	2019-08-12	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.
22	여	21세	2	2020-12-02	16	승인	
23	여	23세	2	2020-01-08	19	승인	이 사례는 이전 심의(2024년 10월)에서 제출된 동영상을 검토한 결과, 운동기능평가(HFMSE) 총점이 4점이 아닌 2점 수준으로 평가되어 금번 심의에 다시 동영상을 제출토록 함. 금번 제출된 동영상을 검토한 결과, 직전 평가시점의 운동기능평가 점수와 동일하게 총점 2점 수준으로 확인되어 운동기능의 유지로 판단함. 이에, 「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	여	25세	2	2022-02-15	13	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.
25	여	27세	2	2020-02-07	19	승인	
26	여	30세	2	2020-03-03	18	승인	
27	여	30세	2	2020-01-09	19	승인	
28	여	39세	2	2019-11-20	18	승인	
29	남	36세	3	2024-01-10	7	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.
30	남	40세	3	2024-01-24	7	승인	
31	여	12세 5개월	1	2018-04-19	22	자료 보완	이 사례는 제출된 자료로는 스피라자주 투여에 따른 운동기능의 유지 또는 개선을 2회 연속 입증하지 못하는 경우(직전 평가시점의 운동기능 평가와 비교)에 해당되며 운동기능의 유지 또는 개선을 입증할만한 추가적인 자료가 필요하다고 판단함. 이에, 운동기능평가에서 획득된 점수를 확인할 수 있는 동영상 자료를 제출하도록 함.(운동기능평가는 점수 획득 기준을 준수하여 검사를 요함.)

나. 스피라자주 지속투여 신청 - 이의신청(1사례)

연번	성별	나이	SMA type	최초 투여일	투여 예정 차수	심의 결과	심의내용
32	여	42세	3	2024-01-11	7	인정	이 사례는 이전 심의(2025년 2월)에서 운동기능평가(FMSE) 점수가 치료 시작 전과 비교 시 동일하게 유지되어 스피라자주 투여에 따른 운동기능의 개선을 2회 연속 입증하지 못해 불승인함. 이에, 동영상 자료와 소견서를 제출하여 운동기능의 개선을 입증하기 위해 이의신청함. 제출된 자료를 검토한 결과, 운동기능평가(FMSE)에서 획득했다고 제출한 운동 기능이 확인되어 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 1. 다. 중단기준에 해당하지 않으므로 7차 스피라자주 요양급여 불승인 결정에 대한 이의신청을 인정함.

2. 에브리스디건조시럽 요양급여 대상여부

가. 에브리스디건조시럽 요양급여 신청(2사례)

연번	성별	나이	SMA type	심의 결과	심의내용
33	남	1개월	0	불승인	이 사례는 증상 발현 전 SMN2 복제수가 3개 이하이며 치료 시작 시점 생후 6개월 미만인 경우로 자료를 제출하였으나, 출생 후 관절 구축 보이고, 사지 전혀 움직이지 못하는 모습으로 severe hypotonia 발현됨. 이에, 증상 발현 전 이 아닌 SMA 관련 임상 증상과 징후가 발현된 Type 1으로 판단되며, 영구적 인공호흡기 사용으로 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2024-235호, 2024. 12. 1. 시행)의 1. 가. 투여대상에 부합하지 않으므로 에브리스디건조시럽 요양급여를 승인하지 아니함.
34	남	22세	2	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2024-235호, 2024. 12. 1. 시행)의 1. 가. 투여대상에 부합하여 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
35	여	27세	2	2024-04-25	3 (12개월)	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2024-235호, 2024. 12. 1. 시행)의 1. 다. 중단기준에 해당하지 않으므로 에브리스디건조시럽 요양급여를 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 추후('25년 6월) 지속투여 신청서를 제출하도록 함.
36	여	28세	2	2024-10-28	1 (4개월)	승인	이 사례는 기존 스피라자주 투여 중 환자가 고시 시행일(2023. 10. 1.) 이후 에브리스디건조시럽으로 교체투여하는 경우로서 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2024-235호, 2024. 12. 1. 시행)의 부칙 제3조, 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 에브리스디건조시럽 요양급여를 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 추후('25년 6월) 지속투여 신청서를 제출하도록 함.

연번	성별	나이	SMA type	최초(교체) 투여일	심의 차수	심의 결과	심의내용
37	여	30세	2	2024-04-09	3 (12개월)	승인	이 사례는 기존 스피라자주 투여 중 환자가 고시 시행일(2023. 10. 1.) 이후 에브리스디건조시럽으로 교체투여하는 경우로서 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2024-235호, 2024. 12. 1. 시행)의 부칙 제3조, 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 에브리스디건조시럽 요양급여를 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 추후('25년 6월) 지속투여 신청서를 제출하도록 함.
38	여	33세	3	2023-11-22	4 (16개월)	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2024-235호, 2024. 12. 1. 시행)의 1. 다. 중단기준에 해당하지 않으므로 에브리스디건조시럽 요양급여를 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 추후('25년 6월) 지속투여 신청서를 제출하도록 함. 다만, 다음 지속투여 신청 시 운동기능의 개선 또는 개선 후 유지를 입증하지 못하는 경우 중단을 고려할 수 있음.
39	남	39세	3	2024-03-13	3 (12개월)	승인	이 사례는 운동기능평가(HFMS) 점수가 치료시작 전과 비교 시 동일하여 에브리스디건조시럽 투여에 따른 운동기능의 개선을 2회 연속 입증하지 못함. 따라서, 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2024-235호, 2024. 12. 1. 시행)의 1. 다. 중단기준에 해당하여 에브리스디건조시럽 지속투여 신청을 불승인함.

3. 줄겐스마주 요양급여 대상여부

가. 줄겐스마주 요양급여 신청(2사례)

연번	성별/월령	생년월일	심의결과	심의내용
41	남/11개월	2024-03-21	승인 (생후 9개월 이상 12개월 이하 투여)	이 사례는 심의일 기준 11개월 월령으로, 생후 6개월 경 앓혀보아도 앓지 못하는 증상이 발현되어 10개월 경 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 조건 1), 2)를 만족하고, 환자상태를 고려하여 이득이 있을 것으로 판단되며, 나. 제외기준에 해당하지 않으므로 Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명: 줄겐스마주)의 요양급여를 승인함.
42	남/4개월	2024-11-04	승인 (생후 9개월 이하 투여)	이 사례는 생후 3개월 경 먹는 속도가 느려지고 발달지연이 의심되어 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. 3. 11. 스피라자주·에브리스디건조시럽·줄겐스마주 분과위원회]

[2025. 3. 20. ~ 3. 21. 줄겐스마주 분과위원회]

[2025. 4. 8. 중앙심사조정위원회]