

V. Nusinersen sodium 주사제(품명: 스피라자주) 및 Risdiplam 경구제(품명: 에브리스디건조시럽) 요양급여 대상 여부(48사례)

- 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 요양급여 여부를 결정하는 사전 승인제도를 실시하고 있음.
- 「사전심사의 절차 등에 관한 세부사항」 건강보험심사평가원 공고 (제2025-12호, 2025. 2. 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).

□ 스피라자주 요양급여 대상여부(42사례)

(단위: 사례)

전체	요양급여 신청				지속투여 신청				이의신청			
	소계	승인	자료보완	불승인	소계	승인	자료보완	불승인	소계	인정	자료보완	기각
42	1	1	-	-	41	40	-	1	-	-	-	-

□ 에브리스디건조시럽 요양급여 대상여부(6사례)

(단위: 사례)

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

1. 스피라자주 요양급여 대상여부

가. 스피라자주 요양급여 신청(1사례)

연번	성별	나이	SMA type	심의 결과	심의내용
1	여	1세 6개월	2	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 1. 가. 투여 대상에 부합하므로 스피라자주 요양급여를 승인함.

나. 스피너자주 지속투여 신청(42사례)

연번	성별	나이	SMA type	최초 투여일	투여 예정 차수	심의 결과	심의내용
2	여	1세 0개월	1	2024-04-25	6	승인	이 사례는 운동기능평가(CHOP-INTEND) 점수가 치료 시작 전과 금번 모두 2점으로 제출되어 운동기능의 개선을 입증하지 못하였으나, 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 스피너자주 요양급여는 승인함. 다만, 다음 지속투여 신청 시 운동기능평가에서 획득된 점수를 확인할 수 있는 동영상 자료를 제출하도록 하고, 운동기능의 개선을 입증하지 못하는 경우 중단을 고려할 수 있음.(운동기능평가는 점수 획득 기준을 준수하여 검사를 요함.)
3	여	7세 2개월	1	2018-08-30	23	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 스피너자주 요양급여를 승인함.
4	남	7세 2개월	1	2018-04-07	24	승인	
5	남	8세 3개월	1	2018-09-13	23	승인	
6	여	3세 7개월	2	2022-08-11	11	승인	
7	여	4세 8개월	2	2021-12-29	13	승인	
8	여	7세 9개월	2	2019-05-15	21	승인	
9	남	8세 10개월	2	2019-12-13	19	승인	
10	남	10세 5개월	2	2018-07-19	21	승인	
11	여	11세 4개월	2	2019-08-09	20	승인	
12	남	13세 9개월	2	2019-07-13	20	승인	
13	여	14세 3개월	2	2020-04-08	18	승인	
14	여	14세 2개월	2	2019-05-21	20	승인	
15	남	15세 8개월	2	2019-06-28	20	승인	
16	여	17세 0개월	2	2019-07-29	20	승인	
17	남	17세 0개월	2	2019-08-08	20	승인	

연번	성별	나이	SMA type	최초 투여일	투여 예정 차수	심의 결과	심의내용
18	여	18세	2	2019-09-24	20	승인	<p>이 사례는 이전 심의(2024.10월)에서 운동기능평가(HFMSE) 동영상 자료를 확인하였으나, 양팔을 들어올려 3초 유지하는 게 충분하지 않아 운동기능평가 동영상 확인이 추가로 필요하다는 위원회의 의견이 있어 동영상 자료를 다시 제출토록 요청함.</p> <p>제출된 동영상을 검토한 결과, Plinth/chair sitting과 Long sitting 항목에서 각 2점이 아닌 1점으로 평가되어 금번 운동기능평가 (HFMSE) 총점이 6점이 아닌 4점으로 확인됨. 「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.</p>
19	남	19세	2	2020-01-16	19	승인	<p>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.</p>
20	남	20세	2	2020-05-06	18	승인	
21	여	22세	2	2022-07-27	11	승인	
22	남	21세	2	2020-04-22	18	승인	
23	여	21세	2	2019-07-23	20	승인	
24	여	22세	2	2020-04-01	18	승인	
25	여	25세	2	2023-06-12	8	승인	
26	남	24세	2	2020-05-21	17	승인	<p>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.</p> <p>단, 다음 지속투여 신청 시 운동기능평가(HFMSE)에서 획득된 점수를 확인할 수 있는 동영상 자료를 제출토록 함.(운동기능 평가도구에서 정한 점수 획득 기준을 준수하여 검사를 요함.)</p>
27	여	25세	2	2023-09-07	8	승인	<p>이 사례는 이전 심의(2024.10월)에서 운동기능평가(HFMSE)에서 획득된 점수를 확인할 수 있는 동영상 자료를 제출토록 요청함.</p> <p>제출된 동영상을 검토한 결과, Plinth/chair sitting 항목에서 2점이 아닌 1점으로 평가되어 금번 운동기능평가(HFMSE) 총점이 3점이 아닌 2점으로 확인됨. 「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.</p>
28	여	25세	2	2022-01-07	13	승인	<p>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.</p>
29	여	25세	2	2019-09-10	19	승인	
30	남	27세	2	2019-09-02	20	승인	
31	여	29세	2	2021-12-23	13	승인	
32	여	32세	2	2020-04-01	18	승인	
33	남	33세	2	2020-12-02	16	승인	

연번	성별	나이	SMA type	최초 투여일	투여 예정 차수	심의 결과	심의내용
34	남	5세 7개월	3	2023-04-28	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 스피노라자주 요양급여를 승인함.
35	남	7세 10개월	3	2022-08-19	11	승인	
36	여	12세 7개월	3	2019-07-29	20	승인	
37	여	20세	3	2020-07-14	17	승인	
38	여	28세	3	2019-08-05	20	승인	
39	여	28세	3	2019-07-02	20	승인	
40	여	29세	3	2020-01-09	19	승인	
41	남	35세	3	2024-04-08	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 스피노라자주 요양급여를 승인함.
42	여	42세	3	2024-01-11	7	불승인	이 사례는 운동기능평가(HFMSE) 점수가 치료 시작 전과 비교 시 동일하게 유지되어 스피노라자주 투여에 따른 운동기능의 개선을 2회 연속 입증하지 못함. 이에, 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 1. 다. 중단기준에 해당하여 스피노라자주 지속투여 신청을 불승인함.

2. 에브리스디건조시럽 요양급여 대상여부

가. 에브리스디건조시럽 지속투여 신청(6사례)

연번	성별	나이	SMA type	최초(교체) 투여일	심의 차수	심의 결과	심의내용
43	남	33세	2	2019-07-22, 교체투여 2024-02-20	3 (12개월)	승인	이 사례는 기존 스피노라자주 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 5월) 지속투여 신청서를 제출하도록 함.
44	남	35세	2	2024-06-13	2 (8개월)	승인	이 사례는 금번 제출한 운동기능평가(HFMSE)에서 2회 연속 0점으로 운동기능의 개선을 입증하지 못하였으나, 투약에 대한 반응을 추가적으로 관찰할 필요가 있다는 분과위원회의 의견에 따라 금번 에브리스디건조시럽 요양급여를 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 추후('25년 5월) 지속투여 신청서를 제출하도록 함. 다만, 다음 지속투여 신청에서 운동기능의 개선을 입증하지 못할 경우 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2024-235호, 2024. 12. 1. 시행)의 1. 다. 중단기준에 따라 중단을 고려할 수 있음.
45	남	19세	3	2022-11-11	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 5월) 지속투여 신청서를 제출하도록 함.
46	여	42세	3	2019-07-08, 교체투여 2024-02-20	3 (12개월)	승인	이 사례는 기존 스피노라자주 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 5월) 지속투여 신청서를 제출하도록 함.
47	남	44세	3	2024-02-24	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 5월) 지속투여 신청서를 제출하도록 함.
48	남	49세	3	2022-12-22	3 (12개월)	승인	

[2025. 2. 12. 스피노라자주 · 에브리스디건조시럽 분과위원회]

[2025. 3. 10. ~ 3. 12. 중앙심사조정위원회(서면)]