

II. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 및 Ravulizumab(품명: 울토미리스주 등) 요양급여 대상여부

- 위원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」(보건복지부 고시 제2024-55호, 2024. 3. 28.)에 따라 솔리리스주 등 및 울토미리스주 등 요양급여 대상여부를 결정하는 사전승인제도를 실시하고 있음.
- 「사전심사의 절차 등에 관한 세부사항」(건강보험심사평가원 공고 제2024-83호, 2024. 3. 28.)에 의거하여 관련 고시에 따른 사전승인을 위한 사전심사의 절차 및 방법, 위원회 구성, 기준 등 필요한 세부사항을 정하고 있음.

□ 심의결과

(단위: 사례)

심의년 월	약제명	상병명	전체	승인신청		모니터링		보고
				승인	불승인	승인	불승인	
총계			46	3	5	36	0	2
2024. 10.	솔리리스주 등	비정형 용혈성 요독 증후군	8	0	5	3	0	-
		발작성 야간 혈색소뇨증	4	-	-	3	0	1
	울토미리스주 등	발작성 야간 혈색소뇨증	34	3	0	30	0	1

[Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 대상여부]

□ 비정형 용혈성 요독 증후군(aHUS: atypical Hemolytic Uremic Syndrome)

○ 승인신청(5사례)

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
2024. 10.	A	남/64	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2024-55호, 2024. 3. 28.) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 2019년 AL 아밀로이드증 진단되어 VCD 항암요법 후 자가조혈모세포이식한 환자로, 생체공여 신이식 후 범혈구감소증, 급성 신부전, 신생검 상 활성형 혈전미세혈관병증 소견으로 비정형 용혈성 요독 증후군 판단하에 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 대상을 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, haptoglobin, reticulocyte 정상 범위 등의 범혈구감소증 소견이 용혈을 동반한 활성형 혈전미세혈관병증으로 보기 어렵고, 신기능 저하는 신이식 후 거부반응, 면역억제제 등에 의한 것일 가능성이 있으며, CMV 감염이 확인됨. 약물, 감염 등에 의한 이차성 혈전미세혈관병증은 급여기준 제외 대상에 해당하여 위 고시 제1호나목 2)제외대상 마), 바)에 해당하므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 대상을 승인하지 아니함.</p>	불승인
	B	남/76	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2024-55호, 2024. 3. 28.) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 단세포군감마글로불린병으로 관찰 중 다발골수종 진단된 환자로, 신기능 악화 소견이 드물지만 renal TMA의 가능성을 고려하여 비정형 용혈성 요독 증후군 판단하에 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 대상을 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 위 고시 제1호나목 1)투여대상 가)중 (4) ‘lactate dehydrogenase(LDH): 정상 상한치의 1.5배 이상’ 조건에 적합하지 않으며, 신생검 상 비가역적 신손상 소견이 확인되어 투여효과를 기대하기 어려울 것으로 판단됨. 또한, 위 고시 제1호나목 2)제외대상 나) 활동성 악성종양에 해당되어 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 대상을 승인하지 아니함.</p>	불승인

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
2024. 10.	C	여/37	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2024-55호, 2024. 3. 28.) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 전신홍반루푸스 치료 중 신기능 악화로 신생검 상 혈전 미세혈관병증 소견과 유전자 검사 결과를 확인 후 비정형 용혈성 요독 증후군 판단하에 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 대상을 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 위 고시 제1호나목 1)투여대상 가)중 (1)‘혈소판수: 해당 요양기관의 정상 하한치 미만’, (2) 분열적혈구(schistocytes) (4) ‘lactate dehydrogenase(LDH): 정상 상한치의 1.5배 이상’ 조건을 만족하지 않으므로 급여기준 투여대상에서 정한 활성형 혈전미세혈관병증에 해당하지 않음.</p> <p>또한, 면역억제제 등에 의한 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 위 고시 제1호나목 2)제외대상 마)에 해당되어 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 대상을 승인하지 아니함.</p>	불승인
	D	남/39	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2024-55호, 2024. 3. 28.) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 전신홍반루푸스 치료 중 신기능 악화로 신생검 상 혈전 미세혈관병증 소견과 유전자 검사 결과를 확인 후 비정형 용혈성 요독 증후군 판단하에 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 대상을 승인 신청함.</p> <p>이 사례는 생체공여 신이식 후 혈전미세혈관병증이 발생하여 혈장 교환술 지속하였으나 호전이 없어 비정형 용혈성 요독 증후군 판단하에 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 대상을 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, ADAMTS-13 활성 결과가 혈장 교환 이후의 혈액 샘플로 위 고시 제1호나목 1)투여대상 다)에 적합하지 않으며, 신이식 후 급성 거부반응에 의한 신손상을 배제할 수 없음. 또한, 면역억제제 등 약물에 의한 이차성 혈전미세혈관병증은 위 고시 제1호나목 2)제외대상 마)에 해당하여 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 대상을 승인하지 아니함.</p>	불승인

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
2024. 10.	E	여/18	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2024-55호, 2024. 3. 28.) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 기저질환 없던 환자로, 급성 장염으로 입원 중 혈전 미세혈관병증 및 급성 신손상이 발생하여 혈장교환술 치료하였으나 호전되지 않아 비정형 용혈성 요독 증후군 판단하에 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 대상을 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, D-dimer 상승 및 CT 상 감염성 대장염 소견이 확인됨. 감염 등에 의한 이차성 혈전미세혈관병증은 위 고시 제1호나목 2)제외대상 바)에 해당하여 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 대상을 승인하지 아니함.</p>	불승인

○ 모니터링 심의(3사례)

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		심의결과	심의내용
2024. 10.	A	여/32	1	2개월	지속투여 승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2024-55호, 2024. 3. 28.) 제1호나목3)은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등)의 치료 효과 평가 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 급여기준 투여대상에 적합하고 유전자 변이가 확인되지 않은 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 투여 후 혈소판수, haptoglobin, LDH 정상화 및 신기능 개선 확인되어 위 고시 1. 나. 3) 다) 투여유지기준에 적합하여 지속 투여를 승인하며, 추후('25년 2월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>
	B	여/46	1	2개월	지속투여 승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2024-55호, 2024. 3. 28.) 제1호나목3)은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등)의 치료 효과 평가 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 급여기준 투여대상에 적합한 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 투여 후 혈소판수 정상화, haptoglobin 호전 및 신기능 개선 확인되어 지속 투여를 승인하며, 추후('25년 2월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		심의결과	심의내용
2024. 10.	C	여/40	4	18개월	지속투여 승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2024-55호, 2024. 3. 28.) 제1호나목3)은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등)의 치료 효과 평가 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 급여기준 투여대상에 적합하고 CFH 유전자 변이가 확인된 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 투여 후 혈소판수, haptoglobin, LDH 정상화 및 신기능 개선 확인되어 위 고시 1. 나. 3) 다) 투여유지기준에 적합하여 지속 투여를 승인하며, 추후(‘25년 4월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>

□ 발작성 야간 혈색소뇨증(PNH: Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria)

○ 투여중지 모니터링(3사례)

심의년월	연번	성별/나이	모니터링 차수		심의결과	심의내용
2024. 10.	A	남/61	8	48개월	급여 투여중지 모니터링 지속	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2024-55호, 2024. 3. 28.) 제1호가목3)은 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 치료 효과 평가 기준을 명시하고 있고, 위 고시 제1호가목3) 나) (2)는 의학적 정당한 이유 없이 Eculizumab 주사제 투여를 6개월에 3회 이상 받지 않은 경우는 투여를 지속할 수 없다고 규정하고 있음. 이 사례들은 임상시험 전환 대상으로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등)를 급여로 투여하는 것은 중단하나, 이와 유사한 효능의 약제사용이 지속되므로 추후 6개월마다 모니터링을 지속함. 단, 급여로 재투여 하고자 할 때 본 위원회의 심의를 거쳐 그 결정에 따라야 함.
	B	남/81	9	54개월		
	C	남/63	20	120개월		

○ 투여종료 보고(1사례)

심의년월	연번	성별/나이	최초투여일	최종투여일	심의내용
2024. 10.	A	여/44	2016-05-12	2024-09-06	이 사례는 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여 승인 대상자로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 투여를 종료함.

[Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여 대상여부]

□ 발작성 야간 혈색소뇨증(PNH: Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria)

○ 승인신청(3사례)

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
2024. 10.	A	여/66	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2024-55호, 2024. 3. 28.) 제1호는 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 급여기준 투여대상 혈전증에 해당하여 2023년 7월부터 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등)를 요양급여로 투여하던 중 골수검사에서 myelodysplastic neoplasm 확인되어 관련 치료를 위해 2024년 1월 투여 중단한 환자로 최근 LDH 수치가 정상상한치 1.5배 이상 상승되어 Ravulizumab주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여 대상을 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 위 고시 제1호 1)투여대상에 적합하고 2)제외대상에 해당하지 않으므로 Ravulizumab 주사제(품명:울토미리스주 등) 요양급여 신청을 승인하며, 투여 후 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>	승 인
	B	남/72	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2024-55호, 2024. 3. 28.) 제1호는 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 급여기준 투여대상 혈전증에 해당하여 2022년 7월부터 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등)를 요양급여로 투여하던 중 골수검사에서 myelodysplastic neoplasm 확인되어 관련 치료를 위해 2023년 12월 투여 중단한 환자로 최근 LDH 수치 정상상한치 1.5배 이상 지속 및 새로운 혈전증 확인되어 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여 대상을 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 위 고시 제1호 1)투여대상에 적합하고 2)제외대상에 해당하지 않으므로 Ravulizumab 주사제(품명:울토미리스주 등) 요양급여 신청을 승인하며, 투여 후 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>	승 인

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
2024. 10.	C	남/70	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2024-55호, 2024. 3. 28.) 제1호는 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 PNH 과립구 클론 크기 62.28%, LDH 1,164U/L인 환자로서 동반질환 폐부전으로 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여 대상을 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 정상적인 활동의 제한을 초래하는 흉통, 숨가쁨(NewYork Heart Association ClassIII), 폐동맥고혈압이 확인되어 위 고시 제1호 1)투여대상 가)(2)폐부전에 해당한다고 판단되므로 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여 신청을 승인하며, 투여 후 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>	승 인

○ 모니터링 심의(30사례)

심사년월	연번	성별/나이	모니터링 차수		심의 결과	심의내용
2024. 10.	A	여/55	2	12개월	지속투여 승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2024-55호, 2024. 3. 28.) 제1호3)은 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 치료효과 평가기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 위 고시 제1호3) 나)에서 정한 투여 유지기준에 적합하여 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 지속 투여를 승인하며, 추후 모니터링 시 LDH 상승에 대한 소견서를 제출토록 함.</p>
	B	남/67	1	6개월	지속투여 승인	
	C	남/38	1	6개월	지속투여 승인	
	D	남/74	1	6개월	지속투여 승인	
	E	남/35	1	6개월	지속투여 승인	
	F	남/58	1	6개월	지속투여 승인	
	G	남/63	1	6개월	지속투여 승인	

심사년월	연번	성별/나이	모니터링 차수		심의 결과	심의내용
2024. 10.	H	남/31	1	6개월	지속투여 승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2024-55호, 2024. 3. 28.) 제1호 3)은 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 치료효과 평가기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례들은 위 고시 제1호3) 나)에서 정한 투여 유지기준에 적합하여 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 지속 투여를 승인함.</p>
	I	여/64	1	6개월	지속투여 승인	
	J	남/67	2	12개월	지속투여 승인	
	K	여/51	3	18개월	지속투여 승인	
	L	여/64	3	18개월	지속투여 승인	
	M	남/46	4	24개월	지속투여 승인	
	N	남/64	4	24개월	지속투여 승인	
	O	남/71	4	24개월	지속투여 승인	
	P	여/68	5	30개월	지속투여 승인	
	Q	여/51	5	30개월	지속투여 승인	
	R	여/28	5	30개월	지속투여 승인	
	S	남/75	6	36개월	지속투여 승인	
	T	여/83	6	36개월	지속투여 승인	
	U	남/79	6	36개월	지속투여 승인	
	V	남/59	6	36개월	지속투여 승인	
	W	남/63	6	36개월	지속투여 승인	
	X	남/44	6	36개월	지속투여 승인	

심사년월	연번	성별/나이	모니터링 차수		심의 결과	심의내용
2024. 10.	Y	남/70	6	36개월	지속투여 승인	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2024-55호, 2024. 3. 28.) 제1호3)은 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 치료효과 평가기준을 명시하고 있음. 이 사례는 위 고시 제1호3) 나)에서 정한 투여 유지기준에 적합하여 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 지속 투여를 승인하며, 추후 모니터링 시 LDH 상승에 대한 소견서를 제출토록 함.
	Z	여/36	6	36개월	지속투여 승인	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2024-55호, 2024. 3. 28.) 제1호3)은 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 치료효과 평가기준을 명시하고 있음. 이 사례들은 위 고시 제1호3) 나)에서 정한 투여 유지기준에 적합하여 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 지속 투여를 승인함.
	AA	여/29	6	36개월	지속투여 승인	
	AB	여/22	6	36개월	지속투여 승인	
	AC	여/55	6	36개월	지속투여 승인	
	AD	여/37	6	36개월	지속투여 승인	

○ 투여 종료보고(1사례)

심의년월	연번	성별/나이	최초투여일	최종투여일	심의내용
2024. 10	A	여/40	2023-09-12	2024-08-06	이 사례는 동반질환 평활근연축으로 Ravulizumab주사제 (품명: 울토미리스주 등) 요양급여 승인 후 '23.9.12.부터 투여 하였으나 LDH 상승, 혈색소 저하 및 혈관 외 용혈이 확인되어 Pegcetacoplan으로 변경 투여를 위해 '24.8.6. Ravulizumab주사제 (품명: 울토미리스주 등) 마지막 투여 후 종료 보고함.

[2024. 10. 8.~ 10. 10. 솔리리스주 등 · 울토미리스주 등 분과위원회(응급서면)]
 [2024. 10. 15.~ 10. 17. 솔리리스주 등 · 울토미리스주 등 분과위원회(응급서면)]
 [2024. 10. 29. 중앙심사조정위원회]

[2024. 10. 21.~ 10. 24. 솔리리스주 등 · 울토미리스주 등 분과위원회(정규서면)]
 [2024. 10. 28.~ 10. 29. 솔리리스주 등 · 울토미리스주 등 분과위원회(응급서면)]
 [2024. 11. 12. 중앙심사조정위원회]