

□ Nusinersen sodium 주사제(품명: 스피라자주) 영양급여 대상 여부

- 위원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2019-69호, 2019. 4. 8.시행)에 따라 스피라자주 영양급여 여부를 결정하는 사전승인제도를 실시하고 있음.
- 「Nusinersen sodium 주사제(품명: 스피라자주) 사전승인 등에 관한 세부사항」 건강보험심사평가원 공고(제2019-107호, 2019. 4. 8.시행)에 의거하여
 1. 스피라자주의 영양급여를 신청하고자 하는 경우에는 별지 제1호 서식에 따른 스피라자주 영양급여 신청서를 제출하여야 함(제3조제1항).
 2. 스피라자주 영양급여를 승인받은 경우 4개월마다 유지용량 투여 전 별지 제2호 서식에 따른 모니터링 보고서를 제출하여야 함(제7조제1항).
 3. 사전승인 신청기관은 영양급여대상으로 승인받은 경우 심의결과를 통보 받은 날부터 60일 이내에 스피라자주를 투여하여야 하고, 60일을 경과하여 투여하고자 하는 경우에는 재신청하여야 함(제3조제3항).

□ 스피라자주 영양급여 대상여부(28사례)

(단위: 건)

합계	스피라자주 영양급여 신청					스피라자주 투여 모니터링 보고					
	소계	승인	조기부 승인	불승인	자료 보완	소계	승인	조기부 승인	불승인	자료 보완	종료
28	3	1	-	-	2	25	23	-	2	-	-

가. 스피라자주 영양급여 신청(3사례)

- 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항 (약제)」 보건복지부 고시 (제2019-69호, 2019. 4. 8. 시행) 별지2의 세부인정기준 및 방법 제1호 가.목에서는 스피라자주의 투여대상으로 5q 척수성 근위축증 환자로써
 - 1) 5q SMN-1 유전자의 결손 또는 변이의 유전자적 진단, 2) 만 3세 이하에 SMA 관련 임상 증상과 징후 발현, 3) 영구적 인공 호흡기를 사용하고 있지 않는 경우 모두를 만족 하는 경우에 인정하고 있음.

심의년월	사례	성별/나이	SMA type	심의결과	심의내용
2021. 10.	A	여/1세	2	승인	이 건은 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 (보건복지부 고시 제2019-69호, 2019. 4. 8.시행) 별지2의 세부인정기준 및 방법에 부합하므로 스피라자주 영양급여 대상으로 승인함.
	B	남/37세	3	자료보완	이 건은 5q SMN-1 유전자 결손이 확인된 사례로, 제출된 자료만으로는 만 3세 이하에 척수성 근위축증 관련 임상 증상과 징후 발현 여부가 명확하게 확인이 되지 않아 이에 대한 자료보완을 요함.
	C	남/30세	2	자료보완	이 건은 5q SMN-1 유전자 결손이 확인된 사례로,

심의년월	사례	성별/나이	SMA type	심의결과	심의내용
					<p>환자 질병 경과가 오래 되었고, Scoliosis 있으므로, 안정적으로 intrathecal injection을 받을 수 있는지 확인이 필요하여 자료보완을 요구함.</p> <p>1. 척수강 조영술(Myelography) 사진 및 판독 결과</p> <p>2. 최근(진단 시) 운동기능검사(HFMSE) 결과지</p> <p>또한, SMN2 copy 수 확인이 불가하므로 제출을 요함.</p>

나. 스핀라자주 투여 모니터링 보고-투여 유지여부(25사례)

심의년월	사례	성별/나이	SMA type	최초투여일	예정 차수	심의 결과	심의내용
2021. 10.	D	여/3세	1	'18.8.30.	13	승인	<p>이 건은 제출된 운동 기능평가 결과 직전 평가시점과 비교하여 <u>운동기능의 유지 또는 개선이 확인되는 등 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항 (약제)」 보건복지부 고시(2019-69호, 2019. 4. 8.시행) 별지2의 세부인정기준 및 방법 제1호 다.목에서 정한 중단기준에 해당하지 아니하여, 급여기준에 부합하므로 스핀라자주를 요양급여 대상으로 인정함.</u></p>
	E	남/4세	1	'18.9.13.	13	승인	
	F	여/1세	1	'00.1.0.	5	승인	
	G	여/4세	2	'19.5.15.	11	승인	
	H	남/11세	2	'19.5.28.	11	승인	
	I	여/18세	2	'19.7.22.	10	승인	
	J	남/13세	2	'19.8.8.	10	승인	
	K	여/8세	2	'19.8.9.	10	승인	
	L	남/10세	2	'19.8.1.	9	승인	
	M	남/24세	2	'19.9.2.	10	승인	
	N	여/22세	2	'20.1.15.	9	승인	
	O	남/16세	2	'20.1.16.	9	승인	
	P	여/27세	2	'20.3.3.	8	승인	
	Q	남/17세	2	'20.5.6.	8	승인	
	R	남/18세	2	'20.4.22.	8	승인	
	S	남/21세	2	'20.5.21.	8	승인	
	T	남/31세	2	'20.5.13.	8	승인	
	U	여/25세	3	'19.7.2.	10	승인	
	V	여/24세	3	'19.8.5.	10	승인	
	W	여/26세	3	'20.1.9.	9	승인	
	X	남/17세	3	'19.12.16.	9	승인	
	Y	여/10세	1	'18.5.23.	13	승인	<p>이 건은 제출된 운동기능평가 결과 직전 평가시점과 비교하여 <u>운</u></p>

심의년월	사례	성별/나이	SMA type	최초투여일	예정 차수	심의 결과	심의내용
							<p>동기능의 유지 또는 개선이 확인 되는 등 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항 (약제)」 (보건복지부 고시 2019-69호, 2019. 4. 8.시행) 별지2의 세부인정기준 및 방법 제1호 다.목에서 정한 중단기준에 해당하지 아니하여, <u>급여기준에 부합하므로 스피라자주를 요양급여 대상으로 인정함.</u></p>
	Z	여/19세	2	'20.1.8.	9	승인	<p>다만, 스피라자주의 효과 및 지속 치료의 타당성에 대한 보호자 및 환자와의 숙의가 필요하며, 투약의 필요성에 대하여 신중한 고려가 필요함. 또한 다음 모니터링 시 앞으로의 치료 계획을 제출토록 함.</p>
	Z1	여/17세	2	'19.8.27.	10	불승인	<p>제출된 운동기능평가 (HFMSE) 결과 2회 이상 0점 으로, 이는 <u>운동 기능의 유지로 볼 수 없다는 전문가의 의견이 있음.</u></p>
	Z2	남/30세	2	'20.1.15.	9	불승인	<p>이 건은 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항 (약제)」 (보건복지부 고시 2019-69호, 2019. 4. 8.시행) 별지2의 세부인정기준 및 방법 제1호 다.목에서 정한 중단기준 중 <u>운동 기능의 유지 또는 개선을 2회 연속 입증하지 못하였으므로 스피라자주를 요양급여 대상으로 인정하지 아니함.</u></p>