

3. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 및 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 대상여부(57사례)

- 우리원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행 및 제2021-161호, 2021. 6. 7. 시행)에 따라 솔리리스주 및 울토미리스주 요양급여 대상여부를 결정하는 사전승인제도를 실시하고 있음.

○ 「Eculizumab(품명: 솔리리스주) 사전승인에 관한 방법 및 절차」(건강보험심사평가원 공고 제2018-165호, 2018. 7. 1. 시행) 및 「Ravulizumab(품명: 울토미리스주) 사전승인 등에 관한 방법 및 절차」(건강보험심사평가원 공고 제2021-165호, 2021. 6. 7. 시행)에 의거하여
 1. 사전승인 신청기관은 사전승인 신청에 대한 심의결과를 통보 받은 날부터 60일 이내에 솔리리스주 또는 울토미리스주를 투여하여야 함. 다만, 60일을 경과하여 투여하고자 하는 경우에는 재신청하여야 함(제4조제2항).
 2. 솔리리스주 또는 울토미리스주의 요양급여 승인을 받은 요양기관은 6개월마다 위 공고 별지 제2호 서식에 따른 모니터링 보고서를 작성하여 우리원에 제출하여야 함. 또한, 솔리리스주 비정형 용혈성 요독 증후군의 경우 위 공고 별지 제3호 서식에 따라 치료 시작 후 2개월에 초기 모니터링 보고서를 추가 제출하여야 함(제8조제1항). 모니터링 보고서를 부득이한 사유로 제출 할 수 없는 경우에는 1회(15일)에 한하여 자료제출 기간을 연장할 수 있음(제8조제2항).

□ 심의결과

(단위: 사례)

심의년월	약제명	상병명	전체	승인신청			재심의 승인신청		이의신청		모니터링		보고
				승인	불승인	자료보완	승인	불승인	인정	기각	승인	불승인	
총계			57	4	8	1	0	2	0	0	35	2	4
2022. 6.	솔리리스주	발작성 야간 혈색소뇨증	13	1	0	0	-	-	-	-	9	1	2
		비정형 용혈성 요독 증후군	19	0	8	0	0	2	0	0	8	1	0
	울토미리스주	발작성 야간 혈색소뇨증	25	3	1	1	-	-	-	-	18	0	2

[Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 대상여부]

□ 발작성 야간 혈색소뇨증(PNH: paroxysmal nocturnal hemoglobinuria)

○ 승인신청(1사례)

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
2022. 6.	A	여/32	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)” 의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호가목은 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 PNH 과립구 클론 크기 97.8%, LDH 4416IU/L인 환자로서 동반질환 평활근연축으로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 마약성 진통제가 필요한 중증의 재발성 통증 에피소드가 확인되어 위 고시 제1호가목1)투여대상 가) (4)평활근 연축에 적합하다고 판단되므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 승인 하며, 투여 후 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>	승인

○ 모니터링 보고(7사례)

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		심의결과	심의내용
2022. 6.	A	남/76	2	12개월	지속투여 승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)” 의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호가목3)은 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 치료효과 평가 기준을 명시하고 있고, 이 사례는 위 고시 제1호가목3) 나)에서 정한 투여 유지 기준에 적합하여 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 지속 투여를 승인함.</p> <p>추후('22년 12월) 6개월 모니터링 보고 시 폐부전 경과 관련 의무기록 함께 제출토록 함.</p>

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		심의결과	심의내용
	B	여/50	6	36개월	지속투여 승인	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호가목3)은 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 치료효과 평가 기준을 명시하고 있고, 이 사례는 위 고시 제1호가목3) 나)에서 정한 투여 유지 기준에 적합하여 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 지속 투여를 승인함. 추후('22년 12월) 6개월 모니터링 보고 시 ferritin 혈액검사 결과 제출토록 함.
	C	여/42	8	48개월	지속투여 승인	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호가목3)은 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 치료효과 평가 기준을 명시하고 있고, 이 사례들은 위 고시 제1호가목3) 나)에서 정한 투여 유지 기준에 적합하여 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 지속 투여를 승인함.
	D	여/57	11	66개월	지속투여 승인	
	E	여/42	12	72개월	지속투여 승인	
	F	남/41	16	96개월	지속투여 승인	
	G	남/47	18	108개월	지속투여 불승인	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호가목3)은 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 치료효과 평가 기준을 명시하고 있음. 이 사례는 의학적 정당한 이유 없이 솔리리스주 투여를 6개월에 3회 이상 받지 않은 사례로, 위 고시 제1호가목3) 나)에서 정한 투여 유지 기준에 해당되지 않아 모니터링 신청을 불승인함.

○ 투여중지 모니터링(3사례)

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수	심의결과	심의내용
2022. 6.	A	남/64	13차	급여 투여중지 모니터링 지속	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호가목3)은 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 치료효과 평가 기준을 명시하고 있고, 위 고시 제1호가목3) 나) (2)는 의학적 정당한 이유없이 솔리리스주 투여를 6개월에 3회 이상 받지 않은 경우는 투여를 지속할 수 없다고 규정하고 있음. 이 사례들은 임상시험 전환 대상으로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 급여로 투여하는 것은 중단하나, 이와 유사한 효능의 약제사용이 지속되므로 추후 6개월마다 모니터링을 지속함. 단, 급여로 재투여하고자 할 때는 본 위원회의 심의를 거쳐 그 결정에 따라야 함.
	B	여/42	15차		
	C	여/44	16차		

○ 보고사항(2사례)

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수	심의결과	보고내용
2022. 6.	A	남/58	7차	투여종료	이 사례는 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 승인 대상자로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 종료함.
	B	여/48	2차	투여종료	

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

○ 승인신청(8사례)

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
2022. 6.	A	남/76	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 원발담즙성담관염으로 간이식 2회 시행 후, 만성신부전에 동반된 급성신부전으로 외래 추적관찰 중 2022년 4월 혈청 크레아틴의 급격한 상승을 동반한 빈혈, 혈소판감소증 확인되어 활성화형 혈전미세혈관병증 소견으로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>이 사례는 정형외과 수술 후 지속되는 림프 증상으로 입원하여 시행한 혈액검사 결과 상 활성화형 혈전미세혈관병증 및 급성신손상 소견 보여 혈액투석 시행하며 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 혈소판 수가 정상하한치 이상이며, 분혈적혈구 음성으로 위 고시 제1호나목 1)투여대상에서 정한 활성화형 혈전미세혈관병증에 적합하지 않음. 또한, 진료기록지상 CRP 상승, NSAIDS 약제 사용 등 참고하여 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 위 고시 제1호나목 2)제외대상에 해당되므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.</p>	
	B	여/28	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 원발담즙성담관염으로 간이식 2회 시행 후, 만성신부전에 동반된 급성신부전으로 외래 추적관찰 중 2022년 4월 혈청 크레아틴의 급격한 상승을 동반한 빈혈, 혈소판감소증 확인되어 활성화형 혈전미세혈관병증 소견으로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 간이식 및 면역억제제 사용 등으로 인한 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 위 고시 제1호나목 2)제외대상에 해당함. 또한, 5월 31일 이후 분혈적혈구 음성 확인되어 위 고시 제1호나목</p>	불승인

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
			1)투여대상에서 정한 활성형 혈전미세혈관병증에 적합하지 않으므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.	
	C	남/59	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)” 의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 백신 접종 후 발생한 전신쇠약, 호흡곤란으로 시행한 검사상 활성형 혈전미세혈관병증 진단되어 투석 시행하며 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 자가면역항체 양성 소견으로 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 위 고시 제1호나목 2)제외대상에 해당하므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.</p>	불승인
	D	남/63	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)” 의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 원발 질환 IgA 신증으로 2016년 신장 이식 후 혈액검사 상 혈전미세혈관병증 소견을 보이고 신기능 악화가 지속되어 혈장교환술을 시행하며 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료 기록을 확인한 결과, 원발 질환의 만성적 경과 및 면역억제제 사용에 따른 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 위 고시 제1호나목 2)제외대상에 해당하므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.</p>	불승인
	E	여/44	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)” 의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 2010년 췌장, 신장 동시 이식 후 두통, 전신</p>	불승인

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
			<p>기력저하로 입원 후 시행한 혈액 검사 상 혈전미세혈관 병증 및 신장 기능 저하로 투석 시행하며 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료 기록을 확인한 결과, 항체 매개성 거부반응, 이식 및 면역억제제 사용에 따른 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 위 고시 제1호나목 2)제외대상에 해당하므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.</p>	
	F	남/43	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 기저질환으로 고혈압이 있던 환자로서 전신 위약감, 오심, 호흡곤란, 황달로 입원 후 시행한 혈액검사 상 혈전미세혈관병증 및 신부전이 확인되어 투석 및 혈장 교환술 시행하며 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료 기록을 확인한 결과, 최근 혈소판수 정상 하한치 이상으로 위 고시 제1호나목 1)투여대상에서 정한 활성형 혈전미세혈관병증에 적합하지 않음. 또한, 신장 기능 손상은 조절되지 않는 혈압에 의한 만성신부전 양상으로 판단되어 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.</p>	불승인
	G	남/45	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 말기신부전으로 2022년 5월 신장 이식 시행 후 신기능 저하 확인되어 입원 후 시행한 검사 상 혈전미세혈관병증 소견을 보이고 급격한 신기능 소견 확인되어 혈장교환술을 시행하며 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료 기록을 확인한 결과, 면역억제제 사용, 항체 매개성 거부반응, 감염 등으로 발생한 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 위 고시 제1호나목 2)제외대상에 해당하므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양</p>	불승인

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
			급여 신청을 불승인함. 추후 재심의 승인신청 시, 과거 비정형 용혈성 요독 증후군 발현 당시 조직검사 및 혈액검사 등 의무기록을 제출토록 함.	
	H	여/63	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음. 이 사례는 복합 교원성 질환과 병발한 간질성 폐질환으로 2021년 7월 폐이식 시행 후 호흡곤란 주소로 응급실 방문 후 시행한 검사상 급성 신손상 및 혈전미세혈관병증 소견 확인되어 투석, 혈장교환술 시행하며 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 승인 신청함. 제출된 진료 기록을 확인한 결과 감염 및 폐이식, 자가 면역 관련 기저질환, 면역억제제 사용 등으로 발생한 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 위 고시 제1호나목 2)제외 대상에 해당하므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.	불승인

○ 재심의 승인신청(2사례)

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
2022. 6.	A	남/42	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음. 이 사례는 지난 분과위원회에서(2022년 4월) 신장이식 후 면역억제제 사용, 항체 매개성 거부반응에 수반된 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 급여기준 제외대상에 해당되고, 혈소판수 정상하한치 이상에서 정상하한치 미만으로 감소됨과 더불어 LDH 정상 상한치 1.5배 미만으로 회복되어 급여기준 투여대상에서 정한 활성형 미세혈관병증에 적합하지 않아 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인한 사례임. 이후 신장 기능 지속 악화되며, 분혈적혈구 검출, 헤모글로빈 및 혈소판 감소, LDH 상승 지속되어 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 재심의 승인 신청함. 추가 제출된 진료기록을 확인한 결과, 혈소판수 정상하한치 이상이며 LDH 정상 상한치의 1.5배 미만으로 위 고시	불승인

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
			제1호나목 1)투여대상에서 정한 활성형 혈전미세혈관병증에 적합하지 않음. 또한, 면역억제제 사용 지속되며 신장 조직검사 상 IgA 신증, 항체 매개성 거부반응에 수반된 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 위 고시 제1호나목 2)제외대상에 해당하므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.	
	B	여/28	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)” 의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 지난 분과위원회에서(2022년 6월) 간이식 및 면역억제제 사용 등으로 인한 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되고, 진단 시 LDH 정상, 분열적혈구 음성 확인되어 급여기준 투여대상에서 정한 활성형 혈전미세혈관병증에 적합하지 않아 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청 불승인한 사례임.</p> <p>이후 신장 기능 지속 악화되며, 빈혈, 혈소판감소 지속되어 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 재심의 승인 신청함.</p> <p>추가 제출된 진료기록을 확인한 결과, 분열적혈구 음성, LDH 정상 상한치의 1.5배 미만으로 위 고시 제1호나목 1)투여대상에서 정한 활성형 혈전미세혈관병증에 적합하지 않음. 또한, 간이식 및 면역억제제 사용 등으로 인한 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 위 고시 제1호나목 2)제외대상에 해당하므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.</p>	불승인

○ 모니터링 심의(9사례)

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		심의결과	심의내용
2022. 6.	A	여/35	1	2개월	지속투여 승인	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)” 의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목3)은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)의 치료 효과 평가 기준을 명시하고 있음.

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		심의결과	심의내용
						이 사례는 급여기준 투여대상에 적합하여 승인된 이후 비정형 용혈성 요독 증후군과 관련된 유전자 변이가 확인되지 않은 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈소판수, LDH 호전 확인되어 지속 투여를 승인함. 단, 추후('22년 10월) 6개월 모니터링 보고 시 혈액투석 지속에 대한 소견서를 함께 제출토록 하며, 투여 지속 여부를 평가하겠음.
	B	여/28	1	2개월	지속투여 승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목3)은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)의 치료 효과 평가 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 급여기준 투여대상에 적합하여 승인된 이후 비정형 용혈성 요독 증후군과 관련된 유전자 변이가 확인되지 않은 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈액검사 결과 상 호전 확인되지 않으나 지연반응 가능성 있어 지속 투여를 승인함. 단, 추후('22년 10월) 6개월 모니터링 보고 시 혈액투석 지속에 대한 소견서를 함께 제출토록 하며, 투여 지속 여부를 평가하겠음.</p>
	C	남/1	1	2개월	지속투여 승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목3)은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)의 치료 효과 평가 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 급여기준 투여대상에 적합하여 승인된 이후 비정형 용혈성 요독 증후군과 관련된 유전자 변이가 확인되지 않은 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈소판수, haptoglobin 정상화</p>

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		심의결과	심의내용
						및 신장 기능 개선 확인되어 지속 투여를 승인하며, 추후('22년 10월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.
	D	여/57	2	6개월	지속투여 승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 "Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)" 의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목3)은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)의 치료 효과 평가 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 급여기준 투여대상에 적합하여 승인된 이후 비정형 용혈성 요독 증후군과 관련된 유전자 변이가 확인되지 않은 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈소판수, haptoglobin, LDH 정상화 및 신장 기능 개선 확인되어 지속 투여를 승인하며, 추후('22년 12월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>
	E	남/68	2	6개월	지속투여 승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 "Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)" 의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목3)은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)의 치료 효과 평가 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 급여기준 투여대상에 적합하여 승인된 이후 비정형 용혈성 요독 증후군과 관련된 유전자 변이가 확인되지 않은 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈소판수, LDH 정상화 및 신장 기능 유지 확인되어 지속 투여를 승인하며, 추후('22년 12월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>
	F	남/73	3	12개월	지속투여 승인	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 "Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)" 의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		심의결과	심의내용
						제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목3)은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)의 치료 효과 평가 기준을 명시하고 있음. 이 사례는 급여기준 투여대상에 적합하여 승인된 이후 비정형 용혈성 요독 증후군과 관련된 유전자 변이가 확인되지 않은 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈소판수, LDH 정상화 및 신장 기능 유지 확인되어 지속 투여를 승인하며, 추후('22년 12월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.
	G	남/54	3	12개월	지속투여 불승인	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목3)은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)의 치료 효과 평가 기준을 명시하고 있음. 이 사례는 급여기준 투여대상에 적합하여 승인된 이후 CFH 유전자 변이가 확인된 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여에도 신기능이 악화되어 주 3회 혈액 투석을 지속하고 있어 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여중단기준에 해당되므로 지속 투여를 불승인함.
	H	여/39	4	18개월	지속투여 승인	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목3)은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)의 치료 효과 평가 기준을 명시하고 있음. 이 사례는 급여기준 투여대상에 적합하여 승인된 이후 CFH 유전자 변이가 확인된 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈소판수, haptoglobin, LDH 정상화 및 신장 기능 개선

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		심의결과	심의내용
						확인되어 지속투여를 승인하며, 추 후('22년 12월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.
	I	여/7	5	24개월	지속투여 승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)” 의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-337호, 2022. 1. 1. 시행) 제1호나목3)은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)의 치료 효과 평가 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 급여기준 투여대상에 적합하여 승인된 이후 비정형 용혈성 요독 증후군과 관련된 유전자 변이가 확인되지 않은 요양급여 승인 환자임.</p> <p>Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈소판수, haptoglobin, LDH 정상화 및 신장 기능 개선 확인되어 지속투여를 승인하며, 추 후('22년 12월) 6개월 모니터링 보고서를 제출 토록 함.</p>

[Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 대상여부]

□ 발작성 야간 혈색소뇨증(PNH: paroxysmal nocturnal hemoglobinuria)

○ 승인신청(5사례)

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
2022.6.	A	여/82	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-161호, 2021. 6. 7. 시행) 제1호는 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 PNH 과립구 클론 크기 66%(2018년 검사 시행), LDH 912IU/L인 환자로서 동반질환 혈전증 및 폐부전으로 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 치료적 항응고제 투여가 필요한 뇌경색 및 정상적인 활동의 제한을 초래하는 흉통, 숨가쁨(New York Heart Association Class IV), 폐동맥 고혈압 확인되나, 위 고시 제1호1)투여대상가)에서 정한 PNH granulocyte clone size 최근 검사 결과 확인되지 않아 자료보완하도록 함. 추후 심의 시 PNH granulocyte clone size 추가 검사 자료를 제출토록 함.</p>	자료보완
	B	남/73	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-161호, 2021. 6. 7. 시행) 제1호는 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 PNH 과립구 클론 크기 94.94%, LDH 1076IU/L인 환자로서 동반질환 신부전으로 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, $eGFR \leq 60 \text{ mL/min/1.73 m}^2$, MRI 검사결과 Hemosiderin 침착이 확인되어 위 고시 제1호 1)투여대상가)(3)신부전에 적합하다고 판단되므로 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 신청을 승인하며, 투여 후 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>	승인

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
	C	남/70	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-161호, 2021. 6. 7. 시행) 제1호는 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 PNH 과립구 클론 크기 91.63%, LDH 864IU/L인 환자로서 동반질환 혈전증으로 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 치료적 항응고제 요법이 필요했던 혈전증 기왕력 확인되어 위 고시 제1호1)투여대상가)(1)혈전증에 적합하다고 판단되므로 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 신청을 승인하며, 투여 후 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>	승인
	D	남/66	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-161호, 2021. 6. 7. 시행) 제1호는 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 PNH 과립구 클론 크기 72.67%, LDH 575IU/L인 환자로서 동반질환 신부전으로 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 호중구수 $0.5 \times 10^9/L$ 미만, 혈소판수 $20 \times 10^9/L$ 미만, 망상적혈구 $25 \times 10^9/L$ 미만의 중증의 재생불량성 빈혈 확인되어 위 고시 제1호2)제외대상나)에 해당되므로 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 신청을 불승인함.</p>	불승인
	E	여/42	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-161호, 2021. 6. 7. 시행) 제1호는 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 승인 후 6개월 이상 투여 지속하며 LDH 정상 상한치 1.5배 이하인 환자로서 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 위 고시 제1호1)투여대상</p>	승인

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
			나)에 적합하고 위 고시 제1호2)제외대상에 해당되지 않으므로 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 신청을 승인하며, 투여 후 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함. 또한 추후(' 22년 8월 또는 ' 22년 10월) 솔리리스주 투여종료 보고서를 제출토록 함.	

○ 모니터링 보고(18사례)

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수	심의결과	심의내용
2022. 6.	A	여/70	1	6개월	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부 사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2021-161호, 2021. 6. 7. 시행) 제1호3)은 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 치료효과 평가기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례들은 위 고시 제1호3) 나)에서 정한 투여 유지 기준에 적합하여 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 지속 투여를 승인함.</p>
	B	남/48	1	6개월	
	C	여/27	1	6개월	
	D	남/56	1	6개월	
	E	남/61	1	6개월	
	F	남/46	1	6개월	
	G	남/46	1	6개월	
	H	남/48	1	6개월	
	I	남/81	1	6개월	
	J	남/52	1	6개월	
	K	남/28	1	6개월	
	L	남/49	1	6개월	
	M	남/28	1	6개월	
	N	남/55	2	12개월	
	O	여/59	2	12개월	
	P	남/82	2	12개월	
	Q	여/45	2	12개월	
	R	남/67	2	12개월	

○ 투여 종료 보고(1사례)

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수	최종투여일	보고내용
2022. 6.	A	여/38	1차	2022.1.11.	이 건은 급여기준 투여대상에 적합하여 승인된 환자로서 2021.12.28.부터 Ravulizumab 주사제 (품명: 울토미리스주) 투여하였음. 이후 혈소판 감소증 지속되며 뇌내출혈 발생, 상태 악화로 사망하여 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리 스주) 투여 종료함.

○ 미투여 보고(1사례)

심의년월	사례	성별/나이	요양급여 승인일	미투여보고일	보고내용
2022. 6.	A	남/47	2021.12.24.	2022.6.15.	환자 개인사유로 울토미리스주 미투여함을 확인함.

[2022.6.8.~ 2022.6.13. 솔리리스주 분과위원회, 2022.6.28. 중앙심사조정위원회]

[2022.6.16.~6.21. 솔리리스주 분과위원회, 2022.6.23. 솔리리스주 및 울토미리스주 분과위원회,
2022.6.29.~7.4. 솔리리스주 분과위원회, 2022.6.29.~2022.7.4. 솔리리스주 분과위원회, 2022.7.12. 중앙심사조정위원회]