

□ Nusinersen sodium 주사제(품명: 스피라자주) 및 Risdiplam 경구제(품명: 에브리스티건조시럽) 영양급여 대상 여부(46사례)

- 우리원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1.시행)에 따라 스피라자주 및 에브리스티건조시럽 영양급여 여부를 결정하는 사전승인제도를 실시하고 있음.
- 「Nusinersen sodium 주사제(품명: 스피라자주) 및 Risdiplam 경구제(품명: 에브리스티건조시럽) 사전승인 등에 관한 세부사항」 건강보험심사평가원 공고 (제2023-236호, 2023. 10. 1. 시행)에 의거하여
 1. 영양급여를 신청하고자 하는 경우에는 별지 제1호 서식에 따른 영양급여 신청서를 제출하여야 함(제3조제1항).
 2. 사전승인 신청기관은 영양급여대상으로 승인받은 경우 심의결과를 통보 받은 날부터 60일 이내에 투여하여야 하고, 60일을 경과하여 투여하고자 하는 경우에는 재신청하여야 함(제3조제2항).
 3. 스피라자주 영양급여를 승인받은 경우 4개월마다 유지용량 투여 전 별지 제2호 서식에 따른 모니터링 보고서를 제출하여야 함(제7조제1항).
 4. 에브리스티건조시럽 영양급여를 승인받은 경우 4개월마다 별지 제2호 서식에 따른 모니터링 보고서를 제출하여야 함(제7조제2항).

□ 스피라자주 영양급여 대상여부(41사례)

(단위: 사례)

전체	요양급여 신청				투여 모니터링 보고				이의신청			
	소계	승인	자료 보완	불승인	소계	승인	자료 보완	불승인	소계	인정	자료 보완	기각
41	8	4	1	3	33	33	0	0	0	0	0	0

□ 에브리스티건조시럽 영양급여 대상여부(5사례)

(단위: 사례)

전체	요양급여 신청				투여 모니터링 보고				이의신청			
	소계	승인	자료 보완	불승인	소계	승인	자료 보완	불 승인	소계	인정	자료 보완	기각
5	5	0	0	5	0	0	0	0	0	0	0	0

1. 스피라자주 영양급여 대상여부(41사례)

가. 스피라자주 투여 영양급여 신청(8사례)

심의년월	사례	성별	나이	SMA type	심의 결과	심의내용
2023. 12.	A	남	1세 5개월	2	승인	급여기준(보건복지부 고시 제2023-184호, 2023.10.1. 시행)의 투여대상에 부합하므로 스피라자주 영양급여 대상으로 승인함.
	B	남	35세	3	승인	
	C	여	41세	3	승인	
	D	남	39세	3	승인	

	E	여	43세	2	자료 보완	이 건은 5q SMN-1 유전자 결손이 확인된 사례로 척추성 근위축증 type2에 해당하는 증상과 징후의 발현에 대한 자료보완이 필요하다는 위원회 의견에 따라 2008년 의무기록지에 기재된 진행성 근이영양증에 대한 의무기록을 제출토록 함.
	F	남	32세	2	불승인	이 건은 제출된 운동기능평가(HFMSE) 결과 스피라자주 투여 전, 후 점수가 모두 0점으로 운동기능의 유지 또는 개선이라 판단 할 수 없어 불승인 된 건으로 스피라자주 요양급여를 불승인함.
	G	남	28세	2	불승인	이 건은 제출된 운동기능평가(HFMSE) 결과 스피라자주 투여 전, 후 점수가 모두 0점으로 운동기능의 유지 또는 개선이라 판단 할 수 없어 불승인 된 건으로 스피라자주 요양급여를 불승인함.
	H	남	35세	2	불승인	이 건은 제출된 운동기능평가(HFMSE) 결과 동영상에서 획득되었다는 운동기능이 확인되지 않는 등 운동기능의 유지 또는 개선을 2회 연속 입증하지 못하여 불승인된 건으로 스피라자주 요양급여를 불승인함.

나. 스피라자주 투여 모니터링 보고-투여 유지여부(33사례)

심의년월	사례	성별	나이	SMA type	최초투여일	예정 차수	심의 결과	심의내용
2023. 12	I	여	18세 5개월	2	19-06-04	17	승인	급여기준(보건복지부 고시 제 2023-184호, 2023.10.1. 시행)의 투여대상에 부합하고, 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여 대상으로 승인함.
	J	남	15세 8개월	2	19-07-17	17	승인	
	K	여	8세 9개월	2	18-07-09	20	승인	
	L	여	3세 4개월	1	21-01-21	12	승인	
	M	남	2세 2개월	2	23-07-07	5	승인	
	N	남	3세 8개월	1	20-10-16	13	승인	
	O	남	4세 1개월	3	22-06-28	8	승인	
	P	남	5세	2	20-11-12	13	승인	
	Q	남	5세 10개월	2	19-07-25	17	승인	
	R	여	6세 4개월	1	19-03-07	18	승인	

2023. 12.	S	여	6세 5개월	2	19-07-03	17	승인	<p>급여기준(보건복지부 고시 제 2023-184호, 2023.10.1. 시행)의 투여대상에 부합하고, 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여 대상으로 승인함.</p>
	T	남	6세 8개월	2	19-05-14	17	승인	
	U	남	7세 8개월	1	18-05-23	20	승인	
	V	여	7세 10개월	2	19-06-03	17	승인	
	W	여	7세 11개월	2	19-05-28	17	승인	
	X	여	8세 7개월	2	19-06-21	17	승인	
	Y	여	8세 7개월	2	19-06-20	17	승인	
	Z	남	8세 10개월	2	19-07-09	17	승인	
	Z1	여	9세 12개월	2	19-05-29	17	승인	
	Z2	여	10세 5개월	2	19-07-01	17	승인	
	Z3	여	11세 1개월	2	19-10-21	16	승인	
	Z4	여	13세 11개월	2	19-05-21	17	승인	
	Z5	여	13세 11개월	2	19-07-02	17	승인	
	Z6	여	14세 11개월	2	19-10-29	16	승인	
	Z7	여	15세 8개월	2	19-06-04	17	승인	
	Z8	남	16세 8개월	2	19-06-27	17	승인	
	Z9	여	21세	2	20-01-14	15	승인	
	Z10	남	21세	2	19-07-03	17	승인	
	Z11	남	21세	2	19-07-12	17	승인	
	Z12	여	32세	2	21-06-22	11	승인	
	Z13	남	41세	3	22-03-10	9	승인	
	Z14	여	11세 3개월	1	18-04-19	19	승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항 (약제)」 보건복지부 고시(2023-184호, 2023. 10. 1. 시행) 나. 평가방법2)에 의하면 투여</p>

								<p>시점 연령이 생후 24개월을 초과한 경우 운동기능평가도구는 HFMSE를 사용토록 명시함.</p> <p>운동기능평가(HFMSE) 점수 총점이 직전 평가시점의 운동기능평가와 비교시 0점으로 스피라자주 치료로 인한 운동기능의 유지 또는 개선으로 보기 어렵다는 분과위원회의 의견에 따라 19차 요양급여 신청은 승인하되 다음 모니터링 시 운동기능의 유지 또는 개선이 없을 경우 종단을 고려 할 수 있음.</p>
Z15	여	12세 4개월	1	18-05-23	19	승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항 (약제)」 보건복지부 고시(2023-184호, 2023. 10. 1.시행) 나. 평가방법2)에 의하면 투여 시점 연령이 생후 24개월을 초과한 경우 운동기능평가도구는 HFMSE를 사용토록 명시함.</p> <p>운동기능평가(HFMSE) 점수 총점이 직전 평가시점의 운동기능평가와 비교시 1점으로 스피라자주 치료로 인한 운동기능의 유지 또는 개선으로 보기 어렵다는 분과위원회의 의견에 따라 19차 요양급여 신청은 승인하되 다음 모니터링 시 운동기능의 유지 또는 개선이 없을 경우 종단을 고려 할 수 있음.</p>	

2. 에브리스디건조시럽 요양급여 대상여부(5사례)

가. 에브리스디건조시럽 요양급여 신청(5사례)

심의년월	사례	성별	나이	SMA type	심의 결과	심의내용
2023. 12.	Z16	남	31세	3	불승인	이 건은 제출된 자료로 척수성 근위축증 type 1~3에 해당되는 증상과 징후 발현 시점이 명확하게 확인되지 않아 급여기준(보건복지부 고시 제2023-184호, 2023.10.1. 시행)의 투여 대상에 부합하지 않으므로 에브리스디건조시럽 요양급여 대상으로 승인하지 아니함.
	Z17	남	40세	2	불승인	이 건은 제출된 운동기능평가(HFMSE) 결과 스피라자주 투여 전, 후 점수가 모두 0점으로 운동기능의 유지 또는 개선이라 판단 할 수 없어 불승인 된 건으로 스피라자주 투여 중 운동기능의 유지 또는 개선이 확인되지 않아 스피라자주에서 에브리스디건조시럽으로의 교체투여 대상에 부합하지 않으므로 에브리스디건조시럽의 요양급여를 승인하지 아니함.
	Z18	남	26세	2	불승인	이 건은 제출된 운동기능평가(HFMSE) 동영상에서 획득되었다는 운동기능이 확인되지 않는 등 운동기능의 유지 또는 개선을 2회 연속 입증하지 못하여 불승인된 건으로 스피라자주 투여 중 운동기능의 유지 또는 개선이 확인되지 않아 스피라자주에서 에브리스디건조시럽으로의 교체투여 대상에 부합하지 않으므로 에브리스디건조시럽의 요양급여를 승인하지 아니함.
	Z19	남	32세	2	불승인	이 건은 제출된 운동기능평가(HFMSE) 결과 스피라자주 투여 전, 후 점수가 모두 0점으로 운동기능의 유지 또는 개선이라 판단 할 수 없어 불승인 된 건으로 스피라자주 투여 중 운동기능의 유지 또는 개선이 확인되지 않아 스피라자주에서 에브리스디건조시럽으로의 교체투여 대상에 부합하지 않으므로 에브리스디건조시럽의 요양급여를 승인하지 아니함.
	Z20	여	51세	3	불승인	이 건은 스피라자주 9차 투여 예정 심의에서 요추천자를 통한 경막내 약제투여의 안정성이 확인되지 않아 불승인된 후 2022년 8월부터 투여중인 에브리스디건조시럽을 요양급여로 신청한 건으로 에브리스디건조시럽 투여 중 운동기능의 유지 또는 개선을 2회 연속 입증하지 못하여 급여기준(보건복지부 고시 제2023-184호, 2023.10.1. 시행)의 중단기준에 해당하므로 에브리스디건조시럽의 요양급여를 승인하지 아니함.

[2023. 12. 13. 사전심사분과위원회(스핀라자주 및 에브리스디건조시럽)]

[2023. 12. 26. 중앙심사조정위원회]