

□ Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 및 Ravulizumab(품명: 울토미리스주) 요양급여 대상여부

- 위원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 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 위원에 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	
				승인	불승인	승인	불승인	인정	기각	승인	불승인
총계			95	5	4	1	3	0	1	81	0
2021. 8.	솔리리스주	발작성 야간 혈색소뇨증	69	1	0	-	-	-	-	68	0
		비정형 용혈성 요독 증후군	20	0	3	0	3	0	1	13	0
	울토미리스주	발작성 야간 혈색소뇨증	6	4	1	1	0	-	-	-	-

[Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 대상여부]

□ 발작성 야간 혈색소뇨증(PNH: paroxysmal nocturnal hemoglobinuria)

○ 승인신청(1사례)

심의년월	사례	성별/나이	결정결과	결정내용
2021. 8.	A	여/37	승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 1. 1. 시행) 제1호가목은 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 PNH 과립구 클론 크기 94.64%, LDH 821U/L인 환자로서 동반질환 없이 산후 3개월 이내로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 2021년 6월 25일 출산력이 확인되어 위 고시 제1호가목 1) 마)에서 정한 임신 및 산후 3개월 이내에 적합하다고 판단되므로 산후 3개월 이내까지 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 승인함.</p>

○ 모니터링 심의(3사례)

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		결정결과	결정내용
2021. 8.	A	남/68	1차	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 제2020-305호, 2021. 1. 1. 시행) 제1호가목3)은 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 치료효과 평가 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 2021년 1월 18일부터 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 중인 환자로서 투여 간격을 조절하며 용혈 등 임상경과 호전이 확인되어 지속투여를 승인함. 추후(’22년 2월) 12개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>
	B	남/59	2차	12개월	지속투여 승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및</p>

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		결정결과	결정내용
						<p>방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 1. 1. 시행) 제1호가목3)은 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 치료효과 평가 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 2020년 7월 20일부터 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 중인 환자로서 투여 후 용혈 등 임상경과 호전이 확인되어 지속투여를 승인함. 추후('22년 2월) 18개월 모니터링 보고 시 골수성유증 치료계획 및 조혈모세포이식 판단 관련 소견서를 함께 제출토록하며, 투여 지속여부를 평가하겠음.</p>
	C	남/63	16차	96개월	지속투여 승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 1. 1. 시행) 제1호가목3)은 발작성 야간 혈색소뇨증에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 치료효과 평가 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 2013년 7월 26일부터 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 중인 환자로서 용혈 등 임상경과 호전이 확인되어 지속투여를 승인함. 추후('22년 2월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>

○ 모니터링 보고(6사례)

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		결정결과	결정내용
2021. 8.	A	남/20	3차	18개월	지속투여 승인	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)” 의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 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.
	B	여/69	12차	72개월		
	C	남/78	9차	54개월		
	D	남/48	9차	54개월		
	E	여/79	17차	102개월		
	F	남/76	3차	18개월		

○ 투여중지 모니터링(6사례)

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수	결정결과	결정내용
2021. 8.	A	여/46	6차	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 제2020-305호, 2021. 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	남/45	17차		
	C	남/45	17차		
	D	여/67	17차		
	E	남/52	17차		
	F	남/47	12차		

○ 투여종료 보고(53사례)

사례	성별/나이	모니터링 차수	결정결과	결정내용
A	여/32	8차	투여종료	이 사례들은 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 승인 대상자로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 종료함.
B	여/57	17차		
C	남/35	15차		
D	남/40	16차		
E	남/88	13차		
F	여/77	6차		
G	남/41	17차		
H	여/33	2차		
I	여/39	16차		
J	남/60	13차		
K	여/52	17차		
L	여/39	8차		
M	여/61	12차		
N	남/72	16차		
O	남/54	17차		
P	남/56	17차		
Q	남/40	2차		
R	여/26	17차		
S	남/29	14차		
T	남/60	17차		
U	남/72	18차		
V	여/19	2차		
W	여/53	17차		
X	남/44	11차		
Y	남/60	3차		
Z	남/72	15차		
Z1	남/42	4차		
Z2	여/48	11차		
Z3	여/58	3차		
Z4	여/52	17차		
Z5	남/81	17차		
Z6	남/54	13차		
Z7	여/58	12차		
Z8	남/82	17차		
Z9	여/36	3차		
Z10	남/73	11차		
Z11	여/52	11차		
Z12	남/46	8차		
Z13	여/44	9차		
Z14	여/33	13차		
Z15	남/54	17차		
Z16	남/47	5차		
Z18	남/89	4차		
Z19	남/35	17차		
Z20	여/74	3차		
Z21	남/61	11차		
Z22	남/69	15차		
Z23	여/69	17차		

사례	성별/나이	모니터링 차수	결정결과	결정내용
Z24	여/41	6차		
Z25	남/46	8차		
Z26	남/66	3차		
Z27	남/34	6차		
Z28	남/75	6차		

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

○ 승인신청(3사례)

심의년월	사례	성별/나이	결정결과	결정내용
2021. 8.	A	여/83	불승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 1. 1. 시행) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 설사 및 전신 위약감으로 내원한 환자로서 입원치료 중 미세혈관성 용혈성 빈혈, 혈소판감소증 등 확인되어 비정형 용혈성 요독 증후군으로 진단하며 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 장염소견, 자가면역질환 검사 결과 양성 등 참고하여 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 위 고시 제1호나목 2) 자) 기타 이차성 용혈성 요독 증후군에 해당되므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.</p>
	B	남/51	불승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 1. 1. 시행) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 피부근염으로 면역억제제 복용 등 치료하던 중 혈전미세혈관병증 및 신손상 소견을 보인 환자로서 면역억제제 중단 및 혈장교환술을 시행하였으나 혈전미세혈관병증이 지속되어 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 혈소판수 해당 요양기관 정상 하한치 이상으로 회복되어 위 고시 제1호나목 1) 가)에서 정한 활성형 혈전미세혈관병증에 적합하지 않으며 면역억제제 등 약물로 인한 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 위 고시 제1호나목 2)</p>

심의년월	사례	성별/나이	결정결과	결정내용
				마) 약물에 해당되므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.
	C	여/62	불승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 1. 1. 시행) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 혈소판감소증으로 타병원 추적 관찰 중 신기능 악화, 빈혈 등 소견으로 신장 조직검사위해 입원한 환자로서 신장 조직검사에서 혈전미세혈관병증 소견이 확인되어 비정형 용혈성 요독 증후군으로 진단하며 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 혈소판 수 정상 하한치 이상 및 LDH 정상 상한치 1.5배 미만으로 회복되어 위 고시 제1호나목 1) 가)에서 정한 활성형 혈전미세혈관병증에 적합하지 않으므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.</p>

○ 재심의 승인신청(3사례)

심의년월	사례	성별/나이	결정결과	결정내용
2021. 8.	A	남/45	불승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 1. 1. 시행) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 2021년 7월 분과위원회에서 LDH 정상 상한치 1.5배 미만으로 급여기준 투여대상에서 정한 활성형 혈전미세혈관병증에 적합하지 않으며 자가면역항체 양성, 파중성혈관내응고증 소견 등 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 급여기준 제외대상에 해당되므로 불승인한 건임.</p> <p>이후 anti-U1RNP 검사 양성, 유전자검사 VUS*, 혈장 교환술 중단 후 용혈 및 혈소판감소증 지속 등 환자의 임상양상이 비정형 용혈성 요독 증후군에 의한 것으로 판단되어 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 재심의 승인 신청함.</p> <p>추가 제출된 진료기록을 확인한 결과, 1차 승인신청 결과 통보 이후 LDH 정상 상한치 1.5배 미만 유지 중으로</p>

심의년월	사례	성별/나이	결정결과	결정내용
				위 고시 제1호나목 1) 가)에서 정한 활성형 혈전미세혈관병증에 적합하지 않으며, 자가면역항체 양성 소견 등 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 위 고시 제1호나목 2) 자) 기타 이차성 용혈성 요독 증후군에 해당되므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.
	B	남/33	불승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 1. 1. 시행) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 지난 분과위원회(2019년 4월) 모니터링 심의에서 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 신기능 호전이 확인되지 않아 지속투여를 불승인한 사례임. 이후 복막투석을 유지하며 2021년 9월 신장이식이 예정된 환자로서 용혈 재발위험이 클 것으로 판단되어 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 재심의 승인 신청함.</p> <p>추가 제출된 진료기록을 확인한 결과, Eculizumab 주사제 투여 중단 후 혈소판수 해당 요양기관 정상 하한치 이상, 분열적혈구 음성, LDH 정상 상한치 1.5배 미만으로 유지 중으로 위 고시 제1호나목 1) 가)에서 정한 활성형 혈전미세혈관병증에 적합하지 않으며, 기존 신기능이 저하된 환자에서 eGFR 20% 이상 감소로 확인되지 않아 위 고시 제1호나목 1) 나)에서 정한 신장손상에 적합하지 않음. 따라서 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.</p>
	C	여/83	불승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 1. 1. 시행) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 2021년 8월 분과위원회에서 장염소견, 자가면역질환 검사 결과 양성 등 참고하여 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 급여기준 제외대상에 해당되므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인한 사례임. 이후 자가면역질환 재검결과 및 신장조직검사에서 혈전미세혈관병증 의심소견 등 추가 자료를 첨부하여 Eculizumab</p>

심의년월	사례	성별/나이	결정결과	결정내용
				<p>주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 재심의 승인 신청함. 추가 제출된 진료기록을 확인한 결과, 1차 승인신청 결과 통보 이후 분열적혈구 음성, LDH 정상 상한치 1.5배 미만 유지 중으로 위 고시 제1호나목 1) 가)에서 정한 활성형 혈전미세혈관병증에 적합하지 않으며, eGFR 정상으로 회복되어 위 고시 제1호나목 1) 나)에서 정한 신장손상에 적합하지 않음. 또한, 장염소견 및 영상 검사결과 등 참고하여 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 위 고시 제1호나목 2) 자) 기타 이차성 용혈성 요독 증후군에 해당되므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 재심의 신청을 불승인함.</p>

* VUS: Variant of Uncertain Significance

○ 이의신청(1사례)

심의년월	사례	성별/나이	결정결과	결정내용
2021. 8.	A	남/51	기각	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 1. 1. 시행) 제1호나목은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 지난 분과위원회(2021년 6월)에서 분열적혈구 음성 소견으로 급여기준 투여대상에서 정한 활성형 혈전미세혈관병증에 적합하지 않으며, 자가면역항체 양성소견 등 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 급여기준 제외대상에 해당되므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인한 사례임. 이후 추가 소견서 제출과 함께 분과위원회 결정에 대하여 이의를 제기함.</p> <p>추가 제출된 소견서 및 과거 자료를 재검토한 결과, 2021년 5월 18일 관찰된 분열적혈구는 비정형 용혈성 요독 증후군 진단일인 5월 20일부터 음성으로 확인되어 위 고시 제1호나목 1) 가)에서 정한 활성형 혈전미세혈관병증에 적합하지 않으며, 5월 20일 정상 상한치 이상으로 확인된 혈청 크레아티닌은 5월 22일부터 정상 상한치 미만으로 회복되어 위 고시 제1호나목 1) 나)에서 정한 신장손상에 적합하지 않음. 또한 CRP 상승, 약물투여, 병력 등 참고하여 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 위 고시 제1호나목 2) 마) 약물 및 자) 기타 이차성 용혈성 요독 증후군에 해당됨. 따라서 기존 분과위원회의 불승인 결정이 타당하다고 판단되므로 이의신청을 기각함.</p>

○ 모니터링(13사례)

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		결정결과	결정내용
2021. 8.	A	남/53	1차	2개월	지속투여 승인	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)” 의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 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 정상화 및 신기능 개선이 확인되어 지속 투여를 승인하며, 추후('21년 12월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.
	B	남/72	1차	2개월	지속투여 승인	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)” 의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 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 정상화 및 신기능 개선이 확인되어 지속투여를 승인하며, 추후('21년 12월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.
	C	여/23	2차	6개월	지속투여 승인	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)” 의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 1. 1. 시행) 제1호나목3)은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)의

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		결정결과	결정내용
						<p>치료 효과 평가 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 사례는 급여기준 투여대상에 적합하여 승인된 이후 CFHR5 유전자 변이가 확인된 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈소판수, haptoglobin, LDH 정상화 및 신기능 개선이 확인되어 지속투여를 승인하며, 추후('22년 2월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>
	D	남/36	2차	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 제2020-305호, 2021. 1. 1. 시행) 제1호나목3)은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)의 치료 효과 평가 기준을 명시하고 있음.</p> <p>이 건은 급여기준 투여대상에 적합하여 승인된 이후 CFHR1 유전자 변이가 확인된 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈소판수 및 LDH 정상화가 확인되어 지속투여를 승인함. 단, 추후('22년 2월) 6개월 모니터링 보고 시 혈액투석 지속에 대한 소견서를 함께 제출토록 함.</p>
	E	남/13	3차	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 제2020-305호, 2021. 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 적합하고 CFH 유전자 변이가 확인된 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈소판수 정상화, haptoglobin, LDH 호전 및 신기능 개선이 확인되어 지속투여를 승인하며, 추후('22년 2월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		결정결과	결정내용
	F	남/32	3차	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 제2020-305호, 2021. 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 CFH 유전자 변이가 확인된 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈소판수, haptoglobin, LDH 정상화 및 신기능 개선이 확인되어 지속투여를 승인하며, 추후(‘22년 2월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>
	G	여/58	4차	18개월	지속투여 승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 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 적합하고 CFH 및 CFHR 유전자 변이가 확인된 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 haptoglobin, LDH 호전이 확인되어 지속투여를 승인함. 단, 추후(‘22년 2월) 6개월 모니터링 보고 시 혈액투석 지속에 대한 소견서를 함께 제출토록 함.</p>
	H	남/25	5차	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 제2020-305호, 2021. 1. 1. 시행) 제1호나목3)은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)의 치료 효과 평가 기준을 명시하고 있음.</p>

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		결정결과	결정내용
						이 사례는 급여기준 투여대상에 적합하고 C3 유전자 변이가 확인된 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈소판수, haptoglobin, LDH 정상화 및 신기능 개선이 확인되어 지속투여를 승인하며, 추후('22년 2월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.
	I	남/52	6차	24개월	지속투여 승인	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)” 의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 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 적합하고 비정형 용혈성 요독 증후군의 재발 및 가족력이 확인된 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈소판수, haptoglobin, LDH 정상화 및 신기능 개선이 확인되어 지속투여를 승인하며, 추후('22년 2월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.
	J	여/38	6차	24개월	지속투여 승인	「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)” 의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 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 CFB 유전자 변이가 확인된 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈소판수, haptoglobin, LDH 정상화 및 신기능 개선이 확인되어 지속투여를 승인하며, 추후('22년 2월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		결정결과	결정내용
	K	남/31	6차	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 제2020-305호, 2021. 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 CFH 유전자 변이가 확인된 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈소판수, haptoglobin, LDH 정상화 및 신기능 개선이 확인되어 지속투여를 승인하며, 추후(‘22년 2월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>
	L	남/52	6차	36개월	지속투여 승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 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 적합하고 비정형 용혈성 요독 증후군의 재발 및 가족력, CFH 유전자 변이가 확인된 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈소판수, haptoglobin, LDH 정상화 및 신기능 개선이 확인되어 지속투여를 승인하며, 추후(‘22년 2월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>
	M	여/5	6차	36개월	지속투여 승인	<p>「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 약제 [639] 기타의 생물학적 제제 “Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)”의 세부인정기준 및 방법(보건복지부 고시 제2020-305호, 2021. 1. 1. 시행) 제1호나목3)은 비정형 용혈성 요독 증후군에 대한 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)의</p>

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		결정결과	결정내용
						치료 효과 평가 기준을 명시하고 있음. 이 사례는 급여기준 투여대상에 적합하고 C3 유전자 변이가 확인된 요양급여 승인 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 투여 후 혈소판수 정상화, haptoglobin 및 LDH 호전, 신기능 개선이 확인되어 지속투여를 승인하며, 추후('22년 2월) 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.

[Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 대상여부]

□ 발작성 야간 혈색소뇨증(PNH: paroxysmal nocturnal hemoglobinuria)

○ 승인신청(5사례)

심의년월	사례	성별/나이	결정결과	결정내용
2021.8.	A	남/68	불승인	<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 투여지속 중인 환자로서 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, LDH 정상 상한치의 1.5배 초과로 위 고시 제1호 1) 나)에 적합하지 않으므로 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 신청을 불승인함.</p>
	B	남/76	승인	<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 투여지속하며 LDH 정상 상한치 1.5배 이하인 환자로서 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 위 고시 제1호 1) 투여대상에 적합하고 2) 제외대상에 해당되지 않으므로 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 신청을 승인하며, 투여 후 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함. 또한 추후('21년 10월 또는 12월) 솔리리스주 투여종료 보고서를 제출토록 함.</p>
	C	남/45	승인	<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</p>

심의년월	사례	성별/나이	결정결과	결정내용
	D	남/45	승인	<p>승인 후 투여 중 임상연구로 전환하여 6개월마다 모니터링을 지속하며 LDH 정상 상한치 1.5배 이하인 환자로서 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 위 고시 제1호 1) 투여대상에 적합하고 2) 제외대상에 해당되지 않으므로 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 신청을 승인하며, 투여 후 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함. 또한 추후('21년 10월 또는 12월) Eculizumab 주사제 투여종료 보고서를 제출토록 함.</p>
	E	남/47	승인	

○ 재심의 승인신청(1사례)

심의년월	사례	성별/나이	결정결과	결정내용
2021.8.	A	남/67	승인	<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 지난 분과위원회(2021년 6월)에서 전립선암 및 하지정맥류 병력으로 인해 심부정맥혈전증이 발생하였을 가능성이 높다고 판단되므로 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 신청을 불승인하며, 추후 재심의 신청 시 과거병력의 치료경과를 확인할 수 있는 자료를 함께 제출토록 한 사례임.</p> <p>PNH 과립구 클론 크기 41.1%, LDH 1503IU/L인 환자로서 동반 질환 혈전증으로 과거병력 관련 진료기록지 등 추가 자료를 첨부하여 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주)를 요양급여 재심의 승인 신청함.</p> <p>추가 제출된 진료기록을 확인한 결과, 과거병력과 무관한 치료적 항응고제 요법이 필요한 혈전증이 확인되어 위 고시 제1호 1) 투여대상 가) (1) 혈전증에 적합하다고 판단되므로 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주) 요양급여 신청을 승인하며, 투여 후 6개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>