

진료심사평가위원회 심의사례 공개(총 4항목)

- 2022. 2. 28. 공개

연번	제 목	페이지
1	Nusinersen sodium 주사제(품명: 스피라자주) 요양급여 대상 여부(104사례)	1
2	심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상 여부(9사례)	12
3	Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 및 Ravulizumab(품명: 울토미리스주) 요양급여 대상여부(5사례)	16
4	스트렌식주 요양급여 대상 여부(2사례)	20

## 1. Nusinersen sodium 주사제(품명: 스피라자주) 요양급여 대상 여부

- 우리원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2019-69호, 2019. 4. 8.시행)에 따라 스피라자주 요양급여 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 요양급여를 신청하고자 하는 경우에는 별지 제1호 서식에 따른 스피라자주 요양급여 신청서를 제출하여야 함(제3조제1항).
  2. 스피라자주 요양급여를 승인받은 경우 4개월마다 유지용량 투여 전 별지 제2호 서식에 따른 모니터링 보고서를 제출하여야 함(제7조제1항).
  3. 사전승인 신청기관은 요양급여대상으로 승인받은 경우 심의결과를 통보 받은 날부터 60일 이내에 스피라자주를 투여하여야 하고, 60일을 경과하여 투여하고자 하는 경우에는 재신청하여야 함(제3조제2항).

### □ 스피라자주 요양급여 대상여부(53사례)

(단위: 건)

전체		신청				모니터링				이의신청			
		소계	승인	자료보완	불승인	소계	승인	자료보완	불승인	소계	승인	자료보완	불승인
스피라자주	53	5	3	1	1	43	38	5	-	5	-	5	-

### ○ 스피라자주 요양급여 대상여부(48사례)

#### 가. 스피라자주 요양급여 신청(5사례)

- 「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 만족하는 경우에 요양급여를 인정하고 있음.

심의년월	사례	성별/나이	SMA type	심의결과	심의내용
2021. 12.	A	여/17m	2	승인	이 건은 급여기준(보건복지부 고시 제2019-69호, 2019. 4. 8.시행)에 부합하므로 <u>스피라자주 요양급여 대상으로 승인함.</u>
	B	여/26	2	승인	이 건은 급여기준(보건복지부 고시 제2019-69호, 2019. 4. 8.시행)에 부합하므로 <u>스피라자주 요양급여 대상으로 승인함.</u> <u>다만, 운동기능을 확인할 수 있는 동영상 자료 및 경막내 투여 관련 계획서를 제출토록 함.</u>
	C	남/23	2	자료보완	이 건은 5q SMN-1 유전자 결손이 확인된 사례로, 제출된 자료만으로는 <u>만 3세 이하에 척수성 근위축증 관련 임상 증상과 징후 발현 여부가 명확하게 확인이 되지 않아 이에 대한 자료보완을 요함.</u>

심의년월	사례	성별/나이	SMA type	심의결과	심의내용
	D	여/22	2	승인	이 건은 급여기준(보건복지부 고시 제2019-69호, 2019. 4. 8.시행)에 부합하므로 <u>스핀라자주 요양급여 대상으로 승인함.</u>
	E	남/37	3	불승인	이 건은 제출된 자료만으로는 만 3세 이하에 척수성 근위축증 관련 임상 증상과 징후 발현여부가 명확하게 확인이 되지 않아 자료보완 요청한 건이나, <u>추가로 제출된 자료로 객관적인 입증이 불가함.</u> 이에 <u>급여기준(보건복지부 고시 제2019-69호, 2019. 4. 8.시행)에 부합하지 않아 불승인함.</u>

나. 스핀라자주 투여 모니터링 보고-투여 유지여부(43사례)

심의년월	사례	성별	나이	SMA type	최초투여일	예정차수	심의결과	심의내용
2021. 12.	F	남	11m	1	'21.2.19.	6	승인	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>
	G	남	18m	1	'20.10.16.	7	승인	
	H	여	4	1	'19.3.7.	12	승인	
	I	남	5	1	'18.5.23.	14	승인	
	J	여	40	2	'21.6.29.	5	승인	
	K	여	30	2	'21.6.22.	5	승인	
	L	남	35m	2	'20.11.12.	7	승인	
	M	여	19	2	'20.1.14.	9	승인	
	N	여	25	2	'20.3.4.	9	승인	
	O	여	17	2	'20.3.4.	9	승인	
	P	여	29	2	'20.4.1.	9	승인	
	Q	여	12	2	'19.10.29.	10	승인	
	R	여	9	2	'19.10.21.	10	승인	
	S	여	10	2	'19.10.31.	10	승인	

심의년월	사례	성별	나이	SMA type	최초투여일	예정 차수	심의 결과	심의내용
	T	남	4	2	'19.5.14.	11	승인	
	U	여	5	2	'19.6.3.	11	승인	
	V	여	7	2	'19.5.29.	11	승인	
	W	여	5	2	'19.5.28.	11	승인	
	X	여	6	2	'19.6.21.	11	승인	
	Y	남	14	2	'19.6.27.	11	승인	
	Z	여	8	2	'19.7.1.	11	승인	
	Z1	여	6	2	'19.6.20.	11	승인	
	Z2	여	10	2	'19.5.21.	11	승인	
	Z3	남	19	2	'19.7.12.	11	승인	
	Z4	여	9	2	'19.6.20.	11	승인	
	Z5	여	11	2	'19.7.2.	11	승인	
	Z6	남	19	2	'19.7.3.	11	승인	
	Z7	여	4	2	'19.7.3.	11	승인	
	Z8	남	14	2	'19.7.21.	11	승인	
	Z9	남	13	2	'19.7.17.	11	승인	
	Z10	남	3	2	'19.7.25.	11	승인	
	Z11	남	6	2	'19.7.9.	11	승인	
	Z12	남	5	2	'18.7.6.	14	승인	
	Z13	여	6	2	'18.7.9.	14	승인	
	Z14	여	49	3	'20.6.10.	8	승인	

심의년월	사례	성별	나이	SMA type	최초투여일	예정차수	심의결과	심의내용
	Z15	여	9	1	'18.4.19.	14	승인	이 건은 제출된 운동기능평가 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 스피라자주를 요양급여 대상으로 인정함.</u>
	Z16	여	21	2	'20.6.30.	8	승인	<u>다만, 다음 모니터링 시 앞으로의 치료 계획 및 운동기능을 확인할 수 있는 동영상 자료를 제출토록 함.</u>
	Z17	여	42	3	'20.6.12.	8	승인	이 건은 제출된 운동기능평가 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 스피라자주를 요양급여 대상으로 인정함.</u>  <u>다만, 다음 모니터링 시 신기능 관련 검사결과* 제출을 요함.</u> <u>* 세부항목: eGFR, Cr, UA(Pr/Cr)</u>
	Z18	여	36	2	'20.10.23.	7	자료보완	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 입증할만한</u>
	Z19	남	29	2	'20.12.2.	7	자료보완	

심의년월	사례	성별	나이	SMA type	최초투여일	예정차수	심의결과	심의내용
	Z20	남	26	2	'20.7.1.	8	자료보완	<u>추가적인 자료가 필요하다고 판단함.</u>  <u>이에, 앞으로의 치료 계획 및 운동 기능을 확인할 수 있는 동영상 자료 등 운동기능의 유지 또는 개선을 입증할 수 있는 자료 제출을 요함.</u>
	Z21	남	30	2	'20.7.1.	8	자료보완	
	Z22	남	12	2	'19.10.30.	10	자료보완	

\* 스피라자주 투여 유지 여부는 최초 투여 전, 도입용량(4회) 투여 후 5회 전, 이후 매 투여 전에 임상평가(발달단계, 운동기능, 호흡기능 등)를 실시하여 심의함

\*\* 요양기관에서 제출한 운동기능평가점수 중 고시에 따른 운동기능평가도구로 평가한 점수로 심의

#### ○ 스피라자주 요양급여 대상여부-이의신청(5사례)

##### 가. 스피라자주 투여 모니터링 보고-이의신청(5사례)

심의년월	사례	성별	나이	SMA type	최초투여일	예정차수	심의결과	심의내용
2021. 12.	Z23	여	24	2	'19.9.27.	10	자료보완	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 입증할만한 추가적인 자료가 필요하다고 판단함.</u>
	Z24	여	18	2	'19.8.27.	10	자료보완	
	Z25	남	25	2	'19.9.5.	10	자료보완	
	Z26	여	22	2	'19.9.10.	10	자료보완	<u>이에, 앞으로의 치료 계획 및 운동 기능을 확인할 수 있는 동영상 자료 등 운동기능의 유지 또는 개선을 입증할 수 있는 자료 제출을 요함.</u>
	Z27	남	33	2	'20.10.8.	7	자료보완	

\* 스피라자주 투여 유지 여부는 최초 투여 전, 도입용량(4회) 투여 후 5회 전, 이후 매 투여 전에 임상평가(발달단계, 운동기능, 호흡기능 등)를 실시하여 심의함

\*\* 요양기관에서 제출한 운동기능평가점수 중 고시에 따른 운동기능평가도구로 평가한 점수로 심의

□ 스피라자주 요양급여 대상여부(51사례)

(단위: 건)

전체		신청			모니터링			이의신청		
		소계	승인	불승인	소계	승인	불승인	소계	인정	가각
합계	51	1	1	0	44	39	5	6	1	5

○ 스피라자주 요양급여 대상여부(45사례)

가. 스피라자주 요양급여 신청(1사례)

심의년월	사례	성별	나이	SMA type	심의결과	심의내용
2022. 1.	A	여	20m	II	승인	<p>「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 환자로서 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.</p> <p>이 건은 급여기준(보건복지부 고시 제2019-69호, 2019. 4. 8.시행)에 부합하므로 스피라자주 요양급여 대상으로 승인함.</p>

나. 스피라자주 투여 모니터링 보고-투여 유지여부(44사례)

심의년월	사례	성별	나이	SMA type	최초투여일	예정차수	심의결과	심의내용
2022. 1.	B	여	17m	I	'20.11.27.	7	승인	이 건은 제출된 운동 기능평가 결과 직전 평가시점과 비교하여 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 스피라자주를 요양급여 대상으로
	C	남	4	I	'18.4.7.	15	승인	
	D	여	5	I	'18.4.9.	15	승인	
	E	여	3	II	'21.7.27.	5	승인	
	F	남	20	II	'21.8.5.	5	승인	
	G	남	24	II	'21.8.4.	5	승인	
	H	여	34m	II	'20.11.25.	7	승인	

심의년월	사례	성별	나이	SMA type	최초투여일	예정차수	심의결과	심의내용
	I	여	3	II	'20.7.27.	8	승인	로 승인함.
	J	여	11	II	'20.4.8.	9	승인	
	K	여	19	II	'20.4.1.	9	승인	
	L	남	5	II	'19.12.13.	10	승인	
	M	여	7	II	'19.10.29.	10	승인	
	N	여	22	II	'19.9.10.	10	승인	
	O	여	27	II	'19.12.18.	10	승인	
	P	여	27	II	'19.12.19.	10	승인	
	Q	남	4	II	'19.7.24.	11	승인	
	R	여	4	II	'19.7.22.	11	승인	
	S	여	5	II	'19.8.5.	11	승인	
	T	여	9	II	'19.7.2.	11	승인	
	U	남	10	II	'19.7.13.	11	승인	
	V	남	12	II	'19.6.28.	11	승인	
	W	남	12	II	'19.6.27.	11	승인	
	X	여	13	II	'19.7.29.	11	승인	
	Y	여	15	II	'19.8.12.	11	승인	
	Z	남	30	II	'19.7.22.	11	승인	
	Z1	여	17	III	'20.7.14.	8	승인	
	Z2	남	22	III	'20.4.21.	9	승인	
	Z3	여	23	III	'19.12.4.	9	승인	
	Z4	여	9	III	'19.10.29.	10	승인	
	Z5	여	9	III	'19.7.29.	11	승인	
	Z6	남	18	III	'19.6.21.	11	승인	
	Z7	여	39	III	'19.7.8.	11	승인	
	Z8	남	13	II	'19.10.30.	10	승인	



심의년월	사례	성별	나이	SMA type	최초투여일	예정차수	심의결과	심의내용
	Z9	여	21	II	'20.4.8.	9	승인	<p>이 건은 제출된 운동기능평가 결과 직전 평가시점과 비교하여 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 <u>스핀라자주를 요양급여 대상으로 승인함.</u></p> <p>다만, 다음 모니터링 시 주치의의 진료계획서와 획득된 운동기능을 확인할 수 있는 동영상 자료를 제출토록 함.</p>
	Z10	남	41	II	'20.4.9.	9	승인	
	Z11	여	35	II	'19.11.20.	10	승인	
	Z12	여	36	II	'19.11.20.	10	승인	
	Z13	남	30	II	'20.12.2.	7	승인	
	Z14	여	29	II	'20.4.1.	9	승인	<p>이 건은 제출된 운동기능평가 결과 직전 평가시점과 비교하여 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 <u>스핀라자주를 요양급여 대상으로 승인함.</u></p> <p>다만, 다음 모니터링 시 신기능 관련 검사결과* 제출을 요함. * 세부항목: eGFR, Cr, UA(Pt/Cr)</p>
	Z15	남	20	II	'19.7.30.	11	불승인	<p>제출된 운동기능평가점수는 스핀라자주 투여로 인한 운동기능의 유지 또는 개선이라고 판단할 수 없음.</p> <p>이에, 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 운동 기능의 유지 또는</p>
	Z16	여	36	III	'19.8.13.	11	불승인	
	Z17	여	37	II	'20.10.23.	7	불승인	
	Z18	남	26	II	'20.7.1.	8	불승인	

심의년월	사례	성별	나이	SMA type	최초투여일	예정차수	심의결과	심의내용
	Z19	남	31	II	'20.7.1.	8	불승인	개선을 2회 연속 입증하지 못하였으므로 <u>스핀라자주를 요양급여 대상으로 불승인함.</u>

\* 스피라자주 투여 유지 여부는 최초 투여 전, 도입용량(4회) 투여 후 5회 전, 이후 매 투여 전에 임상평가(발달단계, 운동기능, 호흡기능 등)를 실시하여 심의함

\*\* 요양기관에서 제출한 운동기능평가점수 중 고시에 따른 운동기능평가도구로 평가한 점수로 심의

○ 스피라자주 영양급여 대상여부-이의신청(6사례)

가. 스피라자주 투여 모니터링 보고-이의신청(6사례)

- 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항 (약제)」 보건복지부 고시(2019-69호, 2019. 4. 8.시행)에 의하면, 운동기능의 유지 또는 개선을 2회 연속 입증하지 못하는 경우 스피라자주 투여를 중단토록 정하고 있으며, 이때 운동기능평가도구는 HINE-2 또는 HFMSE를 사용토록 함.

심의년월	사례	성별	나이	SMA type	최초투여일	예정차수	심의결과	심의내용
2022. 1.	Z20	남	33	II	'19.7.30.	10	기각	이 건은 운동기능평가 결과(HFMSE) 2회 이상 0점으로, 이는 운동기능의 유지로 볼 수 없다는 전문가 의견이 있어 불승인된 건임.  <u>이의신청 시 추가로 제출한 자료로는 스피라자주 투여에 따른 운동기능의 유지 또는 개선으로 볼 수 없다고 판단되어 기각함.</u>
	Z21	여	23	I	'19.9.10.	10	기각	이 건은 운동기능평가 결과(HFMSE) 2회 이상 0점으로, 이는 운동기능의 유지로 볼 수 없다는 전문가 의견이 있어 불승인된 건임.  <u>추가로 제출한 자료로는 스피라자주 투여에 따른 운동기능의 유지 또는 개선으로 볼 수 없다고 판단되어 기각함.</u>
	Z22	여	18	II	'19.8.27.	10	기각	
	Z23	남	25	II	'19.9.5.	10	기각	
	Z24	남	34	II	'20.10.8.	7	기각	이 건은 제출된 운동기능평가 점수가 스피라자주 투여로 인한 개선이라고 판단할 수 없어 불승인된 건임.  <u>추가로 제출한 자료로는 스피라자주 투여에 따른 운동기능의 유지 또는 개선으로 볼 수 없다고 판단되어 기각함.</u>

	Z25	여	24	II	'19.9.27.	10	인정	<p>이 건은 제출된 운동기능평가 점수가 스피라자주 투여로 인한 개선이라고 판단할 수 없어 불승인된 건임.</p> <p><u>추가로 제출한 자료로 스피라자주 투여에 따른 운동기능의 유지 또는 개선으로 판단됨.</u></p> <p>이에 「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>스피라자주를 요양급여 대상으로 인정함.</u></p> <p><u>다만, 동 환자는 추후 모니터링마다 획득된 운동기능을 확인할 수 있는 동영상 자료를 제출토록 함.</u></p>
--	-----	---	----	----	-----------	----	----	--

\* 스피라자주 투여 유지 여부는 최초 투여 전, 도입용량(4회) 투여 후 5회 전, 이후 매 투여 전에 임상평가(발달단계, 운동기능, 호흡기능 등)를 실시하여 심의함

\*\* 요양기관에서 제출한 운동기능평가점수 중 고시에 따른 운동기능평가도구로 평가한 점수로 심의

## 2. 심실 보조장치 치료술(VAD\*) 요양급여 대상 여부

- 우리원에서는 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 보건복지부 고시(제2018-210호, 2018. 9. 28.시행)에 따라 심실 보조장치 치료술 요양급여 여부를 결정하는 사전승인제도를 실시하고 있음.
- 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 보건복지부 고시(제2018-210호, 2018. 9. 28.시행)에 의거하여
1. 실시기관은 심실 보조장치 치료술 대상자 사전승인 신청에 대하여 대상자로 결정하는 결과통보(심의일자 기준) 후 3개월 이내에 심실 보조장치 치료술을 실시하여야 함. 다만, 3개월을 경과하여 실시하고자 하는 경우에는 재심의를 신청하여야 함.
  2. 심실 보조장치 치료술(VAD)의 승인을 받은 실시기관은 시술 후 환자상태, 합병증 발생유무, 시술 성공 여부 등에 대한 임상자료를 축적하여 아래 각 경우의 정해진 시점부터 30일 이내에 건강보험심사평가원장에게 제출하여야 함. 다만, 사망, 심장이식 실시 또는 환자 추적 곤란 등으로 더 이상의 임상자료 제출이 어려운 경우에는 사유서를 사유 발생일로부터 30일 이내에 제출하여야 함.
    - 이식형 좌심실 보조장치 치료술: 퇴원 시, 시술 후 6개월, 시술 후 1년 이내, 시술 1년 이후 매 1년마다
    - 체외형 심실 보조장치 치료술: 시술 후 3개월, 이후 퇴원 시까지 매 3개월마다

\* VAD: Ventricular Assist Device

### □ 심실 보조장치 치료술(VAD) 실시기관 및 요양급여 대상 여부 심의결과 총괄

(단위: 건)

총계	실시기관 승인신청				요양급여 승인신청							
	이식형		체외형		이식형				체외형			
	승인	불승인	승인	불승인	계	승인	불승인	자료보완	계	승인	불승인	자료보완
9	1	-	-	-	8	7	1	-	-	-	-	-

### □ 심실 보조장치 치료술(VAD) 실시기관 승인 여부(총 1기관)

요양기관명(요양기호)	구분	인력기준	장비기준	심장이식술 청구건수*	심의결과
창원경상대학교병원(38100631)	이식형	충족	충족	3건	승 인

\*청구건수: 심사년월(2020.2. ~ 2022.1.), 지급, 보험자구분 전체, 심장이식술(Q8080) 청구건수

### □ 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상 여부(총 8사례)

- 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 보건복지부 고시(제2018-210호, 2021.9.28.시행) 제6조 [별표2] 1. 적응증 ① 이식형 좌심실 보조장치 치료술 가. 심장이식 대기자로 등록된 말기심부전 환자의 심장이식 가교 치료시, 나. 심장이식이 적합하지 않은 말기 심부전 환자(중략), ② 체외형 심실 보조장치 치료술 및 [별표2] 2. 금기증에 따라 부합 여부를 판단하여 인정하고 있음.

○ 이식형 좌심실 보조장치 치료술(8사례)

사례	성별/나이	심의결과	결정 사유
A	여/13세	승 인 (급여)	<p>「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」은 제6조 및 별표2에서 심실 보조장치 치료술의 요양급여 대상자 기준 및 본인부담률을 정하고 있음.</p> <p>이 사례는 심장이식 대기자로 등록된 심근염 환자로 2021년 12월 4일 발생한 심인성 쇼크(Cardiogenic shock)로 체외순환막형산화요법(ECMO) 적용 후 12월 13일 제거하였으나 당일 심기능 악화로 심폐소생술(CRP) 시행하고 ECMO 재적용함. 약 4주간 ECMO 유지 중이며 정맥강심제 의존적으로 NYHA Class IV, INTERMACS LEVEL 2로 ECMO 유지하에 시행한 심장초음파 상 좌심실 구혈률(LVEF) 15%의 중증 심부전 상태 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인함.</p>
B	남/66세	승 인 (급여)	<p>「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」은 제6조 및 별표2에서 심실 보조장치 치료술의 요양급여 대상자 기준 및 본인부담률을 정하고 있음.</p> <p>이 사례는 심장이식 대기자로 등록된 허혈성 심근병증 환자로 2010년 관상동맥중재술(PCI), 2020년 관상동맥우회술(CABG), 좌심실재건술 및 심율동전환제세동기거치술(ICD) 시행함. 이후 지속적인 약물치료 하였으나 심부전 증상 악화되어 2021년 3월 심장 재동기화치료(CRT-D) 시행함. 정맥강심제 의존적으로 NYHA Class III, INTERMACS LEVEL 3 등의 말기 심부전 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인함.</p>
C	남/73세	승 인 (급여)	<p>「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」은 제6조 및 별표2에서 심실 보조장치 치료술의 요양급여 대상자 기준 및 본인부담률을 정하고 있음.</p> <p>이 사례는 심장이식 대기자로 등록된 확장성 심근병증(DCMP) 환자로 2012년 심장재동기화치료(CRT-D) 시행 후 약물치료 지속함. 2020년 CRT 설정 변경하였으나 호흡곤란 악화로 인한 입·퇴원 반복중으로 NYHA Class IV, INTERMACS LEVEL 3 등의 말기 심부전 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인함.</p>
D	남/70세	승 인 (급여)	<p>「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」은 제6조 및 별표2에서 심실 보조장치 치료술의 요양급여 대상자 기준 및 본인부담률을 정하고 있음.</p> <p>이 사례는 심장이식이 적합하지 않은 허혈성 심근병증 환자로 1998년 이후 수차례 관상동맥중재술(PCI) 후 2019년 관상동맥 우회술(CABG) 시행함. 2021년 12월 심인성 쇼크로 인하여 체외 순환막형산화요법(ECMO) 적용중이며 정맥강심제 의존적으로 NYHA Class IV, INTERMACS LEVEL 2 등의 말기 심부전 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인함.</p>

사례	성별/나이	심의결과	결정 사유
E	여/73세	승 인 (급여)	<p>「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」은 제6조 및 별표2에서 심실 보조장치 치료술의 요양급여 대상자 기준 및 본인부담률을 정하고 있음.</p> <p>이 사례는 심장이식이 적합하지 않은 확장성 심근병증 환자로 2016년 호흡곤란 주호소로 시행한 심장초음파에서 좌심실구혈률(LVEF) 31% 등이 확인되어 약물치료 시작함. 2018년 심전도 상 부정맥 확인되어 심장재동기화치료(CRT-D) 및 전극도자절제술 시행 하였으나 심부전 악화되어 정맥강심제 의존적으로 좌심실 구혈률(LVEF) 24%, NYHA Class IV, INTERMACS LEVEL 3 등의 말기 심부전 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인함.</p>
F	남/55세	승 인 (급여)	<p>「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」은 제6조 및 별표2에서 심실 보조장치 치료술의 요양급여 대상자 기준 및 본인부담률을 정하고 있음.</p> <p>이 사례는 심장이식 대기자로 등록된 허혈성 심근병증 환자로 2020년 11월 심인성 쇼크로 체외순환막형산화요법(ECMO) 및 관상 동맥우회술(CABG) 시행함. 이후 지속적으로 약물치료 시행하였으나 호흡곤란 등의 악화로 2021년 3월 심음동전환제세동기거치술(ICD) 시행 후 입·퇴원 반복함. 정맥강심제 의존적인 상태로 NYHA Class IV, INTERMACS LEVEL 3, 심장 지수(Cardiac Index) 2.02L/min/m<sup>2</sup> 등의 심부전 소견 확인 되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인함.</p>
G	남/59세	승 인 (급여)	<p>「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」은 제6조 및 별표2에서 심실 보조장치 치료술의 요양급여 대상자 기준 및 본인부담률을 정하고 있음.</p> <p>이 사례는 심장이식 대기자로 등록된 확장성 심근병증(DCMP) 환자로 2019년 DCMP 진단 후 약물치료 지속함. 2021년 6월 심정지로 입원하여 심음동전환제세동기거치술(ICD) 시행 후 입·퇴원 반복중이며 정맥강심제 의존적으로 NYHA Class IV, INTERMACS LEVEL 4, 좌심실 구혈률(LVEF) 18%, 심장 지수(Cardiac Index) 1.32L/min/m<sup>2</sup> 등의 말기 심부전 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양 급여 대상으로 승인함.</p>
H	남/56세	불승인	<p>「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」은 제6조 및 별표2에서 심실 보조장치 치료술의 요양급여 대상자 기준 및 본인부담률을 정하고 있음.</p> <p>이 사례는 심장이식이 적합하지 않은 심근경색 환자로 2021년 12월 25일 급성 심근경색으로 관상동맥중재술(PCI) 및 혈전제거술 시행 하고 체외순환막형산화요법(ECMO) 적용 후 제거함. 2022년 1월 11일 심인성 쇼크로 ECMO 재시행하여 유지중임. 정맥강심제 의존 적이며 좌심실 구혈률(LVEF) 23%, NYHA Class IV, INTERMACS LEVEL 1 등의 중증 심부전 상태 확인됨.</p>

사례	성별/나이	심의결과	결정 사유
			다만, 기계순환보조 치료 후 2개월이 경과되지 않아 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상의 기준의 적응증에 부합하지 않으므로 요양급여 신청을 불승인함.



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

- 위원에서는 「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 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	접수	승인신청		재심의 승인신청		모니터링	
				승인	불승인	승인	불승인	승인	불승인
총계			5	0	4	1	0	-	-
2022. 1.	솔리리스주	비정형 용혈성 요독 증후군	5	0	4	1	0	-	-

[Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 대상여부]

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

○ 승인신청(4사례)

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
2022. 1.	A	여/49	<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 2021년 12월 28일 동종조혈모세포이식을 시행한 환자로서 이식 후 혈전미세혈관병증이 발생하여 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 확인한 결과, 이식 및 면역억제제 등 약물로 인해 발생한 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 위 고시 제1호나목 2)제외대상 라)이식 및 마)약물에 해당되므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.</p>	불승인
	B	남/55	<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 소변량 감소와 부종으로 입원한 환자로서 보존적 치료에도 신기능 호전이 없고 혈전미세혈관병증 소견을 보여 비정형 용혈성 요독 증후군을 의심하며 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 확인한 결과, 분열적혈구 관찰 소견이 명확하지 않으며 D-dimer 상승 등 이차성 혈전미세혈관병증 가능성이 높다고 판단되어 위 고시 제1호나목 2)제외대상 자)기타 이차성 용혈성 요독 증후군에 해당되므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.</p>	불승인

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
	C	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 pulmonary congestion, azotemia로 입원한 환자로서 보존적 치료에도 혈전미세혈관병증을 보여 비정형 용혈성 요독 증후군을 의심하며 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 혈소판수 정상 하한치 이상, LDH 정상 상한치 1.5배 미만으로 확인되어 위 고시 제1호나목 1) 투여대상에서 정한 가) 활성형 혈전미세혈관병증에 적합하지 않음. 또한 신기능 손상은 사구체신염과 고혈압에 의한 말기 신부전 때문으로 판단되어 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.</p>	불승인
	D	남/66	<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 타병원에서 만성 신질환 및 통풍으로 치료하던 중 혈액검사 상 신기능 손상소견이 확인되어 신청 요양기관에 입원한 환자로서 비정형 용혈성 요독 증후군을 의심하며 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 2021년 10월부터 혈액검사 상 만성 신질환으로 인해 나타날 수 있는 수준의 빈혈 및 혈소판 감소증이 확인되었으며, 진단검사의학과 판독지에서도 확인되듯이 분열적혈구 관찰 또한 만성 신질환에서 흔히 보일 수 있는 소견으로 판단되어 위 고시 제1호나목 2) 제외대상에서 정한 자) 기타 이차성 용혈성 요독 증후군에 해당되어 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인함.</p>	불승인

○ 재심의 승인신청(1사례)

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
2022. 1.	A	여/18	<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(2021년 12월 23일) 2021.11.16.~2021.12.6. 혈장교환술 시행 후 2021.12.15. ADAMTS-13 활성이 시행되어 급여기준 투여대상에서 정한 혈장주입을 하기 이전의 혈액 샘플에서 ADAMTS-13 활성 10% 이상에 적합하지 않고, 감염 등으로 인한 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 급여기준 제외대상에 해당하므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 불승인한 사례임. 이후 추가 시행한 혈장교환술에도 혈액학적 불균형이 완화되지 않아 추가 임상 자료 첨부하여 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주)를 요양급여 재심의 승인 신청함.</p> <p>추가 제출된 진료기록을 확인한 결과, 신이식 후 발생한 혈전미세혈관병증으로 판단되어 위 고시 제1호나목 1) 투여대상에 적합하고 위 고시 제1호나목 2)제외대상에 해당하지 않는 바 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주) 요양급여 신청을 승인하며 투여 후 2개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>	승인

#### 4. 스트렌식주 영양급여 대상 여부

- 우리원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 Asfotase alfa 주사제(품명: 스트렌식주40mg/mL 등) 보건복지부 고시(제2020-107호(약제), 2020. 6. 1.시행)에 따라 요양급여 여부를 결정하는 사전승인제도를 실시하고 있음.
- 「Asfotase alfa 주사제(품명: 스트렌식주) 사전승인 등에 관한 세부사항」 건강보험심사평가원 공고(제2020-166호, 2020. 6.1. 시행)에 따라
1. 스트렌식주의 영양급여를 신청하고자 하는 경우에는 별지 제1호 서식에 따른 스트렌식주 영양급여 사전승인 신청서를 제출하여야 함(제3조제1항).
  2. 스트렌식주 영양급여를 승인받은 요양기관은 치료시작 후 3개월, 6개월, 이후에는 6개월마다 유지용량 투여 전 별지 제2호 서식에 따른 모니터링 보고서를 제출하여야 함(제7조제1항)
  3. 사전승인 신청기관은 영양급여대상으로 승인받은 경우 심의결과를 통보받은 날부터 60일 이내에 스트렌식주를 투여하여야 하고, 60일을 경과하여 투여하게 되는 경우에는 재신청하여야 함(제3조제2항).

#### □ 스트렌식주 영양급여 대상여부 심의결과 총괄

(단위: 건)

심의년월	합계	스트렌식주 영양급여 신청					스트렌식주 투여 모니터링 보고					
		소계	승인 (급여)	전액 본인부담	불승인	자료 보완	소계	승인 (급여)	전액 본인부담	불승인	자료 보완	종료
2022.1.	2	-	-	-	-	-	2	2	-	-	-	-

#### □ 스트렌식주 투여 모니터링 보고-투여 유지여부(2사례)

사례	성별/나이	최초 투여일	투여예정 (급여)차수	심의결과	심의내용
A	남/7세	'16.1.11	14(4)	승 인 (급여)	「스트렌식주 급여기준(보건복지부 고시 제 2020-107호, 2020.6.1.시행)」 1-라-1) 치료 시작 1년 후 환자군별 투여 중지 기준에서 '그 외 만18세 이하 환자'는 1) 키의 소실이 일어나거나 감소, 2) 6분보행검사에서 개선이 없거나 기대치를 달성하지 못한 경우(치료 전 검사 대비 <25m 또는 <10% 증가) 혹은 Bleck 점수가 1단계 이상 하락한 경우, 3) 진통제 투여 횟수의 유의한 감소를 달성하지 못했거나 PedsQL로 측정한 삶의 질에서 개선을 달성하지 못한 경우 중 2개 이상에 해당하는 경우 투약을 중지하여야 한다고 정하고 있음. 이 사례는 직전 평가 시점과 비교하여 최근 6개월간 키 1cm 성장, Bleck score 1, 통증 scale 0, PedsQL

사례	성별/나이	최초 투여일	투여예정 (급여)차수	심의결과	심의내용
					(대상자) 호전(1,400→1,450), PedsQL(보호자) 호전 (1,375 →1,425) 등이 확인되어 급여기준에 부합하므로 스트렌식주 영양급여 대상으로 승인함.
B	남/5세	'16.6.22	13(4)	승 인 (급여)	<p>「스트렌식주 급여기준(보건복지부 고시 제 2020-107호, 2020. 6. 1.시행)」 1-라-1) 치료 시작 1년 후 환자군별 투여 중지 기준에서 '그 외 만18세 이하 환자'는 1) 키의 소실이 일어나거나 감소, 2) 6분보행검사에서 개선이 없거나 기대치를 달성하지 못한 경우(치료 전 검사 대비 &lt;25m 또는 &lt;10% 증가) 혹은 Bleck 점수가 1단계 이상 하락한 경우, 3) 진통제 투여 횟수의 유의한 감소를 달성하지 못했거나 PedsQL로 측정한 삶의 질에서 개선을 달성하지 못한 경우 중 2개 이상에 해당하는 경우 투약을 중지하여야 한다고 정하고 있음.</p> <p>이 사례는 직전 평가 시점과 비교하여 최근 6개월간 키 1.5cm 성장, 6분보행검사 호전(327.2m → 351.0m), 통증 scale 0, PedsQL(대상자) 호전(1,800 → 2,000) 등이 확인되어 급여기준에 부합하므로 스트렌식주 영양 급여 대상으로 승인함.</p>