

□ Nusinersen sodium 주사제(품명: 스피라자주) 및 Risdiplam 경구제(품명: 에브리스디건조시럽)
요양급여 대상 여부

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

□ 스피라자주 요양급여 대상여부(42사례)
(단위: 사례)

전체		신규신청				모니터링					이의신청			
		소계	승인	불승인	자료보완	소계	승인	불승인	자료보완	종료	소계	인정	기각	자료보완
스피라자주	42	6	1	5	0	34	34	0	0	0	2	0	2	0

□ 에브리스디건조시럽 요양급여 대상여부(2사례)
(단위: 사례)

전체		신규신청				모니터링					이의신청			
		소계	승인	불승인	자료보완	소계	승인	불승인	자료보완	종료	소계	인정	기각	자료보완
에브리스디건조시럽	2	2	1	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0

1. 스피라자주 요양급여 대상여부(40사례)
가. 스피라자주 투여 요양급여 신청(6사례)

심의년월	사례	성별	나이	SMA type	심의 결과	심의내용
2023. 11.	A	남	9세 2개월	3	승인	급여기준(보건복지부 고시 제2023-184호, 2023.10.1. 시행)의 투여대상에 부합하므로 스피라자주 요양급여 대상으로 승인함.
	B	남	25세	2	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 투여대상에 부합하지 않으므로
	C	여	43세	2	불승인	

	D	여	53세	3	불승인	스핀라자주 요양급여 대상으로 승인하지 아니함.
	E	남	14세	2	불승인	이 건은 제출된 운동기능평가(HFMSE) 결과 스핀라자주 최초 투여전 점수(2점)보다 감소되었고 2회 연속 0점으로 불승인된 건으로 스핀라자주 요양급여를 불승인함.
	F	남	25세	2	불승인	이 건은 제출된 운동기능평가(HFMSE) 결과 제출된 동영상에서 획득되었다고 제출한 운동기능이 확인되지 않는 등 운동기능의 유지 또는 개선을 2회 연속 입증하지 못하여 불승인된 건으로 스핀라자주 요양급여를 불승인함.

나. 스핀라자주 투여 모니터링 보고-투여 유지여부(34사례)

심의년월	사례	성별	나이	SMA type	최초투여일	예정 차수	심의 결과	심의내용
2023. 11.	G	남	2세 8개월	2	22-02-14	9	승인	급여기준(보건복지부 고시 제2023-184호, 2023.10.1. 시행)의 투여대상에 부합하고, 중단기준에 해당하지 않으므로 스핀라자주 요양급여 대상으로 승인함.
	H	여	2세 9개월	3	23-02-16	6	승인	
	I	남	3세 2개월	2	21-09-29	10	승인	
	J	여	3세 3개월	2	21-10-15	10	승인	
	K	여	3세 7개월	2	22-02-09	9	승인	
	L	남	3세 12개월	1	20-06-02	14	승인	
	M	여	6세 3개월	2	19-05-14	17	승인	
	N	여	8세 4개월	2	19-05-30	17	승인	
	O	여	8세 10개월	1	19-05-27	17	승인	
	P	여	9세 5개월	2	19-05-31	17	승인	
	Q	남	9세 6개월	2	19-09-30	16	승인	
	R	여	10세 6개월	2	18-05-21	20	승인	
	S	여	10세 12개월	2	19-06-20	17	승인	
	T	여	10세 12개월	2	19-05-15	17	승인	
	U	여	10세 12개월	2	19-10-21	15	승인	

2023. 11.

V	여	11세 3개월	2	19-05-27	17	승인
W	여	12세 7개월	2	19-10-31	16	승인
X	여	13세 7개월	2	18-03-14	18	승인
Y	남	13세 9개월	2	19-05-28	17	승인
Z	여	14세 9개월	2	19-05-31	17	승인
Z1	여	15세 7개월	2	19-08-28	16	승인
Z2	여	16세 3개월	2	19-08-05	16	승인
Z3	남	19세	3	19-12-16	15	승인
Z4	여	19세	2	20-12-02	12	승인
Z5	남	19세	2	19-06-04	17	승인
Z6	남	20세	2	19-10-01	16	승인
Z7	남	23세	2	20-05-21	14	승인
Z8	여	23세	2	23-06-12	5	승인
Z9	여	24세	2	22-02-15	9	승인
Z10	여	25세	2	20-01-15	15	승인
Z11	여	26세	2	20-02-07	15	승인
Z12	남	28세	3	20-01-20	15	승인
Z13	여	29세	2	19-10-26	16	승인
Z14	여	44세	3	20-06-12	14	승인

급여기준(보건복지부 고시 제2023-184호, 2023.10.1. 시행)의 투여대상에 부합하고, 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 영양급여 대상으로 승인함.

2. 스피라자주 요양급여 대상여부-이의신청(2사례)

나. 스피라자주 투여 모니터링 보고-이의신청(2사례)

심의년월	사례	성별	나이	SMA type	최초투여일	예정 차수	심의 결과	심의내용
2023.11.	Z15	남	21세	2	21-08-05	10	기각	이 건은 제출한 동영상에서 HFMSE의 Plinth/chair sitting에서 2점 획득이 확인되지 않고 HFMSE의 총점이 1점 수준으로 평가되는 등 스피라자주 투여에 따른 운동 기능의 유지 또는 개선을 2회 연속 입증하지 못하여 불승인된 건으로 이의신청 함. 이의신청시 HFMSE의 Plinth/chair sitting 2점을 획득하였다고 제출하였으나 제출한 동영상 자료 등을 확인 한 결과 손을 몸에서 완전히 떼지 못하는 등 총점 1점 수준으로 평가되어 스피라자주 투여에 따른 운동기능의 유지 또는 개선을 2회 연속 입증하지 못하였다는 기존 분과위원회의 불승인 결정이 타당하다고 판단되므로 이의신청을 기각함.
	Z16	여	23세	2	20-04-08	14	기각	이 건은 제출한 동영상에서 HFMSE의 Plinth/chair sitting에서 2점, Long sitting 1점을 획득이 확인되지 않고 총점이 2점 미만으로 평가되는 등 스피라자주 투여에 따른 운동 기능의 유지 또는 개선을 2회 연속 입증하지 못하여 불승인된 건으로 이의신청함. 이의신청시 HFMSE의 Plinth/chair sitting에서 2점, Long sitting 1점을 획득하였다고 제출하였으나 제출한 동영상 자료 확인 결과 Long sitting에서 1점을 획득하였다고 보기 어렵고 2020년 4월부터 3년 여간 투여한 스피라자주의 효과에 따른 운동기능의 유지 또는 개선을 2회 연속 입증하지 못하였다는 기존 분과위원회의 불승인 결정이 타당하다고 판단되므로 이의신청을 기각함.

3. 에브리스디건조시럽 요양급여 대상여부(2사례)

가. 에브리스디거조시럽 요양급여 신청(2사례)

심의년월	사례	성별	나이	SMA type	심의 결과	심의내용
2023. 11.	Z17	남	32세	3	불승인	이 건은 제출된 자료로 척수성 근위축증 type 1~3에 해당되는 증상과 징후 발현 시점이 명확하게 확인되지 않아 급여기준(보건복지부 고시 제 2023-184호, 2023.10.1. 시행)의 투여대상에 부합하지 않으므로 에브리스디건조시럽 요양급여 대상으로 승인하지 아니함.
	Z18	여	32세	3	승인	급여기준(보건복지부 고시 제2023-184호, 2023.10.1. 시행)의 투여대상에 부합하므로 에브리스디건조시럽 요양급여 대상으로 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 투여 모니터링 보고서를 제출하도록 함.

[2023. 11. 8. 사전심사분과위원회(스핀라자주 및 에브리스디건조시럽)]
[2023. 11. 28. 중앙심사조정위원회]