

4. Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명:줄겐스마주) 성과평가

- 우리원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2022-181호, 2022.8.1.)에 따라 줄겐스마주 투여 성과를 평가하고 있음.
- 「Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명: 줄겐스마주) 세부인정기준 및 방법」 보건복지부 고시 (제2022-181호, 2022.8.1.시행)에 의거하여
 1. 투여 전과 투여 후 매 6개월마다 5년까지 임상평가를 실시하여야하고, 임상평가에 대한 진료기록부 등 객관적인 자료를 반드시 제출하여야 함
 2. 다음 중 어느 하나에 해당하는 경우 약제 투여 실패로 정의함
 - 가) 영구적 호흡기 사용 또는 사망
 - 나) CHOP-INTEND점수가 약제 투여 전 기저치 대비 4점 이상 개선되지 않은 경우
 - 다) 나)항의 개선이 이루어졌다 하더라도, 이후 반응평가에서 2회 연속하여 CHOP-INTEND 4점 이상 또는 HFMSE 3점 이상 감소된 경우

□ 심의결과

(단위: 사례)

전체	1차 성과평가			
	소계	성공	자료보완	실패
6	6	5	0	1

□ [Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명: 줄겐스마주) 성과평가 결과]

○ 성과평가(6사례)

승인 유형*	성별	투여 시 나이	투여년월	심의결과	심의내용
C	여	2년 0개월	2022. 8.	성공	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」의 「Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명: 줄겐스마주) 세부인정기준 및 방법」(보건복지부 고시 제2022-181호, 2022. 8. 1.시행)에서 정의한 약제투여 실패에 해당하지 아니하고, 임상 평가에 제출된 진료기록부 등 객관적 자료에 의해 임상적으로 의미있는 개선이 확인되므로 약제투여 성공으로 판단함.
C	여	2년 0개월	2022. 8.	성공	
C	남	1년 8개월	2022. 9.	성공	
C	남	1년 9개월	2022. 9.	성공	
C	여	1년 6개월	2022. 9.	성공	
C	여	2년 0개월	2022. 8.	실패	이 사례는 SMA로 인한 호흡기문제가 있던 환자가 급성호흡부전 의증으로 사망한 경우로, 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 「Onasemnogene abeparvovec 주사제(품명: 줄겐스마주) 세부인정기준 및 방법」 보건복지부 고시 (제2022-181호, 2022.8.1. 시행)의 제1호 다.목 3) 가)영구적 호흡기 사용 또는 사망에 해당하여 약제투여 실패로 판단함.

*승인유형: A=생후 9개월 미만, B=생후 9개월~12개월, C=스핀라자 전환투여

[2023. 4. 18. 줄겐스마주 분과위원회]
[2023. 5. 23. 중앙심사조정위원회]