

진료심사평가위원회 심의사례 공개(총 9항목, 181사례)

- 2026. 3. 3. 공개예정

연번	제 목	구분	페이지
1	심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상여부(16사례)	본원	1
2	Voretigene neparvovec 주사제(품명: 렉스터나주) 요양급여 대상여부(2사례)	본원	7
3	Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 및 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여 대상여부(16사례)	본원	8
4	면역관용요법(Immune Tolerance Induction) 요양급여 대상여부(3사례)	본원	15
5	조혈모세포이식 요양급여 대상여부(104사례)	본원	17
6	Burosumab 주사제(품명: 크리스비타주) 요양급여 대상여부(3사례)	본원	24
7	Nusinersen sodium 주사제(품명: 스피라자주) 및 Risdiplam 경구제(품명: 에브리스디건조시럽) 요양급여 대상여부(34사례)	본원	26
8	ALS 진단기준 적용 변경 및 Riluzole(품명: 리루텍정) 인정여부(2사례)	본원	32
9	제왕절개분만 질병군(DRG) 기타진단 O244 임신중 생긴 당뇨병 인정여부(1사례)	본원	34

1. 심실 보조장치 치료술(VAD*) 요양급여 대상여부(16사례)

- 우리원에서는 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 보건복지부 고시(제2024-248호, 2024. 12. 1.시행)에 따라 심실 보조장치 치료술 요양급여 여부를 결정하는 사전승인제도를 실시하고 있음.
- 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 보건복지부 고시(제2024-248호, 2024. 12. 1.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

총계	실시기관 승인신청			요양급여 승인신청								이의신청		
	이식형			이식형				체외형				이식형		
	계	승인	불승인	계	승인	불승인	자료보완	계	승인	불승인	자료보완	계	인정	기각
16	-	-	-	16	11	5	-	-	-	-	-	-	-	-

□ 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상 여부(총 16사례)

- 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 보건복지부 고시(제2024-248호, 2024.12.1. 시행) 제6조 제1항에 따라 VAD 대상자가 [별표2]의 요양급여 기준에 해당하는 경우 요양급여로 인정하고 있음.

○ 이식형 좌심실 보조장치 치료술 승인신청(16사례)

사례	성별/나이	심의결과	결정 사유
A	여/47세	승인	<p>이 사례는 확장성 심근병증 환자로, 2009년 급성 전골수성백혈병으로 골수이식 후 완전 관해 이력 있고, 2018년 유방암 진단 받고 항암치료 받던 중 심부전 최초 진단받고 약물치료 시작하였으나 지속적인 심부전 증상 악화로 2025년 11월 2일 입원치료 시작하였으며, NYHA class IV, INTERMACS level 3 등의 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 검토한 결과, 정맥 강심제 의존적인 상태로 좌심실박출률(LVEF) 21%, 폐동맥쇄기압(PAWP) 31mmHg, 심장지수(Cardiac Index) 0.8L/min/m², Peak VO₂ max 8 mL/kg/min 등의 비가역적 말기 심부전 소견 확인되어 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 1. 적응증 ① 1), 2), 3)에 해당하여 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인함.</p>

사례	성별/나이	심의결과	결정 사유
B	남/22세	승인	<p>이 사례는 확장성 심근병증 환자로, 2022년 최초 심부전 및 Danon disease 진단 후 약물치료 시작하였고, 2023년 ICD 삽입 이력 있으며, 2025년 7월 3일 다리 부종 및 호흡 곤란 호소하며 쓰러져 심폐소생술 2회 시행 후 입원하여 치료 지속하고 있고, NYHA class IV, INTERMACS level 3 등의 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 검토한 결과, 정맥 강심제 의존적인 상태로 좌심실박출률(LVEF) 23%, 폐동맥쇄기압(PAWP) 42mmHg, 심장지수(Cardiac Index) 1.48L/min/M² 등의 비가역적 말기 심부전 소견 확인되어 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 1. 적응증 ① 1), 2), 3)에 해당하여 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인함.</p>
C	남/54세	승인	<p>이 사례는 확장성 심근병증 환자로, 2021년 최초 진단 후 약물치료 시작하였고, 지속적으로 심부전 악화되어 2025년 두 차례 입원 치료 받았으며, NYHA class IV, INTERMACS level 3 등의 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 검토한 결과, 정맥 강심제 의존적인 상태로 좌심실박출률(LVEF) 21%, 폐동맥쇄기압(PAWP) 26mmHg, 심장지수(Cardiac Index) 1.9L/min/m², Peak VO2 max 11.5mL/kg/min 등의 비가역적 말기 심부전 소견 확인되어 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 1. 적응증 ① 1), 2)에 해당하여 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인함.</p>
D	여/65세	승인	<p>이 사례는 확장성 심근병증 환자로, 2009년 최초 진단 후 약물치료 시작하였고, 2025년 3월 심근경색으로 PCI 시행하였고, 반복적인 호흡곤란 악화로 두 차례 입원 치료 받은 이력 있으며, NYHA class III, INTERMACS level 3 등의 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 검토한 결과, 좌심실박출률(LVEF) 23.4%, 폐동맥쇄기압(PAWP) 33mmHg, 심장지수(Cardiac Index) 1.41.9L/min/M², Peak VO2 max 8.4mL/kg/min 등의 비가역적 말기 심부전 소견 확인되어 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 1. 적응증 ① 1), 3)에 해당하여 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인함.</p>
E	남/75세	승인	<p>이 사례는 허혈성 심근병증 환자로, 2006년 최초 진단 후 약물치료 시작하였고, 2019년까지 수차례 PCI 시행 이력있으며, 반복적인 심부전 증상 악화로 여러차례 입원 치료 받았으며, NYHA class IV, INTERMACS level 3 등의 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 검토한 결과, 정맥강심제 의존적인 상태로 좌심실박출률(LVEF) 20%, 폐동맥쇄기압(PAWP) 34mmHg, 심장지수(Cardiac Index) 1.74L/min/m² 등의 비가역적 말기 심부전 소견 확인되어 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 1. 적응증 ① 2)에 해당하여 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인함.</p>

사례	성별/나이	심의결과	결정 사유
F	남/50세	승인	<p>이 사례는 심장성 쇼크, 허혈성 심근병증 환자로 2025년 11월 19일 혼자 걸던 중 갑자기 쓰러졌고, 심폐소생술 없이 깨어나 응급실 내원 후 심장성 쇼크로 체외순환막형산화요법(ECMO) 삽입하였고, NYHA class IV, INTERMACS level 1 등의 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 검토한 결과, 정맥 강심제 의존적인 상태로 기계순환보조(ECMO) 치료에도 불구하고 심각한 증상이 지속되고, ECMO 이탈이 어려운 상태로 확인되어 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 1. 적응증 ① 2)에 해당하여 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인함.</p>
G	여/63세	승인	<p>이 사례는 허혈성 심근병증 환자로, 2025년 11월 15일 흉통으로 응급실 내원하여 최초 진단 받고 PCI 시행 및 약물치료 시작하였으며, NYHA class IV, INTERMACS level 1 등의 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 검토한 결과, 정맥 강심제 의존적인 상태로 좌심실박출률(LVEF) 24%, 폐동맥쇄기압(PAWP) 25mmHg, 심장지수(Cardiac Index) 1.28L/min/m² 등의 비가역적 말기 심부전 소견 확인되어 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 1. 적응증 ① 2), 3)에 해당하여 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인함.</p>
H	여/40세	승인	<p>이 사례는 약물 및 기타 외부요인에 의한 심근병증 환자로, 2014년 좌측 유방암 진단 후 완치 판정 받았고, 2025년 4월 우측 유방암 진단되어 항암치료 시작하였으며, 2025년 11월 수술 후 호흡곤란 증상 호소함. 2025년 12월 7일 호흡곤란 악화로 응급실 내원 후 박출률 감소와 함께 심장성 쇼크 소견으로 체외순환막형산화요법(ECMO) 치료 시작하였고, NYHA class IV, INTERMACS level 1 등의 소견 관찰되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 검토한 결과, 정맥 강심제 의존적인 상태로 기계순환보조(ECMO) 치료에도 불구하고 심각한 증상이 지속되고, ECMO 이탈이 어려운 상태로 확인되며, 좌심실박출률(LVEF) 18%, 심장지수(Cardiac Index) 1.4L/min/m² 등의 비가역적 말기 심부전 소견 확인되어 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 1. 적응증 ① 2)에 해당하여 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인함.</p>
I	남/76세	불승인	<p>이 사례는 허혈성 심근병증 환자로, 2004년부터 여러차례 PCI 시술 받은 이력있고, 약물치료 지속하였으나 2025년 12월부터 호흡곤란 악화로 입원치료 시작하였고, NYHA class IV, INTERMACS level 2 등의 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 검토한 결과 좌심실박출률(LVEF) 18%, 폐동맥쇄기압(PAWP) 31mmHg, 심장지수(Cardiac Index) 1.5L/min/m² 등의 비가역적 말기 심부전 소견이 확인되나, 뇌혈관질환 평가 및 말기 암 등 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 제6조 제1항 [별표2]의 2.금기증 ①을</p>

사례	성별/나이	심의결과	결정 사유
			배제할 수 있는 자료가 불충분하여 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인하지 아니함.
J	남/64세	불승인	<p>이 사례는 허혈성 심근병증 환자로, 2025년 4월부터 호흡곤란 증상 악화되어 약물치료 시작하였으나, 여러 차례 입·퇴원을 반복하였고, NYHA class III, INTERMACS level 2 등의 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 검토한 결과, 약물 치료에도 불구하고 혈압(수축기/이완기)이 206/128mmHg로 이에 대한 원인 파악 및 치료 후 심장 기능에 대한 재평가가 필요하다고 판단되며, 좌심실박출률(LVEF) 25%, 심장지수(Cardiac Index) 2.0L/min/m² 등 비가역적 말기 심부전 상태로 판단하기 어려워 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 1. 적응증 ①에 해당된다고 판단할 수 없으므로 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인하지 아니함.</p>
K	남/77세	불승인	<p>이 사례는 허혈성 심근병증 환자로, 2025년 11월 23일 급성 심근경색으로 PCI 시행 후 11월 26일 퇴원하였으나, 11월 30일 전신쇠약, 혈변 등으로 입원하여 상·하부 소화기 내시경 예정이었으나, 12월 1일 심정지 발생하여 체외순환막형산화요법(ECMO) 삽입하였고, 12월 9일 섬망증세와 함께 ECMO cannula의 비계획적 이탈로 심폐소생술 시행한 이력 있으며, NYHA class IV, INTERMACS level 1 등의 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 검토한 결과, 정맥 강심제 의존적인 상태로 좌심실박출률(LVEF) 14% 등의 비가역적 말기 심부전 소견이 확인되나 혈액 배양 검사에서 균이 배양되고 있고, 출혈의 원인이 명확히 확인되지 않은 상태로 판단되어 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 제6조 제1항 [별표2]의 2.금기증 ①을 배제할 수 있는 자료가 불충분하여 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인하지 아니함.</p>
L	남/67세	불승인	<p>이 사례는 허혈성 심근병증 환자로, 2025년 11월 20일 급성 심근경색으로 응급실 내원하여 심폐 소생술 시행 및 체외순환막형산화요법(ECMO) 삽입 후 PCI 시행하였고, 11월 26일 ECMO 이탈에 성공하였으나, 12월 2일 Stent thrombosis로 심정지 발생하였고, ECMO 재삽입 및 추가 PCI 시행하였으며, NYHA class IV, INTERMACS level 1 등의 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 검토한 결과, 정맥 강심제 의존적인 상태로 좌심실박출률(LVEF) 17% 등의 비가역적 말기 심부전 소견이 확인되나, 폐렴과 ECMO cannula 삽입 부위에 감염 소견이 있고, 지속적인대체요법(CRRT) 종료 후 신기능 평가와 뇌혈관질환 평가 등이 부족하여 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 제6조 제1항 [별표2]의 2.금기증 ①을 배제할 수 있는 자료가 불충분하여 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인하지 아니함.</p>

사례	성별/나이	심의결과	결정 사유
M	남/56세	승인	<p>이 사례는 확장성 심근병증 환자로, 2024년 1월 최초 심부전 진단 후 약물치료 시작하였으며, 2024년 4월 관상동맥우회술(CABG), 심한 승모판 역류(MR) 소견으로 두차례 판막 수술 받은 이력있으며, 2025년 12월 2일 심부전 악화 소견으로 입원치료 시작하였고, NYHA class IV, INTERMACS level 3 등의 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 검토한 결과, 정맥 강심제 의존적인 상태로 좌심실박출률(LVEF) 20.3%, 폐동맥쇄기압(PAWP) 33mmHg, 심장지수(Cardiac Index) 1.87L/min/m², Peak VO2 max 9.5mL/kg/min 등의 비가역적 말기 심부전 소견 확인되어 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 1. 적응증 ① 1), 2), 3)에 해당하여 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인함.</p>
N	남/64세	승인	<p>이 사례는 확장성 심근병증 환자로, 2012년 7월 최초 진단 후 약물치료 시작하였고, 대동맥 판막과 승모 판막수술 이력 및 2018년 CRT 삽입 이력있으며, 2025년 12월 심기능 악화 소견으로 입원치료 시작하였고, NYHA class IV, INTERMACS level 3 등의 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 검토한 결과, 좌심실박출률(LVEF) 15%, 폐동맥쇄기압(PAWP) 27mmHg, 심장지수(Cardiac Index) 1.32L/min/m², Peak VO2 max 4.8mL/kg/min 등의 비가역적 말기 심부전 소견 확인되어 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 1. 적응증 ① 1), 3)에 해당하여 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인함.</p>
O	여/60세	불승인	<p>이 사례는 심장지수(Cardiac Index) 2.16 L/min/m², Peak VO2 max 15.0mL/kg/min 등 비가역적 말기 심부전 상태로 판단할 수 없으므로 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 1. 적응증 ①에 해당된다고 판단할 수 없어 2025년 8월 13일 불승인한 사례로 소견서, 심장 초음파 결과 등을 추가하여 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 승인 재신청함.</p> <p>제출된 자료를 검토한 결과, 운동 기능 및 심장 기능의 악화를 소명할 수 있는 최근 자료가 부족하여 비가역적 말기 심부전 상태로 판단하기 어려워 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 1. 적응증 ①에 해당된다고 판단할 수 없으므로 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인하지 않음.</p>
P	남/59세	승인	<p>이 사례는 확장성 심근병증 환자로, 2016년 최초 진단 후 약물치료 시작하였고, 2025년 11월 흉통으로 타기관 내원하여 시행한 관상동맥조영술(CAG) 상 특이소견 없었으나, 심방세동으로 Cardioversion 시행 하였으나 정상 리듬으로 회복되지 않는 심장성 쇼크 상태로 해당 기관 전원하여 입원치료 시작하였고, NYHA class IV, INTERMACS level 3 등의 소견 확인되어 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 검토한 결과, 정맥 강심제 의존적인 상태로 좌심실박출률</p>

사례	성별/나이	심의결과	결정 사유
			(LVEF) 24%, 폐동맥쇄기압(PAWP) 21mmHg, 심장지수(Cardiac Index) 1.63L/min/m ² 등의 비가역적 말기 심부전 소견 확인되어 「심실 보조장치 치료술의 요양급여에 관한 기준」 1. 적응증 ① 2), 3)에 해당하여 심실 보조장치 치료술(VAD) 요양급여 대상으로 승인함.

[2025. 12. 8. ~ 12. 9. 심실 보조장치 치료술 분과위원회]

[2025. 12. 16. ~ 12. 17. 심실 보조장치 치료술 분과위원회]

[2025. 12. 17. ~ 12. 18. 심실 보조장치 치료술 분과위원회]

[2025. 12. 23. 심실 보조장치 치료술 분과위원회]

[2026. 1. 29. 중앙심사조정위원회]

2. Voretigene neparvovec 주사제(품명: 렉스터나주) 요양급여 대상여부(2사례)

- 위원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 Voretigene neparvovec 주사제 (품명: 렉스터나주) 보건복지부 고시(제2024-20호, 2024.2.1.시행)에 따라 요양급여 여부를 결정하는 사전승인제도를 실시하고 있음.
- 「사전심사의 절차 등에 관한 세부사항」 건강보험심사평가원 공고(제2025-213호, 2025.10.1.)에 따라
 1. 렉스터나주의 요양급여를 신청하고자 하는 경우에는 별지 제11호 서식에 따른 렉스터나주 요양급여 사전승인 신청서를 제출하여야 함(제4조제1항).
 2. 사전승인 신청기관은 요양급여대상으로 승인받은 경우 심의결과를 통보받은 날부터 60일 이내에 렉스터나주를 투여하여야 하고, 60일을 경과하여 투여하게 되는 경우에는 재신청하여야 함(제4조제3항).

□ 렉스터나주 요양급여 대상여부 심의결과 총괄

(단위: 사례)

합계	렉스터나주 요양급여 신청				이의신청			
	소계	승인 (급여)	불승인	자료 보완	소계	인정	자료보완	기각
2	2	1	1	-	-	-	-	-

□ 렉스터나주 요양급여 대상여부

가. 승인신청(1사례)

사례	성별/ 나이	생년월일	투여 예정 안구	심의 결과	심의내용
1	여/26	1999. 3. 22	양안	승인	이 사례는 RPE65 돌연변이의 유전자적 진단 소견, 좌안 시력 0.04, 우안 시력 0.04, 빛간섭단층촬영 소견에서 후극부 망막 두께 좌안 199 μ m, 우안 226 μ m 등의 검사결과를 첨부하여 렉스터나주 (Voretigene neparvovec) 요양급여 승인 신청함. 제출한 진료기록을 확인한 결과 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」(보건복지부 고시 제2024-20호, 2024.2.1.) Voretigene neparvovec(품명: 렉스터나주) 급여기준 투여대상에 적합하고 제외대상에 해당하지 않아 요양급여 신청을 승인함.
2	여/33	1992. 6. 26	우안	불승인	이 사례는 RPE65 돌연변이의 유전자적 진단 소견, 우안 시력 안전수동, 빛간섭단층촬영 소견에서 후극부 망막 두께 우안 144 μ m 등의 검사결과를 첨부하여 렉스터나주 (Voretigene neparvovec) 요양급여 승인 신청함. 제출한 진료기록을 확인한 결과 안저 소견 상 위축 및 색소 변성이 없는 망막 면적이 시신경 유두 면적의 3배 이상으로 확인되지 않아 충분한 생존 망막세포가 존재하는 것으로 보기 어려워 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」(보건복지부 고시 제2024-20호, 2024.2.1.) Voretigene neparvovec(품명: 렉스터나주) 급여기준 투여대상을 만족하지 않으므로 요양급여 신청을 불승인함.

[2025. 12. 9. 렉스터나주 분과위원회]

[2026. 1. 29. 중앙심사조정위원회]

3. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 및 Ravulizumab 주사제 (품명: 울토미리스주 등) 요양급여 대상여부(16사례)

- 우리원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」(보건복지부 고시 제2025-169호, 2025. 10. 1.시행)에 따라 솔리리스주 등(aHUS) 요양급여 대상여부를 결정하는 사전승인제도를 실시하고 있음.
- 우리원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」(보건복지부 고시 제2025-169호, 2025. 10. 1.시행)에 따라 울토미리스주 등(aHUS) 요양급여 대상여부를 결정하는 사전승인제도를 실시하고 있음.
- 「사전심사의 절차 등에 관한 세부사항」(건강보험심사평가원 공고 제2025-213호, 2025. 10. 1.시행)에 의거하여 관련 고시에 따른 사전승인을 위한 사전심사의 절차 및 방법, 위원회 구성, 기준 등 필요한 세부사항을 정하고 있음.

□ 심의결과

(단위: 사례)

심의년월	약제명	전체	승인신청		모니터링	
			승인	불승인	승인	불승인
2025.12.	울토미리스주 등	1	1	-	-	-
	솔리리스주 등	1	-	1	-	-
	솔리리스주 등	3	1	-	1	1
	울토미리스주 등	6	-	1	2	3
	솔리리스주 등	2	2	-	-	-
	울토미리스주 등	1	-	1	-	-
	솔리리스주 등	1	1	-	-	-
	울토미리스주 등	1	-	1	-	-

[Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여 대상여부]

○ 승인신청(1사례)

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
2025.12.	A	남/58세	<p>이 사례는 당뇨, 고혈압, 만성 신질환의 기저질환이 있는 환자로, 내원 1달전부터 발생한 하지부종과 운동시 호흡곤란으로 내원 후 시행한 검사에서 신기능 악화와 혈소판 감소, 빈혈, 분열적혈구 검출 등 활성형 미세혈관병증 소견으로 비정형 용혈성 요독 증후군 판단하에 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여를 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 급여기준 투여대상에 적합하고 제외대상에 해당되지 않아 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여를 승인하며 투여 후 2개월 모니터링 보고서를 제출토록 함.</p>	승인

[Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 대상여부]

○ 승인신청(1사례)

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
2025.12.	A	여/51세	<p>이 사례는 고혈압, IgA 신병증의 기저질환이 있는 환자로, 2025년 11월 28일 신장이식 시행 후 시행한 검사에서 혈소판 감소, 빈혈, LDH 상승, Haptoglobin 감소 등 활성형 미세혈관병증 소견으로 비정형 용혈성 요독 증후군 판단하에 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여를 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, eGFR 20% 이상 감소에 해당되지 않아 급여기준 투여대상에 해당되지 않고, 약물(tacrolimus)로 인한 이차성 혈전미세혈관병증을 배제할 수 없어 급여기준 제외대상에 해당되므로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여를 불승인함.</p>	불승인

[Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 대상여부]

○ 승인신청 (1사례)

심의년월	사례	성별/나이	심의내용	심의결과
2025.12.	A	남/28세	이 사례는 만성신부전의 기저질환이 있는 환자로, '25. 9월 신장이식 위해 입원하여 시행한 검사에서 혈소판감소, 빈혈, haptoglobin 감소 등 활성화 미세혈관병증 소견으로 비정형 용혈성 요독 증후군 진단함. 이후 신장이식 예정자로 이식 전에 약제 투여가 필요하여 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여를 승인 신청함. 제출된 진료기록을 확인한 결과, 비정형 용혈성 요독증후군으로 인한 말기 신부전이 의심되어 신장이식 전후에 동 약제 투여가 필요한 경우로 판단되어, 향후 신장이식 진행 시 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여를 승인하며 투여 후 2개월 모니터링 자료를 제출토록 함.	승인

○ 모니터링 심의(2사례)

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		심의내용	심의결과
2025.12.	A	남/62세	1차	2개월	이 사례는 급여기준에 적합하여 요양급여 승인된 환자임. Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 투여 후 혈소판수, haptoglobin, LDH 정상화 및 신장 기능 개선이 확인되어 지속투여를 승인하며, 추후('26년 4월) 6개월 모니터링 자료를 제출토록 함.	지속투여 승인
	B	여/31세	1차	2개월	이 사례는 급여기준에 적합하고 유의미한 유전자 변이가 확인되지 않은 요양급여 승인 환자로 혈소판수, 헤모글로빈, LDH, 분열적혈구 등의 혈액학적 수치 정상화 및 신장 기능 개선 확인되지 않음. 급여기준 1. 나. 3) 라) 투여중단기준 (4)의 (가) 혈액학적 수치 정상화와 신장기능 개선 모두 만족하지 못한 경우로 투여중단 기준에 적합하여 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 지속투여를 불승인함. 중단 이후 재발 시 사전신청서(ADAMTS-13, STEC 결과 생략 가능) 제출 후 즉시 투여 가능하며, 심의 결과 통보 전까지 투여분을 요양 급여함. ※ '26.1.1.부터 보건복지부 고시 제2025-224호 급여기준 1.나.3)마) 재투여 기준을 적용함.	지속투여 불승인

[Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여 대상여부]

○ 승인신청 (1사례)

심의년월	사례	성별/나이	심의내용	심의결과
2025.12.	A	여/51세	<p>이 사례는 지난 분과위원회(2025.12.16.)에서 급여기준 투여대상의 신장손상에 적합하지 않고, 약물로 인한 2차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 Eculizumab(품명:솔리리스주 등) 요양급여 신청이 불승인된 사례임. 이후 소견서 등 추가자료 첨부하여 Ravulizumab(품명: 울토미리스주 등) 재심의 승인 신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, eGFR 수치가 20% 이상 감소에 해당되지 않아 급여기준 투여대상에 적합하지 않으므로 Ravulizumab (품명:울토미리스주 등) 요양급여를 불승인함.</p>	불승인

○ 모니터링 심의(5사례)

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		심의내용	심의결과
2025.12.	A	여/74세	1차	2개월	<p>이 사례는 급여기준에 적합하고 비정형 용혈성 요독 증후군과 관련된 유의미한 유전자 변이가 확인되지 않은 요양급여 승인 환자임.</p> <p>Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 투여 후 혈소판 및 LDH 호전, haptoglobin 정상화와 신장기능 개선이 확인되어 지속 투여를 승인하며, 추후('26년 4월) 6개월 모니터링 자료를 제출토록 함.</p>	지속투여 승인
	B	남/79세	2차	6개월	<p>이 사례는 급여기준에 적합하고 비정형 용혈성 요독 증후군과 관련된 유전자 변이가 확인되지 않은 환자임. 급여기준 1. 나. 3) 라) 투여중단기준 (4)의 (나)혈액학적 수치 정상화와 신장기능 개선 모두 만족하여 6개월 동안 결과가 지속된 경우로 투여중단 기준에 적합하여 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 지속 투여를 불승인함.</p> <p>중단 이후 재발 시 사전신청서(ADAMTS-13, STEC 결과 생략 가능) 제출 후 즉시 투여 가능하며, 심의결과 통보 전까지 투여분을 요양 급여함.</p> <p>※ '26.1.1.부터 보건복지부 고시 제2025-224호 급여기준 1.나.3)마) 재투여 기준을 적용함.</p>	지속투여 불승인

심의년월	사례	성별/나이	모니터링 차수		심의내용	심의결과
	C	여/69세	4차	18개월	<p>이 사례는 급여기준에 적합하고 비정형 용혈성 요독 증후군과 관련된 유의미한 유전자변이가 확인되지 않은 환자임. 18개월 약제투여 지속하며 혈소판수, 헤모글로빈, haptoglobin 정상화 및 신장 기능 개선 등이 확인됨.</p> <p>급여기준 1. 나. 3) 라) 투여중단기준 (4)의 (나)혈액학적 수치 정상화와 신장기능 개선 모두 만족하여 6개월 동안 결과가 지속된 경우로 투여중단 기준에 적합하여 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 지속 투여를 불승인함.</p> <p>중단 이후 재발 시 사전신청서(ADAMTS-13, STEC 결과 생략 가능) 제출 후 즉시 투여 가능하며, 심의 결과 통보 전까지 투여분을 요양 급여함.</p> <p>※ '26.1.1.부터 보건복지부 고시 제2025-224호 급여기준 1.나.3)마) 재투여 기준을 적용함.</p>	지속투여 불승인
	D	남/2세	6차	30개월	<p>이 사례는 급여기준에 적합하고 비정형 용혈성 요독 증후군과 관련된 유전자 변이가 확인되지 않은 요양 급여 승인 환자임.</p> <p>Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 투여 후 혈소판수, 헤모글로빈, haptoglobin, LDH 정상화 및 신장 기능 개선이 확인되어 지속 투여를 승인하며, 추후('26년 6월) 6개월 모니터링 자료를 제출토록 함.</p>	지속투여 승인
	E	여/60세	9차	48개월	<p>이 사례는 급여기준에 적합하고 재발 이력이 있는 환자로 48개월 약제투여 지속하며 혈소판수, 헤모글로빈, haptoglobin 정상화 및 신장 기능 개선 등이 확인됨.</p> <p>급여기준 1. 나. 3) 라) 투여중단기준 (4)의 (나)혈액학적 수치 정상화와 신장기능 개선 모두 만족하여 6개월 동안 결과가 지속된 경우로 투여중단 기준에 적합하여 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 지속 투여를 불승인함.</p> <p>중단 이후 재발 시 사전신청서(ADAMTS-13, STEC 결과 생략 가능) 제출 후 즉시 투여 가능하며, 심의 결과 통보 전까지 투여분을 요양 급여함.</p> <p>※ '26.1.1.부터 보건복지부 고시 제2025-224호 급여기준 1.나.3)마) 재투여 기준을 적용함.</p>	지속투여 불승인

[Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 대상여부]

○ 승인신청(2사례)

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
2025.12.	A	남/51세	이 사례는 다발골수종으로 조혈모세포이식 기왕력이 있는 환자로, 내원 1주전 독감 진단 후 객혈 발생하여 응급실에서 시행한 검사 상 급성 신손상과 혈소판감소, 빈혈, LDH 상승 등 활성형 혈전미세혈관병증 소견으로 비정형 용혈성 요독 증후군 판단하에 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여를 승인신청함. 제출된 진료기록을 확인한 결과, 급여기준 투여대상에 적합하고 제외기준에 해당하지 않아 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여를 승인하며 투여 후 2개월 모니터링 자료를 제출토록 함.	승인
	B	남/35세	이 사례는 '19. 8월 비정형 용혈성 요독증후군으로 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 투여받은 환자임. 이후 말기신부전으로 신장이식 예정된 자로 이식 전 동 약제 투여가 필요하여 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여를 승인 신청함. 제출된 진료기록을 확인한 결과, 과거 비정형 용혈성 요독증후군 진단받은 환자로 향후 신장이식 진행 시 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여를 승인하며 투여 후 2개월 모니터링 자료를 제출토록 함.	승인

[Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여 대상여부]

○ 승인신청(1사례)

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
2025.12.	A	여/9세	이 사례는 '25. 10월 유전성 혈구탐식성 림프조직구증으로 조혈모세포이식 후 면역억제제(Tacrolimus) 투여 중인 환자로, 최근 폐부종 및 고혈압으로 치료하던 중 혈소판감소, LDH 상승, haptoglobin 저하, 분열적혈구 검출 등 혈전미세혈관병증 소견으로 비정형 용혈성 요독 증후군 판단하에 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여를 승인 신청함. 제출된 진료기록을 확인한 결과, 혈청 크레아티닌 수치가 급여기준 투여대상에서 정한 신장손상에 해당되지 않고, 약물(Tacrolimus)로 인한 이차성 혈전미세혈관병증으로 판단되어 급여기준 제외대상에 해당하므로 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여를 불승인함.	불승인

[Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여 대상여부]

○ 승인신청(1사례)

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
2025.12.	A	여/30세	<p>이 사례는 내원 2일 전 자연분만한 환자로, 호흡곤란으로 응급실 내원 후 시행한 검사에서 급성 신손상과 혈소판감소, 빈혈, LDH 상승 등 활성화 미세혈관병증 소견으로 비정형 용혈성 요독증후군 판단하에 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여를 승인신청함.</p> <p>제출된 진료기록을 확인한 결과, 급여기준 투여대상에 적합하고 제외대상에 해당하지 않아 Eculizumab 주사제(품명: 솔리리스주 등) 요양급여를 승인하며 투여 후 2개월 모니터링 자료를 제출토록 함.</p>	승인

[Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여 대상여부]

○ 승인신청(1사례)

심의년월	구분	성별/나이	심의내용	심의결과
2025.12.	A	여/87세	<p>이 사례는 고혈압, 당뇨, 만성신질환 등의 기저질환이 있는 환자로, 투석 후 발생한 저산소증 및 고혈압으로 시행한 검사에서 신장기능 악화 및 활성화 미세혈관병증 소견으로 비정형 용혈성 요독 증후군 판단하에 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여를 승인신청함.</p> <p>제출된 기록을 확인한 결과, Coomb's test 양성 및 자가항체 양성소견은 활동성 자가면역질환으로 인한 이차성 혈전미세혈관 병증으로 판단되어 급여기준 제외대상에 해당되므로 Ravulizumab 주사제(품명: 울토미리스주 등) 요양급여를 불승인함.</p>	불승인

[2025. 12. 1. ~ 12. 2. 솔리리스주 등·울토미리스주 등(aHUS) 분과위원회(서면)]
 [2025. 12. 15. ~ 12.16. 솔리리스주 등·울토미리스주 등(aHUS) 분과위원회(서면)]
 [2025. 12. 22. 솔리리스주 등·울토미리스주 등(aHUS) 분과위원회(대면)]
 [2025. 12. 26. ~ 12. 29. 솔리리스주 등·울토미리스주 등(aHUS) 분과위원회(서면)]
 [2025. 12. 30. ~ 12. 31. 솔리리스주 등·울토미리스주 등(aHUS) 분과위원회(서면)]
 [2026. 1. 29. 중앙심사조정위원회]

4. 면역관용요법(Immune Tolerance Induction) 요양급여 대상여부(3사례)

- 우리원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2013-127호, 2013. 9. 1.시행 / 제2023-146호, 2023. 8. 1. 시행)에 의거, 요양급여 여부를 결정하는 사전심의제도를 운영하고 있음.
- 「사전심사의 절차 등에 관한 세부사항」 건강보험심사평가원 공고(제2025-213호, 2025. 10. 1.)에 의거,
 1. 요양급여를 신청하고자 하는 실시기관은 별지 제2-2호 또는 제2-4호 서식에 따른 면역관용요법 요양급여 사전심사 신청서를 원장에게 제출하여야 하며,
 2. 실시기관은 심의결과 통보일로부터 60일 이내에 면역관용요법을 실시하여야 함(다만 60일을 경과하여 실시하고자 하는 경우에는 재신청하여야 함)
 3. 실시기관이 면역관용요법을 계속하려는 경우에는 3개월마다 별지 제2-3호 또는 제2-5호 서식에 따른 지속투여 신청서를 작성하여 원장에게 제출하여야 함.
 4. 제출된 신청에 대해 원장은 위원회를 구성하여 심의하고 결과를 실시기관에 통보한다.

□ 면역관용요법 요양급여 대상여부-정기 보고서 제출 건(3사례)

(단위: 사례)

개최년도	개최분기	계	승인	불승인	종료
2025	4분기	3	2	-	1

○ 세부내역

- 「사전심사의 절차 등에 관한 세부사항(건강보험 심사평가원 공고 제2025-213호, 2025. 10. 1.)」은 제4조에서 실시기관이 정기 보고서를 제출하도록 규정되어 있고, 면역관용요법 분과위원회는 제출된 정기보고서에 따른 요양 급여의 종료 또는 계속 인정여부를 심의하도록 규정하고 있음.

개최년도	개최분기	성별/나이	진단명	심의결과	심의내용
2025년	4분기	남/27세	혈우병A	승인	이 사례는 Hemophilia A를 진단받은 환자로, 그린진에프주 53.9 IU/kg를 주 3회 투여 중으로 면역관용요법 요양급여 대상여부-지속투여 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 최근 항체가 음성으로 유지되고 있고, 3개월 간 출혈력 없어 급여기준에 부합하여 면역관용요법 지속투여를 승인함.
		남/44세	혈우병A	승인	이 사례는 Hemophilia A를 진단받은 환자이며, 이뮤네이트주 90 IU/kg 투여 중으로 면역관용요법 요양급여 대상여부-지속투여 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과 최근 3개월간 출혈력이 없고, 투여용량 감량 후 항체역가가 음성('25.9.18.)으로 유지 중으로 급여기준에 부합하여 면역관용요법 지속투여를 승인함.

개최년도	개최분기	성별/나이	진단명	심의결과	심의내용
		남/31세	혈우병A	종료 (성공기준 미충족)	<p>이 사례는 Hemophilia A를 진단받은 환자로 '25년 9월 분과위원회에서 공고에 따라 48개월('25.10) 까지 면역관용요법 시행을 승인하였으나 최종 투여일 '25.12.17.(50개월 시점) 지속투여·추적관찰 종료 보고서를 제출함.</p> <p>제출된 자료를 확인한 결과 48개월 시점('25.10)의 억제인자 역가는 1.02BU/ml, 회복률은 144.5%, 반감기는 미제출하였으며 50개월 시점('25.12)의 억제인자 역가는 0.57BU/ml, 회복률은 75.9%, 반감기는 6.1시간으로 「사전심사의 절차 등에 관한 세부사항」(건강보험심사평가원 공고 제2025-123호, '25.5.22.시행) [별표5]에 따라 성공기준 미충족으로 면역관용요법을 종료함.</p>

[2025. 12. 16. 면역관용요법 분과위원회]

[2026. 1. 29. 중앙심사조정위원회]

5. 조혈모세포이식 요양급여 대상여부(104사례)

- 우리원에서는 「조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준」 보건복지부 고시(제2022-313호, 2023. 1. 1.시행)에 따라 조혈모세포이식 실시기관 승인 신청 및 요양급여 또는 선별급여 여부를 결정하는 사전승인제도를 실시하고 있음.
- 조혈모세포이식 실시 대상자는 진료심사평가위원회의 심의 결과 요양급여 기준에 적합한 경우는 요양급여대상으로 인정하며, 적합하지 않은 경우에도 선별급여 대상으로 인정 할 수 있음.
- 선별급여 대상 환자가 **조혈모세포이식을 시행받기 위해 입원한 경우**, 「조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준 (보건복지부 고시 제2022-313호, 2023. 1. 1.시행)」 [별표3] 선별급여대상자 요양급여비용 산정방법에 따라 이식과 직접 관련된 진료기간(조혈모세포 주입 전 1주부터 주입 후 2주)의 요양급여비용 (이식술료, 이식과 관련된 입원료[무균치료실료 포함], 시술 전·후 처치 등)에 대하여는 100분의 50을 본인에게 부담토록 함.
 - 그 외의 기간에 이루어지는 진료비(검사와 합병증 및 후유증 진료비 등)에 대하여는 국민건강보험법 시행령 [별표2] 및 본인일부부담금 산정특례에 관한 기준에 따라 본인부담률을 적용함.

□ 조혈모세포이식 요양급여 대상 승인 여부(104사례)

○ 심의결과

(단위: 사례)

구분		계	동종	제대혈	자가
처리결과	계	104	47	1	56
	요양급여	94	38	1	55
	선별급여	10	9	-	1

○ 심의내용

구분	사례수	결정결과	상병	결정내용
동종	총 47 사례	요양급여 38 사례	급성골수성백혈병 12 사례	이 사례는 급성골수성백혈병을 진단받은 환자로, 1차 동종 조혈모세포이식 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 1-가-2) 급성골수모구성백혈병(Acute Myeloblastic Leukemia, APL 제외) 급여기준에 부합하여 요양급여로 결정함.
			급성림프모구백혈병 13 사례	이 사례는 진단 시 15세 이상인 급성림프모구백혈병을 진단받은 환자로, 1, 2차 동종 조혈모세포이식 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 1-다. 급성림프모구백혈병(Acute Lymphoblastic Leukemia) 급여기준에 부합하여 요양급여로 결정함.
			골수형성이상증후군 6 사례	이 사례는 골수형성이상증후군을 진단받은 환자로, 1차 동종 조혈모세포이식 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 1-마. 골수형성이상증후군(Myelodysplastic Syndrome) 급여기준에 부합하여 요양급여로 결정함.

구분	사례수	결정결과	상병	결정내용
			비호지킨림프종 3 사례	이 사례는 비호지킨림프종을 진단받은 환자로, 1, 2차 동종 조혈모세포이식을 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 1-사-1) 비호지킨 림프종 급여기준에 부합하여 요양급여로 결정함.
			일차골수섬유증 1 사례	이 사례는 일차골수섬유증을 진단받은 환자로, 1차 동종 조혈모세포이식 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 1-자. 일차골수섬유증(Primary Myelofibrosis) 급여기준에 부합하여 요양급여로 결정함.
			Wiskott-Aldrich syndrome 1 사례	이 사례는 Wiskott-Aldrich syndrome을 진단받은 환자로, 1차 동종 조혈모세포이식 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 1-하-1) Wiskott-Aldrich syndrome 급여기준에 부합하여 요양급여로 결정함.
			Chronic Myeloid Leukemia, BCR-ABL1 Positive, Blastphase, Myeloid sarcoma 1 사례	이 사례는 Chronic Myeloid Leukemia, BCR-ABL1 Positive, Blast phase, Myeloid sarcoma를 진단받은 환자로, 1차 동종 조혈모세포이식 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, [별표2]의 조혈모세포이식 요양급여의 대상자 기준의 질병에 해당하지 않으나, 진료심사평가 위원회가 제출된 자료를 참고하여 심의를 한 결과 요양급여의 필요성이 있다고 인정한 경우에 해당하여 요양급여로 결정함.
			secondary myelofibrosis 1 사례	이 사례는 secondary myelofibrosis를 진단받은 환자로, 1차 동종 조혈모세포이식 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 조혈모세포이식 고시 개정 관련 질의응답(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행)의 사례별 상병-10. Secondary Myelofibrosis 인정기준은 '일차골수섬유증과 동일한 기준으로 사례별 인정'으로 규정하고 있으며, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 1-자. 일차골수섬유증(Primary Myelofibrosis) 급여기준에 부합하여 요양급여로 결정함.
	선별급여 9 사례		급성골수성백혈병 1 사례	이 사례는 급성골수성백혈병을 진단받은 환자로, 1차 동종 조혈모세포이식을 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 혈액학적으로 완전관해로 보기 어려워, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 1-가-2) 급성골수모구성백혈병(Acute Myeloblastic Leukemia, APL 제외) 급여 기준에 부합하지 않아 선별급여로 결정함.
			급성림프모구백혈병 1 사례	이 사례는 진단 시 15세 이상인 급성림프모구백혈병을 진단받은 환자로, 2차 동종 조혈모세포이식 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, [별표 1] 2-가-3) 혈연 공여자에서 반일치(Haploidentical)하는 경우의 요양급여 기준에 부합하지 않아 선별급여로 결정함.

구분	사례수	결정결과	상병	결정내용
			중증재생불량성빈혈 1 사례	이 사례는 중증재생불량성빈혈을 진단받은 환자로, 1차 동종 조혈모세포이식 요양급여 대상 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 말초혈액 검사 결과가 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 1-라. 중증재생불량성빈혈(Severe Aplastic Anemia) 급여기준에 부합하지 않아 선별급여 결정함.
			골수형성이상증후군 2 사례	이 사례는 골수형성이상증후군을 진단받은 환자로, 1차 동종 조혈모세포이식을 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 중간위험군으로, 말초혈액검사 및 최근 6개월 이내 6units 이상 적혈구 수혈 등이 확인되지 않아, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 1-마. 골수형성이상증후군(Myelodysplastic Syndrome) 요양급여 기준에 부합하지 않아 선별급여로 결정함.
			비호지킨림프종 3 사례	이 사례는 비호지킨림프종을 진단받은 환자로, 1차 동종 조혈모세포이식을 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, Systemic EBV-positive T-cell lymphoma of childhood, Chronic active EBV로 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 대상 질병에 해당하지 않는 고시 외 상병으로 이식 관련 근거가 부족하여 선별급여로 결정함.
				이 사례는 비호지킨림프종을 진단받은 환자로, 2차 동종 조혈모세포이식을 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, Lymphoblastic lymphoma로 [별표 1] 2-가-3) 혈연 공여자에서 반일치(Haploidentical)하는 경우의 요양급여 기준에 부합하지 않아 선별급여로 결정함.
			호지킨림프종 1 사례	이 사례는 호지킨림프종을 진단받은 환자로, 1차 동종 조혈모세포이식을 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 자가 조혈모세포이식 후 재발된 경우에 해당하지 않아, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 1-사-2) 호지킨 림프종 급여기준에 부합하지 않아 선별급여 결정함.
제대혈	총 1 사례	요양급여 1 사례	골수형성이상증후군 1 사례	이 사례는 골수형성이상증후군을 진단받은 환자로, 1차 제대혈 조혈모세포이식 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 1-마. 골수형성이상증후군(Myelodysplastic Syndrome) 급여기준에 부합하여 요양급여로 결정함.

구분	사례수	결정결과	상병	결정내용
자가	총 56 사례	요양급여 55 사례	비호지킨림프종 19 사례	이 사례는 비호지킨림프종을 진단받은 환자로, 1차 자가 조혈모세포이식을 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 2-사-1) 비호지킨 림프종 급여기준에 부합하여 요양급여로 결정함.
			호지킨림프종 3 사례	이 사례는 비호지킨림프종을 진단받은 환자로, 1차 자가 조혈모세포이식을 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 2-사-2) 호지킨 림프종 급여기준에 부합하여 요양급여로 결정함.
			다발골수종 30 사례	이 사례는 다발골수종을 진단받은 환자로, 1,2차 자가 조혈모세포이식 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 2-라-1) 다발골수종(Multiple Myeloma) 급여기준에 부합하여 요양급여로 결정함.
			AL 아밀로이드증 1 사례	이 사례는 AL 아밀로이드증을 진단받은 환자로, 1차 자가 조혈모세포이식 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 2-라-2) AL 아밀로이드증(AL amyloidosis) 급여기준에 부합하여 요양급여로 결정함.
			POEMS 증후군 1 사례	이 사례는 POEMS 증후군을 진단받은 환자로, 1차 자가 조혈모세포이식 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 2-라-3) POEMS 증후군 급여기준에 부합하여 요양급여로 결정함.
			수모세포종 1 사례①*	이 사례는 수모세포종을 진단받은 환자로, Tandem 조혈모세포이식 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 2-자-2) 2회 연속적인 자가 조혈모세포이식(tandem transplation) 급여기준에 부합하여 요양급여로 결정함.
		선별급여 1 사례	소아뇌종양-고등급교종 1 사례	이 사례는 소아뇌종양-고등급교종을 진단받은 환자로, 1차 자가 조혈모세포이식 요양급여 대상 승인 신청함. 제출된 자료를 확인한 결과, 조혈모세포이식의 요양급여에 관한 기준(보건복지부 고시 제2022-313호, 2023.1.1. 시행) [별표 2] 대상 질병에 해당하지 않는 고시 외 상병으로 이식 관련 근거가 부족하여 선별급여로 결정함.
계	104 사례			

* ①: tandem transplantation

[별첨] 조혈모세포이식 대상자 승인 결과

연번	신청구분	성별	나이(세)	진단명	승인결과
1	동종	남	55	급성골수성백혈병(AML)	요양급여
2		여	59	급성골수성백혈병(AML)	요양급여
3		남	62	급성골수성백혈병(AML)	요양급여
4		남	56	급성골수성백혈병(AML)	요양급여
5		여	69	급성골수성백혈병(AML)	요양급여
6		여	60	급성골수성백혈병(AML)	요양급여
7		남	59	급성골수성백혈병(AML)	요양급여
8		남	58	급성골수성백혈병(AML)	요양급여
9		남	19	급성골수성백혈병(AML)	요양급여
10		여	52	급성골수성백혈병(AML)	요양급여
11		남	58	급성골수성백혈병(AML)	요양급여
12		여	61	급성골수성백혈병(AML)	선별급여
13		여	27	급성골수성백혈병(AML)	요양급여
14		여	40	급성림프모구백혈병(ALL)	요양급여
15		남	34	급성림프모구백혈병(ALL)	요양급여
16		여	36	급성림프모구백혈병(ALL)	요양급여
17		여	43	급성림프모구백혈병(ALL)	요양급여
18		여	31	급성림프모구백혈병(ALL)	요양급여
19		남	15	급성림프모구백혈병(ALL)	요양급여
20		여	57	급성림프모구백혈병(ALL)	요양급여
21		남	18	급성림프모구백혈병(ALL)	요양급여
22		남	23	급성림프모구백혈병(ALL)	선별급여
23		여	23	급성림프모구백혈병(ALL)	요양급여
24		여	63	급성림프모구백혈병(ALL)	요양급여
25		여	6	급성림프모구백혈병(ALL)	요양급여
26		여	68	급성림프모구백혈병(ALL)	요양급여
27		여	46	급성림프모구백혈병(ALL)	요양급여
28		여	50	중증재생불량성빈혈(Severe aplastic anemia)	선별급여
29		여	29	골수형성이상증후군(MDS)	선별급여
30		남	6	골수형성이상증후군(MDS)	요양급여
31		남	66	골수형성이상증후군(MDS)	요양급여
32		남	62	골수형성이상증후군(MDS)	요양급여
33		남	15	골수형성이상증후군(MDS)	요양급여
34		남	61	골수형성이상증후군(MDS)	요양급여
35		여	50	골수형성이상증후군(MDS)	선별급여
36		남	60	골수형성이상증후군(MDS)	요양급여
37		여	10	비호지킨림프종(Systemic EBV-positive T-cell lymphoma of childhood, Chronic active EBV)	선별급여
38		남	57	비호지킨림프종(Lymphoblastic lymphoma)	선별급여
39		남	48	비호지킨림프종(Extranodal NK/T cell lymphoma, nasal type)	요양급여
40		남	60	비호지킨림프종(Plasmablastic lymphoma)	선별급여
41		여	54	비호지킨림프종(Anaplastic large cell lymphoma, ALK(+))	요양급여
42		남	56	비호지킨림프종(Extranodal NK/T cell lymphoma, nasal type)	요양급여

연번	신청구분	성별	나이(세)	진단명	승인결과
43		남	53	호지킨림프종	선별급여
44		여	67	일차골수섬유증(Primary myelofibrosis)	요양급여
45		여	49	Chronic Myeloid Leukemia, BCR-ABL1 Positive, Blastphase, Myeloid sarcoma	요양급여
46		여	57	secondary myelofibrosis	요양급여
47		남	1	Wiskott-Aldrich syndrome	요양급여
48	제대혈	남	45	골수형성이상증후군(MDS)	요양급여
49	자가	남	63	비호지킨림프종(Diffuse large B-cell lymphoma)	요양급여
50		남	64	비호지킨림프종(Primary CNS lymphoma)	요양급여
51		여	54	비호지킨림프종(Peripheral T-cell lymphoma)	요양급여
52		여	53	비호지킨림프종(Diffuse large B-cell lymphoma)	요양급여
53		여	64	비호지킨림프종(Primary CNS lymphoma)	요양급여
54		여	54	비호지킨림프종(Primary CNS lymphoma)	요양급여
55		남	49	비호지킨림프종(Burkitt lymphoma)	요양급여
56		남	64	비호지킨림프종(Primary CNS lymphoma)	요양급여
57		남	52	비호지킨림프종(Peripheral T-cell lymphoma)	요양급여
58		여	63	비호지킨림프종(Peripheral T-cell lymphoma)	요양급여
59		남	61	비호지킨림프종(Peripheral T-cell lymphoma)	요양급여
60		여	39	비호지킨림프종(Peripheral T-cell lymphoma)	요양급여
61		여	56	비호지킨림프종(Primary CNS lymphoma)	요양급여
62		남	54	비호지킨림프종(Diffuse large B-cell lymphoma)	요양급여
63		여	53	비호지킨림프종(Diffuse large B-cell lymphoma)	요양급여
64		여	54	비호지킨림프종(Primary CNS lymphoma)	요양급여
65		남	61	비호지킨림프종(Peripheral T-cell lymphoma)	요양급여
66		남	51	비호지킨림프종(Peripheral T-cell lymphoma)	요양급여
67		여	67	비호지킨림프종(Diffuse large B-cell lymphoma)	요양급여
68		남	61	호지킨림프종	요양급여
69		여	65	호지킨림프종	요양급여
70		여	44	호지킨림프종	요양급여
71		남	51	다발골수종(MM)	요양급여
72		여	69	다발골수종(MM)	요양급여
73		남	56	다발골수종(MM)	요양급여
74		여	68	다발골수종(MM)	요양급여
75		남	69	다발골수종(MM)	요양급여
76		남	64	다발골수종(MM)	요양급여
77		여	63	다발골수종(MM)	요양급여
78		여	51	다발골수종(MM)	요양급여
79		남	52	다발골수종(MM)	요양급여
80		남	45	다발골수종(MM)	요양급여
81		여	49	다발골수종(MM)	요양급여
82		남	66	다발골수종(MM)	요양급여
83		남	59	다발골수종(MM)	요양급여
84		남	68	다발골수종(MM)	요양급여
85		여	54	다발골수종(MM)	요양급여

연번	신청구분	성별	나이(세)	진단명	승인결과
86		남	63	다발골수종(MM)	요양급여
87		여	58	다발골수종(MM)	요양급여
88		남	47	다발골수종(MM)	요양급여
89		남	68	다발골수종(MM)	요양급여
90		남	66	다발골수종(MM)	요양급여
91		남	59	다발골수종(MM)	요양급여
92		여	69	다발골수종(MM)	요양급여
93		남	59	다발골수종(MM)	요양급여
94		남	65	다발골수종(MM)	요양급여
95		여	68	다발골수종(MM)	요양급여
96		남	66	다발골수종(MM)	요양급여
97		여	56	다발골수종(MM)	요양급여
98		여	67	다발골수종(MM)	요양급여
99		남	69	다발골수종(MM)	요양급여
100		여	55	다발골수종(MM)	요양급여
101		남	64	AL 아밀로이드증(AL amyloidosis)	요양급여
102		남	49	POEMS 증후군	요양급여
103		여	13	소아뇌종양-고등급교종(Diffuse pediatric-type high-grade glioma)	선별급여
104		여	12	수모세포종(Medulloblastoma)㉔*	요양급여

* ㉔: Tandem 이식

[2025. 12. 23. ~ 12. 26. 조혈모세포이식 분과위원회]

[2026. 1. 29. 중앙심사조정위원회]

6. Burosumab 주사제(품명: 크리스비타주) 요양급여 대상여부(3사례)

- 우리원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 Burosumab 주사제(품명: 크리스비타주) 보건복지부 고시(제2023-82호, 2023.5.1.시행)에 따라 요양급여 여부를 결정하는 사전승인제도를 실시하고 있음.

○ 「사전심사의 절차 등에 관한 세부사항」 건강보험심사평가원 공고 (제2025-213호, 2025. 10. 1.시행)에 따라

1. 크리스비타주의 요양급여를 신청하고자 하는 경우에는 별지 제10-1호 서식에 따른 크리스비타주 요양급여 사전승인 신청서를 제출하여야 함(제4조제1항).

2. 크리스비타주 요양급여를 승인받은 요양기관은 치료시작 후 12개월 마다 유지용량 투여 전 별지 제10-2호 서식에 따른 지속투여 신청서를 제출하여야 함(제4조제2항).

1. 사전승인 신청기관은 요양급여대상으로 승인받은 경우 심의결과를 통보받은 날부터 60일 이내에 크리스비타주를 투여하여야 하고, 60일을 경과하여 투여하게 되는 경우에는 재신청하여야 함(제4조제3항).

□ 크리스비타주(Burosumab) 요양급여 대상여부 심의결과 총괄

(단위: 사례)

합계	요양급여 신청				지속투여 신청		
	소계	승인	자료보완	불승인	소계	승인	불승인
3	2	1	-	1	1	1	-

□ 크리스비타주 요양급여 대상여부

가. 요양급여 신청(2사례)

사례	성별	나이	심의결과	심의내용
1	여	13세 9개월	불승인	<p>이 건은 '23.6월 급여기준에서 정한 제외대상인 ‘12개월 이내 성장 호르몬 치료를 받은 경우’에 해당되어 요양급여 신청을 불승인한 건으로, 동일한 사유로 '23.7월 이의신청, '23.9월 심판청구 기각된 건임.</p> <p>이후 성장호르몬 치료 12개월 이상 중단 후 기존 치료제(활성형 비타민 D 제제 등)를 6개월 이상 지속 투여하였음에도 적절하게 조절되지 않는 X염색체 연관 저인산혈증성 구루병 환자로 Burosumab 주사제(품명: 크리스비타주) 요양급여 승인 신청함.</p> <p>제출된 자료를 바탕으로 논의한 결과 동 사례는 13세 9개월 된 환자로 방사선학적 검사에서 골성장 진행이 명확히 확인되지 않아 약제반응이 있을 것으로 판단되지 않고 RSS 2점 미만으로 판단됨.</p> <p>따라서 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 (보건복지부 고시 제2023-82호, 2023.5.1.) Burosumab 주사제(품명: 크리스비타주) 1.가.투여대상 및 시작기준에 부합하지 않으므로 불승인함.</p>

사례	성별	나이	심의결과	심의내용
2	여	2세 3개월	승인	<p>이 사례는 기존 치료제(활성형 비타민 D제제 등)를 6개월 이상 지속 투여 하였음에도 적절하게 조절되지 않는 X염색체 연관 저인산혈증성 구루병 환자로 Burosumab 주사제(품명: 크리스비타주) 요양급여 승인 신청한 환자임.</p> <p>제출된 진료 기록 등을 확인한 결과 하지골변형 임상증상이 있으며, 방사선학적 검사에서는 RSS 2점 이상임. 생화학적 검사에서 혈청 인산 2.8mg/dL, 신장 인 소실지표(TmP/GFR)는 1.939mg/dL, 정상 혈청 크레아티닌이었으며, 유전자 검사 상 PHEX gene의 병원성(pathogenicity) 돌연변이가 확인되어 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」(보건복지부 고시 제2023-82호, 2023. 5. 1.시행) Burosumab 주사제(품명: 크리스비타주) 1.가.투여대상에 적합하고, 나.제외대상에 해당하지 않으므로 Burosumab 주사제(품명: 크리스비타주) 요양급여 신청을 승인하며, 치료 시작 12개월 후 지속투여 신청서를 제출토록 함.</p>

나. 지속투여 신청(1사례)

사례	성별	나이	모니터링 차수	심의결과	심의내용
1	여	12세 8개월	1차	승인	<p>이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」(보건복지부 고시 제2023-82호, 2023. 5. 1.) Burosumab 주사제(품명: 크리스비타주) 급여기준 가.투여대상에 적합하고 나.제외대상에 해당하지 않아 요양급여 승인된 환자임.</p> <p>투여 시작 후 1차 지속투여 평가로 제출된 진료기록 등을 확인한 결과, 치료시작 시정보다 RSS점수 개선(3점→0점)되었고, 혈청 인 및 TmP/GFR 수치가 치료시작 기저치 대비 개선됨. 또한, 부갑상선기능항진증이 없고, 신석회증 악화 소견이 없으며, 방사선학적 평가 결과 새로 발생한 골절 또는 가골절이 확인되지 않아 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」(보건복지부 고시 제2023-82호, 2023.5.1.) Burosumab 주사제(품명: 크리스비타주) 1-라.중지기준에 해당하지 않으므로 Burosumab 주사제(품명: 크리스비타주) 지속투여를 승인하며, 12개월 후('26년 12월) 지속투여 신청서를 제출토록 함.</p>

[2025. 12. 15. 크리스비타주 분과위원회]

[2026. 1. 29. 중앙심사조정위원회]

7. Nusinersen sodium 주사제(품명: 스피라자주) 및 Risdiplam 경구제(품명: 에브리스디건조시럽) 요양급여 대상여부(34사례)

- 우리원에서는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행), 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2024-235호, 2024. 12. 1. 시행)에 따라 스피라자주·에브리스디건조시럽 요양급여 여부를 결정하는 사전 승인제도를 실시하고 있음.

○ 「사전심사의 절차 등에 관한 세부사항」 건강보험심사평가원 공고 (제2025-213호, 2025. 10. 1. 시행)에 의거하여

1. 요양급여를 신청하고자 하는 경우에는 별지 제6-1호 서식에 따른 요양급여 신청서를 제출하여야 함(제4조제1항).

2. 스피라자주 요양급여를 계속하고자 하는 경우에는 5차 투여 전 및 이후 매 투여 전, 에브리스디건조시럽 요양급여를 계속하고자 하는 경우에는 치료시작 후 4개월마다 별지 제6-2호 서식에 따른 지속투여 신청서를 제출하여야 함(제4조제2항).

3. 사전심사 승인을 받은 요양기관은 심의결과를 통보 받은 날부터 60일 이내에 투여하여야 하고, 해당 기간을 경과하여 투여하고자 하는 경우에는 재신청하여야 함(제4조제3항).

4. 사전심사 승인을 받고 투여하지 않은 요양기관은 투여 기간 종료일로부터 30일 이내에 별지 제20호 서식(사전심사 승인 취소 신청서)를, 투여를 종료한 경우에는 마지막 투여일로부터 30일 이내에 별지 제21호 서식(지속투여·추적관찰 종료 보고서)를 제출하여야 함(제4조제4항).

□ 스피라자주 요양급여 대상 여부(29사례)

(단위: 사례)

전체	요양급여 신청			지속투여 신청			이의신청		
	소계	승인	불승인	소계	승인	불승인	소계	인정	기각
29	-	-	-	29	29	-	-	-	-

□ 에브리스디건조시럽 요양급여 대상 여부(5사례)

(단위: 사례)

전체	요양급여 신청			지속투여 신청			이의신청		
	소계	승인	불승인	소계	승인	불승인	소계	인정	기각
5	1	1	-	3	3	-	1	1	-

1. 스피라자주 요양급여 대상 여부

가. 스피라자주 지속투여 신청(29사례)

연번	성별	나이	SMA type	최초 투여일	투여 예정자수	심의결과	심의내용
1	남	3세 5개월	1	2022-11-24	13	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
2	여	5세 4개월	1	2021-01-21	18	승인	
3	남	2세 4개월	2	2025-04-10	6	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 1. 다. 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
4	여	4세 7개월	2	2023-04-21	12	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
5	여	6세 11개월	2	2020-11-25	19	승인	
6	여	7세 1개월	2	2020-07-27	20	승인	
7	여	7세 8개월	2	2021-07-27	17	승인	
8	남	8세 6개월	2	2019-07-24	23	승인	
9	남	8세 8개월	2	2019-05-14	23	승인	
10	여	8세 8개월	2	2019-07-22	23	승인	
11	남	9세 9개월	2	2019-12-13	22	승인	
12	남	10세 10개월	2	2019-07-09	23	승인	
13	여	11세 7개월	2	2019-05-31	23	승인	

연번	성별	나이	SMA type	최초 투여일	투여 예정차수	심의 결과	심의내용
14	여	15세 2개월	2	2020-04-08	21	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
15	남	16세 8개월	2	2019-06-27	23	승인	
16	남	17세 8개월	2	2019-07-17	23	승인	
17	여	17세 11개월	2	2019-07-29	23	승인	이 사례는 직전 평가시점의 운동기능평가(HFMSE) 점수와 비교 시 운동기능의 유지를 1회 입증하지 못했으나, 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함. 다만, 다음 지속투여 신청 시 운동기능의 유지 또는 개선을 입증하지 못하는 경우 중단을 고려할 수 있음.
18	여	21세	2	2020-03-04	21	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
19	여	23세	2	2020-04-01	21	승인	
20	여	27세	2	2023-04-27	12	승인	
21	여	31세	2	2019-12-18	22	승인	
22	여	31세	2	2019-12-19	21	승인	이 사례는 직전 평가시점의 운동기능평가(HFMSE) 점수와 비교 시 운동기능의 유지를 1회 입증하지 못했으나, 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함. 다만, 다음 지속투여 신청 시 운동기능의 유지 또는 개선을 입증하지 못하는 경우 중단을 고려할 수 있음.
23	여	33세	2	2020-04-01	21	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
24	여	42세	2	2024-03-20	9	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 1. 다. 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.

연번	성별	나이	SMA type	최초 투여일	투여 예정차수	심의 결과	심의내용
25	여	44세	2	2021-06-29	16	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
26	남	3세 0개월	3	2025-08-19	5	승인	이 사례는 치료 시작 전의 운동기능평가(HFMSE) 점수와 비교 시 운동기능의 개선을 1회 입증하지 못했으나, 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 1. 다. 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함. 다만, 다음 지속투여 신청 시 운동기능의 개선을 입증하지 못하는 경우 중단을 고려할 수 있음.
27	여	13세 6개월	3	2019-07-29	23	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1. 시행)의 부칙 제2조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 스피라자주 요양급여를 승인함.
28	남	18세	3	2023-04-11	12	승인	
29	남	22세	3	2019-06-21	23	승인	

2. 에브리스디건조시럽 요양급여 대상 여부

가. 에브리스디건조시럽 요양급여 신청(1사례)

연번	성별	나이	SMA type	심의결과	심의내용
30	남	26세	3	승인	이 사례는 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2023-184호, 2023. 10. 1.시행)의 1. 라. 교체투여 대상에 부합하므로 에브리스디건조시럽 요양급여를 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 추후('26년 4월) 지속투여 신청서를 제출하도록 함.

나. 에브리스디건조시럽 지속투여 신청(3사례)

연번	성별	나이	SMA type	최초(교체) 투여일	심의 차수	심의결과	심의내용
31	남	15세 3개월	2	2019-08-01 (2024-02-09)	6차 (24개월)	승인	이 사례는 기존 스피라자주 투여 중 환자가 고시 시행일(2023. 10. 1.) 이후 에브리스디건조시럽으로 교체투여하는 경우로서 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2024-235호, 2024. 12. 1. 시행)의 부칙 제2조 및 부칙 제3조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 에브리스디건조시럽 요양급여를 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 추후('26년 4월) 지속투여 신청서를 제출하도록 함.
32	여	27세	2	2020-01-15 (2024-12-23)	3차 (12개월)	승인	이 사례는 기존 스피라자주 투여 중 환자가 고시 시행일(2023. 10. 1.) 이후 에브리스디건조시럽으로 교체투여하는 경우로서 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항(약제)」 보건복지부 고시(제2024-235호, 2024. 12. 1. 시행)의 부칙 제2조 및 부칙 제3조에 따른 중단기준에 해당하지 않으므로 에브리스디건조시럽 요양급여를 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 추후('26년 4월) 지속투여 신청서를 제출하도록 함.
33	남	9세 8개월	3	2024-03-28	5 (20개월)		이 사례는 운동기능평가(HFMSE) 총점이 치료 시작 전 58점에서 금번 60점으로 제출되어 운동기능의 개선을 입증하지 못하였으나, 운동기능평가 총점의 일부 증가 및 신경 발달이 지속되는 연령으로 잠재적인 효과를 고려하여 에브리스디건조시럽 요양급여를 승인하며, 4개월 간격으로 임상평가를 실시하여 추후('26년 4월) 지속투여 신청서를 제출하도록 함. 다만, 다음 지속투여 신청 시 운동기능의 개선을 입증하지 못하는 경우 중단을 고려할 수 있음.

다. 에브리스디건조시럽 지속투여 신청(1사례)

연번	성별	나이	SMA type	심의결과	심의내용
34	여	46세	3	승인	이 사례는 이전 심의(2025년 11월)에서 치료 시작 전 운동기능 평가(HFMSE) 점수와 비교 시 운동기능의 개선을 2회 연속 입증하지 못해 불승인된 사례임. 이에, 운동기능평가 동영상과 주치의 소견서를 제출하여 이의신청함. 제출된 자료를 검토한 결과, 운동기능평가(HFMSE)에서 획득됐다고 제출한 운동기능이 확인되며 치료 시작 전과 비교 시 운동기능의 개선을 입증하여 에브리스디건조시럽 지속투여 불승인 결정에 대한 이의신청을 인정함.

[2026. 1. 13. 스피라자주·에브리스디건조시럽·줄겐스마주 분과위원회]

[2026. 1. 29. 중앙심사조정위원회]

8. ALS 진단기준 적용 변경 및 Riluzole(품명: 리루텍정) 인정여부(2사례)

■ 청구내역

○ 사례1(남/85세)

- 청구 상병명:

주) S0650 열린 두개내상처가 없는 외상성 경막하출혈

- 주요 청구내역:

652000220 리루텍정(리루졸)_(50mg/1정)/A

1*2*35

○ 사례2(남/68세)

- 청구 상병명:

주) G1221 산발형 근위축측삭경화증

- 주요 청구내역:

652000220 리루텍정(리루졸)_(50mg/1정)/A

1*1*2

652000220 리루텍정(리루졸)_(50mg/1정)/A

1*2*25

■ 심의내용 및 결과

- 「국민건강보험 요양급여의 기준에 관한 규칙」에 의하면, 요양급여는 정확한 진단을 토대로 환자의 건강 증진을 위해 의학적으로 인정되는 범위 안에서 최적의 방법으로 실시하여야 하며, 의약품은 약사법령에 의하여 허가 또는 신고된 사항의 범위 안에서 환자의 증상 등에 따라 필요·적절하게 처방·투여해야 함.

- 리루졸(품명: 리루텍정)은 근위축성측삭경화증 (amyotrophic lateral sclerosis) 환자의 생존기간을 연장시키거나 기관절개시점을 늦추어 주는 것으로 식품의약품안전처 허가를 받은 약제로, 별도의 약제 급여기준 없이 ALS 진단기준* 부합 여부를 심사하여 급여 인정하고 있음.

※ ALS 진단기준

Revised El Escorial criteria(rEEC)(2000년) 중 가)~라)에 해당되는 경우 진단

가) Definite ALS: LMN and UMN signs in three regions

나) Definite familial ALS: LMN and UMN signs in one region plus laboratory-supported identification of gene mutation associated with ALS

다) Probable ALS: LMN and UMN signs in two regions

라) Probable with laboratory support: LMN and UMN signs in one region or UMN signs in one or more regions with EMG evidence of acute denervation in two or more limbs

마) Possible ALS: LMN and UMN signs in one region

바) Suspected ALS: LMN signs only in one or more regions or UMN signs only in one or more regions

- 교과서 및 관련 문헌에 따르면, REVISED El Escorial criteria를 사용하여 ALS 진단하는 경우에는 임상 소견과 전기생리검사 또는 영상검사로 UMN sign과 LMN sign 모두 확인되어야 하므로 초기 환자에서의 진단 특이도는 높지만, 질환 초기에는 임상양상과 검사결과가 진단 기준을 충족하지 못하는 경우가 있어 민감도가 떨어질 수 있다고 함. 반면, Gold Coast criteria은 LMN sign만 확인되어도 진단 가능하여 진단 특이도는 낮으나 민감도가 높아 환자의 조기 진단이 가능하다고 언급됨.

- 관련 학회 및 전문가는 UMN sign 유무에 따른 ALS 환자의 예후 차이가 크지 않고, 조기 진단을 통한 리루졸 약제 투여 등 빠른 치료가 임상현장에서는 중요하므로 질환연구 목적의 세분화된 REVISED El Escorial criteria보다 Gold Coast criteria가 더 합리적이라고 함. 또한 임상문헌 상 Gold Coast criteria의 낮은 진단 특이도(88.5%)는 사회적으로 수용 가능한 수준이라는 의견임.
- 논의결과, 현재 적용하고 있는 REVISED El Escorial criteria의 진단 단계가 복잡하고, 조기 진단을 통한 조기 치료의 중요성 등에 대한 전문가 의견 등을 고려하여 리루졸 요양급여 여부 판단 시 Gold Coast criteria를 진단기준으로 적용할 필요성은 있다고 논의됨. 다만, 진단기준 완화로 발생할 수 있는 ALS 유사 질환과의 감별의 어려움 및 리루졸 약제 오남용을 방지하기 위한 세부 인정기준이 마련된 후 적용하는 것이 타당하다는 공통된 의견이 제시됨.
- 이를 종합하여, 이 건(2사례)에 대하여 해당 요양기관에서 제출한 의무기록 등을 종합적으로 참조하여 다음과 같이 결정함.

- 다 음 -

- 사례1(남/85세)은 산발형 근위축측삭경화증으로 '25.4.28. 내원하여 리루텍정 50밀리그램 1*2*35 청구함
 - 제출한 진료기록부의 신경전도 및 근전도 검사상 wide spread denervation 소견과 상·하지의 sensorimotor polyneuropathy를 시사하는 전기생리학적 이상소견이 있으나 UMN sign을 관찰하기 어려워 현재의 ALS 진단기준에 부합하지 않아 리루텍정에 대한 요양급여를 인정하지 아니함
- 사례2(남/68세)은 산발형 근위축측삭경화증으로 '25.5.22. 입원하여 리루텍정 50밀리그램 1*1*2와 1*2*25 청구함
 - 제출한 진료기록부의 Brain MRI 결과 frontal atrophy (+), MBS (-), 신경전도 및 근전도 검사 상 C, T active & chronic denervation 소견이 있으나 이는 UMN sign이라고 보기 어려워 리루텍정에 대한 요양급여를 인정하지 아니함.

■ 참고

- 식품의약품안전처 허가사항
- FDA(Food and Drug Administration) 허가사항
- 「국민건강보험 요양급여의 기준에 관한 규칙」 [별표 1] 요양급여의 적용기준 및 방법
- 진료심사평가위원회 기심의사례
- 대한신경과학회. 신경학(신경과 교과서). 군자출판사. 2024.
- Consensus Guidelines for Diagnosis
- 일본 JNS Clinical Practice Guidelines ALS
- 독일 DGN(Deutsche Gesellschaft für Neurologie) Guidelines
- Von Quednow E, Husain N, Łajczak P, Seccod GL, Koppanatham A. Diagnostic accuracy of the Gold Coast Criteria for amyotrophic lateral sclerosis: a systematic review and meta-analysis. Clin Neurophysiol. 2025;179:2111005.
- Hannaford A, Pattamaprapanont P, Huynh W, Krishnan AV, Kiernan MC, Vucic S. Diagnostic Utility of Gold Coast Criteria in Amyotrophic Lateral Sclerosis. Ann Neurol. 2021 May;89(5):979-986.

[2025. 12. 16. 신경과 분과위원회]

[2026. 1. 29. 중앙심사조정위원회]

9. 제왕절개분만 질병군(DRG) 기타진단 0244 임신중 생긴 당뇨병 인정여부(1사례)

■ 청구내역

○ 사례1(여/31세)

- 청구 상병명: [주진단] 0820 선택적 제왕절개에 의한 분만
[기타진단] 00244 임신중 생긴 당뇨병
0366 태아의 과다성장에 대한 산모관리
D259 상세불명의 자궁의 평활근종
- 최종 질병군분류번호: 001601(제왕절개분만(단태아), 중등도의 합병증이나 동반상병 동반)
- 주요 청구내역:
 - 자451가(1)(가) R4517 제왕절개만출술(1태아임신의경우)-초회(초산) 1*1*1
 - 자412가(1)(가) R4124004 자궁근종절제술-복부접근(개복술)-단순[장막하근종] [제2의수술(중병이상)] 1*1*1
 - 누302가 D3021003 당검사[화학반응-장비측정][반정량] [진단검사 질가산(4%)] 1*1*1

■ 심의내용 및 결과

- 포괄수가제는 환자분류체계를 이용하여 질병군별로 입원기간 동안 제공된 검사, 수술, 투약 등 의료서비스의 종류나 양에 관계없이 어떤 질병의 진료를 위해 입원하였는지에 따라 미리 책정된 일정금액을 보상하는 제도이며, 현재 우리나라는 4개 진료과 7개 질병군(제왕절개분만 등) 대상으로 적용하고 있음.
- 「국민건강보험 요양급여의 기준에 관한 규칙」에 의하면 질병군에 대한 입원진료의 경우, 그 기간에 행하는 것이 의학적으로 타당한 검사·처치 등의 진료 행위는 당해 입원진료에 포함하여 산정토록 함.
- 「질병군 급여·비급여 목록표 및 급여 상대가치점수 제3부 질병군 분류번호 결정요령」 진단의 정의 및 분류기호 부여기준에 따르면,
 - 기타진단은 입원기간 중 발생했거나, 입원 당시부터 주진단과 함께 가지고 있던 병태로서 ‘임상적 평가, 치료적 요법, 진단적 처치, 재원기간의 연장, 간호 및 관찰의 증가’와 같은 측면에서 환자 진료에 영향을 준 주진단 이외의 추가진단으로,
 - 기타진단의 부여기준은 1) 확립된 진단만 부여하고 의심되는 진단(의증)은 기타진단으로 부여하지 아니함. 2) 비급여 대상 질환은 기타진단으로 부여하지 아니함. 3) 이번 입원과 관련 없는 이전 병태는 기타진단으로 부여하지 아니함. 4) 전신적인 만성질환은 기타진단으로 부여할 수 있음. 5) 질병진행 과정 중의 한 부분으로의 병태는 기타진단으로 부여하지 아니함. 6) 비정상적인 검사결과 만으로(진료의가 임상적인 의미를 부여하지 않은 경우) 기타진단으로 부여하지 아니함.
- 포괄수가제의 질병군 분류번호는 부여된 여러 기타진단별 중증도 점수(1~4점)를 통합하여 산출한 환자단위 중증도를 반영하여 최종 결정되므로, 기타진단의 중증도에 따라 최종 질병군 분류번호 및 요양급여비용이 달라질 수 있음.
- 따라서, 기타진단으로 인정하기 위해서는 통상적으로 예상되는 치료 범위를 초과한 추가적인 의료자원 소모가 실제로 발생했는지를 중심으로 판단할 필요가 있다는 공통된 의견임.

- 또한, 제왕절개분만 질병군에서 임신중 생긴 당뇨병에 실시한 혈당 검사는 통상적인 진료 범위에 해당되고 추가적인 의료자원 소모가 발생한 것으로 판단하기 어렵다고 논의됨.

○ 이에, 관련 고시, 전문가 의견, 진료내역 등을 종합하여 이 건(1사례)의 요양급여 인정여부에 대하여 다음과 같이 결정함.

- 다 음 -

○ 사례1(여/31세)은 주진단 '0820 선택적 제왕절개에 의한 분만', 기타진단 '0244 임신중 생긴 당뇨병' 등으로 '25.1.7.부터 총 4일간 입원하여 최종 질병군분류번호 001601로 청구함.

- 진료내역 참고 시, '24.11. 외래에서 경구포도당부하검사 등을 통해 임신중 생긴 당뇨병을 진단받았으나, 이번 입원 시 제왕절개수술 후('25.1.7.) 혈당 검사를 1회 시행한 것 외 혈당 관리를 시행한 내용이 의무 기록에서 확인되지 않음.

- 논의 결과, 수술 후 1회 시행한 혈당 검사는 당뇨를 위한 지속적인 혈당 관리라고 보기에 충분하지 않고, 통상적으로 예상되는 치료 범위를 초과한 추가적인 의료자원 소모가 발생한 것으로 판단하기 어려우므로 기타진단 '0244 임신중 생긴 당뇨병'은 불인정함.

■ 참고

- 「국민건강보험 요양급여의 기준에 관한 규칙」 [별표 1] 요양급여의 적용기준 및 방법(제5조 제1항 관련)
- 「질병군 급여·비급여 목록 및 급여 상대가치점수」
- 한국표준질병·사인분류 질병코딩지침서. 2016.
- 제8차 한국표준질병·사인분류 질병코딩사례집. 2022.
- 대한산부인과학회. 산과학 5판. 2015.

[2025. 12. 18. 산부인과 분과위원회]

[2026. 1. 29. 중앙심사조정위원회]