별첨

고가 중증질환 치료제에 대한 환자 접근성 제고 및 급여 관리 강화 방안

I. 추진배경

○ 그간 고가 항암제와 희귀질환치료제 등의 건강보험 등재를 통한 환자 접근성 향상을 위하여 지속적인 제도 개선을 실시

○ **위험분담제도(2013) :** 대체가능한 약제가 없는 항암제, 희귀질환치료제의 효과나 재정영향 등에 대한 불확실성을 제약사가 일부 분담

○ **허가-평가 연계 제도(2014) :** 신약 또는 희귀의약품에 대하여 식약처 허가 완료 前 약제 급여결정 신청을 가능하도록 허용

○ **경제성평가 자료제출 생략 제도(2015) :** 희귀질환치료제 나 항암제 중 대체 가능 치료법(약제)가 없고 근거생산 곤란 등의 일정 요건 충족시 경제성 평가 자료 제출 생략 가능

○ **약가협상 생략 제도(2015) :** 약가 협상 생략 기준금액 요건(대체약제 대비 90~100%) 충족 시 통상 60일에 해당하는 협상기간을 단축

○ **위험분담제도 대상 확대(2019) :** 임상적으로 삶의 질 개선을 입증한 중증·난치질환 치료제(중증 아토피) 확대 적용

○ **경제성평가 자료제출 생략 대상 확대(2020) :** 국가필수의약품 중 항균제, 결핵치료제, 응급치료제 등 확대 적용

○ **위험분담제도 제도 확대(2020) :** 위험분담 적용 약제의 후발약제까지 확대 적용

○ 최근 높은 치료 효과가 있는 고가의 중증질환 신약에 대해 환자단체 등에서 신속한 보험적용 요청 등 **사회적 요구가 증대하고 있는 상황**

– 한편, 고가 의약품의 개발·허가*, 초고가 의약품**의 건강보험 결정신청 증가 추세로 재정영향 증대 예상

* mRNA 플랫폼 생산약제 상용화로 코로나 백신을 넘어 항암제 등 개발 가속화

** 소아백혈병치료제('22.4월 등재) 이후 환자 맞춤형 1회 투여(one-shot) 치료제 결정신청 및 평가 중

⇒ 신약에 대한 **환자 접근성 강화**를 통한 국민 건강증진 및 경제적 부담 완화와 더불어 **고가 약제 적정관리**를 통한 **건강보험 지속 가능성 확보 필요**

II. 고가의약품 현황 및 정의

□ 고가의약품 현황

○ 2021년 등재 의약품 재정지출 현황

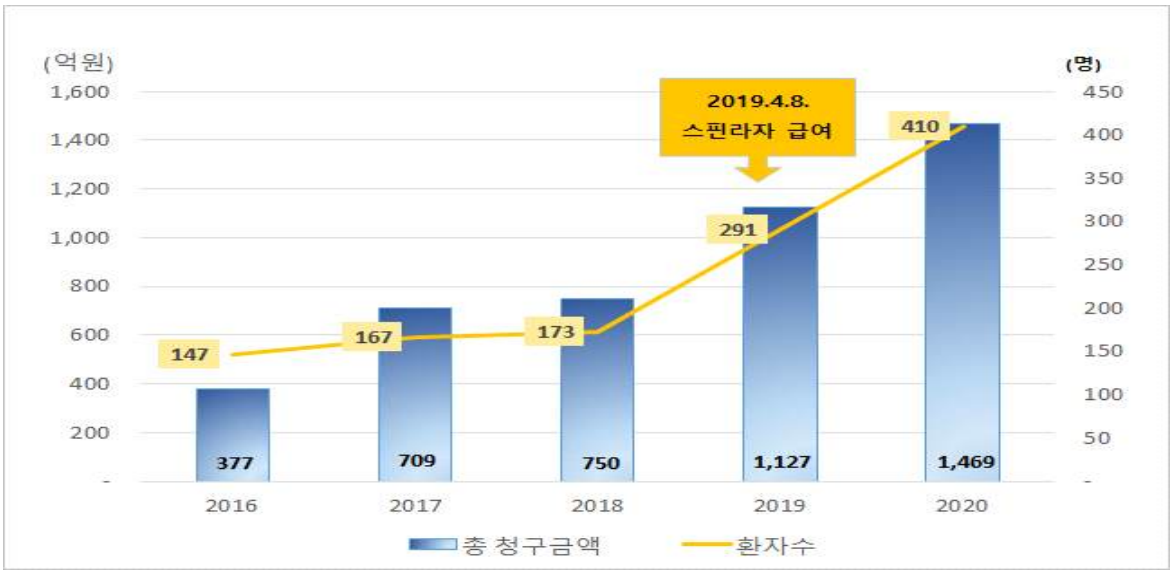
구분	항목명	건강보험 청구내역
전체 급여 의약품	품목수	25,047개('22.1.1. 기준)
	총 청구금액[1]	21조 3,094억 원
고가의약품 (1인당 연간 소요비용 3억 원 이상 약제[2])	품목수 (성분수)	15개 (10개)
	청구환자수	288명
	총 청구금액	1,086억 원
	1인당 연간 소요비용	평균 3.8억 원

1) 포괄수가, 보건기관정액수가 등이 보정되지 않은 실제 청구된 약품비

2) 1인당 연간 소요비용 고가 의약품 상위 10개 성분

※ 고가의약품 재정지출 현황 ('16~'20)

· 1인당 소요비용 3억 이상 약제('20년 기준, 10개 성분) **재정지출액 변화**



* '20년 기준 고가의약품(1인당 3억 이상) : 13개 품목(10개 성분), 총 410명, 총 1,469억 원

<고가의약품의 정의(안)>

※ 국제적으로 고가(high-cost, high-priced, premium-priced) 의약품에 대한 일치된 정의는 없는 상황으로 **국내 실정에 맞는 관리범위** 설정필요

○ **치료 효과, 비용효과성, 재정영향 등의 불확실성이 있는 의약품으로 고가의약품을 정의**하되, 건강보험 재정지출 현황 등을 고려하여 **효율적 관리를 위한 "급여 관리 방안 적용 대상"을 설정**

고가의약품 정의

① 높은 가격, 효과의 불확실성 등으로 인하여 가격 관리 및 장기 효과 확인이 필요한 약제 또는
② 재정영향이 상당하여 사용량 관리 등이 필요한 약제

↓

· '19년 척수성근위축증치료제 급여 이후 고가의약품 재정지출 급증
· '22년 1회 투여(one-shot) 치료제인 소아백혈병치료제 급여로 재정지출 증가 예상
* 1인당 연간 소요비용: 척수성 근위축증치료제 3.2억('20년), 소아백혈병치료제 3.6억('22년)

급여 관리방안 적용대상

등재 의약품 또는 등재 신청 의약품 중
① 1회투여로 장기 효과를 기대하는 약제(one-shot 치료제) 또는 1인당 연간 소요금액 3억 이상 약제(초고가신약)
② 연간 청구액이 300억 이상 약제(단일성분 또는 동일효능군)

※ 단, 금액 기준선은 의약품 청구현황 등을 고려하여 변동될 수 있음

III. 고가 중증질환 치료제 접근성 제고 및 급여 관리 강화 방안

목표	고가 의약품 접근성 향상 및 건강보험 지속 가능성 확보

관리 방향	단계	1 환자 접근성 향상	2 치료 효과 및 안전성 모니터링 강화	3 급여 관리 강화로 건강보험 지속성 확보
세부 방안	단기 ('22)	❶ 급여평가-협상 병행 등을 통한 신속 등재 ❷ 환자단위 성과기반 위험분담제 시범 운영 (소아백혈병치료제)	❶ 고가약 효과평가를 위한 자료수집체계 구축 시범사업 ❷ 약제 사용 후 중단기준 마련 시범운영(척수성 근위축증치료제) ❸ 사용량-약가 연동제도 개선안 마련	❶ 고가약 사전승인제도 관리기반 마련 연구 (발작성 야간혈색소뇨증 치료제 등) ❷ 경제성평가 생략 제도 개선(일부) ❸ 외국약가 참조기준 개선안 마련
	중장기 ('23~)	❸ 허가신청-급여평가-협상 병행 사업 추진 (식약처 협업체계 구축) ❹ 환자단위 성과기반 위험분담제 대상 확대	❹ 고가약 효과평가를 위한 자료수집체계 구축 대상 확대 ❺ 약제 사용후 중단기준 주기적 개선 등 로드맵 마련 및 시행 ❻ 사용량-약가 연동제도 개선 시행	❹ 고가약 사전승인제도 SOP 마련, 모니터링 시범 운영 등 기반 구축 및 체계화 ❺ 경제성평가 생략 제도 사후관리 방안 마련 및 시행 ❻ 외국약가 참조기준 등을 적용한 약가 재평가 계획 수립 및 실시
		【 인프라 】	√ 법·제도적 기반 구축 (자료제출, 평가과정, 관리체계 등) √ 국가차원의 레지스트리 구축·운영 (시판 후 장기추적, 급여 및 안전 등 전 과정 관리) √ 고가약 관리 국제 공조 (가격정보 공유 등, Horizon Scanning Initiative 참여/유사제도 국가 공조 추진)	

① 고가 중증질환 치료제에 대한 환자 접근성 제고

①-1 급여평가·협상 병행 등을 통한 신속 등재

□ 추진 배경

○ 생존을 위협하는 질환 관련 약제 평가 시 150일 소요로, 약제 등재기간 단축을 통한 환자의 접근성 강화 필요

□ 추진 내용

○ **생존을 위협하는 질환 관련 약제 급여평가-약가협상 병행**

- **(내용)** 급여 평가 후 가격 협상을 진행하는 **순차적 방식에서 두 과정을 병행하여 등재 결정 기간 단축**

  * 식약처 안전성·유효성 심사는 완료해야 하며, 식약처 최종 허가 전에 급여평가·협상 병행신청 가능

- **(대상 의약품)** 생존을 위협하는 질환 관련 약제

- **(세부 내용)** 신속한 급여 평가와 사전 협상을 통해 **등재기간 총 60일 단축**

	건강보험심사평가원		건강보험공단
내용	경제성평가 생략 여부 확인 및 비용효과성 판단 기준선을 제시하는 신속 급여 평가	→	사전 가격 협상을 통한 기간 단축
소요 기간	150일 → 120일 **(30일 단축)**		60일 → 30일 **(30일 단축)**

○ **허가신청-급여평가-약가협상 병행 시범 및 본사업 추진**

- **(내용)** 생존을 위협하는 질환이며, 적절한 치료법이 없는 등 **특수성이 인정되는 약제는 식약처 허가 신청과 동시에 급여 평가 및 약가사전 협상을 병행하여 등재 기간을 최소화**

- **(대상 의약품 예시)** 적절한 치료법이 없고, 기대여명이 6개월 미만인 환자의 2년 이상 생존 및 치료 효과 우월성을 입증한 경우 등

①-2 환자단위 성과기반 위험분담제 도입·운영

□ 추진 배경

○ 1회 투여 치료제(one-shot) 등 고가 신약은 높은 가격·장기 효과에 대한 불확실성으로 인하여 **기존 평가방법으로는 비용효과성 입증 한계로 환자단위 성과기반 위험분담제를 시범 도입**하였고('22.4. 소아백혈병치료제 최초 적용), 후속 고가 신약 등재를 위한 확대 적용 필요(척수성근위축증, 망막색소변성증 치료제 등)

* 성과기반 위험분담제: 환급제의 일종으로 개별 환자의 약제투여성과에 따라 제약사로부터 환급율을 달리 운영하는 새로운 모형의 지불제도

□ 추진 내용

○ 시범운영 결과 토대로 대상 항목 점진적 확대

시범 사업	→	대상 확대
소아백혈병치료제 (1회 투여 치료제)		·(유형1) 1회 투여 치료제(one-shot) 또는 ·(유형2) 연간 1인당 소요 비용 3억 이상 약제

◈ 1회 투여 치료제(one-shot) 비교 ◈

약제	특성	위험분담제 유형					사전 승인
		환급형 (①+②)				총액 제한형	
		①기본	②환자단위 성과기반				
				성과지표	자료 수집		
백혈병치료제 ('22.4.등재)							
1. 소아 ALL	1회 투여 치료제 (one-shot)	○	×	-	-	○	×
2. 성인 DLBCL		○	○	PFS	○*	○	×
척수성근위축증치료제 (평가 중)		○	○	운동기능	○**	○	○

* 투여환자 정보, 투여 6개월 환자 성과, 투여12개월 환자 성과 등 총 3회 자료수집

** 연령별 운동기능평가도구(CHOP-INTEND 등)를 활용한 **지속적** 반응평가 필요

○ 환자단위 성과기반 위험분담제 효과 평가 및 제도 보완

①-3 고가약 관리 국제 협력 강화

□ 추진 배경

○ 다른 나라들과 협조를 통해 약가 정보 공유, 공동 구매 등의 협력체계를 구축하여 고가 신약에 대한 가격 협상력과 구매력을 동시에 갖춤으로써, 고가 혁신 신약에 대한 국민 접근성 향상 필요

□ 추진 내용

○ **국제 호라이즌 스캐닝(Horizon Scanning Initiative) 추진**

- 새로운 의약품 DB를 개발하고, 정보 공유를 통해 최종적으로 약가를 낮추기 위한 협력 모델 구축
- '21년 기준 네덜란드, 아일랜드, 스위스, 덴마크, 포르투갈, 노르웨이, 벨기에, 스웨덴 등 유럽 8개국 참여, 첨단바이오의약품 대상 과제 진행 중
- 유럽 호라이즌 스캐닝을 모델로 ①대만, ②호주, ③캐나다 등 유사 제도 국가와 국제협력 추진

※ 호라이즌 스캐닝(Horizon Scanning) 란?

조화된 정보수집 과정으로 통상적인 자료 범주를 벗어나는 포괄적 정보 수집과 데이터 분석을 통한 미래 예측 및 선제적 대응 등 일련의 체계적인 활동 전반을 의미
· 적용대상은 **고가 의약품**을 비롯한 보건 의료 서비스, 전염병 대비, 기후변화 등 다양하게 적용되고 있음

2 치료효과 및 안전성 모니터링 강화

2-1 고가약 사후관리를 위한 자료수집체계 구축

□ 추진 배경

○ 1회 투여 치료제(one-shot) 평가결과를 성과와 연계하는(성과지불제) 사후관리 제도 시범사업을 도입하였고('22.4월 시행), 후속 고가 신약 등재 시 관리대상 확대 및 본사업 추진

□ 추진 내용

○ **'소아백혈병치료제' 대상 사후관리·자료수집 시범사업 → 대상확대**

- **(추진절차)** ①방안 마련→②전산 자료수집 시스템 구축(환자별 등록)→③약제별 성과 및 사후관리 활용→④시범사업 기반 대상 확대
- **(중장기)** 후속 고가 신약 대상으로 본사업 추진을 거쳐 식약처 시판후 장기추적과 연계하여 국가 레지스트리 구축

○ **환자별 지속적 사후관리 및 국가 레지스트리 구축을 위한 관련 근거 마련**

- **(단기) (가칭) 신약 사후관리에 관한 기준 및 절차 마련(심평원장 공고)**

· 목적, 적용대상, 사후관리 방안, 미제출 시 패널티 등 포함

- **(중장기) 사후관리 및 정보수집의 안정적 환경 구축 후, 권리 제한 및 의무 부과 측면을 고려하여 건강보험법령에 근거 규정 마련 추진**

2-2 약제 사용 후 중단기준 주기적 검토 및 개정

□ 추진 배경

○ 고가 신약 급여기준 설정 시 효과적 사용과 효율적 재정운영을 위하여 투여 중단 기준을 정하여 운영*하고 있음

* 척수성근위축증 치료제 (1인당 연간 3.2억 소요, '20년 기준) 중단기준 운영 중

○ 시간 경과에 따라 임상적 근거가 변동되고, 내·외부에서 기준 개정에 대한 요구가 증대하고 있으므로, **고가 신약의 투여 중단 기준 주기적 검토 필요**

□ 추진 내용

○ **급여기준 확대·축소 등 변경 필요 약제 선제적 검토**

– **①고가 신약 사전승인 및 평가자료**, **②청구 경향 모니터링**(예, 전년대비 130% 증가된 경우), **③외국 가이드라인 등 검토**를 통해 급여기준 개정이 필요한 약제 선정하여 선제적 검토

○ **급여기준 재검토 관련 로드맵 설정**

– 사전승인 자료 및 청구경향 모니터링, 외국 급여기준 동향 변화, 임상적 유용성 자료 축적에 따라 급여 기준 재설정이 필요한 약제 선정 등 로드맵 마련 및 주기적 기준 검토 체계 마련

* (예시) 미국 Aetna 매년 리뷰 및 업데이트)

2-3 사용량-약가 연동 제도 개선

□ 추진 배경

○ 일정 수준의 약품비가 **증가한 약제에 대해 가격을 조정하는 제도**로서, 지속적으로 증가하는 건강보험 약품비의 관리를 위해 개선방안 마련 필요

* (약품비) '17년-'20년 평균 증가율 7.1%, '20년 진료비 대비 비중 23.6%

□ 추진 내용

○ 사용량-약가 연동 제도 개선 관련 연구용역 추진

- 이해관계자 인터뷰, 재정영향 분석 등을 통한 사용량-약가 제도의 성과 평가
- 청구자료 분석, 해외사례 검토 등을 통한 발전방향 및 개선방안 제시

○ 사용량-약가 연동 제도 개선(안) 시행

- 고가의약품 관리를 위한 최대 인하율(10%) 규정 개선
  · 약품비 지출 구간별 인하율 차등 설정을 통한 고가의약품 사후관리 강화
  · 외국 사례 및 재정관리의 실효성을 고려한 최대 인하율 개선안 마련
  * (최대인하율) 일본 : 50%, 대만 및 프랑스 : 최대인하율 미규정
- 청구금액 증가율과 증가액을 고려한 인하율 참고산식 개발
  · 약품비에 큰 영향을 미치는 약제의 효율적 재정 관리 강화
- 사용량-약가 연동 협상 대상 선정을 위한 선정·제외 기준 개선
  · 대상 선정을 위한 유형별 청구금액 증가율 및 증가액 기준 모델 개발
  · 산술평균가 미만 및 청구금액 제외 규정의 실효성 검토

○ 사용량-약가 연동 제도 확대 및 중장기 방향 검토

- 사용량-약가 연동 관리 단위 확대 검토
  · 성분군, 효능군, 제약사 단위로 확장 등 거시적 약품비 관리 기반 마련
- 해외 사례 검토를 통한 제도 확대 청사진 마련
  · 프랑스, 이탈리아 등 약품비 총액 관리 국가의 사례 검토를 통한 발전방향 마련

3 급여관리 강화를 통한 건강보험 지속가능성 확보

3-1 고가약 사전승인제도 기반 구축

□ 추진 배경

○ 최근 연이은 고가 신약과 신의료기술 개발·등재로 사전승인*에 대한 대·내외적 요구 증가

* 사전승인제도 : 고위험·고비용 약제 등의 요양급여 여부를 사전(치료 전)에 심평원 진료심사평가위원회의 심의를 통하여 결정

○ 고가 신약 등재 시 기준 설정 소위원회에서 사전승인 필요 약제*를 건별로 선정하는 등 사전승인 적용 약제에 대한 명확한 기준이 없어 표준절차 마련 필요

* 사전승인 약제 : 발작성 야간혈색소뇨증 치료제, 척수성근위축증 치료제 등

□ 추진 내용

○ **고가약 사전승인제도의 체계적 운영방안 마련 연구**

– 사전승인제도의 역할 확립과 사전승인 확대의 사회적 요구에 대응하는 효율적 의료비 지출 관리 방안 마련

○ **고가 신약 사전승인 적용 여부 표준운영절차(SOP) 마련**

– 연구 결과를 바탕으로 사전승인약제 대상 선정기준, 고가약 사후 모니터링을 위한 시스템 구축 등을 위한 표준운영절차 마련

○ **고가약 모니터링 시범사업**

– 고가 신약 사전승인 자료 활용을 통한 급여기준 개선 등 환류 실시

○ **사전승인 자료를 활용한 사후 모니터링 체계화**

3-2 경제성평가 생략 제도 개선

□ 추진 배경

○ 경제성평가 생략 제도 도입으로 고가 신약에 대한 보장성이 확대되고 있으나, 참조약가의 불확실성* 및 재정 규모 등 고려 시 **제도 일부 개선 필요**

* 경제성평가 생략 시, 외국 약가(A7) 최저가 참조방식으로 비용효과성 평가를 시행 중에 있으나, 외국 약가 중에는 위험분담제 적용 사례 등이 있어 실제 가격을 알 수 없는 한계 존재

□ 추진 내용

○ 경제성평가 생략 제도 **부분 개선 및 연구용역 추진**

– 경제성평가 생략 가능 약제를 '**대상 환자가 소수**'인 약제로 제한하며, **재정영향이 큰 약제들은 비용효과성 평가 실시**

* 연구 용역을 통해 **구체적 평가방법론 등 마련**

○ 경제성평가 생략 제도 **개선 및 사후관리 방안 마련**

– 현행 제도의 현황 분석 및 평가를 통해 문제점을 파악하고, 재정의 지속가능성과 환자 접근성을 강화하는 합리적 사후관리 개선방안 마련

< 사후관리 개선방안 (예시) >

① 경제성 평가로 비용효과성을 평가한 약제가 아니므로, **일정기간 이후** 재정 영향 등을 고려하여 **경제성을 재평가 하는 방안**

② **일부 단일군 임상으로 효과 인정된 약제의 경우** 효과의 불확실성을 고려하여 **추후 임상효과 확인 후 가격 조정**하는 방안

③ 경제성평가 면제 대상을 **임상적 유용성 등급에 따라 세분화(프랑스 사례)**하여 **등급 수준이 낮은 경우 경제성평가 대상으로 평가 방법 변경** 등

○ 경제성평가 생략 제도 **효과 평가 실시**

3-3 외국약가 조정가 참조기준 개선 및 추진

□ 추진 배경

○ 현행 외국 약가 조정가 참조기준(산출식) 투명성 및 타당성과 관련하여 업계 등 **이해 관계자의 지속적인 문제제기**

외국약가 조정가 참조기준(현행)

={[(각국 약가책자가격×공장도 출하율[1])×환율[2])]×(1+부가가치세율(10%))}×(1+유통거래폭[4])

1) 소매가 대비 일정 비율로 국가마다 상이, 예시) 미국 등 65%, 일본 82%, 독일 별도산식으로 산출
2) 접수 전월 매매기준율 적용
4) 유통과정에서 발생하는 비용으로 고가약은 8.69%, 저가약은 10.41% 적용

* 관련 규정: 신약 등 협상대상 약제의 세부평가기준(심평원 지침) 별첨2

○ 고가신약의 **등재 증가** 및 인구구조 변화에 따른 **만성질환증가 등 약품비 지출의 지속적인 증가로** 약가 **적정화 방안 검토 필요**

□ 추진 내용

○ **외국약가 조정가 참조기준 개선**

- 산출식의 투명성, 명확성 제고를 위해 구성 항목, 참조국가 등의 타당성 검토 및 업계 수용성 제고를 위한 이해관계자의 의견수렴 실시
- 민관협의체 실무작업반*을 구성하여 개선방안 수립

  * 복지부, 심평원, 공단, 유관협회(제약 3개협회) 등 참여

○ 약제군별(만성질환, 노인성 질환 등)로 특허만료 의약품 등의 약가 수준을 외국과 비교*하여 정기적으로 조정(제1차 국민건강보험 종합계획에 포함)

  * 개선된 외국약가 조정가 참조기준 적용

Ⅳ. 향후 계획

○ 각 과제별 세부 추진방안을 마련하여 시행하고, 필요시 **건정심 보고 및 제2차 건강보험종합계획('24~'28)에 반영**

* 세부 추진방안 마련 및 시행을 위한 **실무인력 추가 배치 등 추진**

○ 고가 중증질환 치료제 **급여화 기준 설정을 위한 논의* 시작 검토**

– 쟁점 등에 대한 심층 검토와 사회적 공론화 등 충분한 논의 필요

* 건정심 소위원회 요청사항