

의약품 경제성평가 자료 제출 생략 제도 개선방안 마련 연구

-현황 및 평가-

2023. 12. 1.

서울대학교 보건대학원

황 소 정

경제성평가 자료제출 생략제도 현황

가. 제도 변천 및 관련 규정

도입 배경 및 제·개정 내용

- 근거 생산이 상대적으로 어려운 희귀질환치료제 등에 대한 경제성평가 특례규정 신설('15.5.29)
 - (제·개정 사유) 대체제가 없거나 환자수가 적어 경제성 평가를 통한 근거생산의 불확실성이 인정되는 성분에 대한 환자의 접근성 제고
 - 희귀질환치료제에 대한 환자 접근성 제고 위한 경제성평가 특례제도 신설('14.12.17. 보도자료)
 - (제·개정 내용) 영양급여대상 선별기준에 관련사항 추가, 별도의 대상 기준 마련
 - 영양급여대상 선별기준 추가(「심평원 규정」^주 제5조)
 - 별도의 대상 기준 마련(「심평원 규정」^주 제6조의2)
 - 요건 ① : 약제 및 질환 요건
 - 요건 ② : 근거 생산 관련 요건
 - 요건 ③ : 제외국 등재 요건

주. 「약제의 영양급여대상여부 등의 평가기준 및 절차 등에 관한 규정」

가. 제도 변천 및 관련 규정

• 제·개정 내용 상세(『심평원 규정』 제5조 및 제6조의2, 현행 규정 별첨 참조)

	요건 별 규정	요건 해설
요양급여 선별기준	경제성평가 자료제출 생략 가능약제로서 제외국의 등재여부, 등재가격 및 보험급여원리, 보험재정 등을 고려할 때 수용가능하다고 평가하는 경우(『심평원 규정』 제5조)	
약제 및 질환 요건	희귀질환 치료제나 항암제로서 (i) 대체 가능한 다른 치료법(약제포함)이 없거나 (ii) 치료적 위치가 동등한 제품 또는 치료법이 없고 ^{주1} (iii) 생존을 위협할 정도의 심각한 질환에 사용되는 경우 ^{주2}	주1. 새로운 계열의 약제로 작용기전에서 차이가 있고 기존치료제보다 임상성과의 개선이 우월한 경우 등 위원회 심의 주2. 진행성의 심각한 질환 또는 기대여명이 2년 미만인 경우 등 질환의 특성을 고려하여 위원회에서 개별 심의
근거생산 관련 요건	(i) 대조군 없이 신청품 단일군 임상자료로 식약처 허가를 받은 경우 (ii) 대조군 있는 2상 임상시험으로 3상 조건부 없이 식약처 허가를 받은 경우 (iii) 대상 환자가 소수로 ^{주3} 근거생산이 곤란하다고 위원회에서 인정되는 경우	주3. 해당 적응증의 예상 급여대상 환자수를 기준으로 판단하되, 그간 필수로 검토된 약제의 평가 당시의 예상 환자수 현황 등 고려
제외국 등재 요건	(i) 등재요건 : A7 7개국 중 3개국 이상에서 등재된 경우 (ii) 급여 여부의 평가기준: 외국 7개국의 국가별 조정가 중 최저가 수준	• A7 국가: 미국, 영국, 독일, 프랑스, 이탈리아, 스위스, 일본
기타	주된 적응증 기준 「심평원 규정」 제6조의2 요건 충족하는 경우를 적용대상으로 함/ 근거 생산 관련 요건 중 '소수의 환자로서 근거생산 곤란'에만 총액제한 적용/ 등재후 4년간 급여기준 확대 제한/ 총액제한형의 경우 계약기간 만료시 추가적인 연장없이 총액제한 계약 종료	

가. 제도 변천 및 관련 규정

개정 경과

- 제정 이후의 주요 개정 내역: 『약제의 결정 및 조정 기준』 개정 (‘20)

항목	변경내역
① 약제에 대한 평가기준 추가	<ul style="list-style-type: none"> • 약제에 대한 평가 시 경제성 관련 고려사항으로서 '대체가능성', '비용효과성', '이행할 조건(위험분담 조건)' 이외에 '경제성 평가 자료 제출 생략 가능 약제 여부' 추가 (제7조 제2항 관련)
② 위험분담제 유형 정비	<ul style="list-style-type: none"> • '경제성 평가자료 생략 가능약제로 적용 받는 경우'에 위험분담 적용함을 명확히 함 ([별표 2] 관련)
③ 위험분담 가능 유형 명시	<ul style="list-style-type: none"> • 위험분담 유형으로서 2개 이상의 복합 유형 적용 가능함을 명시함 ([별표 2] 관련)

가. 제도 변천 및 관련 규정

개정 경과

- 제정 이후의 주요 개정 내역: 『심평원규정』, 『신약 등 협상대상 약제의 세부평가기준』 개정 ('16~'22)

① 급여확대 및 총액제한형 적용 상 변화('16년)	② 유형 정비 및 적용대상 변화('20년)	③ 대상 확대 및 요건 적용방식 변화('22년)
<ul style="list-style-type: none"> • 급여기준 확대 가능토록 변경 <ul style="list-style-type: none"> - 급여확대 범위가 경제성평가 생략가능 약제(이하, 경평생략) 제도 요건 충족시 ⇒ 협상 통해 가능 - 급여확대 범위가 경평생략 요건 미충족시 ⇒ 비용효과성 증명시, 협상 통해 가능 • 총액제한형 적용상의 변화 <ul style="list-style-type: none"> - 모든 요건에 적용 - 경평생략 약제와 치료적 위치 동등 약제 등재시 등재 이후 4년간 총액제한형 적용토록 함 	<ul style="list-style-type: none"> • 경평생략제도를 위험분담 하위 유형으로 편입, 정비 <ul style="list-style-type: none"> - 위험분담 계약기간 5년으로 연장, 5년마다 재평가 통해 총액제한 연장 여부 판단 가능토록 함 - 환급형 등 타 RSA 유형과 혼합 적용 가능성 명시 - 경평생략 약제 관련 평가 및 사후관리 기준, 후발약제에도 적용 • 적용대상 확대 <ul style="list-style-type: none"> - 일정요건 충족하는 국가필수의약품 중 결핵치료제, 항균제, 응급해독제도 경평생략 가능토록 함 	<ul style="list-style-type: none"> • 대상 확대 <ul style="list-style-type: none"> - 소아 삶의 질 개선 입증한 희귀질환치료제, 항암제에도 적용 • 제외국 약가 산출의 대상국 추가 <ul style="list-style-type: none"> - 기존 7개국에서 '캐나다' 추가하여 8개국으로 변경함 • 소수요건 적용 방식 변경 <ul style="list-style-type: none"> - 모든 근거 관련 요건('단일군 허가 받은 경우', 2상 또는 3상 조건부 없이 허가 받은 경우'에도)에 소수 요건 부과

가. 제도 변천 및 관련 규정

개정 경과

- 기타 개정 내역 ('16~'22)

- ('16년) 총액제한계약 체결된 경평생략 약제와 치료적 위치 동등한 약제로 총액제한형 계약 체결의 대상 약제 확대/ 국내에서 세계최초로 허가받은 신약에 경평생략 가능토록 개정
- ('18년) 부적응증 기준으로 요건 충족시, 경평생략 가능하도록 개정
- ('19년) 선별급여로 급여기준 확대될 경우, 경평생략 요건 등에 대한 별도의 검토 생략하도록 개정
- ('20년) 총액제한 계약 관련 예상 청구액 및 캡(cap) 설정 방식 변경

	개정 전	개정 후
예상청구액	위험분담 감안하지 않은 상한금액 기준	위험분담안 고려한 실제 재정영향 기준
캡(cap)	예상청구액의 130퍼센트	예상 청구액의 100퍼센트

- ('20년) 제외국 등재요건으로서 공적 급여 요건을 명확히 함
- ('22년) 경평생략 약제 평가의 법정 처리기간, 150일에서 120일로 단축

가. 제도 변천 및 관련 규정

관련 규정 및 제도

• 위험분담제('14년 도입) : 경평생략 제도와의 비교

- 경평생략 제도와 유사하게 신약에 대한 환자 접근성 강화를 위해 도입되었음
 - 대상 질환이 주로 중증질환에 한정됨
 - 다만, **선별등재제도 기본원칙을 훼손하지 않는다**는 기본원칙을 명확히 하면서 도입됨
 - 진입 및 재평가시에 모두 **비용효과성 토대로 평가**됨

	위험분담제	경제성 평가 생략 가능 약제
질환요건	<ul style="list-style-type: none"> • 대체가능하거나 치료적 위치가 동등한 제품 또는 치료법이 없는^{주1} 항암제. 희귀질환치료제로서 생존을 위협할 정도의 심각한 질환^{주2}에 사용되는 경우 • 기타 사회적 영향 등 고려 부가조건에 대한 합의 필요한 경우 ※ '20년 10월 이후, 상기 적용요건 충족하는 약제와 치료적 위치 동등한 비용효과적인 약제, 3상 조건부로 허가 받은 비용효과적인 약제에도 위험분담 적용 가능함 	<ul style="list-style-type: none"> • 소아의 삶의 질 개선 입증한 치료적 위치가 동등한 제품 또는 치료법이 없는^{주1} 항암제, 희귀질환치료제 • 국가필수의약품 중 결핵치료제, 항균제, 응급해독제
근거요건	해당 없음	<ul style="list-style-type: none"> 대상환자 소수^{주3}로 • 대조군 없이 신청품 단일군 임상자료로 허가 • 대조군 있는 2상 임상시험으로 3상 조건부 없이 허가 • 기타 근거생산 곤란

주1. 새로운 계열의 약제로 작용기전에서 차이가 있고 기존치료제보다 임상성과의 개선이 우월한 경우 등 위원회 심의

주2. 진행성의 심각한 질환 또는 기대여명이 2년 미만인 경우 등 질환의 특성을 고려하여 위원회에서 개별 심의

주3. 해당 적응증의 예상 급여대상 환자수를 기준으로 판단하되, 그간 필수로 검토된 약제의 평가 당시의 예상 환자수 현황 등 고려

가. 제도 변천 및 관련 규정

관련 규정 및 제도

- 위험분담제('14년 도입) : 경평생략 제도와의 비교 (계속)

	위험분담제	경제성 평가 생략 가능 약제
진입평가	<ul style="list-style-type: none"> • 일반적인 비용효과성 평가기준 적용 • 등재국 최소 요건 없음 • 외국조정평균가보다 높지 않아야 함 	A8 중 3개국 이상에서 등재 여부, 최저가 토대로 평가 <ul style="list-style-type: none"> • 단, 환급제도 적용시 제외국(A8) 최저가 이상으로 표시가격 신청 가능
사후평가	(재계약) 변경사항을 고려한 비용효과성 등 평가	(재계약) 급여 범위에서 경평생략 요건 충족할 경우, 비용효과성 평가 생략하고 공단 협상 통하여 상한금액 및 환급률 등 재계약
	(계약종료) 위험분담 적용하지 않을 경우의 적정 상한금액 산출 위한 비용효과성 등 평가	(계약종료) 경평생략 요건 해소 여부, 약제의 특성 및 재정영향 등 고려하여 총액제한형 유지 여부 협상 ※ 20.10. 개정전, 최초등재 후 4년만 총액제한 적용
후발약제	<ul style="list-style-type: none"> • 선발약제의 위험분담 내용 감안한 후발약제의 상한금액 평가 ✓ 선발약제, 투약비용 비교 또는 경제성 평가 통해 등재됨 	<ul style="list-style-type: none"> • 선발약제 위험분담 내용 감안한 후발약제의 상한금액 평가 ✓ 선발약제, 제외국 최저가 등 토대로 등재됨 • 선발약제에 준하는 평가기준 및 사후관리 실시
급여 확대	<ul style="list-style-type: none"> • 확대 범위에서 실재가 기준 비용효과성 입증시 협상 통해 재계약 	<ul style="list-style-type: none"> • 급여 확대 범위에서 경평생략 요건 충족할 경우, 비용효과성 평가 생략, 협상 통해 재계약

가. 제도 변천 및 관련 규정

관련 규정 및 제도

• 진료상 필수약제 제도

- (요양급여 선별 기준 측면) 일반적으로 적용되는 요양급여 선별기준*에 해당하지 않더라도 환자의 진료에 반드시 필요한 경우 정식의 비용효과성 평가 없이 등재 가능한 점에서 경평생략 제도와 유사함

※ 임상적으로 유용하면서 비용효과적인 약제로서 제외국의 등재여부, 등재가격 및 보험급여원리, 보험재정 등을 고려할 때 수용 가능하다고 평가되는 경우

- (상세 요건) 대상환자 및 약제요건은 유사하나, **경평생략제도의 경우, 대체가능성 및 임상성과개선, 질환의 중증도 요건이 진료상 필수 기준보다 완화되었고, 경평생략 약제와 달리 진료상 필수약제 관련 별도의 약가기준은 없음**

	진료상 필수약제 (모두 만족)	경제성 평가 생략 가능 약제
대상환자 및 약제 요건	<ul style="list-style-type: none"> • 희귀질환 등을 대상으로 함 • 소수의 환자 집단 대상으로 함 	<ul style="list-style-type: none"> • 희귀질환치료제, 항암제를 대상으로 함 • 대상 환자수 소수를 요건으로 함
대체 가능성 및 임상 성과 개선	<ul style="list-style-type: none"> • 대체가능한 다른 치료법 없는 경우 • 생존기간의 상당기간 연장 등 임상적으로 의미있는 개선 입증 	<ul style="list-style-type: none"> • 대체가능한 다른 치료법 없는 경우 (또는) • 치료적 위치가 동등한 제품 또는 치료법이 없는 경우
질환의 중증도	<ul style="list-style-type: none"> • 생존을 위협할 정도의 심각한 질환 	<ul style="list-style-type: none"> • 항암제, 희귀질환 치료제: 생존을 위협할 정도의 심각한 질환 • 소아의 삶의 질 개선 약제, 결핵치료제 등: 질환의 중증도 요건을 별도로 요하지 않음

나. 적용 품목 현황

현황 종합(성분 기준)

	'15	'16	'17	'18	'19	'20	'21	'22	'23 (9.1기준)
전체 (누계)	1	5 (6)	6 (12)	4 (16)	3 (19)	2 (21)	0 (21)	8 (29)	4 (33)
항암제 (누계)	1	4 (5)	4 (9)	3 (12)	1 (13)	1 (14)	0 (14)	6 (20)	3 (23)
희귀질환치료제 (누계)	0	1 (1)	1 (2)	1 (3)	1 (4)	1 (5)	0 (5)	1 (6)	- (6)
기타 (누계)	0	0 (0)	1 (1)	0 (1)	1 (2)	0 (2)	0 (2)	1 (3)	1 (4)

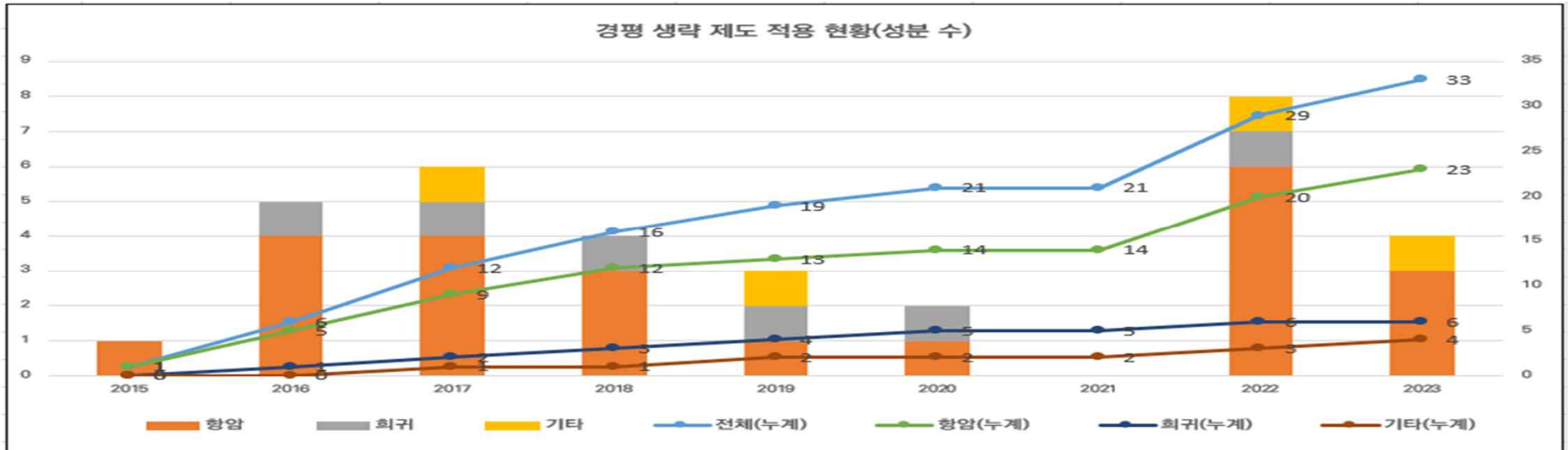
주1. '17년 적용된 올리타정(olmutinib) 및 '18년 적용된 라트루보주(olaratumab)는 현재 허가 삭제되었음

주2. '18년 부적응증 기준으로 경평생략요건 충족한 엑스지바주(denosumab) 관련 사항은 반영하지 않음

나. 적용 품목 현황

현황 종합(성분 기준, '23.9.1. 기준)

- (질환별) 항암제 23성분, 희귀질환치료제 6성분, 기타 약제 4성분에 적용됨
- (연도별) '15년 도입 이후 경평생략 제도 적용 성분 수 지속적으로 증가함
- '21년도에 잠시 증가 양상을 보이지 않기도 했으나, '22년도에 가장 많은 수의 성분에 적용됨



- (급여범위 확대 현황) 경평생략 약제 33성분 중 7성분의 급여가 확대되었고, 후발약제 5성분 중 4성분의 급여가 확대됨
- 대부분 최초 등재후 2~3년 이내에 급여 확대됨

나. 적용 품목 현황

현황 상세

- 항암제** ※ 항암제의 경우, 모든 약제에서 임상적 필요도 요건(1호) 중 '치료적 위치 동등 약제 없음(나목)' 요건 적용되었음

	약제명(성분)	효능·효과	급여 개시일	적용 요건(2호의 각 목 중)
1	카프렐사정(vandetanib)	갑상선수질암	'15.11.1.	근거생산곤란(다목)
2-1	애드세트리스주(brentuximab)	호지킨림프종	'16.2.1.	단일군(가목)
2-2	애드세트리스주(brentuximab)	재발, 불응성 전신역형성대세포림프종	'16.2.1.	단일군(가목)
3	임브루비카캡슐(ibrutinib)	외투세포림프종	'16.6.1.	단일군(가목)
4	자이카디아캡슐(certinib)	ALK 양성 비소세포폐암 (crizotinib 이후)	'16.8.1.	단일군(가목)
5	블린사이토주(blinatumomab)	급성림프구성백혈병(ph(-))	'16.10.1.	단일군(가목)
6	젤보라프정(vemurafenib)	BRAF 600E 변이 악성흑색종	'17.7.1.	근거생산곤란(다목)
7	매큐셀정(trametinib)(+라핀나캡슐(dabrafenib))	BRAF V600E/ V600K 변이 악성 흑색종	'17.11.1.	근거생산곤란(다목)
8	린파자캡슐(olaparib)	BRCA 변이 난소암, 2차이상 유지요법	'17.10.1.	근거생산곤란(다목)
9	실반트주(siltuximab)	다발성 캐슬만병	'18.2.1.	3상 조건부 없이(나목)
10-1	아이클루시그정(ponatinib)	만성골수성백혈병	'18.4.1.	단일군(가목)
10-2	아이클루시그정(ponatinib)	급성림프구성백혈병	'18.4.1.	단일군(가목)

주. '18년 부적응증 기준으로 경평생략요건 충족한 엑스지바주(denosumab) 관련 사항은 반영하지 않음

나. 적용 품목 현황

현황 상세

- 항암제(계속)

	약제명(성분)	효능·효과	급여 개시일	적용 요건(2호의 각 목 중)
11	다잘렉스주(daratumumab)	다발골수종	'19.4.8.	단일군(가목)
12	벤클렉스타정(venetoclax)	만성림프구성백혈병	'20.4.1.	단일군(가목)
13	조스파타정(gilteritinib)	급성골수성백혈병	'22.3.1.	근거생산곤란(다목)
14	루타테라주(177Lutetium oxodotreotide)	위·장·췌장계 신경내분비종양	'22.3.1.	근거생산곤란(다목)
15-1	킴리아주(tisagenlecleucel)	급성림프성백혈병	'22.4.1.	단일군(가목)
15-2	킴리아주(tisagenlecleucel)	미만성 거대 B세포 림프종	'22.4.1.	단일군(가목)
16	비트락비캡슐(larotrectinib)	NTRK 유전자 융합 고형암	'22.4.1.	단일군(가목)
17	로즐리트렉캡슐(entrectinib)	NTRK 유전자 융합 고형암	'22.4.1.	단일군(가목)
18	로비큐아정(lorlatinib)	ALK 양성 비소세포폐암	'22.9.1.	단일군(가목)
19	브루킨사캡슐(zanubrutinib)	발덴스트롬 마크로글로불린혈증	'23.5.1.	근거생산곤란(다목)
20	인레빅캡슐(fedratinib)	골수증식성질환	'23.6.1.	단일군(가목)
21	오뉴렉정(azacitidine)	급성골수성백혈병	'23.8.1.	근거생산곤란(다목)
삭제	올리타정(olmutinib)	T790M 변이 비소세포폐암	'17.11.5.	단일군(가목)
삭제	라트루보주(olatumab)	연조직육종	'18.2.1.	근거생산곤란(다목)

나. 적용 품목 현황

현황 상세

- 희귀질환치료제

	약제명(성분)	효능·효과	급여 개시일	적용 요건(2호의 각 목 중)
1	비미집주(elosulfase alfa)	모르퀴오 A 증후군	'16.6.1.	근거생산곤란(다목)
2	디테린정(sapropterin)	페닐케톤뇨증	'17.1.1.	근거생산곤란(다목)
3	빈다켈캡슐(tafamidis)	트랜스티레틴 가족성 아밀로이드성 다발신경병증	'18.10.1.	근거생산곤란(다목)
4	스핀라자주(nusinersen)	척수성 근위축증	'19.4.8.	근거생산곤란(다목)
5	스트렌식주(Asfotase alfa)	저인산효소증	'20.6.1.	단일군(가목)
6	졸겐스마주(onasemnogene abeparvovec)	척수성 근위축증	'22.8.1.	단일군(가목)

※ 희귀질환 치료제의 경우, 졸겐스마주의 경우에만 임상적 필요도 요건(1호) 중 '치료적 위치 동등 약제 없음(나목)' 요건 적용받았고, 그 외에는 모두 임상적 필요도 요건(1호) 중 '대체약제 없음(가목)' 요건 적용받았음.

나. 적용 품목 현황

현황 상세

- 기타

	약제명(성분)	효능·효과	급여 개시일	적용 요건	
				임상적 필요도	근거 생산 관련
1	데피텔리오주(defibrotide)	간정맥폐쇄병	'17.6.1.	대체약제 없음 (제1항 1호 '가'목)	소수(제1항 2호 '다'목) - 희귀질환에 해당하지는 않으나 생명을 위협하거나 만성적으로 쇠약하게 하는 질병
2	프락스바인드주(idarucizumab)	프라닥사캡슐 특이적 역전제	'19.2.1.	대체약제 없음 (제1항 1호 '가'목)	단일군(제1항 2호 '가'목) - 희귀질환 치료제에 해당하지 않으나, 생명을 위협하는 경우에 해당
3	저박사주(ceftolozane)	항균제	'22.10.1.	국가필수의약품에 해당하는 항균제(제2항)	국가필수의약품에 해당하는 항균제(제2항)
4	크리스비타주사액(burosumab)	소아 구루병	'23.5.1.	소아 삶의 질 개선 치료제 (제1항 1호 '다'목)	근거생산곤란(제1항 2호 '다'목)

나. 적용 품목 현황

급여기준 확대 현황 - 항암제 6, 기타 질환 치료제 1성분

	최초 등재 내역			급여 기준 확대 내역
	약제명(성분)	급여 범위	급여개시일	확대 급여 범위
1	임브루비카캡슐(ibrutinib)	외투세포림프종	'16.6.1.	('18.4) 만성림프구성 백혈병, 2차이상
2	자이카디아캡슐(ceritinib)	ALK 양성 비소세포폐암(arizotinib 이후(2차이상))	'16.8.1.	('18.11) ALK 양성 비소세포폐암(1차이상)
3	블린사이토주 (blinatumomab)	Ph(-) 급성림프모구백혈병, 18세이상 (2차 또는 3차)	'16.10.1.	('18.7) Ph(-) 급성림프모구백혈병, 18세 미만 (3차이상)
				('20.4.) Ph(+) 급성림프모구백혈병, 3차 이상 (23.5.) Ph(-) 관해상태, 미세잔존질환 0.1%이상, B세포 급성림프모구성백혈병, 유도요법
4	린파자캡슐(olaparib)	BRCA 변이 난소암, 2차 이상 유지요법(15개월까지)	'17.10.1.	('19.5) BRCA 변이 난소암, 2차 이상 유지요법 (투여기간 제한 삭제)
5	매큐셀정(trametinib) (+라핀나캡슐(dabrafenib))	BRAF V600E/ V600K 변이 악성 흑색종	'17.11.1.	('20.2) BRAF V600E 변이가 확인된 전이성 비소세포폐암(1차이상)
6	벤클렉스타정 (venetodax)	만성림프구성백혈병(3차이상)	'20.4.1.	('21.6) 만성림프구성 백혈병, 2차
				('23.2) 급성골수성백혈병, 1차
7	데피텔리오주(defibrotide)	간정맥폐쇄병	'17.6.1.	('19.6) 중증 진단기준 항목 완화

※ 애드세트리스주(brentuximab)의 경우, 총액제한계약기간 종료 후, ('20.3) CD30 양성 피부 T세포 림프종(2차이상), ('21.4) CD30 양성 호지킨 림프종, Ann Arbor stage III/IV (IPS≥4)(1차), ('21.4) CD4 30 양성 전신역형성대세포림프종(1차) 범위에 급여 기준이 확대되었음

나. 적용 품목 현황

후발 약제 현황

	후발약제			관련 경쟁 생략 적용 선발약제
	약제명(성분)	급여개시일(상세내역)	관련 급여 범위	
1	라핀나캡슐 (dabrafenib)	'17.9.1(총액제한 적용)	BRAF 600E 변이 악성흑색종 ※ 등재 이후, '20.2. BRAF V600E 변이 확인된 전이성 비소세포폐암 으로 급여 확대됨	젤보라프정(vemurafenib, '17.7.1)
2	알레센자캡슐 (alectinib)	'17.10.1(총액제한 적용)	ALK 양성 비소세포폐암, 2차이상 ※ 등재 이후, '18.12. ALK양성 비소세포폐암, 1차 이상으로 급여 확 대됨	자이카디아캡슐(certinib, '16.10.1)
3	베스폰사주 (inotuzumab)	'19.10.1(총액제한 적용)	Ph(-), 급성림프구성백혈병, 2차 또는 3차 이상 ※ 등재 이후, '22.2. Ph(+) 급성림프구성 백혈병, 3차 이상으로 급여 확대됨	블린사이토주(blinatumomab, '16.10.1)
4	제줄라캡슐 (niraparib)	'19.12.1(총액제한 적용)	BRCA 변이 난소암, 유지요법, 2차이상 ※ 등재 이후, '21.10. BRCA 변이 난소암, 유지요법, 1차로 급여 확대됨	린파자캡슐(olaparib, '17.10.1)
5	린파자정 (olaparib)	'21.10.1(총액제한 적용)	BRCA 변이 난소암, 유지요법, 2차이상 ※ 신규 등재시, BRCA 변이 난소암, 유지요법, 1차에 동시 급여 적용됨	
참고	알룬브릭정(brigatinib)	'19.4.19(총액제한 미적용주)	ALK 양성 비소세포폐암, 2차이상 ※ 등재 이후, '21.4. ALK양성 비소세포폐암, 1차이상으로 급여확대됨	관리종료된 자이카디아캡슐(certinib) 등의 대체약제로서 투약비용 비교를 통해 등재됨
참고	셈블릭스정(asciminib)	'23.7.1(총액제한 미적용주)	Ph(+), 만성골수성백혈병, 3차 이상	관리종료된 아이클루시그정(ponatinib)의 대 체약제로서 투약비용 비교를 통해 등재됨

주. 경쟁생략 후발약제이지만 약평위 평가 시점에 선발약제의 위험분담계약이 종료되어 총액제한계약을 미적용함

다. 관리(거버넌스) 현황

등재관리(진입 시)

- 등재관리 절차(심평원-약평위-복지부-공단)

- 제약사 등의 약제 요양급여 결정 신청에 대해 심평원에서 약평위 평가 통해 '급여적정성 여부'을 평가하고, '급여적정성이 있음'으로 평가된 약제에 대해 복지부 장관이 공단에 협상을 명하게 됨
 - 공단은 협상 통해 약제별 연간 예상 청구금액, 상한금액, 연간지출상한액(cap) 및 환급률에 대해 제약사와 협상을 진행하고 총액제한형의 위험분담계약을 체결함
 - 이 때, 총액제한형 위험분담안에서의 캡(cap)은 예상청구액의 100%로 정하고, 캡(cap) 초과시의 환급률은 100%로 정함
- ※ 20년 10월 개정 전에는 총액제한형 위험분담안에서의 캡(cap)을 예상청구액의 130%로 정하였음
- 총액제한형 위험분담계약 포함하여 협상이 체결되면 건강보험정책심의위원회 심의를 거쳐 약제급여목록에 약제별 상한금액이 고시됨

다. 관리(거버넌스) 현황

사후관리(진입 후)

• 사후평가

- 급여기준 변경 시의 평가: 급여 확대 범위에서 경평생략 요건(해당 약제 · 질환요건/근거생산어려움 요건/제외국등재요건) 해당 여부 검토
- 재계약시의 재평가(위험분담 계약기간 잔여기간이 1년 미만인 약제) 및 계약 종료시의 재평가
- 후발약제 등재 및 사후관리: 후발약제는 선발 경평생략 약제에 준하는 평가기준과 사후관리 기준 따름
 - (비용효과성 평가) 선발 경평생략 약제와의 투약비용 비교 통해 이루어짐
- 성과기반 위험분담제: 「고가의약품 급여관리에 관한 기준」에 의거, 성과기반 위험분담 대상 약제의 치료효과 등 모니터링

• 총액관리

- (공단) 제약사와 체결한 위험분담 계약을 토대로 청구자료를 모니터링. 업체의 환급액을 업체가 공단에 환급하도록 고지(환급 주기: 총액제한형의 경우 1년)

라. 현황 종합

종합(제도 변천 및 관련 규정)

- **경평 생략 제도는 신약의 적정 가치를 반영하고 환자에 대한 접근성을 보장하기 위해 도입되었음**
 - 선별등재제도의 기본 원칙*을 준수하면서 도입된 위험분담제와 달리, 제외국 등재 여부 및 가격이 평가기준임
 - ※ 비용 대비 효과가 우수한 의약품을 선별하여 등재하는 원칙
 - 대체가능 치료법이 없고, 생존기간의 상당한 연장 등의 요건을 충족해야 하는 진료상 필수약제 요건과 달리, 치료적 위치가 동등한 제품 또는 치료법이 없는 경우에도 요건 적용이 가능함
- **최초의 제정 이후에 경평 생략 약제에 대한 총액제한계약이 위험분담제의 일반적인 하위 유형으로서 정비되면서 적용 대상이 확대되고 등재 이후 급여 확대가 가능한 방향으로의 변화가 있었음**
 - (총액제한형 적용 방식) ① 대상환자수 소수로 근거생성이 곤란한 경우 이외의 모든 근거 생산 요건에까지 총액제한 계약 적용/ 후발약제에도 적용 ② 일반적인 위험분담 유형으로 편입, 타 위험분담 유형과의 복합 적용 가능해짐 ③ 계약기간 만료 이후 계약 연장도 가능해짐
 - (적용 대상 확대) ① 항암제, 희귀질환 치료제 이외에 결핵치료제 등으로 대상 확대 ② 소아 삶의 질 개선 입증한 약제로 대상 확대
 - (기타) 급여확대 가능하도록 변경/ 제외국 공적급여요건 명확화 및 약가산출의 대상국 추가(A7->A8)/ 후발약제에도 경평생략 선발약제와 동일한 평가 및 사후관리 기준 적용

라. 현황 종합

종합(제도 변천 및 관련 규정)

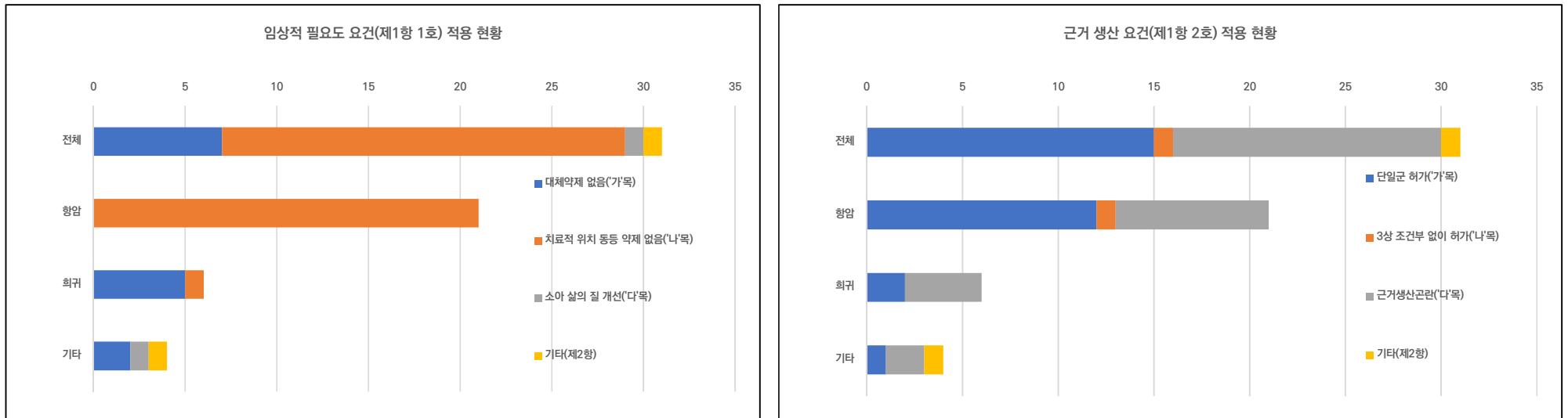
- **총액제한 계약 적용의 확대 통한 관리 강화를 위한 변화가 있었음**
 - 모든 근거생산 요건 및 후발약제로까지 총액제한 대상 범위를 확대하고, 재평가 통한 총액계약 연장이 가능토록 하여 총액 관리를 통한 관리 범위 및 기간이 확대됨
- **위험분담제, 진료상 필수약제와 달리 중증 질환이 아닌 영역으로 적용대상이 확대됨**
 - '생존을 위협할 정도의 심각한 질환'이 아닌 질환 또는 관련 약제에까지 적용대상 범위가 확대됨
- **관리·평가 장치로서 비용효과성 평가 보다는 총액제한계약 또는 협상이 주로 활용됨**
 - 총액제한 계약기간 만료시 적정 상한금액 도출을 위한 비용 효과성 평가 과정 도입보다는 협상 등 통한 총액제한 계약기간 연장이 활용됨
 - 경평생략 약제의 후발약제가 정식의 경제성 입증 없이 진입한 경평생략 약제와의 투약 비용 비교(+총액제한 적용) 통해 등재되기도 함
- **급여 확대가 비용효과성 평가 거치지 않거나, 경평생략 약제인 비교약제와의 비용 효과성 평가 등 통해 이루어질 수 있음**
 - 급여 확대 범위가 경평생략 요건 충족시 비용효과성 평가 없이 협상 통해 급여 확대 가능함
 - 급여 확대 범위가 경평생략 요건 미충족시 비용효과성 평가 통해 급여 확대 가능하지만, 이 과정에서 정식의 비용효과성 평가 거치지 않은 경평생략 약제 대비 비용효과성이 평가될 수 있음

라. 현황 종합

종합(적용 품목 현황)

- 적용품목 중 항암제(대상 질환 중 암성질환)가 높은 비중을 차지함. 대상 질환 따라 요건 적용 양상은 상이함
- 항암제의 경우, 23성분이 적용되었고(그 중, 2성분 허가 삭제) 희귀질환의 경우, 6성분, 기타 약제의 경우 4성분에 경평 생략 제도가 적용되었음

※ 보도자료(14.12.16, 신약 적정가치 인정 등): 희귀질환치료제에 대한 환자의 접근성 제고 위해 경제성 평가 특례제도 신설



주. '23.9.1. 기준 주적응증 기준으로 경평생략 적용된 33개 성분 중 급여목록에서 삭제된 2개 성분을 제외한 31개 성분에 대한 내역임

라. 현황 종합

종합(적용 품목 현황)

- **급여기준이 확대된 경평생략 성분 중 상당수의 급여 확대 시점이 최초 등재일로부터 2~3년 경과 이전임. 이러한 현상은 경평생략 후발약제에서도 유사하게 나타남**
 - 경평생략 적용 성분 중 급여기준 확대된 7성분 중 5성분은 최초등재일 이후 2년 경과 이전에 급여기준 확대됨
 - 경평생략 후발약제에도 상기 현상은 유사하게 나타나며, 급여기준 확대 비율도 5성분 중 4성분으로 매우 높음
- **경평 생략 약제 및 그 후발약제 진입으로 동등 또는 유사 치료적 위치 약제 모두가 경평생략 또는 경평생략의 후발약제로서 비용효과성 평가(재평가) 위한 적정 약가수준 도출이 어려운 질환군이 발생함**
 - 경평생략 또는 경평생략 후발약제는 정식의 비용효과성 평가를 거치지 않은 성분이므로, 동등 또는 유사 치료적 위치 약제 모두가 해당 성분일 경우 비용효과성 평가 또는 재평가를 위한 적정 약가 수준 도출이 어려워짐
 - 동일 또는 유사 치료적 위치 약제 모두가 경평생략으로 등재된 약제 또는 경평생략의 후발약제인 질환군
 - (암성 질환) BRCA 변이 난소암(2차이상 유지요법), BRAF 600E변이 악성흑색종, Ph(+) 급성림프구성 백혈병(3차이상), Ph(-) 급성림프구성 백혈병(2차 또는 3차 이상), 불응성 B세포 급성림프성백혈병(2차 또는 3차 이상), 만성림프구성백혈병(2차이상)
 - (희귀질환) 척수성근위축증

라. 현황 종합

종합(적용 품목 현황)

- 동일 질환군 내 2개 이상의 성분에서 경평 생략 요건을 충족하는 것으로 평가되기도 했음

- 동일 질환에서 2개 이상의 성분에 경평 생략 요건 적용 시, 성분 간 치료적 위치가 동등하지 않다고 평가한 사유가 구체적이지 않음

- '계열의 신규성', '임상성과개선의 우월성'이 치료적 위치 동등 약제 없는 경우 요건의 세부기준임

- ☞ 예시) 'A 약제'가 경평생략 적용된 후 동일연도에 동일질환에 'B약제'도 경평생략 적용받아 등재되었으나 B약제가 A약제 대비 생존률이 유의하게 높았다는 점 외에 두 성분 간 치료적 위치 동등성 여부에 대한 구체적 평가가 이루어지지 않았음

- 현행, 치료적 위치 동등 여부의 판단 기준의 의미 명확화 및 사유의 구체화가 필요해 보임

「심평원 규정」제6조의2(경제성평가자료제출생략가능약제) ① (생략)

1. 희귀질환치료제나 항암제로서 다음 각 목의 어느하나에 해당하는 약제

가. 대체가능한 다른 치료법이 없는 경우 /나. 치료적 위치가 동등한 제품 또는 치료법이 없고 생존을 위협할 정도의 심각한 질환에 사용되는 경우 (이하생략)

「신약 등 협상대상 약제 세부평가기준 1.8 제조업자 등이 이행할 조건을 적용한 약제에 대한 평가기준

1.8.1. 위험분담 적용대상 여부

○ 치료적 위치가 동등한 약제가 없는 경우- 새로운 계열의 약제로 작용기전에서 차이가 있고 기존치료제보다 임상 성과의 개선이 우월한 경우 등을 고려하여 위원회 심의

라. 현황 종합

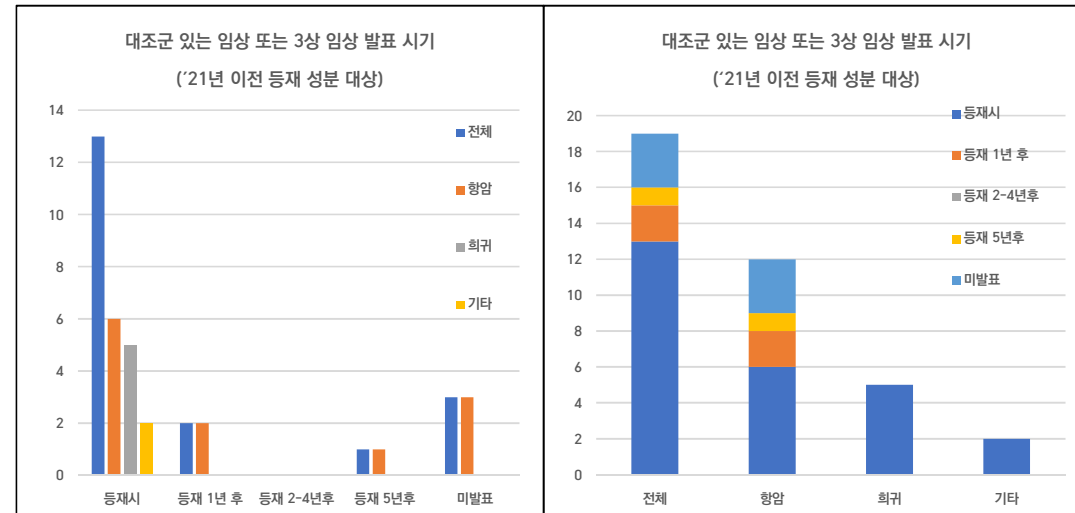
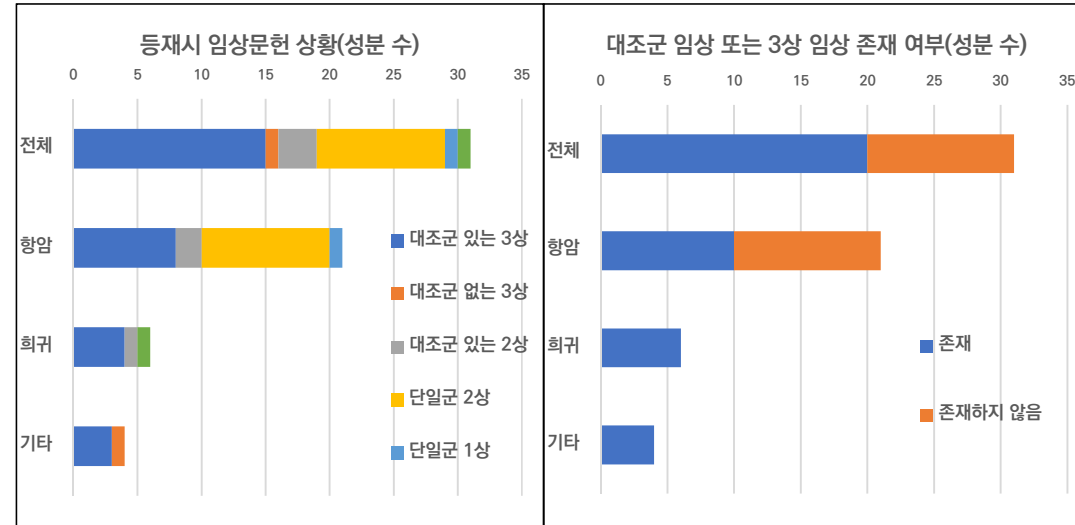
종합(적용 품목 현황)

- 타 유형의 위험분담제와 달리 경평생략제도의 관리(주로, 총액제한형 위험분담제)는 적정 상한 금액 도출을 위한 과정보다는 주로 총액 관리를 통해 이루어짐
 - 총액관리 종료된 5개 성분의 상한금액은 '23년 9월 현재까지 최초등재시와 동일함
 - ※ 타 유형의 위험분담제: 계약 종료시 위험분담 적용하지 않았을 경우의 적정 상한금액 도출을 위해 비용효과성 등 평가(『신약 등 협상대상 약제의 세부평가기준』)
- 대리지표 토대로 진입 후, 후속 임상에서 전반적 생존기간 개선 등 최종 지표의 개선이 입증되지 못한 경우도 있었음
 - 라트루보주(olaratumab, '18년 등재 후 허가 취소)의 경우, 2상 임상시험 결과 근거로 경평생략 적용받았으나, '20년 발표된 ANNOUNCE 임상에서 전반적 생존기간의 개선 입증에 실패하였음(20.4개월 vs. 19.7개월(HR 1.05[0.84-1.30], p=0.69))
 - 이러한 점 고려하여 식약처 허가가 취소되었고, 현재 급여목록에서도 삭제된 상태임
 - 자이카디아캡슐(ceritinib, '16년 등재)의 경우, 단일군 임상 시험 근거로 경평생략 적용받았으나, '17년 발표된 pemetrexed 또는 docetaxel을 대조군으로 하는 3상 임상(ASCEND-5 임상)에서 PFS의 개선은 보였으나(5.4개월 vs. 1.6개월(HR 0.49[0.36-0.67], p<0.0001)), OS의 개선은 보이지 못했음(18.1개월 vs. 20.1개월(HR 1.0[0.67-1.49], p=0.50))

라. 현황 종합

종합(적용 품목 현황)

- 경평생략 제도 적용받은 성분 상당수(31 성분 중 20 성분)는 급여평가 시부터 대조군 대비 비교 임상자료, 대규모 임상자료 등이 존재했음
 - 기타, 경평생략 제도 적용받은 동일계열의 다른 성분 대비 간접비교 자료 갖추고 있었던 성분, 경평생략 제도 신설 이전에 경제성 평가 수행 결과를 토대로 급여평가를 받은 이력이 있는 성분도 있음
- 급여 평가 시점에 대조군 있는 임상 또는 3상 임상 시험이 부재했지만 등재 후 1년 경과 시점 즈음에 후속 3상 임상이 발표된 성분도 있음
 - '21년 이전 등재된 성분 중 급여 평가 시점에 대조군 있는 임상 또는 3상 임상 시험이 부재한 성분으로서 후속 임상문헌(대조군 임상 또는 3상)이 미발표된 경우는 3개 성분임



주. '23.9.1. 기준 주적응증 기준으로 경평생략 적용된 33개 성분 중 급여목록에서 삭제된 2개 성분을 제외한 31개 성분에 대한 내역임

라. 현황 종합

종합(관리 현황)

- **대체가능성, 질환의 중증도 요건에 대한 평가가 정성적 평가보다 요건에 해당 여부 토대로 이루어짐**
 - 대체로 '치료적 위치가 동등한 제품 또는 치료법이 없고 생존을 위협할 정도의 심각한 질환'이라는 언급 외의 기대여명 또는 질병의 진행 경과를 종합적으로 고려한 상세한 사유는 발견되지 않음

질환의 중증도 등에 대한 정성적 평가 예시	신청품은 000에 투여하는 경우 치료적 위치가 동등한 약제는 없는 항암제에 해당하며, 예1) 000에 실패 또는 불응 환자의 median OS가 9개월임을 고려 시 예2) 기존 표준 요법 사용시 15% 내외의 반응률과 9개월 정도의 중앙생존기간을 보이는 점을 고려시 신청품의 투여대상 질환은 생존을 위협할 정도의 심각한 질환에 해당함
요건 해당 여부 토대의 평가결과 예시	신청품은 항암제로, 치료적 위치가 동등한 제품 또는 치료법이 없고 생존을 위협할 정도의 심각한 질환에 사용되며, 대조군 없이 신청품 단일군 임상자료로 식품의약품안전처의 허가를 받은 경우로 외국조정평균가 산출의 대상국가인 외국 7개국 중 3개국 이상에서 공적으로 급여되고 있는 약제로 경제성평가자료 제출 생략 가능 약제에 해당하므로, ...

- **(총액 관리) 경평생략 약제 성격상 청구량 예측시 불확실성 개입의 여지가 크기 때문에 총액 관리의 실효성 담보가 어려울 수 있음. 관리 종료된 경평생략의 후발약제 등은 총액제한 적용의 대상이 아님**
 - (현재 후발약제 중 총액 관리 대상) '경평생략 약제' 및 '총액제한형의 위험분담계약이 체결되어 있는 경평생략 약제와 치료적 위치가 동등한 약제'

라. 현황 종합

종합(관리 현황)

- **등재 후 실제 청구 경향 상 경평생략 요건을 충족하지 않는 약제에 대한 사후관리 장치 부재**
 - 등재 시 약평위에서 대상 환자수 소수 등 경평생략 요건 충족으로 판단되어 급여된 후에 실제 대상 환자수가 환자수 소수 기준을 크게 상회하여도 적용할 수 있는 적절한 관리 기제 부재
 - (청구자료 분석 결과) 환자수 소수로 예상되어 경평생략 적용받았으나, 등재 후 2~3년차에 이미 환자수 소수 기준을 초과하여 청구가 이루어진 사례도 있음
- **요양급여 대상 선별기준 중 제외국 등재요건 외 보험 재정 항목 등에 대한 명확한 기준 미비**

경제성평가 자료제출 생략제도 평가

가. 제도 영향 평가

평가의 전제

- **경평생략 제도 도입 전·후의 효과를 실증적으로 분석하고자 주요 분석 항목에 대해 제도변천에 따라 시기별로 구간 구분하여 분석 수행함**
 - **주요 분석 항목**
 - **신약주 등재율** : 시기별 약평위 평가 성분 수 중 등재된 성분 수 비율
 - **신약주 등재기간** : '결정신청 익일~급여개시일자' 의 성분별 평균값
 - **비용효과성 평가기준** : 약평위 평가 시 비용효과성 평가 기준별 상대적 비중
- 주. 신약: 약사법 제2조제8항에 의한 신약을 포함하여 약제급여목록에 등재된 적이 없는 신규성분의약품, 새로운 투여경로의약품, 새로운 효능군 또는 효능효과 추가 의약품
- **시기 구분:** 신약 등재 관련 제도 변천 양상에 따라 구분(아래의 평가일을 고려하여 신청일자별로도 구간 구분함)
 - [1구간] 선별등재제도 시행 이후 ~ 위험분담제 도입 전(~'13.10.31)
 - [2구간] 위험분담제 도입 이후 ~ 경평생략 약제 제도 도입 전('13.11.1~'15.4.30)
 - [3구간] 경평생략 약제 제도 도입 이후 ~ 2020년 10월 개정 전('15.5.1~'20.9.30)
 - [4구간] 2020년 10월 개정 이후('20.10.1~)

가. 제도 영향 평가

평가의 전제

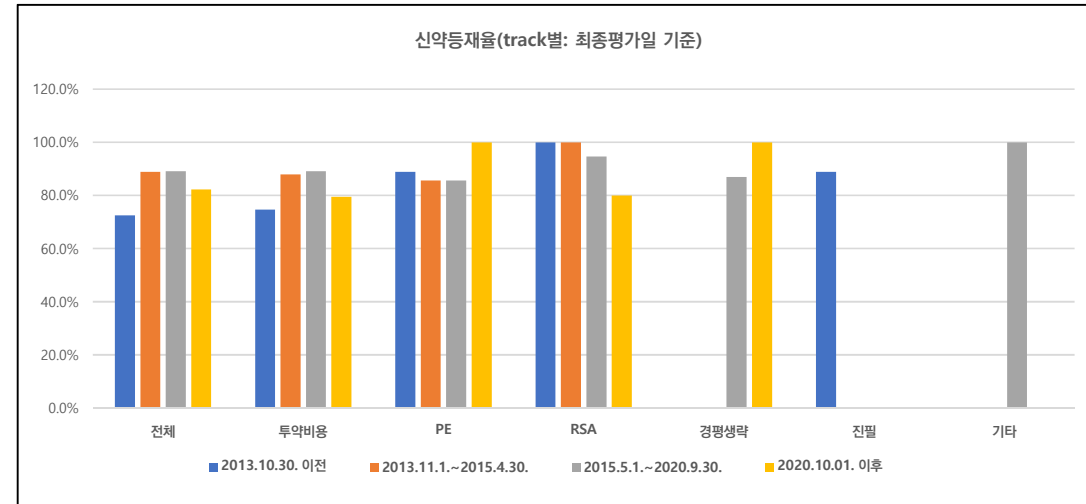
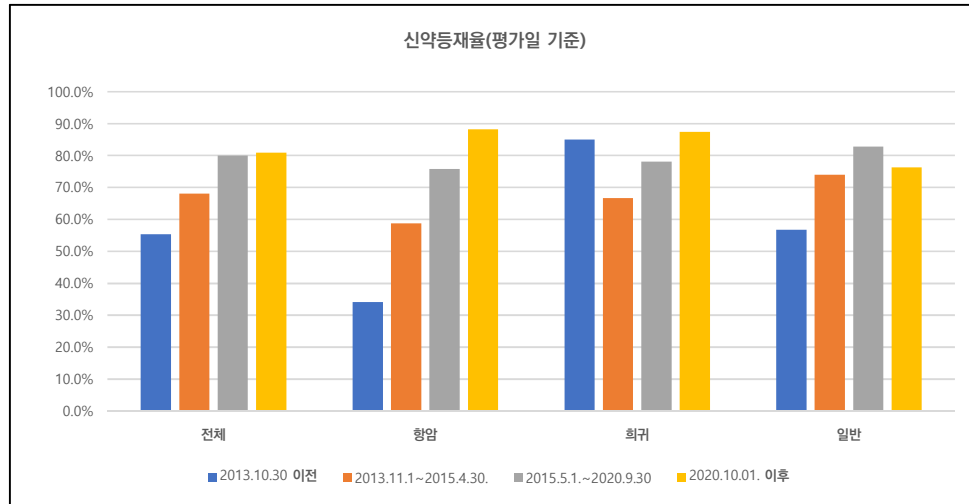
- 주요 분석 항목

항목	의미	지표
신약등재율	시기별, 약평위에서 평가된 신약 중 약평위 평가 후 급여목록에 등재된 성분 수의 비율	<ul style="list-style-type: none"> (평가 구간별) $\frac{\text{급여목록에 등재된 신약 성분 수}}{\text{약평위에서 평가된 신약 성분 수}}(\%)$
신약등재기간	'요양급여 결정 신청 익일 ~ 급여개시일자 (일수)'의 성분별 평균값 • 성분별 최종 요양급여결정 신청일 기준으로 산출 • 법정 소요기간이 아닌 평가시 보완에 소요된 기간까지 모두 포함된 기간을 기준으로 산출	$\frac{\sum(\text{신약 성분별})\text{요양급여결정신청익일}\sim\text{급여개시일}}{\sum(\text{시기별})\text{결정 신청된 신약 성분 수}}$
비용효과성 평가 기준	(시기별) '약평위에서 평가된 신약 성분 수' 중 비용효과성 평가 기준별 상대적 비중 • 성분별 최종 약평위 평가 결과 토대로 산출	비용효과성 평가 기준 분류 • 투약비용 비교 토대의 평가(비용최소화 분석 포함) • 경제성평가 토대의 평가(RSA 미적용)/경제성평가 토대의 평가(RSA 적용) • 제외국 조정 최저가 토대의 평가 • 진료상 필수약제 기준 토대의 평가/기타

가. 제도 영향 평가

신약등재율

- **(질환별)** 전체적으로 경평생략 제도 도입 이후 및 제도 변천에 따라 등재율 상승
 - 항암제에서 해당 양상이 가장 두드러짐
- **(최종 평가건, 등재경로별)** 경평생략 약제의 등재율은 제도 도입 이후에 87%였으며, 제도 개정 후 등재율이 100%가 되었음



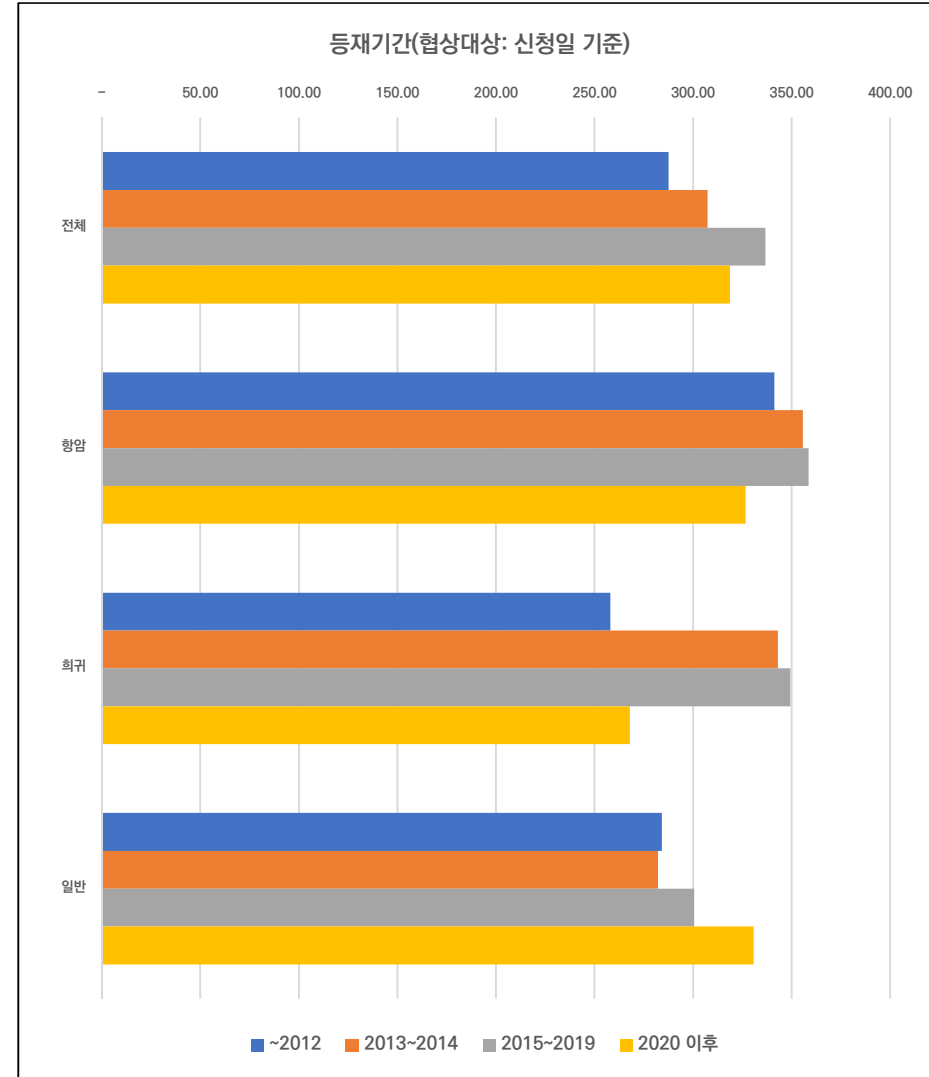
Note. PE, 경제성 평가; RSA, 위험분담제

가. 제도 영향 평가

신약등재기간

※ 성분별 최종 신청일자 기준으로 산출함

- (신청일 기준, 질환별) 등재기간 단축 양상은 '20년 이후 신청된 항암제, 희귀질환치료제(협상합의 건)에서 나타남
- 일반 약제보다 항암제, 희귀질환치료제의 등재기간이 길었던 그간의 일반적 양상과 달리 '20년 이후 신청건에서는 일반약제보다 항암제, 희귀질환치료제의 등재기간이 짧은 것으로 나타남

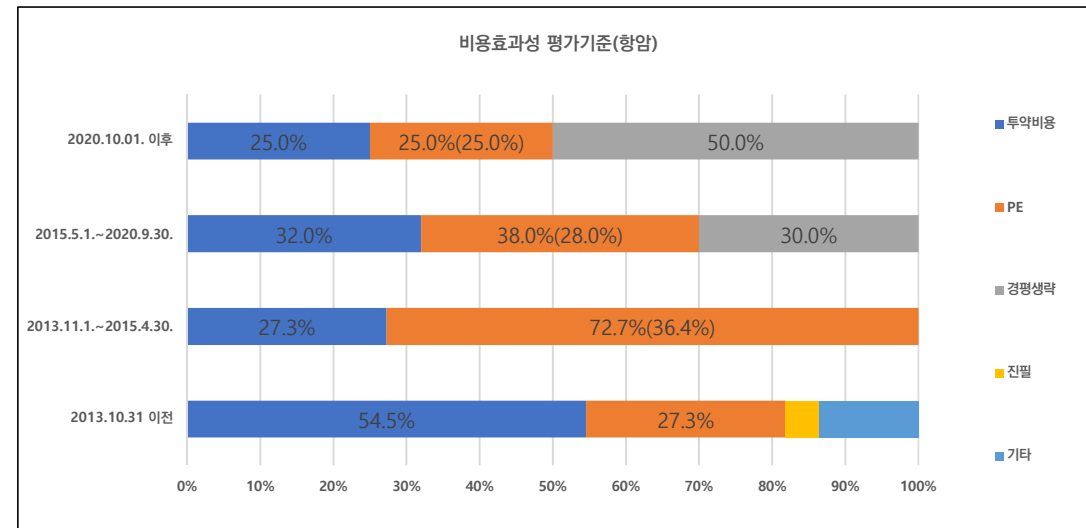
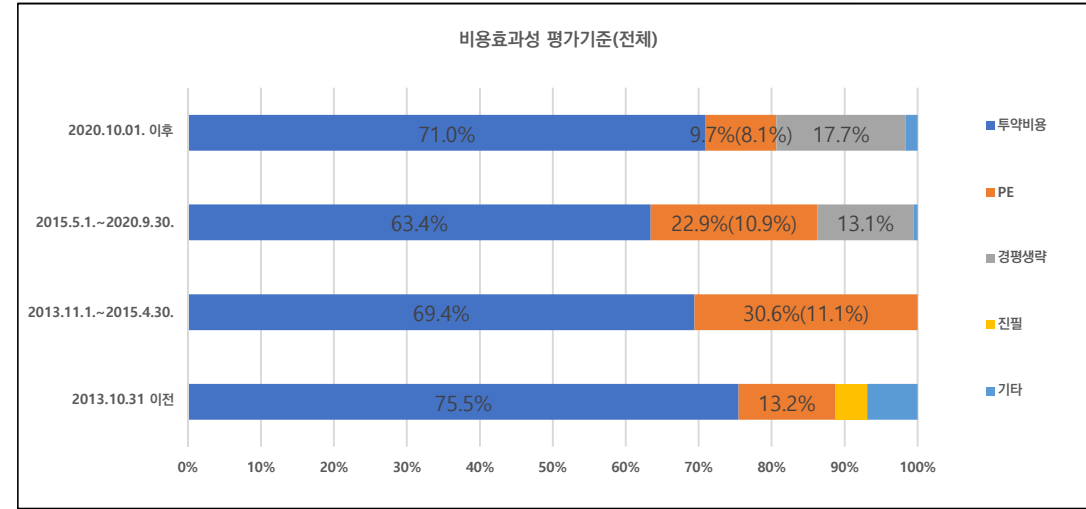


Note. 협상대상, 협상 합의 건 대상

가. 제도 영향 평가

비용 효과성 평가 양상의 변화

- **(전체)** 경평생략 토대 평가비율은 제도 도입 이후 13.1% 수준이고, '20.10. 제도 개정 후에 보다 상승함
 - RSA 도입 직후에 증가했던 경제성평가 토대의 평가 비율(13.2%→30.6%)이 경평생략 제도 도입 이후 감소(→22.9%)하며, 특히 '20.10. 제도 개정 이후에는 더 크게 감소함(→9.7%)
- **(항암제)** 제도 도입 이후 30.0%의 경평생략 토대 평가비율이 '20.10 제도 개정 후 50.0%로 상승하며, 경제성 평가 토대 평가비율은 감소함
 - RSA 도입 직후 증가(27.3%→72.7%)했던 경제성평가 토대의 평가 비율은 제도 도입 및 개정에 따라 감소(→38.0%→25.0%)함
- '20.10. 제도 개정 이후 RSA가 아닌 경제성 평가 토대 평가비율이 0%가 됨



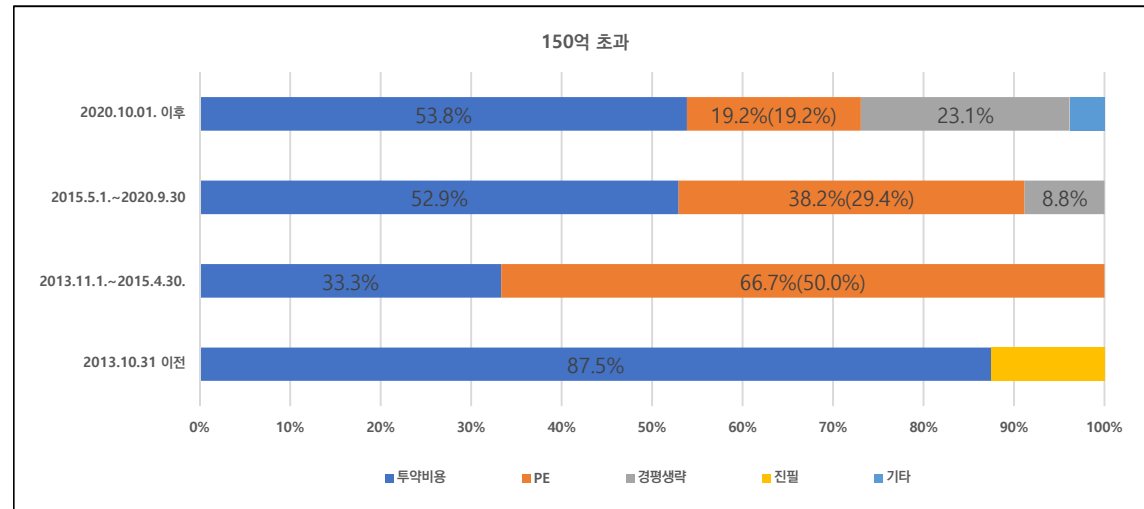
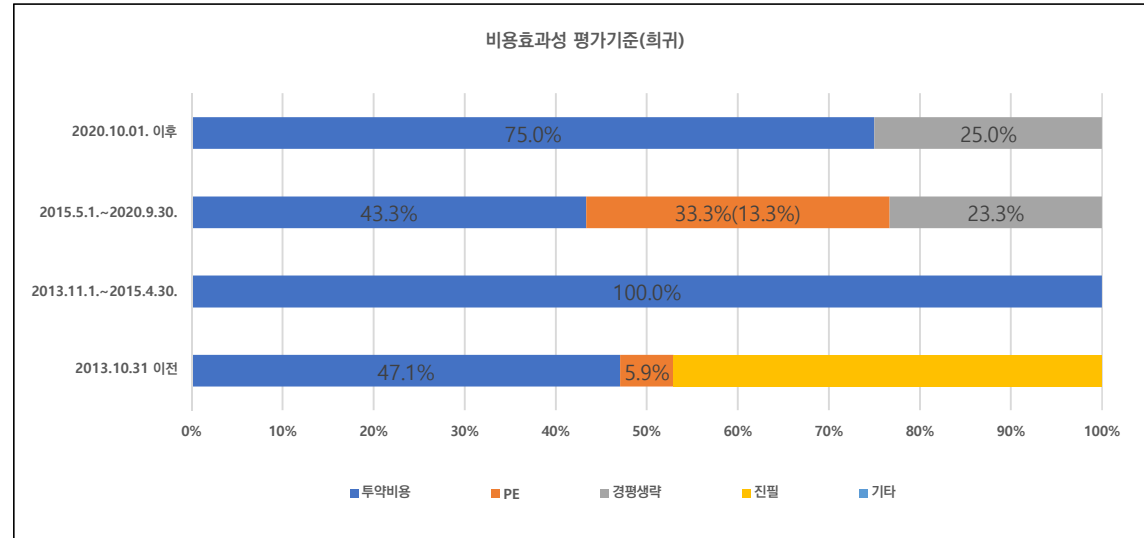
Note. PE, 경제성 평가; RSA, 위험분담제; RSA를 적용한 경제성 평가 토대의 평가 비율은 PE 비율 괄호 안에 표기

가. 제도 영향 평가

비용 효과성 평가 양상의 변화

- **(희귀질환치료제)** 경제성 평가(RSA 적용) 토대의 평가비율보다 경평생략 토대의 평가 비율이 높음
 - 전반적으로 진료상 필수약제 제도 개정 후, RSA만 도입된 시기에 일시적으로 투약비용 비교로만 등재되던 양상을 보이다가, 경평생략 제도 도입 이후에는 다양한 기준으로 비용효과성이 평가됨
- **(재정구간별)** 제도 도입 및 변천에 따라 경제성평가 통한 평가 비율이 감소하고, 경평생략 통한 평가 비율이 크게 증가하는 양상은 재정소요액* 150억 초과 구간에서 두드러짐

* 약제요양급여대상여부 결정신청시 제출된 약제평가신청서 내역 상의 신청약제로 인한 연간 절대재정소요금액 기준



Note. PE, 경제성 평가; RSA, 위험분담제; RSA를 적용한 경제성 평가 토대의 평가 비율은 PE 비율 괄호 안에 표기

나. 재정영향 평가

평가의 전제

- **경평생략 제도 도입 전·후의 재정영향 변화 양상을 분석하고자 관련 약제 대상으로 재정영향 분석 수행함**
- **분석 항목**
 - ① 경평생략 제도 적용된 개별 성분 및 성분 전체의 재정추이
 - ② 위험분담제 등 유사 제도 적용 성분과의 비교
 - ③ 경제성 평가 대상 약제 전체의 재정추이

나. 재정영향 평가

경평생략 제도 적용 성분의 재정추이

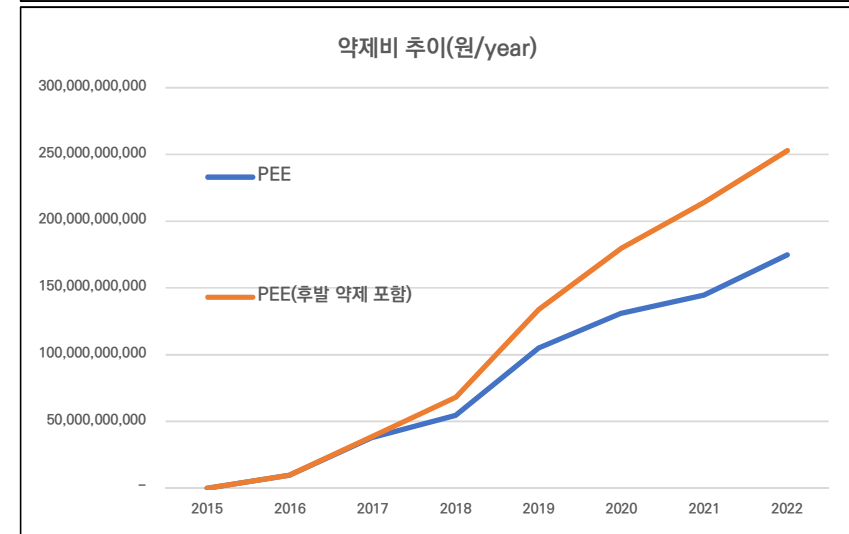
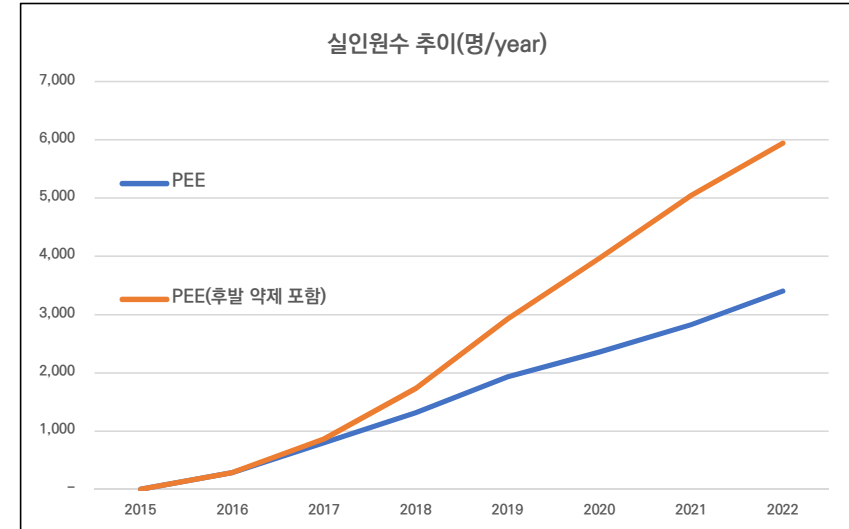
주. 제도 도입 후 '22.12. 간 주적응증 기준으로 경평생략 적용되어 등재된 성분 중 급여목록에서 삭제된 2성분을 제외한 성분에 대한 분석 결과임

• 경평생략 제도 적용 성분의 약제비, 환자수는 제도 도입 이후 지속적으로 증가함

- 분석 결과 ①: 경평생략 제도 적용 성분 전체의 실인원수 증가 추이
 - '17->'22 연평균증가율: 33.6%, 47.0%(후발약제 포함할 경우)
- 분석 결과 ②: 경평생략 제도 적용 성분 전체의 약제비 증가 추이 추이
 - '17->'22 연평균증가율: 35.6%, 45.5%(후발약제 포함할 경우)

• 경평생략 제도 적용 개별 성분 별 추이

- 아래와 같이 등재 후 2차년도의 실인원수가 환자수 소수 기준을 초과하는 성분이 있음
 - 환자수 소수 요건 충족하여 경평생략 제도 적용된 성분
 - 급여 확대 이전부터 환자수 소수 기준 초과한 성분
 - 경평생략 약제 후발약제로서 급여확대 이전부터 환자수 소수 기준 초과한 성분

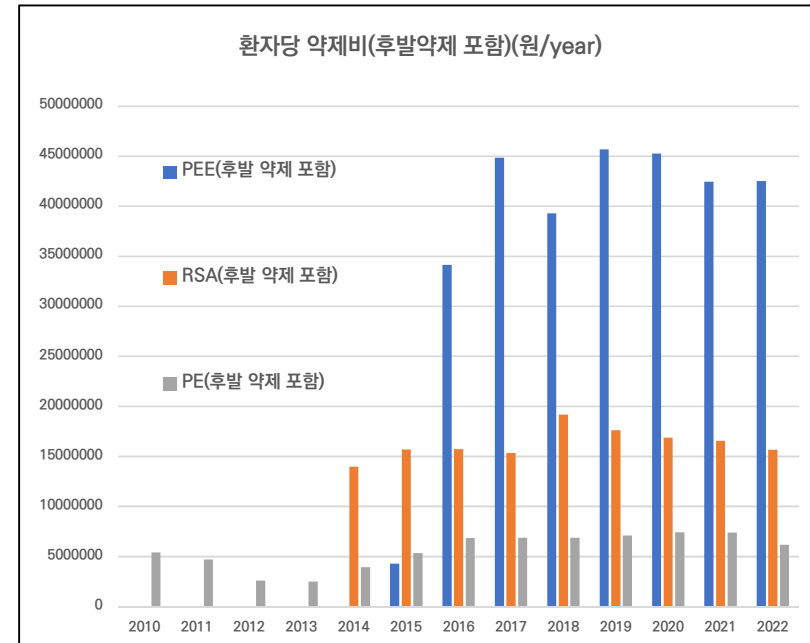
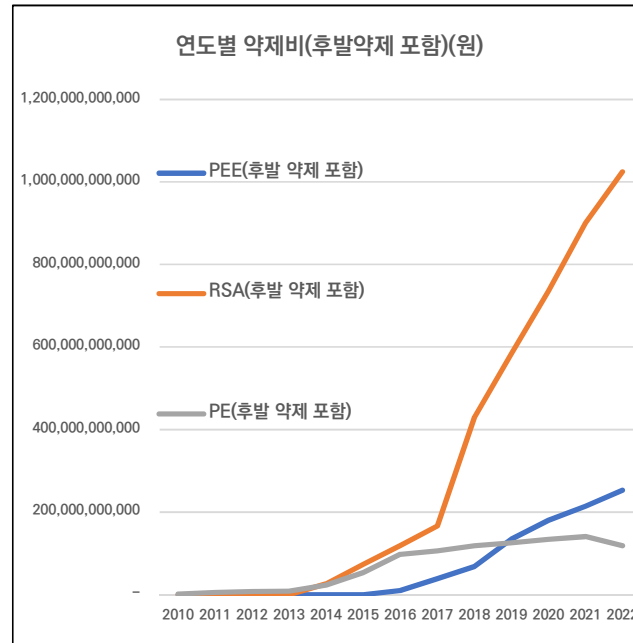
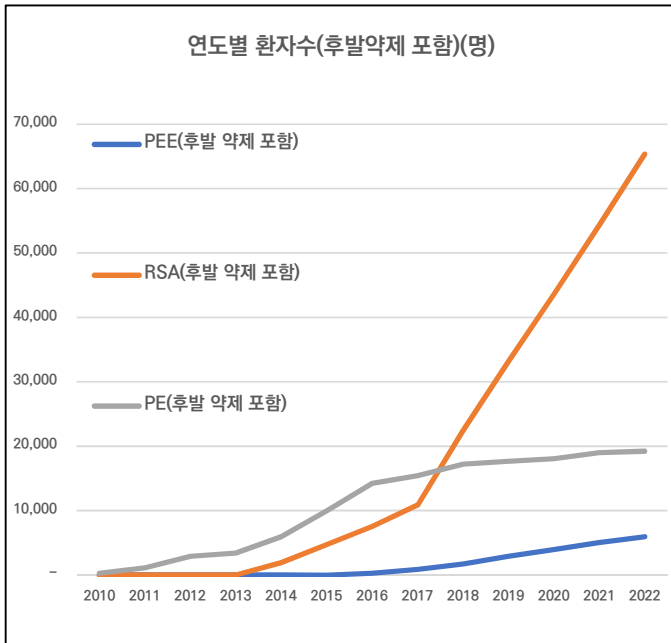


Note. PEE, 경제성 평가 생략제도

나. 재정영향 평가

유사 제도 적용 성분과의 비교

- 일반 경제성 평가 통한 등재에 비해, 경평생략제도 및 위험분담제 통한 등재에서 연도 경과에 따른 약제비 증가의 경향이 두드러짐
 - 경평생략제도 통해 등재된 성분의 환자당 약제비가 다른 경로 통해 등재된 성분에 비해 상당히 높은 경향을 보임



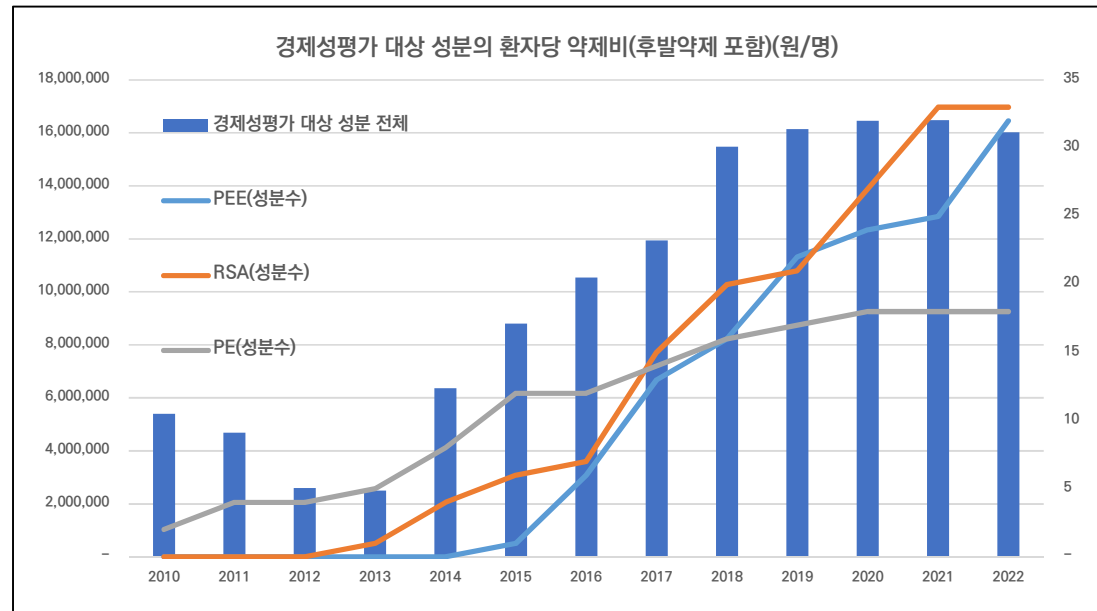
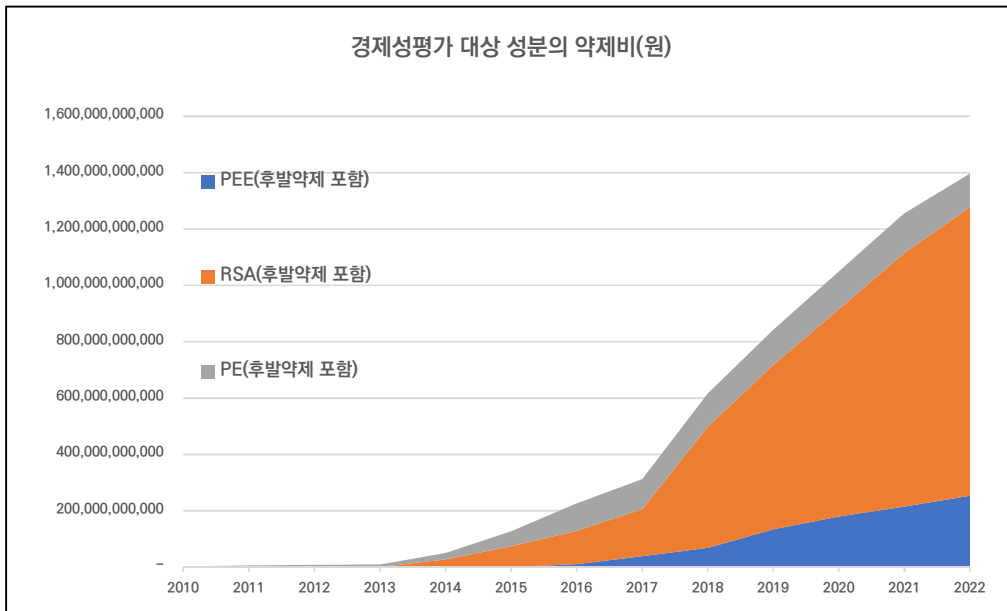
Note. PEE, 경제성평가 생략제도; RSA, 위험분담제; PE, 경제성평가

나. 재정영향 평가

경제성 평가 대상 약제 전체의 재정추이

주. 비교대상에 비해 임상적 유용성이 개선되었으나, 투약비용이 고가여서 경제성평가 자료 등 토대로 평가된 성분

- 경제성 평가 대상 약제의 약제비 증가율이 경평생략 제도 도입 전에 비해 도입 후에 높은 것으로 나타남('11->'13, 26.3% vs.'16-'19, 55.1%)



Note. PEE, 경제성평가 생략제도; RSA, 위험분담제; PE, 경제성평가

나. 재정영향 평가

경제성 평가 대상 약제의 재정추이

• 2022년도 등재 유형별 약제비, 환자수, 성분 수

※ 괄호 안, 후발약제에 대한 내역

- 경평생략 약제의 약제비 규모는 RSA 적용으로 등재된 성분보다 작고, PE 통해 등재된 성분보다는 큰 것으로 나타남
- 반면, 환자수는 RSA 경로 통해 등재된 성분에서 가장 많았고, 경평생략 약제에서 가장 적었음
 - 성분 당 환자수는 경평생략 약제보다 경평생략 후발약제에서 더 많은 현상이 나타남

➔ RSA 적용 약제는 대상 환자의 수가 많은 반면, 경평생략 약제는 RSA 적용 약제에 비해 대상 환자수는 적지만, 환자당 약제비는 높은 특징을 보임

	PEE(PEE 후발약제)	RSA(RSA 후발약제)	PE(PE 후발약제)
약제비(억원)	1,748.19(780.70)	8,572.07(1,674.17)	1,126.39(62.83)
환자수(명)	3,403(2,887)	53,194(13,124)	18,672(781)
성분수(개)	27(5)	26(7)	16(2)

주. 후발약제 - 해당 성분을 대체약제로 하여 투약비용 비교를 통해 등재된 성분

- PEE: 2015년 이후 경평생략 적용으로 등재된 성분
- RSA: 2013년 이후 위험분담 적용으로 등재된 성분
- PE: 2008년 이후 경제성평가를 통해 등재된 항암제, 희귀질환 치료제 성분
- PEE 후발약제: 경평생략 약제를 대체 약제로 하여 투약비용 비교 통해 등재된 성분
- RSA 후발약제: 위험분담 적용 약제를 대체 약제로 하여 투약비용 비교 통해 등재된 성분
- PE 후발약제: PE 약제를 대체 약제로 하여 투약비용 비교 통해 등재된 성분

Note. PEE, 경제성평가 생략제도; RSA, 위험분담제; PE, 경제성평가

다. 평가 종합

제도 영향 평가

- **경평생략제도 도입으로 인해 신약등재율, 신약 등재 기간 측면에서 환자 접근성이 향상됨**
 - 제도 도입 이후 신약등재율 향상의 양상이 나타나며, 항암제에서 해당 양상이 가장 뚜렷함
 - '20.10. 제도 개정 후 경평생략약제의 등재율은 개정 전보다 상승하고, 항암제·희귀질환치료제(협상대상)의 등재 기간도 보다 단축됨
- **제도 도입 및 변천에 따라 경평생략 토대의 비용효과성 평가 비율 상승 현상 및 경제성평가 토대의 평가 비율 감소 현상이 함께 나타남**
 - 경제성 평가 토대 평가 비율의 감소현상은 항암제 및 재정소요액 150억 이상의 성분에서 두드러지게 나타남
 - 특히, '20.10. 제도 개정 후 항암제의 경우, 위험분담제 미적용 경제성평가 토대의 평가비율이 0%, 희귀질환치료제의 경우 경제성평가 토대의 평가비율이 0%임

다. 평가 종합

재정 영향 평가

- **경평 생략 제도 적용 성분의 약제비, 환자수는 제도 도입 이후 지속적으로 증가하고 있음**
 - 급여기준 확대와 무관하게 등재후 2차년도 정도 이후부터 환자수 소수 기준 이상의 청구양상을 보이는 개별 성분도 있음
 - 이 중, 소수의 환자수 요건 충족으로 경평생략 적용받은 성분, 경평생략 약제의 후발약제 등이 있음
- **일반 경제성 평가를 통한 등재에 비해, 경평생략제도 및 위험분담제 통한 등재의 경우 연도 경과에 따라 약제비 증가의 경향이 두드러짐**
 - 경평생략제도 통해 등재된 성분의 환자당 약제비가 다른 경로 통해 등재된 성분에 비해 높은 경향을 보임
- **경제성 평가 대상 약제의 약제비 증가율이 경평 생략 제도 도입 전에 비해 도입 후에 높은 것으로 나타남 ('11->'13, 26.3% vs. '16-'19, 55.1%)**
 - 경제성 평가 대상 약제의 환자당 약제비도 경평 생략 제도 도입 시기('15년) 전후를 기점으로 상승하는 양상을 보임

소결

- **경평 생략 제도 도입으로 신약등재율 향상, 신약등재기간 단축 등 환자 접근성 향상이라는 긍정적 효과가 있었음**
- **그렇지만, 경평생략 약제 관련하여 평가 양상 및 재정 추이 측면의 일련의 현상도 함께 나타남**
 - 경평생략 약제는 다른 경로(경제성평가, 위험분담제) 통해 등재되는 성분에 비해 환자당 소요비용이 높은 특징을 지님
 - 또한, 경평생략 제도 도입 이후 경제성 평가 대상 성분의 약제비 증가율이 상승함
 - 제도 도입의 영향으로 경평 생략 토대의 비용효과성 평가 비율이 상승하면서, 경제성 평가 토대의 비용효과성 평가 비율이 크게 감소했음. 특히, 항암제 및 재정소요액이 일정 수준 이상인 성분에서 해당 현상이 두드러짐
 - 또한, 경평생략 약제 약가와외의 비교 통해 후발약제까지 진입함으로 인해 정식의 경제성이 입증되지 않는 영역이 개별 약제 넘어 질환 단위로까지 확장되는 현상이 나타남
 - 그 외에도, 현행 경평생략 해당 여부 판단이 주로 기계적 요건 해당 여부를 기준으로 이루어지고 있으며, 관리 기전으로 비용효과성 평가보다는 총액 관리 방식이 주로 활용됨

[별첨] 경제성평가 자료제출생략 가능 약제 현행 규정

		요건 별 규정	규정 상세
요양급여 선별기준		경제성평가 자료제출 생략 가능약제로서 제외국의 등재여부, 등재가격 및 보험급여원리, 보험재정 등을 고려할 때 수용가능하다고 평가하는 경우(「심평원 규정」 제5조)	
범주 ①	약제 및 질환 요건	<p>대상 환자수 소수의 희귀질환 치료제나 항암제로서</p> <ul style="list-style-type: none"> (i) 대체 가능한 다른 치료법(약제포함)이 없거나 (ii) 치료적 위치가 동등 치료법이 없고^{주1}, 생존을 위협할 정도의 심각한 질환에 사용되는 경우^{주2} (iii) 소아에 사용되는 약제로 치료적 위치 동등 치료법 없고^{주1}, 임상적으로 의미있는 삶의 질 개선 입증한 경우 	<p>주1. 새로운 계열의 약제로 작용기전에서 차이가 있고 기존치료제보다 임상성과의 개선이 우월한 경우 등 위원회 심의</p> <p>주2. 진행성의 심각한 질환 또는 기대여명이 2년 미만인 경우 등 질환의 특성을 고려하여 위원회에서 개별 심의</p>
	근거생산 관련 요건	<ul style="list-style-type: none"> (i) 대조군 없이 신청품 단일군 임상자료로 식약처 허가를 받은 경우 (ii) 대조군 있는 2상 임상시험으로 3상 조건부 없이 식약처 허가를 받은 경우 (iii) 그 밖에 근거생산이 곤란하다고 위원회에서 인정되는 경우 	
범주 ②		<ul style="list-style-type: none"> (i) 대상요건 : 국가필수의약품 중 결핵치료제, 항균제, 응급해독제 (ii) 경제성 입증 요건: 제외국에서 경제성평가 미수행 등 	
제외국 등재 요건		<ul style="list-style-type: none"> (i) 등재요건 : A8 8개국 중 3개국 이상에서 등재된 경우 (ii) 급여 여부의 평가기준: 외국 8개국의 국가별 조정가 중 최저가 수준 	<ul style="list-style-type: none"> • A8국가: 미국, 영국, 독일, 프랑스, 이탈리아, 스위스, 일본, 캐나다
기타		근거 생산 관련 모든 요건에 총액제한 적용/ 급여기준 확대 가능 총액제한형 의 경우 계약기간 만료시 추가적인 연장 가능	