

희귀질환 치료제, 건강보험 등재 100일 이내 단축 목표로 시범사업

- 7월 1일부터 8월 31일까지 참여 기업·약제 공개 모집 실시 -
- 치료제 등재기간 현행 240일에서 최대 100일로 단축 목표 -

보건복지부(장관 정은경)는 7월 1일(수)부터 8월 31일(월)까지 희귀질환 치료제 신속등재 시범사업에 참여할 제약기업과 대상 약제를 공개 모집한다고 밝혔다.

이번 시범사업은 단기간 내 치료 효과성 검증이 어려운 희귀질환의 특성을 고려하여, 개발된 치료제를 조기에 사용할 수 있도록 기존 건강보험 등재 절차를 대폭 간소화하는 내용이다. 등재 전 비용효과성 평가는 등재 후 실제 임상 성과에 기반한 사후평가로 전환하고, 약가* 및 약제비 총액** 협상은 사전에 설정된 계약 조건을 적용하여 같음한다. 이를 통해 희귀질환 치료제의 건강보험 등재 소요기간을 현행 240일에서 최대 100일 이내로 단축하는 것을 목표로 한다.

* A8(외국 8개국) 조정 최저가 90% 보장(추후 사후평가계획서에 근거한 조정 가능)

** 제약사 요청금액(300억 원 한도)으로 초기 설정(추후 실제 청구액 기반한 조정 가능)

시범사업 참여 요건은 허가 절차가 진행 중이거나 이미 허가를 받은 희귀질환 치료제*면서 A8(외국 8개국)** 중 3개국 이상 등재된 약제여야 한다. 모집 종료 후에는 신청 약제를 대상으로 대체약제 유무, 질환 중증도, 재정 영향, 환자의 안정적 치료보장 계획 등을 종합적으로 평가하여 5개 범위 내에서 대상 약제를 선정할 계획이다.

* 「본인일부부담금 산정특례에 관한 기준」 [별표4] 희귀질환자 산정특례 대상에 해당하는 질환에 허가받은(허가 예정인) 약제

** 미국, 영국, 독일, 프랑스, 이탈리아, 스위스, 일본, 캐나다

참여를 희망하는 제약기업은 시범사업 참여 신청서, 신청 약제 및 사후평가 관련 제출 자료 등을 8월 31일(월) 18시까지 건강보험심사평가원 이메일(jar117@hira.or.kr)로 제출해야 한다.

- * (추가 문의사항) ▲신청 약제 제출자료 관련 : 건강보험심사평가원 신약등재부(033-739-1374, 1373), ▲사후평가 제출자료 관련 : 건강보험심사평가원 약제성과평가운영부(033-739-2751, 2752), ▲약가 및 예상청구액 관련 : 국민건강보험공단 신약관리부(033-736-3243, 3226)

권병기 건강보험정책국장은 “희귀질환 치료제의 등재 기간을 대폭 단축해 환자들이 치료제를 조기에 사용할 수 있도록 하기 위한 방안이다”라며 “희귀질환 환자들의 오랜 요구를 반영해 시행한다는 점에서 의미가 있다”라고 밝혔다.

<붙임> 희귀질환 치료제 신속등재 시범사업 개요

담당 부서	건강보험정책국 보험약제과	책임자
		담당자

□ 사업 목적

- 희귀질환 치료제의 건강보험 등재 절차를 간소화하여 환자에게 꼭 필요한 약제를 적기에 신속하게 공급하기 위함

□ 시범사업 지원 내용

- (약제 평가) 신속 등재를 위해 임상적 유용성 중심으로 평가하고 등재 이후 실제 임상 성과를 기반으로 사후평가(또는 경제성 평가) 실시

* 건강보험심사평가원에서 임상 성과 관련 자료수집 지원

- (약가) A8(외국 8개국) 조정 최저가 90%로 계약
- (예상 청구액) 최대 300억 원 범위 내 제약사 제출금액으로 계약
- (약가유연계약제) 제약사 신청 시 허용

□ 참여 대상 (아래 내용을 모두 만족해야 참여 가능)

- 「본인일부부담금 산정특례에 관한 기준」 [별표4] 희귀질환자 산정특례 대상에 해당하는 질환에 허가받은(허가 예정인) 약제
- 기허가 약제, 품목 허가 심사 중인 약제, 요양급여 결정 신청 전까지 품목 허가 신청 가능한 약제 중 하나에 해당하는 경우
- 외국조정평균가 산출 대상국가인 외국 8개국 중 3개국 이상에서 공적으로 급여되면서 약가가 확인되는 약제
- '26.12.31일까지 요양급여 결정 신청이 가능한 약제

□ 선정 기준

- 대체약제 유무, 질환의 중증도, 재정 영향, 사후평가 계획 및 환자 보장 계획 적정성 등을 종합 평가하여 5개 이내 선정

* '26.9월 중 선정심사 및 선정 결과 통보(공개) 예정