

약제 요양급여의 적정성 평가 결과

velaglucerase alfa 400IU
(비프리브주, 에스케이케미칼주)

- 제형, 성분·함량 :**
 - 1 병 중 velaglucerase alfa 400IU(베라글루세라제알파 400IU)
- 효능 효과 :**
 - 타입1 고셔병 환자의 장기간 효소 대체 요법
- 약제급여평가위원회 심의일**
2015년 제7차 약제급여평가위원회 : 2015년 6월 4일

※ 약제급여평가위원회 평가결과 중 해당 제약회사의 영업상 비밀에 해당하는 내용(신청자 의견, 신청가격 및 이와 관련된 투약비용, 재정영향 금액 등)은 공개대상에서 제외하였습니다.

가. 평가 결과

□ 최종결과

○ 제약사가 [REDACTED] 원 이하를 수용하였으므로 급여의 적정성이 있음.

※ 2015년 제7차 약제급여평가위원회 평가결과: 비급여

- 신청품은 “타입1 고셔병 환자의 장기간 효소 대체 요법”에 허가받은 약제로 대체약제 대비 임상적 유용성이 비열등하나, 소요비용이 대체약제보다 고가로 비용효과적이지 않으므로 비급여함.
- 단, 제약사가 대체약제의 가중평균가로 환산된 금액([REDACTED] 원) 이하를 수용할 경우, 급여의 적정성이 있으며, 약가협상생략기준금액 이하로 상한금액 협상절차를 생략함.

나. 평가 내용

○ 진료상 필수 여부

- 신청품은 “타입1 고셔병 환자의 장기간 효소 대체 요법”에 허가받은 약제로, 대상 질환은 희귀질환에 해당하나, 현재 동일 적응증에 허가받은 imiglucerase가 등재되어 있으므로, 대체가능성을 고려시, 진료 상 반드시 필요한 약제에 해당하지 않음.

○ 임상적 유용성

- 신청품은 섬유 육종 세포주에서 유래한 재조합 β -glucocerebrosidase로 리소좀의 부족한 glucocerebrosidase를 보충하여 축적된 glucocerebroside를 분해함.¹⁾²⁾³⁾
- 타입1 고셔병 표준요법인 효소 대체 요법(Enzyme replacement therapy, ERT)에 신청품 및 imiglucerase, taliglucerase alfa, alglucerase 등을 사용할 수 있음.⁴⁾⁵⁾⁶⁾⁷⁾⁸⁾
- 신청품의 임상문헌으로 imiglucerase 대조 임상시험 1편⁹⁾이 검색되었으며, 일차평가 변수인 두 군간 헤모글로빈 농도의 평균 변화치는 신청품군에서 1.624g/dL, imiglucerase 군에서 1.488g/dL로 두 군간 차이는 0.14g/dL(단측 97.5% CI: -0.6g/dL, 비열등 마진: -1.0g/dL)로 비열등성을 입증하였음.
 - 이차평가 변수인 두 군간 평균 혈소판 수치, 비장/간 부피 등의 평균 변화량에서 통계적으로 유의한 차이가 없었으며, 대부분의 부작용은 중증도 이하였음.

- 학회의견¹⁰⁾¹¹⁾¹²⁾에 따르면 신청품은 제1형 고셔병의 표준치료법인 효소대체요법에 사용되는 재조합 glucocerebrosidase로, 기등재된 imiglucerase와 임상적 유효성과 안전성에 통계적으로 유의한 차이가 없음.

○ 비용 효과성

- 동일 적응증에 허가받은 동일 약리기전 약물인 imiglucerase를 신청품의 대체약제로 선정함.¹³⁾¹⁴⁾¹⁵⁾¹⁶⁾¹⁷⁾¹⁸⁾¹⁹⁾²⁰⁾²¹⁾²²⁾²³⁾
- 신청품은 대체약제 대비 비열등하고, 신청품의 2주 소요비용은 성인: [REDACTED] 원, 소아: [REDACTED] 원으로, 대체약제 가중일일투약비용인 성인: [REDACTED] 원, 소아: [REDACTED] 원 대비 고가로 비용 효과적이지 않음.
 - 대체약제 가중평균가를 반영한 신청약제의 단위비용은 [REDACTED] 원임.

○ 재정 영향²⁴⁾

1) 신청약가 기준

- 해당적응증의 대상 환자수²⁵⁾ [REDACTED] 명이고, 제약사 제출 예상사용량²⁶⁾을 기준으로 신청품의 도입 후 절대재정소요금액²⁷⁾은 1차년도에 약 [REDACTED] 원, 3차년도에 약 [REDACTED] 원이 되고, imiglucerase의 대체로 재정소요금액은 1차년도에 약 [REDACTED] 원, 3차년도에 약 [REDACTED] 원 증가될 것으로 예상됨.²⁸⁾

○ 제 외국 등재 현황

- 신청품은 A7 국가 중 미국, 프랑스, 독일, 이태리, 스위스, 영국에 등재되어있음.

Reference

- 1)Goldman: Cecil Medicine, 24th ed.(2012)
- 2)Harrison's Internal Medicine, 17th,
- 3)Rheumatology, 6th ed(2015)
- 4)NORD Guides for Physicians-The Physician's Guide to Gaucher Disease (2013)
- 5)Guidelines for the treatment of Gaucher disease through the Life Saving Drugs Program (2013)
- 6)ACMG STANDARDS AND GUIDELINES - Lysosomal storage diseases: Diagnostic confirmation and management of presymptomatic individuals (2013)
- 7)PAEDIATRIC GAUCHER DISEASE IN ENGLAND: GUIDELINES FOR ASSESSMENT, MONITORING AND ENZYME REPLACEMENT THERAPY (2012)
- 8)Revised recommendations for the management of Gaucher disease in children (2013)
- 9)Turkia et al. Velaglucerase alfa enzyme replacement therapy compared with imiglucerase in patients with Gaucher disease. Am J Hematol. 2013 Mar;88(3):179-84
- 10)대한유전성대사질환학회 ()
- 11)대한의학유전학회 ()
- 12)대한내분비학회 ()
- 13)Goldman: Cecil Medicine, 24th ed.(2012)
- 14)Harrison's Internal Medicine, 17th,
- 15)Rheumatology, 6th ed(2015)
- 16)NORD Guides for Physicians-The Physician's Guide to Gaucher Disease (2013)
- 17)Guidelines for the treatment of Gaucher disease through the Life Saving Drugs Program (2013)
- 18)ACMG STANDARDS AND GUIDELINES - Lysosomal storage diseases: Diagnostic confirmation and management of presymptomatic individuals (2013)
- 19)PAEDIATRIC GAUCHER DISEASE IN ENGLAND: GUIDELINES FOR ASSESSMENT, MONITORING AND ENZYME REPLACEMENT THERAPY (2012)
- 20)Revised recommendations for the management of Gaucher disease in children (2013)
- 21)대한유전성대사질환학회 ()
- 22)대한의학유전학회 ()
- 23)대한내분비학회 ()
- 24)동 재정소요금액은 요양급여비용의 총액임(보험자 및 환자 부담금의 합)
- 25) ()
- 26)제약사제출 예상사용량(1차년도: (), 2차년도: (), 3차년도: ())
- 27)절대재정소요금액 = 제약사 제시 예상사용량 × 신청약가(() 원)
- 28)재정증감액=(신청약가 기준 소요비용-대체요법 소요비용) × 대상 환자수