

약제요양급여의 적정성 평가 결과

Ruxolitinib phosphate(as ruxolitinib 5, 15, 20mg)
6.60, 19.80, 26.40mg

(자카비정 5, 15, 20밀리그램, 한국노바티스(주))

제형, 성분·함량 :

- 5mg: 1정 중 ruxolitinib phosphate (as ruxolitinib 5mg) 6.60mg
- 15mg: 1정 중 ruxolitinib phosphate (as ruxolitinib 15mg) 19.80mg
- 20mg: 1정 중 ruxolitinib phosphate (as ruxolitinib 20mg) 26.40mg

효능 효과 :

- 중간위험군 또는 고위험군 골수섬유화증의 치료: 일차성 골수섬유화증, 진성적혈구 증가증 후 골수섬유화증, 본태성혈소판증가증 후 골수섬유화증
- 이 약의 유효성은 비장 용적 감소에 근거하였음.

약제급여평가위원회 심의일

2014년 제 12차 약제급여평가위원회 : 2014년 11월 6일

- 암질환심의위원회 심의일: 2013년 5월 29일¹⁾, 2014년 9월 3일

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

가. 평가 결과

- 급여의 적정성이 있음
 - 신청품은 “중간위험군 또는 고위험군 골수섬유화증의 치료: 일차성 골수섬유화증, 진성 적혈구증가증 후 골수섬유화증, 본태성혈소판증가증 후 골수섬유화증”에 허가받은 약제로 BAT와 비교 시 비장부피 감소 효과 등의 임상적 개선이 인정되나, 대체약제 대비 소요 비용이 고가이고 경제성평가 결과 비용효과적이지 않음.
 - 다만, 정부의 중증질환 보장성 강화 시책에 따라 질환의 중증도, 사회적 영향 등을 고려 시 제출된 비용효과비가 수용 가능하므로 급여의 적정성이 있음.
 - 한편 국내에 허가된 함량이 모두 평가신청되었고, 신청된 함량으로 조합가능하나 외국에서 10, 25mg의 제품이 허가받아, 해당 함량도 필요함을 위원회에서 언급함.

나. 평가 내용

- 진료상 필수 여부
 - 신청품은 “중간위험군 또는 고위험군 골수섬유화증의 치료: 일차성 골수섬유화증, 진성 적혈구증가증 후 골수섬유화증, 본태성혈소판증가증 후 골수섬유화증”에 허가받은 약제로, 현재 골수섬유화증에 사용되고 있는 hydroxyurea가 급여²⁾되고 있으며, 관련 교과서³⁾⁴⁾ 및 제외국 가이드라인⁵⁾⁶⁾에서도 동 질환의 치료제로 권고되고 있는 점 등을 고려 시, 진료상 반드시 필요한 약제에 해당하지 않음.
- 임상적 유용성
 - 신청품은 선택적인 JAK1/2 tyrosine kinase inhibitor⁷⁾로 골수섬유화증으로 인한 비장 비대 및 동반 증상을 완화시키는 약제로, 교과서⁸⁾⁹⁾에 임상시험 중인 약물로 소개되고 있음.
 - 제외국 가이드라인에 따르면 일차성골수섬유화증에 사용할 수 있는 약제로 ruxolitinib, hydroxyurea, thalidomide, lenalidomide 등이 권고되고 있고¹⁰⁾, 비장비대 치료의 first-line으로 혈구감소증이 없는 경우 hydroxycarbamide¹¹⁾를 권고하고 있고 second line으로 JAK 저해제가 권고되고 있음¹²⁾.
 - IPSS 진단기준 intermediate-2 이상의 일차성 골수섬유화증, 진성적혈구증가증 후 골수

○ 비용 효과성

- “중간위험군 또는 고위험군 골수섬유화증의 치료: 일차성 골수섬유화증, 진성적혈구증가증 후 골수섬유화증, 본태성혈소판증가증 후 골수섬유화증”에 허가받은 약제는 없으며, 「암환자에게 처방·투여하는 약제에 대한 요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 40. 기타암, 골수증식성 질환에 사용하는 항암화학요법제로 공고되어 있고 가이드라인에서 언급되고 있는 hydroxyurea와의 소요비용을 비교함.
- 신청품의 1주 투약비용은 ■■■원이며, hydroxyurea의 1주 투약비용은 ■■■원임.
- 신청품은 BAT(best available therapy: hydroxyurea 포함) 대비 비장부피 감소 등에 대한 효과가 유의하게 개선되었고 소요비용이 고가이며, 비용-효용 분석 결과, ICER는 ■■■원/QALY임.

○ 재정 영향¹⁹⁾

- 해당적응증의 대상 환자수²⁰⁾는 약 ■■■명이고, 제약사 제출 예상사용량²¹⁾을 기준으로 신청품의 도입 후 절대재정 소요금액은 1차년도 약 ■■■원, 3차년도 약 ■■■원이 예상됨²²⁾.
 - 다만, 신청품의 대상 환자수 및 투여기간, 점유율, 함량별 사용량 등에 따라 재정영향은 변동될 수 있음.

○ 제 외국 등재 현황

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

○ 기타 사항

- 국내 허가된 함량 모두 등재신청 되었으나 미국에는 5, 10, 15, 20, 25mg 다섯 가지 함량이 등재되어 있고, 그 외 국가들에는 5, 15, 20mg 세 가지 함량이 등재되어 있음.

Reference

- 1) 신청품은 재결정신청된 품목으로 2013년 기 결정신청 당시의 암질환심의위원회 검토 결과임.
- 2) 암환자에게 처방·투여하는 약제에 대한 요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항
- 3) Williams hematology, 8th ed. (2010)
- 4) Abeloff: Abeloff's Clinical Oncology, 5th ed. (2014)
- 5) Guideline for the diagnosis and management of myelofibrosis, 2012, BJH guideline
- 6) NCI(national cancer institute), 2014
- 7) Hoffman: Hematology: Basic Principles and Practice, 6th ed(2012)
- 8) DeVita, Hellman, and Rosenberg's Cancer: Principles & Practice of Oncology, 9th ed (2011)
- 9) Williams hematology, 8th ed(2010)
- 10) NCI(National Cancer Institute), Chronic Myeloproliferative Disorders Treatment, 2014
- 11) 국제일반명(INN; international nonproprietary name)으로 hydroxyurea와 동일함.
- 12) Guideline for the diagnosis and management of myelofibrosis, 2012, BJH guideline
- 13) Srdan Verstovsek et al. A double-blind, placebo-controlled trial of ruxolitinib for myelofibrosis, N Engl J Med. 2012;366(9):799-807
- 14) Claire Harrison et al. JAK inhibition with ruxolitinib versus best available therapy for myelofibrosis, N Engl J Med 2012;366(9):787-98
- 15) antineoplastic agent(51%)–most frequently hydroxyurea(47%)– and glucocorticoids(16%); a total of 33% of patients received no therapy.
- 16) Francisco Cervantes, et al., Three-year efficacy, safety and survival findings from COMFORT-II, a phase 3 study comparing ruxolitinib with best available therapy for myelofibrosis. Blood 2013;122(25):4047-53
- 17) 암질환심의위원회, [REDACTED]
- 18) 대한암학회([REDACTED])
- 19) 동 재정소요금액은 요양급여비용의 총액임(보험자 및 환자 부담금의 합)
- 20) [REDACTED]
- 21) 1차년도: 5mg [REDACTED]정, 15mg [REDACTED]정, 20mg [REDACTED]정
 2차년도: 5mg [REDACTED]정, 15mg [REDACTED]정, 20mg [REDACTED]정
 3차년도: 5mg [REDACTED]정, 15mg [REDACTED]정, 20mg [REDACTED]정
- 22) [REDACTED]