식품의약품안전처 공고 제2026 - 532호

「희귀의약품 지정에 관한 규정」(식품의약품안전처 고시) 개정에 따라 희귀질환자에게 다양한 치료 기회를 제공하기 위해 희귀질환을 진단하거나 치료하기 위한 목적으로 사용되는 의약품이 희귀의약품으로 신속하게 지정될 수 있도록 희귀의약품 지정 기준을 확대하여 지정한 희귀의약품과 개발단계 희귀의약품을 다음과 같이 공고합니다.

2026년 11월 2일

식품의약품안전처장

1. 「희귀의약품 지정에 관한 규정」 제2조제1항제1호에 따른 「약사법」 제2조제18호 가목에 해당하는 의약품으로 별표 1에 해당하는 희귀의약품
2. 「희귀의약품 지정에 관한 규정」 제2조제1항제2호에 따른 「약사법」 제2조제18호 나목에 해당하는 의약품으로 별표 2에 해당하는 희귀의약품
3. 「희귀의약품 지정에 관한 규정」 제2조제2항에 따른 개발단계 희귀의약품으로 별표 3에 해당하는 희귀의약품

[별표 1] 「약사법」 제2조제18호 가목 해당 희귀의약품

연번	성분명(제형)	대상질환
1	니포칼리맙(주사제)	중증근무력증
2	페구니갈시다제 알파(주사제)	파브리(-앤더슨)병
3	오나셈노진아베파르보벡(주사제)	· 영아척수성 근위축, Ⅰ형[베르드니히-호프만] · 소아형, Ⅱ형 척수성 근위축 · 연수형, Ⅲ형[쿠겔베르그-벨란더] 척수성 근위축 · 성인형 척수성 근위축
4	가라다시맙(주사제)	C1에스터레이스억제인자결핍
5	미글루스타트(캡슐제)와 시파글루코시다제 알파(주사제)	폼페병
6	바모롤론(경구제)	중증[뒤쉔] 근디스트로피
7	아코라미디스염산염(정제)	트랜스타이레틴 아밀로이드 심근병증
8	데네시미그(주사제)	A형 혈우병
9	아니프로루맙(주사제)	기관 또는 계통 침범을 동반한 전신홍반루푸스
10	사트랄리주맙(주사제)	수초 희소돌기아교세포 당단백질 항체 관련 질환
11	펜플루라민염산염(경구용 액제)	1. 레녹스-가스토 증후군 2. CDKL5-관련 장애

[별표 2] 「약사법」 제2조제18호 나목 해당 희귀의약품

연번	성분명(제형)	대상질환
1	Tetanus / Diphtheria / Streptococcus / Tuberculin / Proteus / Candida / Trichophyton Ag	피부표면에 나타나는 감응도(피부반점)의 크기 및 넓이에 따라 파상풍, 디프테리아, 연쇄상구균, 결핵균, 프로테우스균, 백선균 및 칸디다균의 면역성을 평가하고 감수성 있는 균의 양성 및 음성을 감별하여 균의 감염 및 이에 상응하는 증상의 진단을 알 수 있다.
2	Anti-D(Rh_o) 면역글로불린	모체/혈액수용자와 태아 또는 신생아/혈액공여자의 혈액형이 각각 다음과 같거나 태아 또는 신생아의 Rh인자가 확인되지 않는 경우 또는 확인할 수 없는 경우 모체/혈액수용자의 D(Rh_o)항원에 대한 감작의 예방 모체/혈액수용자 혈액 또는 신생아/혈액공여자 D(Rho)음성 D(Rho)양성 D(Rho)음성 D^o양성 D^o양성 D(Rho)양성
3	압식시맙	경피적 관동맥 혈관확장술 시술중에 고위험군의 환자들의 허혈성 심합병증을 예방하기 위하여 헤파린과 아스피린에 보조적으로 쓰임
4	인체흉선세포로 면역시킨 레빗트의 항흉선면역글로부린	신장, 심장이식 및 재생불량성 빈혈치료 및 골수이식치료시 면역거부억제제
5	호스안티휴먼림포싸이트면역글로부린	신장, 심장이식 및 재생불량성 빈혈치료 및 골수치료시 면역거부억제제
6	정제 OKT3 단일클론항체(농축)	신장이식시 급성동종이식 거부증
7	Microfibrillar Collagen Hemostat 1g	수술시 지혈
8	Microfibrillar Collagen Hydrochloride 70×35×1mm	수술시 지혈
9	우베니맥스	성인 급성비임파성백혈병에 대한 완전 관해도입후의 유지강화, 화학요법제와의 병용에 의한 생존기간 연장
10	건조흉선 400mg에 해당하는 치무스로부터 얻은 펩타이드	1차, 2차 백혈구 감소증 치료, 골수독성제치료에 기인한 백혈구 감소증 예방, 항체생성결핍증, 각종감염의 면역자극제, 방사선치료후의 면역기능회복
11	신선한 흉선 1.2그람에 해당하는 동결건조된 흉선 200mg	1차, 2차 백혈구 감소증 치료, 골수독성제치료에 기인한 백혈구 감소증 예방, 항체생성결핍증, 각종감염의 면역자극제, 방사선치료후의 면역기능회복
12	엘-아스파라기나제	급만성 백혈병, 악성 임파종
13	클라드리빈	활동성 모상세포백혈병의 치료
14	<삭 제, 2026. 10. 2.>	
15	<삭 제, 2026. 10. 2.>	
16	클로드론산디나트륨사수화물	1. 고형암(유방암, 전립선암, 갑상선암등)의 골전이나 혈액학적 신생물(다발성골수종)에 의한 골연화 2. 과도한 골전이로 인한 고칼슘혈증, 골전이가 없는 악성종양에 의한 골파괴로 인한 고칼슘혈증

연번	성분명(제형)	대상질환
17	테니포사이드	일반화된 악성임파종(3, 4단계), 호지킨스씨 질환, 세망세포육종, 임파육종, 뇌암(뇌종양), 교아세포종, 성상세포종, 상외세포종, 방광암(특히, 유두종형)
18	시조피란	자궁경부암에 대한 방사선요법의 직접효과의 증강
19	디다노신	다른 항 레트로바이러스 제제와 병용하여 HIV-1 감염환자의 치료
20	잘시타빈	임상적 또는 면역학적 악화가 확인된 진행 HIV 감염(CD_4 세포수≤300개/mm^3) 성인환자
21	리토나비어	임상학적 또는 면역학적으로 질환의 진행이 확인되어 치료가 필요한 HIV 감염환자 치료를 위한 단독요법 또는 뉴클레오시드 유도체와의 병용요법
22	알러젠 추출물	알레르기성 천식, 다년성 코카다르, 고초열, 알레르기성 피부염 및 알레르기성 질환 치료제
23	알러젠 추출물 (유럽집먼지진드기 : Dermatophagoides Pteronyswsinus / 아메리카집먼지진드기 : Dermatophagoides Farine)	알레르기성 천식, 다년성 코카다르, 고초열, 알레르기성 피부염 및 알레르기성 질환 치료제
24	알러젠 추출물(바이알당 알러젠 종류, 농도 틀림)	알레르기성 천식, 알레르기성 비염등 알레르기질환의 치료(원인치료)
25	알러젠 추출물(바이알당 알러젠 종류, 농도 틀림)	알레르기성 천식, 알레르기성 비염등 알레르기질환의 치료
26	알러젠 추출물	알레르기성 천식, 다년성 코카다르, 고초열, 알레르기성 피부염 및 알레르기성 질환의 원인적 치료를 위한 피부반응 검사제
27	알러젠 추출물	알레르기 원인물질을 이용 피부반응 검사후 구체적 감작 항원 진단
28	알러젠 추출물	알레르기성 접촉성피부질환의 알러젠 확인
29	알러젠추출물	알레르기성 천식, 알레르기성 비염등 알레르기성 질환의 알레르겐의 확인
30	초산란레오타이드	1. 1) 수술 및/또는 방사선치료에 부적절한 말단비대증 치료, 2) 수술 및/또는 방사선치료 등으로 성장호르몬 분비가 정상화되지 못한 말단비대증 치료 2. 카르시노이드 종양과 관련하여 일어나는 조홍 및 설사와 같은 임상증상의 치료 3. 갑상선 항진증이 나타나는 갑상선자극호르몬(TSH)분비 뇌하수체 선종의 치료 : 수술 및/또는 방사선 치료를 위한 전처리 또는 보조치료제로서 병용, 또는 수술 및 방사선 치료가 부적합한 경우

연번	성분명(제형)	대상질환
31	이미글루세라제	1. 다음의 적응증 중 한가지 이상의 증상을 나타내는 타입Ⅰ 고셔병으로 확실한 진단을 받은 환자의 장기적 효소 치환 요법으로 사용한다. - 철결핍 이외의 원인으로 인한 빈혈 - 혈소판 감소 - 비타민 D결핍 이외의 원인으로 인한 골질환 - 간비대증 또는 비장비대증 2. 제3형 고셔병
32	집먼지진드기 정제추출물	IgE 매개 알러젠에 대한 특이면역요법-집먼지진드기에 의한 알레르기성 비염, 결막염, 천식의 치료
33	인산플루다라빈	1. 골수보유가 충분한 환자로서 B-cell 만성임파구성백혈병의 1차적인 치료나 2차적 치료법 일차적인 치료법으로 사용시에는 다음과 같은 경우에 한함 - 진전된 질병, 즉 Rai stage Ⅲ/Ⅳ(Binet stage C)환자, Rai stage Ⅰ/Ⅱ(Binet stage A/B)환자의 경우에는 ①골수부전의 악화 ②체중감소, 극도의 피곤함, 야간 발한이나 발열 등과 같은 증상을 나타내는 환자 ③거대 또는 진행성 간비종대 또는 림프절증 환자 ④2개월 동안 말초 혈액 림프구가 50%이상 증가하거나 12개월 이내에 말초혈액림프구가 2배로 증가되는 환자 2. 다른 전통적인 치료법에 실패한 저등급비호치킨림프종(Lg-NHL)의 이차적인 치료법
34	카무스틴 이식정	외과적 절제를 해야하는 재발성 다형성 교모세포중 환자에서 수술시 보조제로 사용
35	무수네비라핀, 반수네비라핀	HIV 감염 치료제
36	혈액응고인자 Ⅶa (유전자재조합)	1. 혈액응고인자(FⅧ 또는 FⅨ)에 대한 항체를 가진 혈우병 환자에 사용 2. 선천적 혈액응고 제 VII인자 결핍 환자 3. 혈소판 수혈 불응증이 나타나거나 과거력이 있는 글란즈만 혈소판무력증
37	다클리주맙	신장이식후 거부반응 예방
38	알데스류킨 (재조합인터류킨-2)	성인(18세 이상)의 전이성 신장세포암 단, 아래의 3가지 예후인자를 동시에 전부 가진 환자는 제외한다. • 환자의 상태가 ECOG(Eastern Cooperative Oncology Group) 1 또는 그 이상인 경우 • 전이된 부위(폐전이, 골전이, 기타 부위로의 전이로 분류함)가 1군데보다 많은 경우 • 종양의 최초 진단일과 프로류킨 치료 시작일자 사이의 기간이 24개월 미만인 경우
39	Oprelvekin(Interleukin-11)	- 심한 혈소판 감소증의 위험이 높은 비골수성 암환자에 있어서 골수억제성 화학요법에 따른 심한 혈소판 감소증의 예방 및 혈소판 수혈의 대체 - 고용량 항암화학요법후 혈소판 감소증의 예방

연번	성분명(제형)	대상질환
40	넬피나비어메실레이트	항레트로바이러스 치료를 요하는 인체면역결핍바이러스 감염의 치료
41	재조합인간상피세포성장인자(외용제)	당뇨병성 궤양(예측 효능·효과)
42	스타부딘	다른 항레트로바이러스 제제와 병용하여 HIV-1 감염환자의 치료
43	펜토산폴리설페이트나트륨	간질성 방광염
44	사람 싸이토메갈로바이러스 면역글로불린	골수 및 장기이식 전후 사람 싸이토메갈로 바이러스(HCMV) 감염증의 예방
45	에노시타빈	급성백혈병(만성백혈병의 급성전환을 포함)
46	에데트산칼슘디소디움	납중독
47	초산소마토렐린	뇌하수체 기능검사
48	초산코르티코렐린	뇌하수체 기능검사
49	Cyanide Antidote Package (아질산나트륨 주사/ 치오황산나트륨주사/아질산아밀 흡입제)	시아나이드 및 청산의 중독시 사용
50	사프롭테린(Tetrahydrobiopterin)	고페닐알라닌혈증
51	레피루딘	헤파린 관련 혈소판감소증(Heparin-associated thrombocytopenia(HAT))
52	인터페론베타-1a	다발성 경화증
53	세트로렐릭스	체외수정시술시 과배란 유도(Controlled Ovarian Stimulation)에서 미성숙한 난자의 배란방지
54	퀴누프리스틴/달포프리스틴	Vancomycin-resistant Enterococcus faecium에 의한 감염증
55	초산데스모프레신	경증의 A형 혈우병과 제1형 폰빌레브란트 질환 환자의 출혈 조절 및 출혈 예방
56	혜 민	급성 포르필린증 발작의 회복 및 통증, 고혈압, 빈맥, 비정상적인 정신상태, 경증에서 진행성의 신경학적 징후의 조절
57	IgM 고함유 사람면역글로불린	면역기능저하 환자의 중증세균감염증에 항생제와 병용투여, 저 면역글로불린증 환자에서 면역글로불린 대체요법
58	헤마토포르피린유도체	수술 등의 다른 근본적인 치료가 불가능하고, 내시경 등으로 병소 전체의 관찰이 가능하며 레이저 조사가 가능한 폐쇄성 식도암, 폐쇄성폐암, 폐쇄성하인두암, 피부기저세포암
59	단트롤렌나트륨주	악성고열증, 악성증후군
60	5-하이드록시트립토판	BH4가 결핍된 비정형성 페닐케톤뇨증
61	인도메타신나트륨 주	미숙아의 대동맥관 개존증
62	겜투주맙 오조가마이신(주사제)	1. 고식적 화학요법제에 불응성인 재발성 CD33 양성의 급성 골수성 백혈병 2. 표준 유도 화학요법이 가능한 새로 진단된 CD33 양성의 급성 골수성 백혈병 성인 환자에서 시타라빈 및 다우노루비신과의 병용요법
63	글라티라머아세테이트	다발성 경화증
64	티로트로핀알파	1. 갑상선암의 재발 가능성 및 전이 여부 진단을 위한 갑상선글로불린테스트 또는 전신 스캐닝 시, 단시간내 갑상선자극호르몬의 적정 혈중 농도 유지를 위해 사용 2. 갑상선암 절제환자의 잔재 갑상선 조직 제거시 치료목적으로 방사성요오드와 함께 사용
65	<삭 제, 2026. 10. 2.>	
66	라스부리카제	화학요법중인 악성종양 환자에서의 고뇨산혈증

연번	성분명(제형)	대상질환
67	Anti D(Rho) 면역글로불린	중증의 특발성 혈소판 감소성 자반증(다만, 코르티코스테로이드, 정맥용 감마글로불린으로의 치료에 실패한 경우에 한함)
68	아갈시다제 베타	파브리병으로 진단받은 환자에 대한 장기간 효소 대체요법
69	슈도모나스 에이루지노사 세균 정제 세포벽단백질	중증 화상환자
70	간시클로버	후천성면역결핍증환자를 포함한 면역장해환자 및 장기이식환자의 CMV(싸이토메갈로바이러스) 감염질환의 예방 및 치료
71	엔푸버타이드	레트로바이러스 치료에도 불구하고 HIV복제가 나타나는 HIV 감염환자 치료
72	발간시클로버	1. AIDS환자의 CMV 망막염 2. 장기이식환자의 CMV 질환의 예방
73	라로니다제	뮤코다당체침착증 I (MPS I)형태의 헐러(Hurler) 및 헐러-쉬에(Hurler-Scheie)환자와 중등도 이상의 증상을 가진 쉬에환자
74	사람혈액응고제8인자·폰빌레브란트인자	폰빌레브란트 질병 환자의 치료
75	에팔리주맙	전신요법이나 광선요법을 실시해야 하는 성인(18세 이상)의 중증 판상 건선
76	일로프로스트	- 중등도 또는 중증의 일차성 폐고혈압 - 결합조직질환이나 약물로 인한 중등도 또는 중증의 이차성 폐고혈압 - 만성적인 폐혈전색전증으로 인해 수술이 불가능한 중등도 또는 중증의 이차성 폐고혈압
77	시베레스타트나트륨수화물	전신성 염증반응 증후군에 수반하는 급성폐손상의 개선
78	[^{90}Y]이브리투모맙튜세탄	1. 리툭시맙에 효과가 없거나 재발한 CD20+ 여포형 B 세포 비호지킨 림프종(NHL) 2. 이전에 치료받은 경험이 없는 여포형 림프종에서 관해 유도 후 공고요법
79	페닐부틸산나트륨	다음의 효소결핍을 수반하는 신생아형 또는 고암모니아성 뇌증의 병력이 있는 후발효소결핍(생후 1개월 이후 나타나는 부분효소결핍) 요소회로이상증 환자의 치료를 위한 보조요법 Carbamylphosphate synthetase (CPS), Ornithine transcarbamylase (OTC), Argininosuccinic acid synthetase (AS)
80	디아족사이드	다음 상황과 관련된 고인슐린혈증으로 인한 저혈당증의 치료 1. 성인-수술이 불가능한 췌도세포선종, 췌도세포암종 또는 췌장외악성종양 2. 유아 및 소아 - 류신 감수성, 췌도세포과형성증, 랑게르한스섬모세포증, 췌도세포선종 또는 췌도세포선종증
81	알렘투주맙	알킬화제 치료를 받은 경험이 있고, 인산플루다라빈 치료를 받은 후 6개월미만의 짧은 관해만을 보였거나 완전관해 또는 부분관해를 보이는 데 실패한 만성임파구성백혈병 환자의 치료

연번	성분명(제형)	대상질환
82	탈리도마이드	1. 표준 요법에 실패한 다발성골수종의 치료 2. 중등도-중증 나성결절홍반(ENL)의 피부 병변의 급성 치료. 탈리도마이드는 중등도-중증 신경염이 있는 ENL치료의 단일요법제로는 사용하지 않는다. 탈리도마이드는 또한 ENL재발시의 피부병변의 예방 및 억제를 위한 유지요법제로 사용한다. 3. 새로 진단된 다발성골수종환자 치료에 있어서 덱사메타손과 병용 요법 4. 65세 이상 또는 고용량 화학요법이 적절하지 않으며 이전에 치료받지 않은 다발성골수종 환자의 1차 치료로써 멜파란 및 프레드니손과 병용요법
83	염산트리엔틴	윌슨병(Wilson's disease)
84	메칠아미노레불린산	1. 타 치료법이 부적절한 안면과 두피의 비과각화성, 비색소침착성 광선각화증. 2. 이환율과 관련된 잠재적 치료 또는 불량한 미용적 예후 때문에 타 치료법이 부적절한 표피형 및/또는 결절성 기저세포암 : 안면 중앙 또는 귀에 병변이 있는 경우, 심하게 일광화상을 입은 피부의 병소인 경우, 병소가 넓은 경우 또는 재발성 병소. 3. 수술로 제거하는 것이 부적절하다고 판단되는 잠재 편평세포암(Bowen's disease)
85	오말리주맙	1. 성인 및 청소년(12세이상) 에서의 다음과 같은 중증의 지속성 알레르기 천식 - 통년성 대기 알러젠에 대한 in vitro 반응 또는 피부반응에 양성을 보이며, - 빈번한 주간 증상이나 야간에 깨어나는 증상이 나타날 뿐만 아니라 폐기능이 저하되어 있고(FEV1<80%) - 고용량의 흡입용 코르티코스테로이드 및 장기지속형 흡입용 베타2 작용제의 투여에도 불구하고 중증 천식 증상의 악화가 여러번 기록 2. 다음 증상을 동반하는 소아(6-12세 미만)의 IgE 매개 알레르기성 천식 - 통년성 대기 알러젠에 대한 in vitro 반응 또는 피부반응에 양성을 보이며, - 빈번한 주간 증상이나 야간에 깨어나는 증상이 나타나고 - 고용량의 흡입용 코르티코스테로이드 및 장기지속형 흡입용 베타2 작용제의 투여에도 불구하고 중증 천식 증상의 악화가 여러번 기록
86	리포좀시타라빈(주사제)	림프종성 및 고형암성 뇌수막염
87	페닐아세트산나트륨・안식향산나트륨	다음의 효소결핍을 수반하는 요소회로이상증(Carbamyl phosphate synthetase, Ornitine transcarbamylase, Arginosuccinic acid synthetase)

연번	성분명(제형)	대상질환
88	알글루코시다제알파	폼페병(산성 알파-글루코시다제 결핍)으로 확진된 환자의 장기 효소 대체 요법
89	구연산실데나필	이 약은 폐동맥 고혈압 환자(WHO Group Ⅰ)의 치료에 사용되어 운동 능력을 개선시킨다.
90	갈설파제	뮤코다당증 Ⅵ(MPS Ⅵ)환자에게 쓰인다. 나글라자임은 걷기와 계단 오르기 능력을 개선시킨다.
91	이두설파제	헌터증후군(뮤코다당증 Ⅱ형, MPS Ⅱ) 환자에게 쓰인다. 엘라프라제는 헌터증후군 환자의 걷기 능력을 개선시킨다.
92	다루나비어	항 레트로바이러스제 치료경험이 있고, 다른 프로테아제 저해제의 사용에 실패한 HIV 감염 성인환자의 치료를 위한 다른 항 레트로바이러스제와 병용요법
93	5-아미노레불린산 염산염	1. 일반 방광경으로 검진되지 못한 표재성 방광암의 광역학적 진단 2. 악성 신경교종(WHO grade III, IV)의 수술 시 악성조직의 시각화 3. 경요도적 방광종양 절제술(TURBT, Transurethral Resection of Bladder Tumor) 시 비근육 침습 방광암(non-muscle invasive bladder cancer)의 시각화
94	마라비록	CCR5-tropic HIV-1에 감염된 환자의 치료
95	플루오시놀론아세토니드	안구 후방의 만성 비감염성 포도막염의 치료
96	사크로시다제	유전성 수크라제-이소말타제 결핍증
97	트라벡테딘	안트라사이클린 및 이포스파미드 치료요법에 실패했거나, 이들 약제 투여가 부적합한 진행된 연조직 육종
98	템시롤리무스	진행성 신세포암
99	라다클로린	흑색종을 제외한 수술등 기타 치료법이 부적절한 피부기저세포암의 광역학적 치료
100	펜토스타틴	모상세포백혈병
101	<삭 제, 2016.5.12>	
102	초산아연	윌슨병
103	미글루스타트	효소대체요법에 적합하지 않은 경증-중등도의 1형 고셔병
104	덱스라족산	안트라사이클린 혈관 밖 유출의 치료
105	우르소데스옥시콜린산	근위축성측삭경화증
106	자기유래지방세포	크론병성 누공(Crohn's Fistula)
107	포토디타진	피부기저세포암
108	메톡살렌	이식편대숙주질환(Graft vs. Host Disease) 치료를 위한 포토페레시스 시스템과의 병용사용
109	트레프로스티닐 소디움	폐동맥고혈압(WHO 기능분류 II, III)
110	클로파라빈	이전에 실시된 두가지 이상의 타 치료법에 반응하지 않거나 재발한 21세 이하 환자의 급성 림프구성 백혈병의 치료
111	루피나미드(경구제)	1세 이상의 환자에서 레녹스-가스토증후군과 관련된 발작 치료시 부가 요법
112	미글루스타트	C형 니만-피크병
113	엘트롬보팍	코르티코스테로이드, 면역글로불린 또는 비장절제술에 충분한 반응을 보이지 않은 만성 면역성(특발성) 혈소판 감소성 자반증 환자에서의 저혈소판증 치료
114	플레릭사포르	림프종과 다발성골수종 환자의 자가조혈모세포이식과 조혈모세포 채집시 말초혈액으로 조혈모세포의 가동화 증진

연번	성분명(제형)	대상질환
115	디곡신면역팹	생명을 위협하는 또는 잠재적으로 생명을 위협하는 디곡신 중독 또는 과복용
116	에쿨리주맙(주사제)	1. 발작성 야간 혈색소뇨증 2. 비정형 용혈성 요독 증후군 3. 항아세틸콜린 수용체 항체 양성인 환자의 불응성 전신 중증 근무력증 4. 항아쿠아포린-4 항체 양성인 시신경 척수염 범주 질환(NMOSD) 환자의 치료
117	삼산화비소(주사제)	1. 재발한 또는 불응성의 급성 전골수구성 백혈병 2. 새로 진단된 저위험(WBC count ≤ 10,000/mcL) 급성 전골수구성 백혈병 환자에서 트레티노인과의 병용요법
118	엠트리시타빈 · 테노포비어 디소프록실 푸마레이트	다른 항 레트로바이러스제(비뉴클레오시드 역전사효소 억제제 또는 단백분해효소 억제제)와 병용하여 성인의 HIV-1 치료
119	오파투무맙(ofatumumab) (주사제)	1. 플루다라빈과 알렘투주맙에 모두 불응하는 만성 림프구성 백혈병 2. 이전에 치료를 받은 적이 없고 플루다라빈 기반 요법이 적절하지 않은 만성 림프구성 백혈병 환자의 치료를 위해 알킬화제 기반 요법과 병용 투여
120	시트르산카페인	미숙아 무호흡증
121	이부프로펜(주사제)	임신기간이 34주 미만인 조산아의 동맥관개존증 치료
122	로미플로스팀(주사제)	코르티코스테로이드, 이뮤노글로불린 또는 비장적출술에 충분한 반응을 보이지 않는 만성 면역성(특발성) 혈소판 감소성 자반증 환자의 저혈소판증 치료
123	카바지탁셀	프레드니솔론과 병용하여, 이전에 도세탁셀을 포함한 화학요법 치료를 받은 후 진행한 호르몬 불응성 전립선암 환자의 치료
124	핀골리모드 염산염(경구제)	재발 이장성 다발성경화증
125	사람의 C1-에스테라제 억제제	1형 및 2형 유전성 혈관부종의 급성반응 치료
126	<삭 제, 2019.12.2.>	
127	카르글루민산(Carglumic acid) (경구제)	NAGS(N-acetylglutamate synthase) 결핍 또는 이소발레르산혈증 또는 메틸말론산혈증 또는 프로피온산혈증으로 인한 고암모니아혈증
128	베타인(Anhydrous Betaine) (경구제)	다음 효소 결핍 또는 결함과 관련된 호모시스틴뇨증의 보조치료(Cystathionine-β-synthase(CBS), 5,10-methylene-tetrahydrofolate reductase(MTHFR), cobalamin cofactor metabolism(cb1))
129	니티시논(Nitisinone)(경구제)	티로신 및 페닐알라닌 제한 식이요법을 하는 제1형 유전성 티로신혈증
130	보리노스타트(Vorinostat) (경구제)	기존 치료요법에 불응하거나 재발한 피부 T 세포 림프종
131	크리조티닙(Crizotinib) (경구제)	역형성림프종인산화효소(ALK) 또는 ROS1 양성 진행성 비소세포폐암
132	이두설파제 베타(Idursulfase-β) (주사제)	헌터증후군(뮤코다당증 Ⅱ형)
133	프랄라트렉세이트(Pralatrexate) (주사제)	재발성 또는 불응성 말초 T세포 림프종

연번	성분명(제형)	대상질환
134	마이파머티드(Mifamurtide) (주사제)	어린이, 청소년의 절제가능한 고악성, 비전이성 골육종에 대해 완전절제 후 다른 항암화학요법제와 병용하는 보조요법
135	로미뎁신(Romidepsin) (주사제)	이전에 한가지 이상의 화학요법을 받은 재발성 또는 불응성 말초 T세포 림프종
136	팔리퍼민(Palifermin) (주사제)	조혈모세포이식을 위해 골수독성 치료를 받는 혈액암환자들의 중증(WHO Grade 3이상) 구강점막염(전처치 요법으로 melphalan(200mg/m^2)을 사용하는 경우 제외)
137	템시롤리무스(Temsirolimus) (주사제)	기존 치료방법에 불응 및/또는 재발한 외투세포림프종
138	베무라페닙(Vemurafenib) (경구제)	$BRAF^{V600E}$ 변이가 확인된 수술이 불가능하거나 전이성 흑색종
139	피르페니돈(Pirfenidone) (경구제)	특발성폐섬유증의 치료
140	룩소리티닙 인산염 (Ruxolitinib phosphate) (경구제)	골수섬유화증의 치료: 일차성 골수섬유화증, 진성적혈구증가증 후 골수섬유화증, 본태성혈소판증가증 후 골수섬유화증
141	아비라테론 아세트산 (Abiraterone acetate) (경구제)	도세탁셀을 포함한 화학요법을 받았던 전이성 거세 저항성 전립선암
142	데피브로타이드(Defibrotide) (주사제)	조혈모세포이식 후 간정맥폐쇄병 치료, 골수파괴성 동종 조혈모세포이식 후 간정맥폐쇄병의 예방
143	나탈리주맙(Natalizumab) (주사제)	인터페론 베타 치료에도 높은 질병활성을 나타내거나 빠르게 진행하는 중증의 재발 이장성 다발성경화증 치료
144	코네스타트 알파(Conestat alfa) (주사제)(유전자재조합)	C-1 에스테라제 억제제 결핍으로 인한 유전성 혈관부종 성인 환자의 급성 혈관부종 발작
145	비스모데깁(Vismodegib)(경구제)	수술이 불가능한 진행성 기저 세포암
146	팜프리딘(Fampridine) (경구제)	보행장애를 동반한 다발성경화증 환자(확장장애상태척도(Expanded Disability Status Scale, EDSS) 4-7)
147	브렌툭시맙 베도틴 (Brentuximab Vedotin) (주사제)	1. 자가조혈모세포이식(Autologous Stem Cell Transplant, ASCT)을 실패하거나 자가조혈모세포이식 비대상 환자에서의 최소 두가지 이상의 이전 복합 화학요법에 실패한 호지킨림프종 환자의 치료 2. 최소 한가지 이상의 이전 복합 화학요법에 실패한 전신역형성대세포림프종(systemic Anaplastic Large Cell Lymphoma, sALCL) 환자의 치료 3. 자가조혈모세포이식 이후 재발 및 진행의 위험이 높은(1차 치료에 불응성이거나 1차 치료 후 1년 이내에 재발한 경우 혹은 자가조혈모세포이식 전 림프절 이외의 부분에 종양 발생) 호지킨 림프종 환자의 치료 4. 피부T세포림프종 5. 호지킨림프종의 치료(다른 화학요법제와 병용투여) 6. 이전에 치료받은 적이 없는 CD30 양성 말초T세포림프종 환자에서 화학요법제와 병용요법

연번	성분명(제형)	대상질환
148	엠트리시타빈(Emtricitabine)·테노포비어 디소프록실 푸마르산염(Tenofovir Disoproxil Fumarate)·엘비테그라비어(Elvitegravir)(경구제)	성인의 HIV(Human Immunodeficiency Virus)-1 감염 치료
149	반데타닙(Vandetanib)(경구제)	절제 불가능하고 국소적으로 진행되었거나 전이된 갑상선 수질암
150	미포멀슨나트륨(Mipomersen sodium)(주사제)	동형접합 가족성 고콜레스테롤혈증
151	엔잘루타마이드(Enzalutamide)(경구제)	이전에 도세탁셀로 치료 받았던 전이성 거세저항성 전립선암 환자의 치료
152	파시레오타이드 디아스파르트산염(Pasireotide diaspartate)(주사제)	수술이 적절한 대안이 될 수 없거나 수술에 실패한 성인 쿠싱병 환자의 치료
153	테리플루노마이드(Teriflunomide)(경구제)	재발형 다발성경화증 치료
154	날푸라핀염산염(Nalfurafine hydrochloride)(경구제)	혈액투석환자의 소양증 개선(기존 치료에서 효과가 불충분한 경우에 한함)
155	엘트롬보팍(Eltrombopag)(경구제)	1. 만성 C형 간염 환자에서 인터페론 기반 요법의 시작 및 유지를 위한 저혈소판증(투여 시작시 혈소판 수치가 75,000/㎕ 미만) 치료 2. 면역억제 요법이 충분한 반응을 보이지 않은 중증 재생불량성 빈혈의 치료 3. 면역억제요법과 병용하여, 중증 재생불량성 빈혈 환자의 1차 치료
156	라듐-223 염화물(Radium Ra 223 dichloride) (주사제)	내장전이가 없는 골전이된 거세저항성 전립선암 환자의 치료
157	포말리도마이드(Pomalidomide)(경구제)	이전에 레날리도마이드와 보르테조밉을 포함한 최소 2가지 치료를 받고, 재발 및 불응한 다발성 골수종 환자의 치료에 덱사메타손과 병용요법
158	베다퀼린 푸마르산염(Bedaquiline Fumarate)(경구제)	성인 및 청소년(만 12세 이상)의 다제내성 폐결핵에 대한 병용요법
159	알렘투주맙(Alemtuzumab)(주사제)	재발-완화형 다발성경화증
160	자가골수유래중간엽줄기세포(주사제)	근위축성측삭경화증에 리루졸 병용요법
161	리오시구앗(Riociguat)(경구제)	1. 만성 혈전색전성 폐고혈압(CTEPH, WHO Group 4) 환자의 운동능력 개선 2. WHO 기능분류 II, III 단계에 해당하는 폐동맥고혈압(WHO Group Ⅰ) 성인 환자에서 운동능력개선
162	모가물리주맙(Mogamulizumab)(주사제)	재발 또는 불응성인 CCR4 양성의 성인 T 세포 백혈병/림프종
163	<삭 제, 2026. 2. 2.>	

연번	성분명(제형)	대상질환
164	포스카네트 나트륨 수화물 (Foscarnet Trisodium Hexahydrate)(주사제)	조혈모세포이식 환자의 거대세포바이러스 혈증(CMV viraemia) 및 거대세포바이러스 질환(CMV disease)
165	이카티반트 아세테이트 (Icatibant acetate)(주사제)	2세 이상에서 유전성 혈관부종의 급성발작 증상의 치료
166	아갈시다제 알파(Agalsidase alfa) (주사제)	파브리병(α-galactosidase A 결핍)으로 확진된 환자의 장기간 효소 대체요법
167	베라글루세라제 알파(주사제)	제1형 고셔병 환자의 장기간 효소 대체요법
168	이브루티닙(경구제)	1. 외투세포 림프종의 치료 2. 이전에 한가지 이상의 치료를 받은 만성 림프성 백혈병 3. 65세 이상, 동반질환이 있으며 이전에 치료 받은 적이 없는 만성 림프구성 백혈병(CLL)/소림프구성 림프종(SLL) 4. 이전에 한 가지 이상의 치료를 받은 경험이 있는 발덴스트롬 마크로글로불린혈증(WM) 5. 이전에 한 가지 이상의 전신 치료를 받은 경험이 있는 만성 이식편대숙주질환(cGVHD) 6. 65세 이상 또는 동반질환이 있거나 고위험인 65세 미만의 이전에 치료받은 적이 없는 만성 림프구성 백혈병(CLL)/소림프구성 림프종(SLL) 환자에서 오비누투주맙과의 병용요법 7. 이전에 치료받은 적이 없거나 이전 치료 경험이 있는 발덴스트롬 마크로글로불린혈증(WM) 환자에서 리툭시맙과의 병용요법 8. 동반질환이 없으며 이전에 치료받은 적이 없는 만성림프구성 백혈병(CLL)/소림프구성 림프종(SLL) 성인 환자에서 리툭시맙과의 병용요법 9. 이전에 치료받은 적이 없는 만성 림프구성 백혈병(CLL)/소림프구성 림프종(SLL) 환자에서 베네토클락스와의 병용요법
169	다브라페닙(캡슐제)	1. $BRAF^{V600}$ 변이가 확인된 수술이 불가능하거나 전이성인 흑색종 환자의 치료 2. BRAF V^{600E} 또는 V^{600K} 변이가 확인된 수술이 불가능하거나 전이성인 흑색종 환자의 치료에서 트라메티닙과의 병용투여 3. BRAF V600 변이가 확인된 진행성 비소세포폐암 환자의 치료에서 트라메티닙과 병용투여 4. BRAF V600E 또는 V600K 변이가 확인된 III기 흑색종 환자의 완전 절제 수술 후 보조요법에서 트라메티닙과 병용투여 5. BRAF V600E 변이가 확인된, 수술이 불가능하거나 전이성인, 기존 치료제 이후 진행되었고 현재 이용 가능한 적합한 치료제가 없는, 6세 이상 소아 및 성인 고형암(결장직장암 제외) 환자의 치료에서 트라메티닙과 병용 투여 6. BARF V600 변이가 확인된 국소 진행성 또는 전이성 역형성 갑상선암 환자의 치료에서 트라메티닙과 병용투여
170	비스쿰알붐(숙주목:프락시니)	악성 흉막삼출의 치료
171	델라마니드(경구제)	성인, 체중 30kg 이상의 소아 및 청소년에서의 다제내성 폐결핵의 병용요법

연번	성분명(제형)	대상질환
172	엘로설파제 알파(재조합 인간 N-아세틸갈락토사민-6-설파타제) (Recombinant human N-acetyl galactosamine-6-sulfate)(주사제)	뮤코다당증 Ⅳ A형(모르퀴오 A 증후군)
173	이필리무맙(Ipilimumab) (주사제)	1. 진행성(절제가 불가능하거나 전이성) 흑색종에서 단독요법 또는 니볼루맙과의 병용요법 2. 진행성(중등도 및 고위험) 신장세포암에서 니볼루맙과의 병용요법 3. 고빈도 현미부수체 불안정 (MSI-H) 또는 DNA 불일치 복구 결함 (dMMR)이 있는 성인 환자에서 플루오로피리미딘, 옥살리플라틴, 이리노테칸 치료 후 재발한 전이성 직결장암에서 니볼루맙과의 병용요법
174	탈크(Talc) (산제, 에어로솔제)	악성 흉막삼출의 치료
175	오비누투주맙(Obinutuzumab) (주사제)	이전에 치료받은 적이 없는 만성 림프구성 백혈병에서 클로람부실과 병용투여. 단, 동반질환이 있거나 크레아티닌 청소율이 70mL/min 미만인 환자에 한함
176	엘리글루스타트(Eliglustat) (경구제)	1형 고셔병
177	디메틸푸마르산염 (Dimethyl fumarate) (경구제)	재발 이장성 다발성경화증 치료
178	세리티닙(경구제)	역형성 림프종 인산화효소(ALK) 양성인 국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암
179	트라메티닙(정제)	1. BRAF V600E 또는 V600K 변이가 확인된 수술이 불가능하거나 전이성인 흑색종 환자의 치료에 단독 또는 다브라페닙과 병용 투여 2. BRAF V600 변이가 확인된 진행성 비소세포폐암 환자의 치료에서 다브라페닙과 병용투여 3. BRAF V600E 또는 V600K 변이가 확인된 Ⅲ기 흑색종 환자의 완전 절제 수술 후 보조요법에서 다브라페닙과 병용투여 4. BRAF V600E 변이가 확인된, 수술이 불가능하거나 전이성인, 기존 치료제 이후 진행되었고 현재 이용 가능한 적합한 치료제가 없는, 6세 이상 소아 및 성인 고형암(결장직장암 제외) 환자의 치료에서 다브라페닙과 병용 투여 5. BARF V600 변이가 확인된 국소 진행성 또는 전이성 역형성 갑상선암 환자의 치료에서 다브라페닙과 병용투여
180	클로린 e6 나트륨(주사제)	흑색종을 제외한 수술등 기타 치료법이 부적절한 피부 기저세포암의 광역학적 치료
181	펨브롤리주맙(주사제)	수술이 불가능하거나 전이성인 흑색종
182	니볼루맙(주사제)	수술이 불가능하거나 전이성인 흑색종

연번	성분명(제형)	대상질환
183	베돌리주맙(주사제)	1. 종양괴사인자 알파 저해제 치료에 반응을 나타내지 않거나, 반응이 없어지거나, 또는 내약성이 없는 성인 환자에서 중등도에서 중증의 활성 궤양성 대장염의 치료 2. 종양괴사인자 알파 저해제 치료에 반응을 나타내지 않거나, 반응이 없어지거나, 또는 내약성이 없는 성인 환자에서 중등도에서 중증의 활성 크론병의 치료
184	올라파립(경구제)	백금기반요법에 반응한 백금민감성 재발성 BRCA 변이고도 장액성 난소암, 난관암 또는 일차 복막암 성인 환자의 단독 유지요법
185	타파미디스메글루민(경구제)	1. 트랜스티레틴 가족성 아밀로이드성 다발신경병증 2. 트랜스티레틴 아밀로이드성 심근병증(심장아밀로이드증)
186	실툭시맙(주사제)	인체면역결핍바이러스(HIV) 음성 및 제8형 인체헤르페스바이러스(HHV-8) 음성인 다발성 캐슬만병
187	콜산(경구제)	선천성 1차 담즙산 합성 장애
188	이델라리시브(경구제)	1. 이전에 최소 2회 전신요법을 받았으나 재발한 소포 림프종 및 소림프구 림프종 2. 동반질환에 의해 항암화학요법이 부적합하여 리툭시맙 단독요법이 고려되는 재발한 만성 림프구성 백혈병
189	탈리글루세라아제 알파(주사제)	제3형 고셔병
190	에다라본(주사제, 경구용 액제)	근위축성측삭경화증
191	메폴리주맙(주사제)	1. 성인 및 청소년(12세 이상)에서 기존 치료에 적절하게 조절되지 않는 다음의 중증 호산구성 천식 치료의 추가 유지 요법 - 치료 시작 시 혈중 호산구 150 cells/㎕ 이상 또는 - 치료 시작 전 12개월 이내에 혈중 호산구 300 cells/㎕ 이상 2. 성인에서 다발혈관염을 동반한 호산구육아종증(EGPA)의 추가 유지 요법 3. 성인에서 과다호산구증후군(HES)의 추가 유지 요법(FIP1L1-PDGFRα 양성 환자 제외)
192	블리나투모맙(주사제)	1. 재발 또는 불응성 전구 B세포 급성 림프모구성 백혈병의 치료 2. 미세잔존질환(MRD) 양성인 전구 B세포 급성 림프모구성 백혈병의 치료 3. 필라델피아 염색체 음성인 전구 B세포 급성 림프모구성 백혈병의 공고요법
193	카나키누맙(주사제)	1. 소아(2세 이상) 및 성인에서의 크리오피린 관련 주기적 증후군 2. 활동성 전신성 소아 특발성 관절염(2세 이상) 3. 소아(2세 이상) 및 성인에서 종양괴사인자(TNF) 수용체 관련 주기적 증후군 4. 소아(2세 이상) 및 성인에서 고면역글로불린 D증후군 및 메발론산 키나아제 결핍증 5. 소아(2세 이상) 및 성인에서 가족성 지중해열
194	셀렉시팍(경구제)	WHO 기능분류 Ⅱ-Ⅳ 단계에 해당하는 폐동맥고혈압(WHO Group Ⅰ) 환자의 치료
195	코비메티닙(경구제)	BRAF $^{V600E\ 또는\ V600K}$ 변이가 확인된 수술이 불가능하거나 전이성인 흑색종 환자의 치료에 베무라페닙과 병용 투여

연번	성분명(제형)	대상질환
196	아탈루렌(경구제)	디스트로핀 유전자의 넌센스 돌연변이에 기인한 뒤쉔 근디스트로피
197	프로프라놀롤염산염(경구제)	전신치료가 필요한 증식성 영아 혈관종
198	세벨리파제알파(주사제)	리소좀산 지질분해효소 결핍증
199	로미타피드메실산염(경구제)	동형접합 가족성 고콜레스테롤혈증
200	아타자나비어/코비시스타트(경구제)	다른 항레트로바이러스와 병용하여 HIV-1 감염치료
201	인체흉선세포로 면역시킨 말의 항흉선 면역글로부린(주사제)	중증 재생불량성 빈혈
202	다루나비르/코비시스타트(경구제)	다른 항레트로바이러스와 병용하여 HIV-1 감염치료
203	카르필조밉(주사제)	이전에 한가지 이상의 치료를 받은 다발성골수종 환자의 치료에 레날리도마이드 및 덱사메타손과 병용요법
204	아스포타제알파(주사제)	저인산효소증
205	이다루시주맙(주사제)	다비가트란 투여로 인해 생명을 위협하는 출혈이 있거나 응급 수술 및 처치가 필요한 경우
206	페그인터페론베타-1a(주사제)	재발성 다발성경화증
207	엘로투주맙(주사제)	1. 이전에 한가지 이상의 치료를 받은 다발성골수종 환자의 치료에 레날리도마이드 및 덱사메타손과 병용요법 또는 보르테조밉 및 덱사메타손과 병용요법 2. 이전에 레날리도마이드와 프로테아좀억제제를 포함한 두 가지 이상의 치료를 받은 다발골수종 환자의 치료에서 포말리도마이드 및 덱사메타손과 병용요법
208	이노투주맙 오조가마이신(주사제)	재발 또는 불응성 B세포 급성 림프모구성 백혈병의 치료
209	오시머티닙메실산염(경구제)	이전에 EGFR 티로신 키나제 저해제로 치료받은 적이 있는 EGFR T790M 변이 양성 국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암 환자의 치료
210	레슬리주맙(주사제)	성인 및 청소년(12세 이상)에서 흡입용 스테로이드로 적절하게 조절되지 않는 호산구성 천식(혈중 호산구 수 : 400cells/㎕ 이상)의 치료
211	닌테다닙(경구제)	1. 특발성폐섬유증의 치료 2. 전신경화증 연관 간질성폐질환의 치료 3. 진행성 표현형을 나타내는 만성 섬유성 간질성폐질환의 치료
212	파인애플 단백가수분해효소 추출물(겔제)	성인의 심부(심재성) 2도 및 3도 화상에 의한 가피제거
213	나노리포좀 이리노테칸(주사제)	진행성 및 전이성 췌장암의 치료
214	알렉티닙(경구제)	1. 역형성 림프종 인산화효소(ALK) 양성인 국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암 환자의 치료 2. 역형성 림프종 인산화효소(ALK) 양성 비소세포폐암 환자에서 완전 절제 수술 후 보조요법
215	네시투무맙(주사제)	전이성 편평세포성 비소세포 폐암 환자의 치료에서 젬시타빈 및 시스플라틴과의 병용요법
216	에볼로쿠맙(주사제)	동형접합 가족성 고콜레스테롤 환자에 다른 지질 저하 의약품과의 병용투여

연번	성분명(제형)	대상질환
217	익사조밉(경구제)	1. 이전에 한가지 이상의 치료를 받은 다발골수종 환자의 치료에 레날리도마이드 및 덱사메타손과 병용요법 2. 자가 조혈모세포 이식을 받은 다발골수종 환자의 유지요법 3. 자가 조혈모세포 이식이 적합하지 않은 다발골수종 환자의 유지요법
218	올라라투맙(주사제)	방사선요법이나 수술을 통한 근치적 치료를 적용할 수 없는 진행성 연조직 육종(STS) 환자의 치료를 위해 독소루비신과 병용하여 사용
219	다라투무맙(주사제)	1. 적어도 세 가지 치료를 받은 다발골수종 환자의 치료 2. 이전 치료 경험이 없거나 이전에 한 가지 이상의 치료를 받은 다발골수종 환자에서 다른 약제와의 병용요법 3. 새롭게 진단된 경쇄(AL) 아밀로이드증 환자에서 시클로포스파미드, 보르테조밉 및 덱사메타손과의 병용요법 (피하주사제에 한함)
220	미갈라스타트염산염(경구제)	순응 변이(amenable mutation)를 가진 파브리병(α-galactosidase A 결핍)으로 확진받은 12세 이상 환자의 장기간 치료
221	포나티닙(경구제)	1. 만성 골수성 백혈병의 치료 2. 필라델피아 염색체 양성 급성 림프구성 백혈병 (Ph+ ALL)의 치료
222	오마세탁신 메페석시네이트(주사제)	만성기 또는 가속기 만성골수성백혈병 환자 중 두 개 이상의 타이로신키나제억제제에 저항성 및 불내성 또는 각각의 특성을 보이는 성인환자의 치료
223	유데나필(경구제)	WHO 기능분류 Ⅱ, Ⅲ 단계에 해당하는 폐동맥 고혈압(WHO Group Ⅰ) 환자의 운동능력 개선
224	테두글루타이드(주사제)	비경구적 영양에 의존하고 있는 단장증후군
225	카보잔티닙(경구제)	이전에 혈관형성억제제로 치료받은 적이 있는 진행성 신장세포암
226	뉴시너센(주사제)	척수성 근위축증(Spinal Muscular Atrophy, SMA)
227	타크로리무스수화물(점안제)	봄철각결막염(항알레르기제의 효과가 불충분한 경우)
228	이데베논(경구제)	레베르시신경병증(Leber Hereditary Optic Neuropathy, LHON)
229	미도스타우린(경구제)	1. FLT3 유전자 변이 양성을 나타내는 새로 진단받은 급성 골수성 백혈병 환자들의 표준 유도항암화학요법과 공고요법의 항암화학요법제와의 병용 2. 공격성 전신성 비만세포증, 혈액학적 신생물을 동반한 전신성 비만세포증, 비만세포 백혈병
230	레테르모비르 (경구제, 주사제)	1. 동종 조혈모세포이식수술을 받은 거대세포바이러스(CMV)-혈청양성[R+] 환자에서 거대세포바이러스(CMV) 감염 및 질환의 예방 2. 거대세포바이러스(CMV) 혈청 양성인 공여자로부터 신장이식을 받은 거대세포바이러스(CMV) 혈청 음성[D+/R-]인 환자에서 거대세포바이러스(CMV) 질환의 예방
231	브리가티닙(경구제)	이전에 역형성 림프종 인산화효소(ALK) 저해제로 치료받은 적이 있는 ALK 양성 비소세포성 폐암 환자의 치료
232	클라드리빈(경구제)	재발 이장성 다발성경화증 치료

연번	성분명(제형)	대상질환
233	니라파립(Niraparib)(경구제)	1. 백금기반요법에 반응한 백금 민감성 재발성 난소암(난관암 또는 일차 복막암 포함) 성인 환자의 단독 유지요법 2. 이전에 3차 이상의 항암화학요법을 받은적이 있는 1) BRCA 변이 (백금 민감성 여부에 무관) 또는 2) 백금민감성 HRD 양성인 재발성 난소암(난관암 또는 일차복막암 포함) 성인 환자의 단독 치료 요법 3. 1차 백금기반요법에 반응(부분 또는 완전반응)한 난소암(난관암 또는 일차 복막암 포함) 성인 환자의 단독 유지요법
234	에미시주맙(주사제)	1. 혈액응고 제VIII인자에 대한 억제인자를 보유한 A형 혈우병(선천성 혈액응고 제VIII인자 결핍) 환자에서의 출혈 빈도 감소 또는 예방을 위한 일상적인 예방요법(routine prophylaxis) 2. 혈액응고 제VIII인자에 대한 억제인자를 보유하지 않은 중증 A형 혈우병(선천성 혈액응고 제VIII인자 결핍) 환자에서의 출혈 빈도 감소 또는 예방을 위한 일상적인 예방요법(routine prophylaxis)
235	재조합 인간 부갑상선 호르몬(Recombinant Human Parathyroid Hormone)(주사제)	표준 치료법 만으로 잘 조절되지 않는 부갑상선기능저하증에 대한 보조요법
236	부로수맙(주사제)	FGF23 관련 저인산혈증성 구루병·골연화증
237	베네토클락스(경구제)	화학면역요법 및 B세포 수용체 경로 저해제에 적합하지 않거나 실패한 만성 림프구성 백혈병에 단독투여
238	오실로드로스타트(경구제)	성인 내인성 쿠싱증후군의 치료
239	피톨리산트(경구제)	탈력발작(cataplexy)을 동반하거나 동반하지 않는 성인의 기면증(narcolepsy)의 치료
240	페그비소만트(주사제)	수술 및/또는 방사선 치료에 적절한 반응을 보이지 않으며 소마토스타틴 유사체 치료로 IGF-I 농도가 정상화되지 않는 성인 말단비대증의 치료. 치료의 목표는 혈청 IGF-I 수치의 정상화
241	라불리주맙(주사제)	1. 발작성 야간 혈색소뇨증 2. 보체 매개성 혈전성 미세혈관병증을 억제하기 위한 비정형 용혈성 요독 증후군(aHUS : atypical Hemolytic Uremic Syndrome) 환자의 치료 3. 항아세틸콜린 수용체(AChR) 항체 양성인 전신 중증 근무력증(gMG) 성인 환자에서 표준요법에 부가요법 4. 항아쿠아포린-4(AQP-4) 항체 양성인 성인 환자의 시신경척수염 범주 질환의 치료
242	라나델루맙(주사제)	2세 이상의 환자에서 유전성 혈관부종 발작의 일상적인 예방
243	오나셈노진 아베파르보벡(주사제)	Survival Motor Neuron 1(SMN1) 유전자에 이중대립형질 돌연변이가 있는 척수성 근위축증(Spinal Muscular Atrophy, SMA) 환자에서 다음 중 어느 하나에 해당하는 경우 : · 제1형의 임상적 진단이 있는 경우 · Survival Motor Neuron 2(SMN2) 유전자의 복제수가 3개 이하인 경우
244	메카서민(주사제)	중증 원발성 IGF-1 결핍증으로 인한 소아의 성장부전

연번	성분명(제형)	대상질환
245	로미플로스팀(주사제)	1. 면역억제요법에 불응성이거나 면역억제요법이 적용되지 않는 중증의 재생불량성 빈혈의 치료 2. 면역억제요법과 병용하여, 중증 재생불량성 빈혈 환자의 1차 치료
246	길테리티닙(경구제)	FLT3 변이 양성인 재발 또는 불응성 급성 골수성 백혈병 환자의 치료
247	퀴자티닙(경구제)	FLT3-ITD 변이 양성인 재발 또는 불응성 급성 골수성 백혈병 환자의 치료
248	아벨루맙(주사제)	전이성 메르켈세포암의 치료
249	티사젠렉류셀(주사제)	1. 25세 이하의 소아 및 젊은 성인 환자에서의 재발성 또는 불응성 B세포 급성 림프성 백혈병의 치료 2. 두 가지 이상의 전신치료 후 재발성 또는 불응성 미만성 거대 B세포 림프종 성인 환자의 치료 3. 두 가지 이상의 치료 후 재발성 또는 불응성 소포성 림프종 성인 환자의 치료
250	갈카네주맙(주사제)	우발적 군발두통의 예방
251	시포니모드(경구제)	2차 진행성 다발성경화증
252	엔트렉티닙(경구제)	1. ROS1 양성인 국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암 2. 알려진 획득 내성 돌연변이 없이 NTRK 유전자 융합을 보유해야 하고, 수술적 절제 시 중증 이환의 가능성이 높으며, 기존 치료제(혹은 치료 법) 이후 진행되었거나 현재 이용가능한 적합한 치료제가 없는, 성인 및 소아의 국소 진행성 또는 전이성 고형암 환자의 치료
253	세르리포나제알파(주사제)	트리펩티딜 펩티다제 1(TPP1) 결핍으로 인한 제2형 신경세포 세로이드 라이포푸스신증(CLN2)
254	얼다피티닙(경구제)	FGFR 변이가 있는 국소 진행성 또는 전이성 요로상피암 성인 환자로서, 최소 한 가지 이상 화학요법제 치료 중 또는 이후에 질병이 진행되었거나, 수술 전 보조요법(neoadjuvant) 또는 수술 후 보조요법(adjuvant) 치료 12개월 이내에 질병이 진행된 환자의 치료
255	라로트렉티닙(경구제)	알려진 획득 내성 돌연변이 없이 NTRK 유전자 융합을 보유해야 하고, 수술적 절제 시 중증 이환의 가능성이 높으며, 기존 치료제(혹은 치료 요법) 이후 진행되었거나 현재 이용가능한 적합한 치료제가 없는, 성인 및 소아의 국소 진행성 또는 전이성 고형암 환자의 치료
256	듀테트라베나진(경구제)	헌팅톤 무도병
257	트레오설판(주사제)	표준 전처치 요법이 적합하지 않은 다음 질환의 환자들을 대상으로 조혈모세포이식 시 플루다라빈과 병용한 저강도 전처치 요법으로써 사용한다 : 림프성 백혈병, 골수성 백혈병, 골수이형성증후군, 다발성 골수종, 림프종
258	이사툭시맙(주사제)	1. 이전에 레날리도마이드와 프로테아좀억제제를 포함한 두 가지 이상의 치료를 받은 다발골수종 환자에서 포말리도마이드 및 덱사메타손과의 병용요법 2. 이전에 한 가지 이상의 치료를 받은 다발골수종 환자에서 카르필조밉 및 덱사메타손과의 병용요법

연번	성분명(제형)	대상질환
259	폴라투주맙 베도틴(주사제)	1. 조혈모세포이식이 적합하지 않고 한 가지 이상의 이전 치료에 실패한 재발성 또는 불응성 미만성 거대 B세포 림프종 성인 환자에서 벤다무스틴 및 리툭시맙과의 병용요법 2. 이전에 치료받은 적이 없는 미만성 거대 B세포 림프종(R-CHP 화학요법(rituximab, cyclophosphamide, doxorubicin, prednisolone)과 병용투여)
260	아칼라브루티닙(경구제)	65세 이상 또는 동반질환이 있는 65세 미만의 이전에 치료받은 적이 없는 만성 림프구성 백혈병 환자에서 오비누투주맙과의 병용요법
261	목세투모맙 파수도톡스(주사제)	퓨린 뉴클레오사이드 유사체를 포함하여 2가지 이상의 이전 치료를 받은 모상세포백혈병 환자의 치료
262	루테튬 옥소도트레오타이드(주사제) 및 이와 병용하는 L-리신염산염·L-아르기닌염산염(주사제)	소마토스타틴 수용체 양성의 위·장·췌장계 성인 신경내분비 종양의 치료 및 이 치료의 과정에서 신장의 방사능 노출 경감 (루테튬 옥소도트레오타이드(주사제)와 병용투여하는 품목에 한함)
263	이네빌리주맙(주사제)	시신경척수염범주질환
264	리스디플람(경구제)	척수성 근위축증
265	에나시데닙메실레이트(경구제)	이소시트르산 탈수소효소-2(Isocitrate dehydrogenase-2, IDH2) 변이가 있는 재발성 또는 불응성의 급성 골수성 백혈병 성인 환자의 치료
266	사트랄리주맙(주사제)	시신경척수염범주질환
267	테포티닙염산염(경구제)	METex14 스키핑 변이(skipping alteration)가 있는 국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암
268	롤라티닙(경구제)	이전에 역형성 림프종 인산화효소(ALK) 저해제로 치료받은 적이 있는 ALK 양성 비소세포성 폐암 환자의 치료 - 알렉티닙 또는 세리티닙을 1차 ALK 저해제로 치료받은 경우; 또는 - 크리조티닙 및 적어도 다른 1개의 ALK 저해제로 치료받은 경우
269	모가물리주맙(주사제)	이전에 한 가지 이상의 전신요법을 받은 경험이 있는 균상식육종 또는 세자리증후군 환자의 치료
270	펙시다티닙 염산염(경구제)	증상을 동반하고 수술로는 개선이 어려운, 중증 이환 상태이거나 기능적 제한이 있는 건활막거대세포종(Tenosynovial Giant Cell Tumor, TGCT)을 가지고 있는 성인 환자의 치료
271	에포프로스테놀(주사제)	WHO 기능분류 III-IV 단계에 해당하는 폐동맥고혈압 환자의 운동능력 개선
272	모보서티닙(경구제)	이전에 치료받은 적이 있는 표피성장인자수용체(EGFR) 엑손 20 삽입 변이가 있는 비소세포폐암 (NSCLC) 환자의 치료
273	보레티진 네파보벡(주사제)	이중대립유전자성(biallelic) RPE65 돌연변이에 의한 성인 및 소아 유전성 망막 디스트로피(inherited retinal dystrophy) 환자의 치료

연번	성분명(제형)	대상질환
274	자누브루티닙(경구제)	1. 한 가지 이상의 치료를 받은 외투세포림프종 2. 이전 치료 경험이 있는 발덴스트롬 마크로글로불린혈증 환자의 치료 3. 이전에 한 가지 이상의 치료를 받은 적이 있는 재발성/불응성 변연부 림프종(R/R MZL)
275	카프마티닙(경구제)	MET 엑손 14 결손이 확인된 비소세포폐암
276	티라브루티닙(경구제)	재발성 또는 불응성의 B세포성 원발성 중추신경계 림프종
277	실타캅타젠 오토류셀(주사제)	1. 이전에 프로테아좀억제제, 면역조절제제, 항-CD38 항체를 포함한 치료를 받은 재발 또는 불응성 다발골수종의 치료 2. 이전에 프로테아좀억제제 및 면역조절제제를 포함하여 1차 이상의 치료를 받은 경우로서 레날리도마이드에 불응한 재발 또는 불응성 다발골수종
278	러비넥테딘(주사제)	확장병기 소세포폐암의 치료
279	셀루메티닙(경구제)	증상이 있고 수술이 불가능한 총상 신경섬유종(plexiform neurofibroma)을 동반한 신경섬유종증 1형인 만 3세 이상 소아 및 성인 환자의 치료
280	프레토마니드(경구제)	성인의 광범위 약제내성 폐결핵(XDR-TB) 및 치료 내성 또는 비반응성 다제내성 폐결핵 (TI/NR MDR-TB)에 대한 베다퀼린과 리네졸리드와의 병용요법
281	로페그인터페론알파-2b(주사제)	1. 저위험군(단, 세포감소요법을 필요로 하는 환자에 한함) 및 고위험군의 진성적혈구증가증 환자의 치료 2. 고위험군의 본태성 혈소판증가증의 치료
282	페그아스파르가제(주사제)	급성 림프구성 백혈병 치료 시 다른 항종양제와 병용요법
283	엔코라페닙(경구제)	1. 이전 치료 경험이 있는 BRAF V600E 변이가 확인된 전이성 직결장암의 성인 환자의 치료 시 세툭시맙과의 병용요법 2. 세툭시맙 및 플루오로우라실 기반 화학요법과 병용하여 BRAF V600E 변이가 있는 전이성 직결장암 환자의 치료
284	셀리넥서(경구제)	1. 이전에 네 가지의 치료 요법에서 적어도 두 가지 프로테아좀 억제제, 적어도 두 가지 면역조절 이미드 치료제 그리고 적어도 한 가지의 CD38 항체 치료를 받은 경우로, 재발 또는 불응성 다발성 골수종이 있는 성인 환자에 대한 덱사메타손과의 병용요법 2. 두 가지 이상의 전신치료 후 재발 또는 불응성 미만성 거대 B-세포 림프종 성인환자의 치료
285	리소캅타젠 마라류셀(주사제)	재발성 또는 불응성 미만성 대B세포 림프종(DLBCL), 고도 B세포 림프종(HGBCL), 원발성 종격동 대B세포 림프종(PMBCL), 소포성 림프종 ⅢB(FL3b)의 치료
286	페드라티닙(경구제)	이전에 룩소리티닙으로 치료를 받은 일차성 골수섬유화증(만성 특발성 골수섬유화증), 진성적혈구 증가증 후 골수섬유화증, 본태성혈소판증가증 후 골수섬유화증 성인환자의 질병과 관련된 비장비대 또는 증상의 치료

연번	성분명(제형)	대상질환
287	셀퍼카티닙	1. 국소 진행성 또는 전이성 RET(REarranged during Transfection) 융합-양성 비소세포폐암 2. 전신 요법을 요하는 진행성 또는 전이성 RET-변이 갑상선 수질암 3. 전신 요법을 요하며, 방사성 요오드 불응성인 진행성 또는 전이성 RET 융합-양성 갑상선암
288	이데캅타젠 비클류셀(주사제)	이전에 면역조절제제, 프로테아좀 억제제 및 항-CD38항체를 포함한 두 가지 이상의 치료를 받은 성인 다발골수종 환자의 치료
289	아미반타맙(주사제)	백금 기반 화학요법 치료 중 또는 치료 이후에 질병이 진행된 표피성장인자수용체(EGFR) 엑손 20 삽입 변이가 있는 국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암 환자의 치료
290	사람단백질C농축액(주사제)	중증의 선천성 단백질C 결핍 환자의 혈전증 및 전격자색반병의 예방 및 치료를 위한 보충 요법
291	소토라십(경구제)	1. 1회 이상 치료를 받은 적이 있는 KRAS p. G12C 변이 국소 진행성 및 전이성 비소세포폐암 2. KRAS p. G12C 변이 전이성 직결장암의 치료
292	포르다디스트로진 모바파르보벡(주사제)	중증 뒤첸 근디스트로피
293	프랄세티닙(경구제)	1. 국소 진행성 또는 전이성 RET(REarranged during Transfection) 융합-양성 비소세포폐암 2. 전신 요법을 요하는 국소 진행성 또는 전이성 RET 변이 갑상선 수질암 3. 전신 요법을 요하며, 방사성 요오드 불응성인 국소 진행성 또는 전이성 RET 융합-양성 갑상선암
294	루스파터셉트(주사제)	1. 수혈의존성 및 수혈비의존성 성인 베타지중해빈혈 2. 적혈구생성자극제(ESA) 치료에 불충분한 반응을 보였거나 부적합하여 적혈구 수혈이 필요한 다음의 성인 빈혈 - 최저위험, 저위험, 중등도 위험의 고리철적혈모구 동반 골수형성이상증후군(MDS-RS) 또는 - 최저위험, 저위험, 중등도 위험의 고리철적혈모구와 혈소판증가증 동반 골수형성이상/골수증식종양(MDS/MPN-RS-T) 3. 이전에 적혈구생성자극제(ESA) 치료를 받은 적이 없으며 적혈구 수혈이 필요한 최저위험, 저위험, 중등도 위험의 골수형성이상증후군(MDS)으로 인한 성인 빈혈
295	애시미닙(경구제)	1. 이전에 2가지 이상의 티로신키나아제억제제로 치료를 받은 만성기의 필라델피아 염색체 양성 만성 골수성 백혈병(Ph+ CML) 성인 환자의 치료 2. T315I 돌연변이를 가진 만성기의 필라델피아 염색체 양성 만성 골수성 백혈병(Ph+ CML) 성인 환자의 치료
296	아자시티딘(경구제)	공고요법 시행 유무와 관계없이 유도요법 이후 완전관해(CR) 또는 불완전한 혈액학적 회복을 동반한 완전관해(CRi)를 달성하고, 조혈모세포이식(HSCT)이 적합하지 않은 급성 골수성 백혈병 성인 환자에서의 유지요법

연번	성분명(제형)	대상질환
297	사시투주맙 고비테칸(주사제)	1. 이전에 두 번 이상의 전신치료를 받은 적이 있고, 그 중 적어도 한 번은 전이성 질환에서 치료를 받은, 절제 불가능한 국소진행성 또는 전이성 삼중음성유방암(mTNBC) 성인 환자의 치료 2. 절제 불가능한 국소 진행성 또는 전이성인 호르몬수용체 양성(HR+)/인간표피성장인자 수용체2 음성(HER2-) 유방암으로 내분비 기반 치료와 전이상태에서 최소 2회의 추가 전신치료를 받은 성인 환자의 치료
298	아발글루코시다제알파(주사제)	폼페병(산성 알파-글루코시다제 결핍)으로 확진된 환자의 장기 효소 대체 요법
299	세미플리맙(주사제)	근치적 수술이나 근치적 방사선 요법의 대상이 아닌 국소 진행성 또는 전이성 피부편평세포암
300	CPX-351(시타라빈과 다우노루비신을 함유하는 리포좀)(주사제)	1. 성인에서의 새로 진단받은 치료 관련 급성 골수성 백혈병(t-AML)의 치료 2. 성인에서의 새로 진단받은 골수이형성증 관련 변화를 동반하는 급성 골수성 백혈병(AML-MRC)의 치료
301	서스옥토코그알파(주사제)	성인 후천성 혈우병 A 환자의 출혈 치료
302	엔포투맙베도틴(주사제)	1. 이전에 PD-1 또는 PD-L1 억제제 및 백금기반 화학요법제의 치료 경험이 있는 국소 진행성 또는 전이성 요로상피암 성인 환자의 치료 2. 국소 진행성 또는 전이성 요로상피암 성인 환자의 치료. 펨브롤리주맙과 병용요법
303	마리바비르(경구제)	간시클로버, 발간시클로버, 포스카네트 또는 시도포비어 중 1개 이상에 내성이 있거나 불응성인 성인 환자에서 이식 후 거대세포바이러스(CMV) 감염 및 질병의 치료
304	불레비르타이드(주사제)	대상성 간질환이 있는 성인 환자의 만성 D형 간염 바이러스 감염 치료
305	포네시모드(경구제)	재발형 다발성 경화증 성인 환자의 치료
306	스페솔리맙(주사제)	전신 농포성 건선
307	페미가티닙(정제)	이전에 적어도 한번의 전신 치료를 받은 섬유아세포성장인자 수용체 2(fibroblast growth factor receptor, FGFR2)의 융합 또는 재배열이 있는 성인의 국소 진행성 또는 전이성 담관암
308	포스타마티닙(정제)	이전 치료(코르티코스테로이드, 면역글로불린, 비장절제술, 엘트롬보팍올라민 또는 로미플로스팀 포함)에 불충분한 반응을 보인 성인 만성 면역성(특발성) 혈소판 감소증(ITP)환자의 저혈소판증
309	타파시타맙(주사제)	1. 자가 조혈모세포이식이 적합하지 않고 한 가지 이상의 이전 치료에 실패한 성인 환자의 재발성 또는 불응성 미만성 거대 B세포 림프종. 레날리도마이드와 병용요법 2. 성인 환자에서 리툭시맙 및 레날리도마이드와 병용 투여를 통해 이전에 치료받은 경험이 있는 재발성 또는 불응성 소포림프종의 치료
310	마라릭시뱃(시럽제)	알라질증후군 환자의 담즙정체성 소양증
311	카플라시주맙(주사제)	후천성 혈전성 혈소판 감소성 자반증
312	테클리스타맙(주사제)	재발 또는 불응성 다발골수종의 치료
313	올리푸다제알파(주사제)	산성스핑고미엘린분해효소 결핍증

연번	성분명(제형)	대상질환
314	엘라나타맙(주사제)	이전에 세 가지의 치료요법에서 적어도 한 가지 프로테아좀 억제제, 적어도 한 가지 면역조절제제, 적어도 한 가지 항-CD38 항체 치료를 받은 성인 재발 또는 불응성 다발골수종
315	벨주티판(정제)	즉각적인 수술이 필요하지는 않으나 폰히펠-린다우(VHL) 관련 신세포암, 중추신경계 혈관모세포종, 췌장 신경 내분비 종양에 대한 치료가 필요한 성인 VHL
316	재조합인간상피세포성장인자(주사제)	와그너 3-4등급의 당뇨병성 족부궤양
317	수팀리맙(sutimlimab)(주사제)	한랭응집소병
318	벨마나제알파 (Velmanase alfa)(주사제)	알파-만노사이트축적증
319	마바캄텐(경구제)	성인의 증상성 폐색성 비대성 심근병증의 치료
320	니라파립/아비라테론 아세테이트(정제)	상동 재조합 교정(homologous recombination repair) 유전자 변이가 있는 전이성 거세 저항성 전립선암
321	소티클레스타트(정제)	드라베 증후군 및 레녹스-가스토 증후군
322	아바코판(캡슐제)	증상을 동반한 중증 육아종증 다발혈관염(GPA), 현미경적 다발혈관염(MPA) 성인 환자 치료로 리툭시맙 또는 시클로포스파미드 등과의 병용요법
323	입타코판(캡슐제)	1. 발작성 야간 혈색소뇨증 2. C3 사구체병증
324	글로피타맙(주사제)	미만성 거대B세포 림프종의 치료
325	마시모렐린아세트산염(과립제)	성인 성장호르몬 결핍의 진단
326	모수네투주맙(주사제)	두 가지 이상의 전신 치료 후 재발성 불응성 여포성 림프종 성인 환자
327	타그락소푸스프(주사제)	이전 치료의 경험이 없는 모세포 형질세포양 수지세포 종양에 대한 성인 환자
328	졸베툭시맙(주사제)	성인환자에 대한 CLDN18.2 양성이면서 HER2 음성인 절제 불가능한 국소 진행성 또는 전이성인 위선암 또는 위식도 접합부 선암(1차 치료로서 플루오로피리미딘계 및 백금기반 화학요법과의 병용)
329	질루코플란(주사제)	항아세틸콜린 수용체 항체 양성인 환자의 전신 중증근무력증
330	벨루모수딜메실산염 (정제)	성인 및 만 12세 이상의 소아 환자에서 이전에 두 가지 이상의 전신 요법에 실패한 만성 이식편대숙주질환
331	엘라도카진엑수파르보벡(주사제)	18개월 이상 환자에서의 중증 표현형을 나타내는 임상적, 분자학적 및 유전학적으로 진단된 방향족 L-아미노산탈탄산효소 결핍증
332	델란디스트로진 목세파르보벡(주사제)	뒤쉔 근디스트로피
333	탈쿠에타맙(주사제)	이전에 세 가지의 치료요법에서 적어도 한 가지 프로테아좀억제제, 적어도 한 가지 면역조절제제, 적어도 한 가지 항-CD38 항체 치료를 받은 재발 또는 불응성 다발골수종
334	부데소니드(캡슐제)	요중 단백질 대 크레아티닌 비율이 1.5g/g 이상인 성인 IgA 신병증

연번	성분명(제형)	대상질환
335	페그세타코플란(주사제)	1. 발작성 야간 혈색소뇨증 2. 성인 및 12세 이상의 청소년에서 C3 사구체병증(C3 glomerulopathy, C3G), 또는 원발성 면역복합체 막증식 사구체신염(primary immune-complex membranoproliferative glomerulonephritis, primary IC-MPGN)의 치료
336	이보시데닙(정제)	1. IDH1 변이가 있는 급성 골수성 백혈병을 새롭게 진단받은, 만 75세 이상 또는 집중유도 화학요법에 적합하지 않는 동반질환이 있는 성인 환자(아자시티딘과 병용) 2. 성인 환자에서 이전에 치료를 받은 IDH1 변이가 있는 국소진행성 또는 전이성 담관암
337	알러젠추출물(주사제)	벌쏘임 알레르기에 대한 면역요법 및 알레르기 진단
338	티오테파(주사제)	다른 화학요법과 병용하여 다음의 경우에 사용: - 전신 방사선조사의 병행 여부와 상관없이 성인, 소아 환자의 혈액학적 질환에서 동종 또는 자가 조혈모세포이식 이전에 전처치 요법 - 성인 및 소아 환자의 고형암 치료를 위하여 조혈모세포 이식과 함께 고용량의 화학요법이 적절한 경우
339	에프가티지모드 알파(주사제)	성인의 전신 중증근무력증
340	클로르메틴염산염(겔제)	이전에 피부직접요법(skin-directed therapy)을 받은 초기 균상식육종 피부 T-세포 림프종(MF-Type CTCL)의 국소적 치료
341	오크렐리주맙(주사제)	다발성 경화증
342	엡코리타맙(주사제)	1. 두 가지 이상의 전신 치료 후 재발성 또는 불응성 미만성 거대 B세포 림프종 2. 소포성 림프종의 치료
343	로자놀릭시주맙(주사제)	항아세틸콜린 수용체 또는 항근육 특이 티로신 키나제 항체 양성이고 코르티코스테로이드 또는 비스테로이드성 면역억제제에 추가 요법이 필요한 환자의 전신 중증 근무력증의 치료
344	피다나코진 엘라파보벡(주사제)	만 18세 이상 환자의 B형 혈우병
345	퍼토브루티닙(정제)	1. 이전에 BTK 억제제로 치료받은 경험이 있는 재발성 또는 불응성 외투세포림프종이 있는 성인 환자에서의 단독요법 2. 만성 림프구성 백혈병(CLL)/소림프구성 림프종(SLL)의 치료
346	보소리타이드(주사제)	골단이 닫히지 않은 연골무형성증
347	다니코판(정제)	혈관 외 용혈 증상이나 징후가 있는 발작성 야간 혈색소뇨증 성인 환자의 치료에서 라불리주맙 혹은 에쿨리주맙에 추가 투여
348	트레프로스티닐 소디움(흡입제)	간질성 폐질환에 의한 폐고혈압
349	루테튬 비피보타이드테트라세탄(주사제)	이전에 안드로겐 수용체 경로 차단(ARPI) 치료와 탁산 기반의 화학요법을 받았던 전립선 특이 막항원(PSMA) 양성 전이성 거세저항성 전립선암(MCRPC) 성인 환자의 치료
350	네란도밀라스트(정제)	1. 특발성 폐섬유증의 치료 2. 진행성 폐섬유증의 치료

연번	성분명(제형)	대상질환
351	디누툭시맙 베타(주사제)	이전에 유도 화학요법을 받고 부분 반응 이상을 보인 후 골수 제거 요법과 줄기세포 이식을 받은 12개월 이상의 고위험군 신경모세포종 환자 및 잔류 질환 유무에 관계없이 재발성 또는 불응성 신경모세포종 병력이 있는 환자의 치료
352	분변 미생물군(액제)	18세 이상 성인에서 재발성 클로스트리디움 디피실 감염증의 예방
353	활성형 엡타코그알파(주사제)	자궁수축제로 지혈이 충분하지 않은 중증의 산후 출혈
354	오데빅시바트(캡슐제)	1. 생후 6개월 이상 환자의 진행성 가족성 간내 담즙 정체 치료 2. 담즙정체증에 따른 증상이 있는 알라질 증후군 환자의 치료
355	에트라나코진 데자파르보벡(주사제)	성인의 제9인자 억제인자가 없는 중증 및 중증의 중등도 B형 혈우병(선천성 제9인자 결핍) 치료
356	모멜로티닙(정제)	빈혈이 있는 성인의 중간위험군 또는 고위험군의 골수섬유증(일차성 골수섬유증, 진성 적혈구증가증 후 골수섬유증 또는 본태성 혈소판증가증 후 골수섬유증)
357	재조합 트롬보스폰딘 모티프 13을 갖는 디스인테그린 및 금속단백분해효소(주사제)	ADAMTS13 결핍으로 인한 선천성 혈전성 혈소판감소성 자반증
358	부트리시란나트륨(주사제)	유전성 및 정상형 트랜스티레틴 매개 아밀로이드증
359	베마리투주맙(주사제)	FGFR2b 과발현이면서 HER2(Human Epidermal growth factor Receptor 2) 음성인 국소 진행성 절제 불가능 또는 전이성인 위 및 위식도 접합부암 환자
360	탈라타맙(주사제)	1. 이전에 받은 2차 이상 치료에도 질병이 진행된 진행성 소세포 폐암 성인 환자의 치료 2. 성인 환자에서 백금기반 화학요법 도중 또는 이후에 질병이 재발 또는 불응성 소세포폐암의 치료
361	소타터셉트(주사제)	폐동맥고혈압의 치료
362	크로발리맙(주사제)	발작성 야간 혈색소뇨증
363	프루퀸티닙(캡슐제)	이전에 플루오로피리미딘, 옥살리플라틴, 이리노테칸을 기본으로 하는 항암화학요법으로 치료받은 적이 있고, 항VEGF 치료제, 항EGFR 치료제(RAS 정상형(wild type)의 경우), 그리고 트리플루리딘/티피라실 및/또는 레고라페닙을 포함하여 사용 가능한 치료제로 치료를 받은 적이 있거나 치료할 수 없는 전이성 결장직장암 성인 환자의 치료
364	벤라리주맙(주사제)	성인에서 다발혈관염을 동반한 호산구육아종증(EGPA)의 치료
365	펜플루라민(경구용 액제)	드라벳증후군
366	다주키바트(주사제)	이전 치료 약제에 적절한 효과를 보이지 못한 성인에서의 활동성 피부근염
367	레포트렉티닙(캡슐제)	1. ROS1 양성 국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암 환자의 치료 2. NTRK(Neurotrophic tyrosine receptor kinase) 유전자 융합을 보유한 국소 진행성, 전이성 또는 수술적 절제시 중증 이환의 가능성이 높은 고형암의 치료
368	에파네스옥토코그알파(주사제)	혈액응고 제8인자의 선천성 결핍 환자에서 출혈의 예방 및 치료
369	레니올리십(정제)	활성화된 PI3K 델타 증후군

연번	성분명(제형)	대상질환
370	엘라피브라노(정제)	우르소데옥시콜산에 대한 반응이 부적절하거나 불내성인 원발성 담즙성 담관염의 치료
371	테프로투무맙(주사제)	중등도에서 중증의 갑상선안병증을 가진 성인 환자의 치료
372	토퍼센(주사제)	SOD1(Superoxide Dismutase 1) 유전자 변이와 관련된 근위축성 측삭경화증
373	파크리티닙(캡슐제)	혈소판 수가 50 × 10^9/L 미만인 성인의 중간위험군 또는 고위험군의 골수섬유증(일차성 및 이차성 골수섬유증)
374	아시캅타젠실로류셀(주사제)	1. 이차 이상의 전신 치료 후 재발성 또는 불응성 미만성 거대 B세포림프종(DLBCL) 및 원발성 종격동 B세포림프종(PMBCL)이 있는 성인 환자 2. 일차 화학 면역요법 치료 이후 12개월 이내에 재발하거나 불응하는 미만성 거대 B세포림프종(DLBCL) 성인 환자
375	보라시데닙(정제)	IDH 변이 미만성 신경교종의 치료
376	루마시란나트륨(주사제)	제1형 원발성 고옥살산뇨증의 치료
377	기보시란나트륨(주사제)	급성 간성 포르피린증(AHP)의 치료
378	레나카파비르(정제, 주사제)	현재 항레트로바이러스 요법으로 치료되지 않는 다제내성 HIV-1 감염 성인 환자의 치료에 다른 항레트로바이러스제와 병용요법
379	자니다타맙(주사제)	이전에 치료받은 적이 있는 절제 불가능, 국소진행성 또는 전이성 HER2-양성(IHC3+) 담도암 성인 환자에서의 치료
380	아다그라십(정제)	이전에 적어도 한 번의 치료를 받은 적이 있는 KRAS G12C 변이 국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암
381	미르베툭시맙소라브탄신(주사제)	이전에 한 가지에서 세 가지의 전신 요법을 받은, 엽산 수용체 알파(FRα) 양성이면서 백금기반 화학요법에 저항성이 있는 상피성 난소암, 난관암 또는 원발성 복막암 성인 환자에서 단독요법
382	에플론테르센나트륨(주사제)	유전성 트랜스티레틴 매개 아밀로이드증
383	마시텐탄(분산정)	WHO 기능분류 Ⅰ~Ⅲ단계에 해당하는 폐동맥고혈압(WHO Group Ⅰ) 소아 환자의 치료
384	악사틸리맙(주사제)	성인 및 40kg 이상의 소아 환자에서 이전에 두 가지 이상의 전신요법에 실패한 만성 이식편대숙주질환
385	서플루리맙(주사제)	확장병기 소세포폐암(ES-SCLC) 성인 환자의 1차 치료로서 카보플라틴 및 에토포사이드와의 병용요법
386	피투시란(주사제)	혈액응고 제Ⅷ인자 또는 제Ⅸ인자에 대한 억제인자를 보유한 혹은 보유하지 않은 혈우병 A형 및 B형 환자에서 출혈 에피소드를 예방하거나 빈도를 줄이기 위한 일상적 예방요법
387	레티판리맙(주사제)	1. 메르켈세포암의 치료 2. 항문관 편평세포암의 치료
388	나도파라진피라데노벡(주사제)	유두종 유무에 상관없이 상피내암(CIS)을 가진 BCG-불응 고위험 비근침습성 방광암의 치료
389	네도시란(주사제)	원발성 고옥살산뇨증의 치료
390	세피압테린(경구용 분말)	소아 및 성인 페닐케톤뇨증 환자의 고페닐알라닌혈증의 치료
391	자가유래 CAR-T세포 (에퀘캅타젠오토류셀)	다발골수종의 치료
392	아트라센탄(정제)	요중 단백질 대 크레아티닌 비율(UPCR)이 1.5g/g 이상인 성인 IgA 신병증(IgAN)의 치료
393	리프레티닙(정제)	위장관기질종양(GIST)의 치료

연번	성분명(제형)	대상질환
394	셀라델파(캡슐제)	우르데옥시콜산에 대한 반응이 부적절하거나 불내성인 성인의 원발성 담즙성 담관염의 치료
395	도니달로르센(주사제)	성인 및 청소년(12세 이상)에서 유전성 혈관부종 발작의 일상적인 예방
396	존거티닙(정제)	HER2 돌연변이가 있는 진행성, 절제불가능 또는 전이성 비편평 비소세포폐암 환자의 치료
397	올레자르센(주사제)	가족성 카일로마이크론혈증 증후군(Familial chylomicronemia syndrome)에서의 보조치료
398	댄버스토투그(주사제)	재발 또는 불응성 림프절 외 NK/T-세포 림프종, 비강형태(ENKTL)의 치료
399	미르다메티닙(경구제)	총상 신경섬유종을 동반한 신경섬유종증
400	세바버티닙(정제)	종양에 활성화된 HER2(ERBB2) 돌연변이가 있는 국소 진행성 및 전이성 비소세포폐암 성인 환자의 치료
401	포스카르비도파·포스레보도파(주사제)	기존 파킨슨병 치료제 투여에도 불구하고 조절되지 않는 중증의 운동기복(Motor fluctuation)을 나타내는 성인 진행성 파킨슨병
402	· 엔포투맙베도틴(주사제) · 펨브롤리주맙(주사제)	근육 침습성 방광암의 수술 전후 치료 (두 성분을 병용투여 하는 경우에 한함)
403	니로가세스타트(정제)	데스모이드 종양의 치료
404	토보라페닙(경구제)	소아 저등급 신경교종(pLGG)의 치료
405	팔로페그테리파라타이드(주사제)	성인의 부갑상선기능저하증의 치료
406	피미코티닙(캡슐제)	수술로 절제가 불가능한 건활막거대세포종(TGCT)의 치료
407	루스파타이드(주사제)	진성적혈구증가증 성인 환자의 치료
408	브렉수캅타젠오토류셀(주사제)	1. 이전에 BTK 억제제를 포함하여 한 가지 이상의 전신 치료를 받은 재발성 또는 불응성 외투세포림프종(MCL) 성인 환자의 치료 2. 이전에 한 가지 이상의 전신치료를 받은 재발성 또는 불응성 B세포 급성 림프모구성 백혈병(ALL) 성인 환자의 치료
409	이아날루맙(주사제)	중등증 및 중증 쉐그렌 질환 성인 환자의 치료
410	아이피나타맙 데룩스테칸(주사제)	백금기반 화학요법 치료 중 또는 치료 이후에 질병이 진행된 확장기 소세포폐암 성인 환자의 치료
411	빔셀티닙(캡슐제)	수술적 절제가 잠재적으로 기능 제한을 악화하거나 중증 이환을 야기할 수 있는 증상성 건활막 거대세포종(Tenosynovial Giant Cell Tumor, TGCT) 성인 환자의 치료

[별표 3] 개발단계 희귀의약품

연번	성분 또는 코드명	예상되는 대상질환	신청자명
1	동종 배아줄기세포유래 망막색소상피세포(주사제)	스타가르트병	㈜차바이오앤디오스텍
2	동종 제대혈유래 중간엽줄기세포(주사제)	미숙아 기관지이형성증	메디포스트(주)
3	AVI-CO-004(경구제)	다른 레트로바이러스 제제와 병용하여 HIV-1 감염환자의 치료	(주)에빅스젠
4	HL2351(주사제)	크리오피린 관련 주기적 증후군	(주)한독
5	CG200745(주사제)	1. 이전 저메틸화 치료에 실패한 골수형성이상증후군 2. 수술이 불가능한 진행성 또는 전이성 췌장암 환자의 치료에서 젬시타빈 및 엘로티닙과 병용투여	크리스탈지노믹스(주)
6	이종 간유래 간세포(체외순환형 바이오인공간, 복합품목)	급성 및 급성화 만성 간부전으로 인한 응급 간이식 대기환자	라이프리버(주)
7	자가혈액유래수지상세포(주사제)	교모세포종	제이더블유크레아젠(주)
8	ALN-TTR02(주사제)	가족성 아밀로이드 다발성 신경병증	㈜젠자임코리아
9	아파티닙메실레이트(경구제)	이전에 실시된 두 가지 이상의 치료법에 실패하였거나 불응한 진행성 및 전이성 또는 국소 재발성 위암(위식도 접합부 암 포함)	부광약품(주)
10	동종 지방유래 중간엽줄기세포(첩부제)	수포성 표피 박리증	㈜안트로젠
11	플라스미드 DNA인 VCL-6365와 VCL-6368을 1:1의 질량비로 함유하는 주사액(주사제)	동종이혈 조혈세포이식(HCT)을 받은 환자의 거대세포바이러스(CMV) 감염질환의 예방 및 치료	한국아스텔라스제약(주)
12	유데나필(경구제)	선천성 단심실로 폰탄수술을 받은 청소년 환자의 운동능력 개선	㈜메지온
13	JM-010(경구제)	레보도파로 유발된 이상운동증	부광약품(주)
14	동종지방유래 중간엽줄기세포(주사제)	Anti-TNF 제제에 불응인 크론병성 누공	㈜안트로젠
15	<삭 제, 2020. 9. 1.>		

연번	성분 또는 코드명	예상되는 대상질환	신청자명
16	자가지방유래 중간엽줄기세포(주사제)	패리-롬버그병 환자에서 미세지방이식술의 보조요법	알바이오
17	동종지방유래 중간엽줄기세포(주사제)	Anti-TNF 제제에 불응인 크론병	㈜안트로젠
18	동종 혈액 유래 자연살해세포(주사제)	젬시타빈 기반의 1차 표준항암요법에 불응이거나 항암치료의 부작용으로 인하여 항암치료를 진행하기 어려운 진행성 담관계(담도 및 담낭)암	㈜에스엠티바이오
19	재조합 단일클론면역글로불린 G1 항VEGFR-2/KDR 항체(주사제)	베바시주맙을 포함한 이전 치료 후 진행성 질환인 교모세포종	㈜파멥신
20	HM15136 5mg(주사제)	선천성 고인슐린혈증	한미약품(주)
21	BLS-M22(경구제)	뒤쉔 근디스트로피	㈜바이오리더스
22	HM43239(경구제)	FLT3 변이 양성인 재발 또는 불응성 급성 골수성 백혈병 환자의 치료	한미약품(주)
23	SCM-CGH(주사제)	표준치료(스테로이드) 불응성 만성 이식편대숙주반응 또는 병	에스씨엠생명과학 주식회사
24	HM15912(주사제)	단장증후군	한미약품(주)
25	VT-EBV-N(주사제)	완전관해 상태의 EBV양성 절외 NK/T세포 림프종	바이젠셀(주)
26	넬로넴다즈(주사제)	인공소생에 성공한 심장정지 환자의 뇌손상 감소	㈜지엔티파마
27	자가윤부유래상피세포판(LSCD101)	윤부줄기세포결핍증	클립스 주식회사
28	PBP1510(주사제)	췌장 선암종 상향조절인자(PAUF) 양성 진행성 췌장암	프레스티지바이오로직스(주)
29	SCM-AGH(주사제)	전산화 단층촬영 중증도 지수(Computed Tomography Severity Index, CTSI) 7~10에 해당하거나 장기부전을 동반하는 중증 급성 췌장염	에스씨엠생명과학 주식회사
30	MR-MC-01(주사제)	간질성 방광염(만성)	㈜미래셀바이오
31	동종탯줄유래 중간엽줄기세포(HiEstem)(주사제)	1. 신생아 저산소성 허혈성 뇌병증 2. 미숙아 뇌실내 출혈(Intraventricular Hemorrhage)	(주)메디노

연번	성분 또는 코드명	예상되는 대상질환	신청자명
32	JPI-547(캡슐제)	BRCA 변이 또는 HRD 양성인 수술이 불가능한 진행성 또는 전이성 췌장암	온코닉테라퓨틱스주식회사
33	Fimaporfin di-olamine(주사제)	수술이 불가능한 국소 진행성 또는 전이성 담관암종 환자에서 젬시타빈/시스플라틴 항암화학요법으로 보완한 젬시타빈과의 병용요법에서 젬시타빈의 효과 증강	피피디디벨럽먼트피이엘티디
34	DGUL(주사제)	표준요법(도세탁셀 및 도세탁셀 치료 전/후의 엔잘루타마이드 또는 아비라테론 중 최초 1개 이상 치료)에 실패한 전이성 거세저항성 전립선암	㈜셀비온
35	파이로티닙(정제)	이전에 백금 기반 화학요법으로 치료받은 적이 있는 HER2 변이성 엑손 20 삽입 돌연변이 비소세포폐암	㈜에이치엘비생명과학
36	KCHO-1(정제)	근위축성 측삭경화증(루게릭병)에 리루졸 병용요법	(유)한풍제약
37	동종탯줄유래중간엽줄기세포(5.0x 10^6)(주사제)	1. 듀센근디스트로피 2. 샤르코-마리-투스	이엔셀 주식회사
38	HK-660S(정제)	원발성 경화성 담관염	주식회사 큐롬바이오사이언스
39	동종탯줄유래골모세포(주사제)	대퇴골두 골괴사	㈜세포바이오
40	탈레트렉티닙(캡슐제)	ROS1 양성 비소세포폐암	뉴지랩테라퓨틱스
41	리보세라닙 메실레이트(정제)	전이성 또는 재발성 선양낭성암	에이치엘비생명과학㈜
42	IVL4002(주사제)	재발완화형 다발경화증	㈜인벤티지랩
43	크리스데살라진(캡슐제)	근위축성 측삭경화증	㈜지엔티파마
44	BR101801(캡슐제)	성인에서의 재발성 또는 불응성의 말초 T세포 림프종의 치료	㈜보령
45	MIT-001(주사제)	자가조혈모세포의 이식을 위해 전처치 항암요법을 받는 다발성골수종 또는 림프종 환자에서의 중증 구강점막염 예방	미토이뮨테라퓨틱스
46	프로니글루티드(주사제)	다발성근염, 피부근염	이뮤노포지주식회사
47	GV1001(주사제)	진행성 핵상마비	삼성제약㈜
48	GX-H9(주사제)	소아 성장호르몬 결핍증	㈜한독
49	JBPOS0101(주사제)	뇌전증지속상태	㈜바이오팜솔루션즈
50	동종 편도중간엽줄기세포 유래 슈반세포 유사세포(주사제)	샤르코 마리 투스병 1형	주식회사셀라토즈테라퓨틱스
51	AST-001(시럽제)	만2세 ~ 만7세 소아의 자폐증	㈜아스트로젠

연번	성분 또는 코드명	예상되는 대상질환	신청자명
52	[177Lu]루도타다이펩(주사제)	혈중 testosterone 50ng/dL 이하인 거세저항성 전립선암 환자 중, 표준 요법인 standard taxene 기반 항암 치료 전/후 2세대 호르몬 제제(abiraterone, enzalutamide, or both) 중 최소 1개 이상의 치료에도 암이 진행하는 전이성 거세저항성 전립선암 환자(metastatic castration resistant prostate cancer, mCRPC)이면서 전립선 특이막항원(PSMA) 양성 병변을 포함하는 성인 환자의 치료	㈜퓨처켐
53	PHI-101(정제)	FLT3 변이 양성인 재발 또는 불응성 급성 골수성 백혈병	㈜파로스아이바이오
54	TAK-861(경구제)	탈력발작을 동반한 기면증의 치료	한국다케다제약㈜
55	KINE-101(주사제)	만성 염증성 탈수초성 다발신경병증의 치료	㈜카인사이언스
56	니포칼리맙(주사제)	성인의 전신 중증근무력증의 치료	㈜한국얀센
57	안발캅타젠오토류셀(주사제)	두 가지 이상의 전신치료 후 재발성 또는 불응성의 거대 B세포 림프종(LBCL) 성인 환자의 치료로 아래 아형을 포함 · 미만성 거대 B세포 림프종(diffuse large B-cell lymphoma, DLBCL) · 3B등급의 소포림프종(Grade 3B follicular lymphoma, FL3B) · 고도B세포 림프종(high-grade B-cell lymphoma, HGBL) · 원발성 종격동 거대 B세포 림프종(Primary mediastinal large B-cell lymphoma, PMBCL)	주식회사 큐로셀
58	에프가티지모드알파(주사제)	이전 치료(코르티코스테로이드, 면역글로불린, 비장절제술 또는 트롬보포이에틴 수용체 작용제(TPO-RA) 포함)에 불충분한 반응을 보인 성인 만성 면역성(특발성) 혈소판 감소증(ITP) 환자의 저혈소판증 치료	㈜한독
59	GI-102(주사제)	수술이 불가능하거나 전이성인 흑색종의 치료	㈜지아이이노베이션
60	HM15421/GC1134A(주사제)	파브리병	한미약품(주)
61	벨란타맙마포도틴(주사제)	1. 이전에 한 가지 이상의 치료를 받은 다발골수종 환자에서 보르테조밉 및 덱사메타손과의 병용요법 2. 레날리도마이드를 포함하여 이전에 한 가지 이상의 치료를 받은 다발골수종 환자에서 포말리도마이드 및 덱사메타손과의 병용요법	㈜글락소스미스클라인

연번	성분 또는 코드명	예상되는 대상질환	신청자명
62	포셀티닙이염산염(정제)	재발 및 불응성 원발성 중추신경계 림프종(PCNSL)	㈜노보메디슨
63	<삭 제, 2026. 1. 2.>		
64	KF1601(캡슐제)	T315I 돌연변이를 가진 필라델피아 염색체 양성 만성기 만성골수성백혈병 (Ph+ CML)	이뮤노포지주식회사
65	사볼리티닙(정제)	MET 과발현 및/또는 증폭이 있고 EGFR TKI 치료 중 또는 후 질병이 진행된 국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암 환자의 치료를 위해 오시머티닙과 병용 투여	한국아스트라제네카㈜
66	<삭 제, 2025. 8. 4.>		
67	TAR-200(방광 내 운송시스템)	방광 절제술이 불가능하거나 시행을 선택하지 않았으며, 유두종 유무와 상관없이 상피내암을 동반한 BCG-불응 고위험 비근침습성 방광암 성인 환자의 치료	㈜한국얀센
68	ABN401(정제)	METex14 스키핑 변이(skipping alteration)가 있는 진행성 또는 전이성 비소세포폐암	에이비온주식회사
69	JIN-A02(캡슐제)	이전에 Epidermal growth factor receptor(EGFR) 티로신 키나제 저해제로 치료받은 적이 있는 EGFR C797S 돌연변이 양성의 진행성 또는 전이성 비소세포폐암	주식회사제이인츠바이오
70	오브릭스타미그(주사제)	1. 1차 치료를 받은 DLL3가 50% 이상 발현된 폐 외 신경내분비 암종 2. 1차 치료를 받은 DLL3가 50% 이상 발현된 폐 대세포 신경내분비 암종	한국베링거인겔하임㈜
71	GC1130A(뇌실내투여)	산필리포증후군 A형(점액다당류증 IIIA형)	㈜녹십자
72	자가혈액유래 CD19 표적 CAR-T 세포(주사제)	2차 이상의 재발성 또는 불응성 미만성 거대 B세포 림프종(DLBCL) 및 원발성 종격동 거대 B세포 림프종(PMBCL)	앱클론㈜
73	IPS101A(주사제)	중증의 심각한 장애를 나타내는 파킨슨병(발병 후 10년 이상 된 Hoehn-Yahr 4 또는 5단계에 한함)	㈜이노퓨틱스
74	에프짐포타제알파(주사제)	저인산효소증	한국아스트라제네카㈜
75	손로토클락스(정제)	외투세포림프종의 치료	비원메디슨코리아(유)
76	게푸루리맙(주사제)	성인 항아세틸콜린 수용체(AChR) 항체 양성인 전신 중증 근무력증 치료를 위한 표준요법에 부가요법	한국아스트라제네카㈜

연번	성분 또는 코드명	예상되는 대상질환	신청자명
77	L-4보로노페닐알라닌 (L-4-Boronophenylalanine(^{10}B)) (주사제)	재발성 교모세포종	㈜다원메닥스
78	ART5803(주사제)	항-NMDA 수용체 뇌염	노보텍아시아코리아
79	포베타시셉트(주사제)	원발성 막성 신장병증의 치료	시믹씨엠오코리아㈜