보건복지부 | 보도참고자료 | 대체불가 대한민국

보도시점 배포 후 즉시 사용 배포 2026. 11. 6.(금)

희귀질환 치료 위한 신속 등재 대상 약제 5종 선정

보건복지부(장관 정은경)는 **희귀질환치료제 신속등재 시범사업** 공모 및 평가 결과, **대상 약제를 선정**했다고 밝혔다. 이 사업은 사전 비용 효과성 평가 대신 사후평가 체계로 전환하여 환자들이 필요한 치료제를 더 빠르게 공급받을 수 있도록 한다.

이 시범사업은 희귀질환의 특성상 **환자 수가 적어 임상적 근거 확보가 어려**우나 **치료 대안이 없는 중증 환자**의 **치료제 접근성을 높이**기 위해 추진되었다. 특히 **건강보험 등재 이전**에 필수적으로 거쳐야 하는 **비용효과성 평가**가 **등재 이후** 실제 임상 성과 및 사전 합의된 평가계획서에 따른 **사후평가로 전환**되는 것이 핵심이다.

보건복지부는 지난 **6월 시범사업 추진 방안**을 건강보험정책심의위원회에 **보고**하고, 7~8월 참여 대상 **약제 공모**, 9~10월 **제약사 자료 보완, 환자단체 간담회, 관련 학회 의견 수렴**을 진행한 바 있다. 이어 **지난 4일** 전문가·유관 기관 담당자로 구성된 **선정평가위원회**를 개최하고, **참여 제약사 대면 발표 심사**를 거쳐 **약제를 선정**하였다.

< 선정평가 결과 >

- 전신 농포성 건선 치료제 '스페비고주'(레오파마(유))
- 뒤쉔 근디스트로피 치료제 '아감리현탁액'((주)넥세라파마코리아)
- 활성화된 PI3K 델타증후군 치료제 '조엔자정'(베르토코리아유한회사)
- 근위축성 측삭경화증 치료제 '칼소디주'(바이오젠코리아유한회사)
- 원발성 담즙성 담관염 치료제 '아이커보정'(입센코리아(주))

※ 제품명 마지막에 붙는 주, 액, 정은 해당 제품의 제형을 의미

선정평가위원회는 **질환의 중증도, 대체약제 현황, 치료 효과성, 사후평가계획 및 사후평가 이후 환자 치료 보장 계획의 적정성** 등을 **종합적으로 고려**하여 대상 약제를 선정하였다.

이번에 선정된 약제는 **사후평가계획서 보완, 이행약정서 제출 등**을 거쳐 늦어도 **2027년 1월까지 약제의 등재 신청을 완료**해야 한다. 시범사업 공고 내용에 따라 **정해진 약가, 예상 청구액을 적용함으로써 더욱 신속한 등재가 가능**할 것으로 기대된다.

유주헌 건강보험정책국장은 “향후 시범사업 운영 결과를 바탕으로 신속 등재 제도화 방안을 마련하고, 필요 시 **중증 희귀질환자의 치료제 접근성을 보장**하기 위해 **2차 시범사업을 적극적으로 검토**하겠다”고 밝혔다.

담당부서 <총괄>	건강보험정책국 보험약제과	책임자	과 장	강준혁 (044-202-2750)
		담당자	서기관	하예진 (044-202-2752)
			민간전문가	이정하 (044-202-2758)
건강보험 심사평가원	약제관리실 신약등재부	책임자	부 장	이숙현 (033-739-1360)
		담당자	팀 장	장아랑 (033-739-1374)
	희귀·중증질환성과평가실 약제성과평가운영부	책임자	부 장	윤혜선 (033-739-2750)
		담당자	팀 장	박광준 (033-739-2751)
국민건강 보험공단	약제관리실 신약관리부	책임자	부 장	김형민 (033-736-3202)
		담당자	팀 장	민보경 (033-736-3226)

대한민국 정책브리핑
대체불가 대한민국
OPEN 출처표시 공공누리 공공저작물 자유이용허락