

희귀질환 치료 의약품 별도 기금 제도 고찰 및 시사점



김동숙 팀장
건강보험심사평가원 약제정책연구팀

1. 들어가며

보건복지부는 선별등재(positive list) 제도의 특수성을 반영하여 기등재된 약을 대상으로 급여기준의 필수(완전)급여를 확대하는 방향으로 2013~2016년 총 161개 항목 (2016년 2월 기준)에 대해 보장성 강화를 추진하여 왔다. 약제의 급여기준 확대에도 불구하고 여전히 급여기준 설정 과정에서 임상시험 대상으로 약제 적용범위를 제한함에 따라 국회에서는 일부 환자들이 경제적 부담으로 인해 치료를 포기하는 사례가 지적되고 있다. 또한 최근 개발되는 고가 신약에 대한 환자의 접근성을 높이는 방안에 대한 필요성이 제기되고 있다(국회 기획예산처, 2015).

주요 외국에서도 의약품의 가치를 평가할 수 있는 자료가 불충분하여 불확실성이 발생하는 경우가 대다수이기에, 의약품 급여의 예외 기전으로 위험분담제나 의약품의 별도 기금의 제도를 운영해 환자의 접근성을 높이는 방식을 취하고 있다. 대체로 환자수가 적어 임상시험 과정에서 충분한 환자수를 확보하기 어려워 임상적 효과성에 관한 근거가 불충분하거나 약가수준이 높은 희귀의약품이나 고가 항암제에 대해서 한시적으로 건강보험 외 별도의 기금을 적용하고 있다.

본 연구는 2016년에 수행된 「4대 중증질환 약제 접근성 향상 방안 - 희귀질환치료제와 항암제 재원마련을 중심으로-」 연구보고서와 약학회지에 게재된 “주요 외국의 희귀의약품과 항암제 별도 기금 고찰 및 시사점”의 내용을 재구성하여 작성하였습니다.

이에 희귀질환 치료 의약품에 대한 외국의 별도 기금에 대해서 살펴보고, 국내 희귀질환 치료제의 접근성을 높이기 위한 방안으로서 의약품 별도 기금 도입의 타당성을 검토함으로써, 향후 환자의 의약품 접근성 향상을 위한 제도 마련의 기초자료로 활용할 수 있는 방향을 제언하고자 한다. 단, 본 원고에서는 항암제를 제외하고 희귀질환 치료 의약품에 국한하여 살펴보도록 하겠다.

2. 외국의 희귀질환 치료 의약품 별도 기금 고찰

가. 호주

호주는 메디케어(Medicare)라는 보편적 건강 보험 체계를 기반으로 의약품급여체계(Pharmaceutical Benefits Scheme, PBS)를 통해 정부가 보조금의 형태로 지원하여 의약품을 제공하고 있다. 환자가 약을 구입할 때 정부가 정한 본인부담금(co-payment)을 지불해야하는데, 특히 PBS Schedule에 등재되지 못한 약의 경우에는 환자가 약품 비용의 전부를 지불해야한다. 따라서 정부는 PBS Schedule에 등재되지 못한 고가의 중증 희귀질환을 위한 치료제의 접근성을 높이기 위해 보조금 형태의 기금을 지원하는 Life Saving Drugs Program (LSDP)라는 프로그램을 만들었다. LSDP 신청 환자는 몇 가지 자격 조건을 갖춰야 하고 '적절한 약물/상태 LSDP 가이드 라인'에 따라 임상적으로 향상된 결과를 보이거나 안정된 상태를 보여야 한다.

나. 벨기에

벨기에는 거의 모든 국민이 사회보험의 형태인 의무 건강보험에 가입되어 있고, 1990년부터 국가질병장애보험기구(NIHDD)의 일부로 Special Solidarity Fund (SSF)를 설립하여 건강보험에서 제외된 고비용 희귀의약품의 접근성을 보장하고 있다. 이 기금을 통해 환급이 가능한 대상 범주는 희귀 적응증, 특정한 생리/병리학적 치료를 요하는 희귀질환, 계속적이고 복합적인 치료가 필요한 희귀질환, 혁신적 치료 기술, 만성 질환을 가진 어린이(암, 신부전, 다른 생명이 위독한 질환이 있고, 계속적인 또는 반복적인 치료가 적어도 6개월 이상 필요한 19세 이하의 어린이)이다. 각 범주에 따라 특별히 충족시켜야 할 특별 기준과 일반적 공통 기준¹⁾이 있다. 환자

1) 중재(intervention)가 비싸거나, 질환이 환자의 주된 기능을 위협하는 경우이다. 또한 치료는 과학적 가치, 치료의 효과가 입증될 필요가 있어야 한다. 그리고 의무 건강 시스템 안에서 다른 이용 가능한 대안이 없어야 한다. 또한 관련된 질병의 치료 전문가가 처방해야한다. 사례비 추가요금, 가격 추가요금(예: 의료 도구), 병실 추가요금과 같은 일부 비용은 환자에게 법적으로 부과될 수 있으며, 본인부담금(co-payments)과 편의용품 비용(comfort costs)은 급여에서 제외된다.

는 SSF를 신청하기 위해서 다른 민간 보험이나 다른 공공 보험체계로부터 혜택을 받고 있지 않음을 입증해야 한다²⁾.

SSF의 재원은 국가질병장애보험기구의 총 예산(global budget)으로부터 매년 칙령에 의해 결정, 지원되고 정액 예산제(fixed budget)의 형태로 운영이 되고 있다. 대부분의 경우 SSF가 75%를 환급하며 연간 €1250의 최대한도 내에서 25%를 환자가 부담하고 있다³⁾. SSF의 신청은 환자(종종 주치의나 병원의 사회 사업부를 통해)가 신청서를 작성하고, 지역질병금고의 의사에게 신청서를 제출하는 것으로 시작된다. 제출 이후에 신청서는 국가질병금고의 평가를 통과하고 최종적으로 SSF로 이관된다. SSF 내에 있는 의사결정기구인 의학이사협회(College of Medical Directors)는 개별 신청서 파일을 한 달 이내에 평가하고 신청 약품의 급여에 대한 최종 결정을 내린다. SSF는 지역질병금고에서 내린 결과가 긍정적인 경우에 이를 알린다. 결정 이후 15일 이내에 환자가 환급을 받을 수 있게 된다. 환급 신청은 치료 종료에 따라 3년 이내에 반드시 이뤄져야 한다.

다. 캐나다

캐나다도 호주와 동일하게 메디케어(Medicare)인 공공 의료보장체계를 갖고 있다. 이러한 체계 하에서 모든 캐나다 거주민은 병원 및 의사 서비스를 본인부담금 없이 이용할 수 있다. 하지만 처방약은 이 제도의 급여대상이 아니기에, 지역별로 의약품을 지원하는 프로그램을 운영하고 있다.

앨버타 Rare Diseases Drug Coverage Program (RDDCP)은 희귀질환을 앓고 있는 앨버타 주민이 필요한 의약품의 비용을 보장한다. 이 프로그램이 지원하는 치료제는 희귀질환에 대해 캐나다 보건국의 승인을 받은 약이어야 한다⁴⁾. 앨버타 Rare Disease Clinical Review Panel⁵⁾는 이 프로그램과 관련하여 앨버타 보건 당국에 권고하는 역할을 하고 있다.

- 2) 환자는 이에 관한 선언(declaration)을 해야 하는데, 이 선언의 진실성은 입증할 수는 없다.
- 3) 만성질환어린이의 경우, SSF는 연간 €650의 본인부담금이 지불된 이후로부터 발생된 추가 비용을 환급해 줄 수 있다 (KCE, 2010). 환자가 부담하는 금액이 연간 €1250을 넘을 경우 의료 공급자, 병원 또는 제3자가 이러한 비용을 감당할 것으로 보인다. 또한 2007년에 5개의 (비급여) 희귀 의약품을 141명의 환자를 위해 총 €4,084,225(한화 약 52억원, 환자당 €28,966 한화 약3,700만원)를 환급하였고 이는 SSF 총 예산의 35%를 차지했다(KCE, 2009).
- 4) Alberta 보건국은 희귀질환에 대해 캐나다 인구 5만명 당 1명 이하의 유병률을 보이는 유전질환, 라이소좀 저장성 질환으로 정한다. 2009년 4월 1일자로 고셔병, 파브리병, 제1형점액다당류증(후롤러, 후롤러/샤이에 증후군), 헌터증후군, 폼페병의 치료 약물을 보장하고 있다.
- 5) 희귀질환 관련 또는 임상 전문가와 함께 보건부 장관이 임명한 기타 보건 전문가로 구성되었으며, 보장 프로그램과 관련해 임상적 지식 및 기술을 검토하고 개별 신청자에게 그것을 적용하며, 약품의 보장성 및 희귀질환치료제에 대한 임상적 기준과 관련해 약물 평가 및 치료 전문가 위원회(Expert Committee on Drug Evaluation and Therapeutics)에 조언 및 권고를 내리고, 적절한 희귀질환 전문의를 확인하여 발굴하는 역할이 있다.

캐나다 Ontario Public Drug Programs (OPDP)의 Publicly Funded Drug Program는 매년 280만 명에게 38억 달러의 약물을 제공하고 있다. 이러한 프로그램은 5개의 지역 약물 계획을 통해 제공되는데, 그 가운데 희귀질환과 관련된 프로그램은 Inherited Metabolic Diseases Program(IMDP)과 Special Drugs Program(SDP)이 있다. IMDP는 유전성 대사질환을 질환을 앓고 있는 환자들을 지원하기 위한 프로그램이다. 온타리오 보건장기요양부(Ministry of Health and Long-Term Care)가 이 프로그램을 통해 해당 약제비 전액을 보장하고 있다. 보장되는 대상의 품목은 특정 외래환자의 특정 유전성 대사 질환 치료에 사용되는 특정 약물 및 영양 보조제 등을 포함한다. 대상 환자는 온타리오 거주민으로 유효한 온타리오 건강 보험에 가입되어 있는 자이다⁶⁾. Special Drugs Program(SDP)은 특정 외래환자에게 특정 질환이나 상태를 치료하기 위해 약물을 제공하는 프로그램인데, 이 프로그램의 대상자는 유효한 Health Card를 소지한 온타리오 거주민⁷⁾이다. 온타리오의 보건장기요양부가 SDP 약물의 모든 비용을 보장하며, 해당 질환/상태를 위해 적절한 약물이 처방되었는지 확인한다. 일부 경우에는 임상적 기준이 충족되는지 여부를 확인하기 위해 특별한 검토 위원회가 설립되어 있다.

라. 이탈리아

이탈리아는 영국처럼 국가보건서비스(NHS)를 통해 전 국민에게 대부분의 보건의료서비스를 무상으로 제공하고 있다. 보건의료의 재원은 환자의 본인부담금과 일반 세금이다. 비급여 의약품은 포함하는 Class C군을 제외하고, Class H(병원 사용 의약품)를 포함하는 Class A 급여 의약품(필수 의약품 및 만성질환 치료제)의 경우 100% 환급이 된다. 대부분의 희귀의약품은 Class H에 포함되고 병원이나 전문의 센터에서만 처방이 가능한 100% 급여 의약품이다.

반면, 시판 허가 이전의 희귀의약품에 대한 접근성을 높이기 위한 연구 기금으로 2005년부터 '5% AIFA 기금'이 조성되었다. 이 기금은 국가 기금이지만, 재원은 제약사 판촉비의 5%(연간 4천만 유로)이다. 이 기금의 50%는 시장판매 허가 이전의 희귀질환 치료제의 공급(급여)을 위해 반드시 사용되어야 하며, 나머지 50%는 희귀질환 치료제 연구 개발을 장려하고, 이와 연관된 활동(예를 들어, 약물감시 프로그램, 약품의 적절한 사용을 위한 교육)을 위해 사용되어야만 한다.

6) 기금이 지원되는 약품 중 하나가 치료제로 처방되는 유전성 대사 질환으로 진단을 받았고, 지정된 치료 센터의 의사에게 치료를 받는 자여야 한다.

7) 환자는 이 프로그램이 정하는 임상적인 기준에 부합하고, 온타리오의 지정된 치료센터에서 지정된 의사에게 지정된 특정 질환/상태로 치료를 받으며, 담당의사가 해당 질환을 확인하여 SDP에서 보장하는 약의 필요를 입증하는 경우에 해당 치료제의 비용을 보장 받을 수 있는 자격이 된다.

마. 뉴질랜드

뉴질랜드는 일반 세금을 재원으로 하는 보편적 건강 보장 시스템을 운영하는 나라이다. 의약품의 경우 PHARMAC(Pharmaceutical Management Agency)이 의약품의 급여와 Pharmaceutical Schedule를 관리하고 있다. Pharmaceutical Schedule에 포함되지 않은 약품은 어떠한 보조금도 지원 받을 수 없으며, 가격 규제의 대상이 될 수 없다. PHARMAC은 2014년부터 희귀질환 치료제의 접근성 향상을 위한 경쟁적 기금(Contestable fund for medicines for rare disorders, CF)을 제공하기 위해 Request For Proposals(RFP)를 운영하고 있다.

PHARMAC은 이 기금의 재원으로 매년 5백만 뉴질랜드 달러(한화 약 40억 9,000만 원)를 배정해 놓았다. PHARMAC은 약물치료자문위원회(Pharmacology and Therapeutics Advisory Committee, PTAC) 산하에 희귀질환치료제 소위원회(Medicines for Rare Disorders Subcommittee)를 새로 설립하였고, 이 위원회는 희귀질환 치료제에 대해 PTAC 및 PHARMAC에 객관적인 임상 권고를 제안하는 역할을 하고 있다.

바. 스코틀랜드

영국 스코틀랜드는 국가보건서비스(National Health Services, NHS)를 통해 보건의료 서비스를 제공하고 있다. 스코틀랜드는 2011년부터 처방의약품에 대한 본인부담금을 부과하지 않고 있다. 따라서 New Medicines Fund(NMF)는 희귀의약품, 초희귀의약품, 생존말기의약품의 비용을 조달하기 위해 스코틀랜드 보건국(health boards)을 지원하는 기금이다. 이는 Rare Conditions Medicines Fund(RCMF)⁸⁾를 대체하기 위해 2014년에 조성된 기금이다. 이 기금의 기본적인 재원은 국가 보건 예산이지만 스코틀랜드 정부에 제공되는 Pharmaceutical Price Regulation Scheme (PPRS)하에 이루어지는 제약사의 리베이트가 주된 재원이다. NMF를 위해 2014/15년 4천 파운드, 2015/16년 8천 파운드가 배정되었으며, 이는 Scottish Medicines Consortium (SMC)의 약품 평가 과정에 많은 변화를 일으켰다.

8) RCMF는 2013년 3월 인구 2천명당 1명 미만이 겪고 있는 질환의 치료제로 SMC가 권장하지 않은 희귀 의약품을 지원하기 위한 기금으로 시작하였음.

표 1. 국가별 희귀질환 치료 의약품 기금 정책

국가	프로그램	운영주체	보장 품목	평가방법	대상	재원
호주	Life Saving Drugs Program (LSDP)	호주 보건부	PBS(Pharmaceutical Benefit Scheme)에서 급여되지 못한 의약품으로 심각한 질환에 사용되고 생명을 구하는 고가 의약품(희귀의약품 지정 및 시판허가를 받은 의약품).	임상적 기준, 비용효과성 (의약품급여 자문위원회)	Medicare의 자격이 되는 호주 거주민	정부
벨기에	특별연대기금 (Special Solidarity Fund, SSF)	NIHDI 국가질병장애 보험기구	시장 판매 허가를 받지 못한 비급여 고가의 희귀의약품 희귀질환, 희귀적응증 또는 혁신적 기술	SSF 내에 있는 의사결정기구 의학 이사 협회 (College of Medical Directors)가 평가	심각한 질환을 가진 자 및 만성질환을 가진 어린이	국가질병장애 보험기구의 총 예산(global budget)으로 부터 조달.
캐나다	알버타주 Rare diseases Drug program	알버타주 보건부	희귀 유전질환, 라이소좀 저장성 질환약/ 고셔병, 파브리병, 후롤러, 후롤러-사이에증후군, 폼페병	임상적 기준, 전문가 위원회 평가	알버타 의약품 보장 대상자, 알버타 건강보험 최소 5년 등록자	알버타 보건부
	Special drug program (SDP)	온타리오주, ministry of health and long-term care	남포성섬유증, 지중해빈혈, HIV감염치료(AZT), 말기신장질환(erythropoietin), 골수이식(cyclosporine), 성장호르몬, 고셔병(alglucerase)	임상적 기준	온타리오 거주자, health card 소지자 등 지정된 병원/의사에게 치료받는 자	온타리오 보건부
이탈리아	5% AIFA 기금	이탈리아 의약품기구 (AIFA)	시장판매 허가 이전의 희귀질환 치료제		이탈리아 국민	제약사가 AIFA에 지불한 성금 (판촉비의 5%)을 통해 조성
뉴질랜드	Contestable fund for medicines for rare disorders	PHARMAC	희귀의약품	희귀질환의 심각성, 등록 여부, 효과성, 대안적 치료제의 유무	희귀질환자	정부
영국	New Medicines Fund (NMF)	Scotland 정부	희귀의약품, 초희귀의약품, 생존말기약품		Scotland 거주민, 매우 희귀한 상태의 환자이거나 생존 말기의 환자	제약기업을 통해 조달

3. 의약품 별도 기금 도입 타당성에 대한 전문가 의견수렴

본 연구는 희귀질환과 항암 약제에 대한 접근성 향상 방안 및 개선방향에 대한 전문가들의 의견을 이메일 설문조사 방식으로 수렴하였다. 조사는 2016년 9월 9일부터 2016년 9월 26일 까지 약 3주간 이루어졌다. 건강보험심사평가원 내 약제급여평가위원회, 암질환심의위원회 소속 전문가들 총 84명에게 설문지를 이메일로 보냈고, 기간 내에 응답이 온 35건을 대상으로 분석하였다(응답률 42%). 설문은 약제 보장성 확대에 대한 성과평가 및 문제점(본인 부담을 높이는 주된 이유, 희귀질환과 암질환의 약제비 부담정도), 약제 보장성 확대를 위한 별도 기금 도입 필요성 및 운영에 대한 의견(별도기금에 대한 찬반, 별도 기금 운영상의 세부 의견), 혈우병 사례와 같이 본인 부담이 높은 경우에 대한 선택 의견 등으로 구성되었다.

약제급여결정과 관련된 위원들 중 의약품 별도 기금 도입에 찬성하는 의견을 낸 응답자는 희귀질환에 대해서 29명(82.9%), 암질환에 대해서 23명(65.7%)이었다. 별도 기금에 찬성하는 응답 중에는 환자가 치료받은 기본적인 권리가 경제적인 이유 때문에 침해당하지 않았으면 좋겠다는 의견이 압도적이었으며, 건강보험재정의 안정화를 위해서 따로 기금을 만드는 것이 좋다는 의견이 있었다. 그러나 한정된 건강보험의 재정건정성 원칙을 훼손하지 않는 범위에서 가능하다는 의견이 많았다.

별도 기금의 설치를 반대하는 의견으로는 첫째 궁극적으로 건강보험의 급여를 확대하여 급여를 통한 보장성 강화가 이루어져야 하는 것이 바람직하고, 별도의 기금은 예외기준을 두는 것으로 바람직하지 않다고 답하였다. 또한 다른 측면에서의 반대 의견은 타 질환과의 형평성의 문제를 가장 많이 지적하였는데, 희귀질환이나 암질환을 앓고 있는 환자들이 다른 질환을 앓고 있는 환자들에 비해서 더 많은 지원과 보호를 받는 것이 형평성에 어긋난다는 의견이었다. 반대 의견에 따른 대안으로는 R&D기금으로 임상시험을 지원하는 방법과, 국가주도 신약평가 센터를 만들자는 의견, 제약사에 일정기간 약물을 무료로 제공하는 프로그램을 만들자는 의견이 있었다.

4. 나가며

우리나라도 희귀의약품과 항암제를 위한 별도의 기금을 마련하자는 의견이 꾸준히 제시되고 있다. 희귀질환의 경우, 윤리적 및 실제적 가치를 고려해, 기금을 마련하여야 한다는 의견이 상당히 많다. 또한 암환자 특별기금 조성으로 항암신약 등 새로운 치료기회에 소외되지 않게 해야 한다는 환자들의 요구를 반영한 토론회 등이 개최되어 왔다. 반면, 이로 인해 다른 질환의 치료제가 상대적으로 낮은 우선순위로 밀려날 우려가 있고, 현재로서 아직 희귀성이나 암 자체에 대해 특별한 지위를 부여하는 것에 대한 사회적 합의가 이루어지지 않았다는 문제점도 여전히 존재한다. 그럼에도 불구하고, 의약품에 대한 접근성 향상을 위한 별도 기금이 만들어 진다

면, 건강보험의 재정건정성 원칙 하에서 환자가 치료받은 기본적 권리의 보장이라는 목적 하에 운영되어야 할 것이다.

외국의 의약품 별도 기금에 대한 사례를 살펴본 결과, 희귀의약품에 대한 접근성을 높이기 위하여 다양한 형태의 기금이 대부분 국가재정으로 운영되고 있었으며, 구조 차원의 윤리적인 이유로 시행되는 프로그램이 대부분이었다. 또한 희귀의약품은 정부지원 형태의 기금이 대부분이었고, 기본적으로 제공하는 의료 서비스를 통해 보장되지 않는 희귀의약품을 대상으로 하는 사례가 더 많았다. 이는 각국의 우선순위에 따라 보장성을 확대하는 방식을 취하기 때문으로 보인다.

국내에서 이러한 제도 도입을 고려함에 앞서서, 건강보험에 급여결정(등재)의 원칙인 임상적 유용성, 비용효과성을 훼손하지 않되 환자의 의약품 접근성을 높이기 위해서, 구조의 원칙에 입각한 별도 의약품 기금을 도입이 타당한지 사회적 합의를 도출하는 과정이 필요할 것으로 판단된다. X

참고문헌

- 국회예산정책처(2015). 2014회계연도 공공기관 결산 평가 - 건강보험심사평가원 항암제 급여 기준의 문제점과 개선과제. 2015.
- Australian Department of Health: About the PBS. Available from: http://www.pbs.gov.au/info/about-the-pbs#What_is_the_PBS. Accessed 17 Oct (2016).
- Australian Department of Health: Life Saving Drugs Program (LSDP) Program.: Life Saving Drugs Program Criteria and Conditions. Available from: <http://www.health.gov.au/internet/main/publishing.nsf/Content/lscp-criteria> Accessed 11 Oct (2016).
- Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE). Optimisation of the operational processes of the Special Solidarity Fund. KCE reports 133C. 2010. Available from https://kce.fgov.be/sites/default/files/page_documents/kce_133c_special_solidarity_fund.pdf. Accessed 27 Jul (2016).
- Government of Canada. Canada's health care system. Available from: <http://healthycanadians.gc.ca/health-system-systeme-sante/system-systeme/about-apropos-eng.php> Accessed 18 Oct (2016).
- ALBERTA DRUG BENEFIT LIST 2016. Section 4. Rare Diseases Drug Coverage Program. Available from: https://www.ab.bluecross.ca/dbl/pdfs/dbl_sec4.pdf. Accessed 18 Oct (2016).
- Ontario Ministry of Health and Long-Term Care. 2013. Publicly Funded Drug Programs. Available from: http://health.gov.on.ca/en/pro/programs/drugs/funded_drug/funded_drug.aspx Accessed 15 Nov (2016).
- New Zealand Ministry of Health. 2016. Funding. Available from: <https://www.health.govt.nz/new-zealand-health-system/overview-health-system/funding> Accessed 15 Nov (2016).
- PHARMAC. 2016. Contestable fund for medicines for rare disorders. Available from: <https://www.pharmac.govt.nz/news/consultation-2014-07-08-rare-disorders> Accessed 15 Nov (2016).
- PharmaTimes. 2015. Scotland doubles cash for new medicines fund. Available from: http://www.pharmatimes.com/news/scotland_doubles_cash_for_new_medicines_fund_971424 Accessed 10 Oct (2016).
- Folino-Gallo, Pietro, et al. "Pricing and reimbursement of pharmaceuticals in Italy." The European Journal of Health Economics 9, 3, 305-310. (2008).
- AIFA. 2016. The independent research on drugs. Available from: <http://www.agenziafarmaco.gov.it/en/content/independent-research-drugs> Accessed 15 Nov (2016).