



서울시 종로구 율곡로 17길 14 엘림빌딩 3층
전화 (02)3676-6308 팩스 (02)766-6025
<http://www.pharmacist.or.kr> . E-mail:kpkyp@chol.com

문서번호 건약260209-1
시행일자 2026. 02. 09.
담당자 이동근 부대표 (010-9697-0525)
수신인 각 언론사 담당자
제목 [보도자료] 초고가 신약 치료효과 실태 발표 및 신속등재 재검토 촉구 기자회견

초고가 신약 치료효과 실태 발표 및 신속등재 재검토 촉구 기자회견

‘기적의 항암제’ 의 허상과 건강보험 지속가능성은?

- 일 시 : 2026. 02. 09.(월) 오전 10시
- 장 소 : 경실련 강당 (종로구 동숭동 소재)

* 유튜브 생중계 : <https://www.youtube.com/@withccej>

- 순서 (사회 : 남은경 경실련 사회정책팀장)

- 취지 발언 : 김성달 경실련 사무총장
- 실태 발표 : 이동근 건강사회를 위한 약사회 부대표
- 문제 및 개선 : 권혜영 경실련 보건의료위원/목원대 교수
- 요구사항 : 김성주 한국 중증질환연합회 대표

* 참석자는 변동될 수 있습니다.

2026년 02월 09일

경제정의실천시민연합 건강사회를 위한 약사회 한국중증질환연합회

<초고가 신약 치료효과 실태 발표 및 신속등재 재검토 촉구 기자회견>

효과없는 수억원대 초고가 신약, 정부는 면밀한 평가체계 마련하라!

- 기적의 항암제라더니, 환자 10명 중 6명은 '효과없음' -
- 효과없는 신약은 환자에겐 희망 고문, 국민이 임상시험 대상인가? -
- 검증안된 신약에 더 이상 건강보험 재정 낭비해선 안돼 -

□ 경실련, 건강사회를 위한 약사회(이하 건약), 한국중증질환연합회는 <초고가 신약 치료효과 실태 발표 및 신속등재 재검토 촉구 기자회견>을 개최하고 정부에 줄속적인 신약의 건강보험 보장 확대 추진 중단과 사후평가방안 마련을 요구했다.

○ 배경 및 제도 현황

- **약품비 증가와 효과의 불확실성** : 2020~2024년 건강보험공단이 협상한 신약 약품비는 연평균 13.1% 증가하여, 건강보험료 인상률의 약 8배에 달한다. 반면 FDA 가속 승인 항암제를 5년 이상 추적 관찰한 결과, 41%가 전체 생존율이나 삶의 질 개선 효과를 입증하지 못하는 등 고가신약의 효과 검증 절차가 간소화되면서 치료 효과의 불확실성은 큰 상황이다.

○ 정부의 약가제도 개편안 내용 및 문제

- **희귀질환 치료제 '초고속 등재' 추진** : 정부는 희귀질환 치료제의 접근성을 높이기 위해 건강보험 급여 등재 허가 기한을 기존 240일에서 100일로 단축하는 '신속 등재' 정책을 발표했다.
- **가치기반 평가체계 폐지** : 기존에는 임상적 유용성과 비용효과성 등에 대한 검토하는데 150일이 소요되었으나 개편안은 이 과정을 모두 생략하고 허가사항에 따른 급여기준 설정만 1개월 내에 마치는 것으로 변경되었다. 이는 신약의 임상적 가치의 검증 과정을 없애고, 모든 희귀약품이 검증 없이 등재되는 결과를 초래할 것으로 보인다.
- **가치기반에서 외국의 '거품가격'으로 약가결정 방식 전환** : 기존에는 신약의 가치에 기반하여 60일간 협상을 통해 가격을 결정했으나 개선안은 주요 8개국의 표시가격인 '등재 가격' 평균을 참고하여 1개월 내에 결정하게 된다. 외국의 '등재가격'은 실제 거래가격보다 부풀려진 경우가 많은데, 소위 '가짜 가격'을 기준으로 삼아 제약사가 원하는 비싼 가격이 반영될 가능성이 높다.

○ (실태) 초고가 신약의 치료 효과 평가 결과 : ‘기적의 항암제’ 의 허상.

- 정부는 연간 수천만원~수억원에 달하는 초고가 의약품의 불확실성(효과 미비 및 재정 누수)을 관리*하고 있다.
- *(성과기반 위험분담제) 의약품의 효과(성과)개선지표를 충족하는지 확인 후, 이를 달성하지 못 했을 경우 제약사에게 약품비 일부를 부담시켜 효과의 위험을 제약사와 분담하는 방식
- **(사전승인제) 의약품의 불확실성을 관리하기 위해 환자에게 사용하기 전에 환자가 사용 조건에 부합하는지 여부를 승인받아 투약하는 제도
- 건강보험심사평가원이 공개한 고가 신약의 성과평가 자료에 의하면, ‘기적의 항암제’로 불린 김리아주(치료비용:3억 6천만원)는 환자의 59.1%에서 치료 효과가 없었던 것으로 나타났다, 김리아주는 사전승인제 대상은 아니다. 건보재정에서 지출된 비용의 일부는 건보공단에 환급되겠지만 불필요하게 지출된 건강보험 약품비만 약 766억 원으로 추산된다.
 - 투약 전 적격성을 심사하는 사전승인제를 적용받는 스핀라자주(9천2백만원)와 럭스터나(3억 3천만원)조차도 환자의 절반은 치료효과를 보지 못했다.
 - 한국의 초고가 의약품에 대한 프랑스 보건당국(HAS)평가 결과, 전체 목록의 54%에서 기존 약제 대비 효과개선이 없거나 경미하다고 평가했다.

<표3 고가 의약품의 성과평가 결과(건강보험심사평가원)>

연번	약품명	시전 승인	성과지표	대상건수	효과미충족	
					시유	비중
1	에브리스디건조시럽(리스디플람)	0	운동기능평가	4건		25%
2	스핀라자주(뉴시너센나트륨)	0	운동기능평가	4건	성과 미충족	50%
3	럭스터나주(보레티진네파보벡)	0	전시야광역치	6건		50%
4	김리아주(티사전렉류셀)	X	무진행생존	494건	사망 질병진행 초저순실	16.6% 41.7% 0.8%
5	졸겐스마주(오나셈노진아베파르보벡)	0	운동기능평가	24건	사망	총 59.1%
더불어민주당 서영석 의원실						4.2%

○ (문제점 1) 옥석을 가리는 평가체계를 고도화하지 않고 아예 폐지

- 우리나라 초고가 신약의 성과 평가결과에 의하면 터무니없이 비싼 가격에 걸맞지 않은 효과를 내는 것으로 확인됐다. 정부는 불확실성을 가진 초고가 신약에 대한 효과평가체계를 8개 성분(13개 적응증)에 적용해왔지만 그 평가 결과를 공개하지 않아 환자에게 신약의 치료효과에 대한 막연한 환상을 심어주고 있다. 주요 선진국에서는 초고가 신약에 대한 평가결과를 투명하게 공개하고 있다.(프랑스 초고가 신약에 대한 평가 결과 공개_본문 **표5 참조**)
- 희귀질환자에게 중요한 것은 효과 좋은 약을 신속히 도입하는 것이다. 이를 위해 정부는 옥석을 가려주는 평가체계를 운영하고 그 결과를 환자에게 투명하게 공개하여 환자가 치료가능성을 예측할 수 있도록 해야 한다.
- 그러나 정부의 개편안은 옥석을 가리는 평가체계를 고도화하는 것이 아닌 아예 폐지하여 “효과없음”에 대한 위험과 약값 부담을 환자에게 전가하는 방향으로 개악됐다. 기존 제약사가 급여 신청 시 ‘임상적 유용성 평가’ 와 ‘경제성 평가(효과 대비 적정 가격)’ 절차를 생략해 사전 검증을 면제하여 문턱을 낮췄지만, 이를 보완할 핵심 수단인 ‘종합적 사후평가’는 방법론조차 부재한 상황이다. 환자의 접근성 강화가 아닌 안전 위협방안이 될 것이다.

○ (문제점 2) 개선된 효과에 부합하는 합리적 가격결정체계 폐지

- 개선된 효과에 부합하는 가격을 결정하는 가치기반 약가결정방식(value for money)를 폐지하고 외국 8개국의 가짜 가격을 참고하여 국내 약가를 결정할 경우 ‘거품 낸 가격’을 반영하는 퇴행적 가격제도로 전락할 우려가 크다.
- 7년 이내 식약처 승인 후 아직 급여되지 않은 희귀의약품이 60개(성분 기준)에 달한다. 이 중 53개 의약품의 평균 치료비용은 2.7억원에 달했다(부록 참고). 향후 제약사가 제시하는 가격을 그대로 받아들일 경우 추가로 등재될 희귀의약품 약품비는 최소 1조 5천억원이 추가로 발생할 것으로 추정된다(1개 치료제당 연간 100명씩 사용한다고 가정).

○ (요구사항) 암 등 희귀중증질환자에게 신약은 생명과 직결된 절박한 문제이다. 신약의 효과에 대한 정보가 충분히 제공되지 않아 환자는 막연한 기대로 의약품을 복용하지만 기대보다 효과없는 신약은 환자에게 또 다른 좌절감을 줄 뿐이다. 정부는 효과의 불확실성을 지닌 의약품에 대해 옥석을 가리는 체계를 마련하고 환자에게 그 정보를 투명하게 공개해야 한다. 그러나 정부는 신약 접근성의 속도만을 강조할 뿐 불확실한 위험과 재정부담을 환자와 국민에게 전가하려 하고 있다. 이에 우리 단체는 정부의 졸속적인 신약 신속 등재 및 약가결정 제도 개편 추진에 대해 깊은 우려를 표한다. 환자와 국민 모두를 위한 의약품 정책이 되기 위해서는 ▲ 초고가 의약품에 대한 면밀한 평가체계 마련과 투명한 결과 공개, ▲ 세계적 흐름과 역행하는 A8 평균가 결정방식 철회 ▲ 급증하는 약품비에 대한 관리방안이 마련되어야 한다. 정부는 '깜깜이' 행정을 멈추고 사회적 합의를 통해 제도를 도입해야 한다. 환자 안전이 보장된 신속접근, 엄격한 평가체계, 그리고 이를 뒷받침할 재정관리가 유기적으로 작동해야 한다. 이에 우리는 보건복지부에 다음과 같이 요구한다.

- **신약 효과 평가 결과를 전면 공개하라** : 환자의 알 권리를 보장하고 막연한 기대를 방지하기 위해 임상적 유용성 평가 결과(QALY 등)를 공개해야 한다.
- **구체적 사후평가 방안을 마련하라** : 신속 등재 도입 전, 효과 불확실성을 통제할 수 있는 엄격한 사후 검증 체계를 우선 구축해야 한다.
- **고가 신약으로 인한 재정관리방안을 마련하라** : 신속 등재 시 예상되는 투명한 재정 소요 규모와 구체적인 재원 조달 방안을 공개해야 한다.
- **사회적 논의 기구를 구성하라** : 밀실 행정을 중단하고 환자, 국민, 전문가가 참여하는 공정한 논의를 통해 약가제도를 개편해야 한다.

[첨부.1] 초고가신약 치료효과 분석 실태 및 개선방안(총 13매)

초고가신약 치료효과 분석 실태 및 개선방안

1. 배경 및 목적

- (건보료보다 8배 빨리 뛰는 신약 약제비) 최근 신약 시장은 소수의 환자와 특정 적응증을 대상으로 하는 항암제 및 희귀질환 치료제 중심으로 재편되고 있으며, 이들은 초고가 전략을 통해 진입하고 있다. 2020년부터 2024년까지 이러한 (협상) 신약의 약품비는 연평균 13%씩 증가해왔다. 이는 동기간 건강보험료 인상률의 8.4 배에 달한다. 이처럼 신약의 고가화는 건강보험 재정에 막대한 부담을 주고 있다. 고가 신약 보장에 따른 건강보험 재정 지속가능성의 위협은 재정여력이 있는 선진국도 마찬가지로 어려운 과제이다.

< 표 1 신약 및 항암희귀약품비 증가율 >

(단위: 조 원, %)

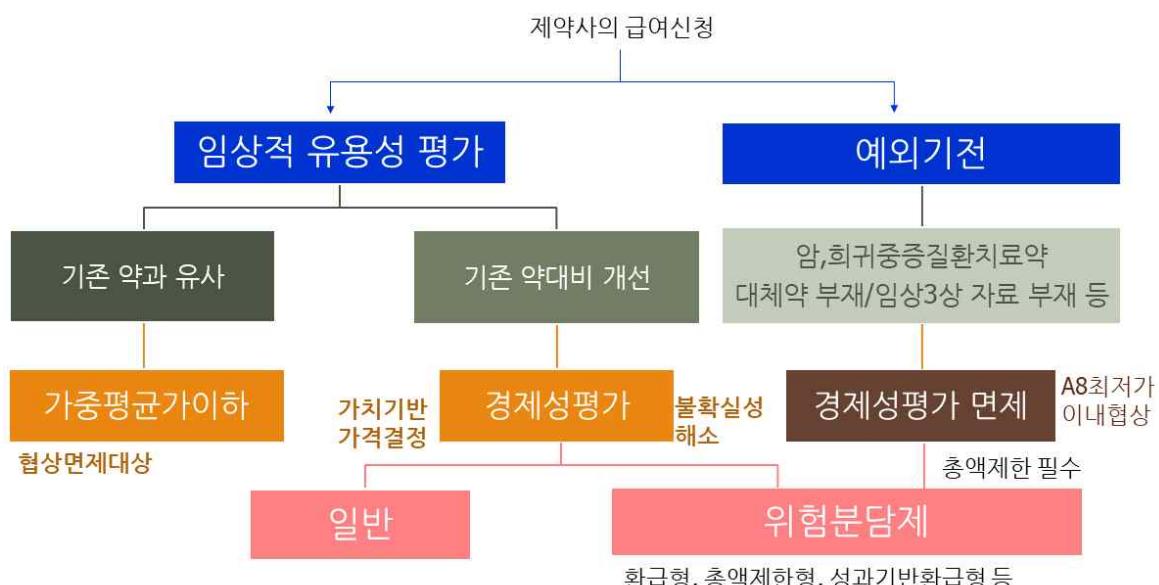
구분	2020년	2021년	2022년	2023년	2024년	CAGR
건강보험료율 (인상율)	6.67% (3.2)	6.86% (2.89)	6.99 (1.89)	7.09% (1.49)	7.09% (0)	1.5%
진료비	81.1	88.1	98.1	107.5	111.1	8.2%
약품비	19.9	21.2	22.9	25.6	26.8	7.7%
신약* 약품비	3.37	3.80	4.24	4.95	5.50	13.1%

통계청: KOSIS, 서미화 의원실(*협상신약)

○ (신약의 급여 및 약가결정체계) 국내 약가 제도는 식약처 허가 후 심평원의 임상적 유용성평가를 통해 가치에 부합하는 약가결정체계(Value for money)를 운영해 오고 있다. 더불어 모든 의약품을 등재하는 것이 아니라 선별된 의약품을 급여하는 '선별등재(Positive List)'방식을 원칙으로 한다. 그러나 신약의 임상적 가치를 평가하는 과정이 신속한 환자의 신약 접근성을 제한한다는 지적에 따라, 정부는 2015년부터 '경제성평가 자료제출 생략제도(이하 경평면제)'를 도입했다. 이는 대체 치료제가 없거나 치료효과가 크게 개선된 희귀질환 치료제나 항암제에 한해, 임상적 유용성평가를 하지 않고 도입되는 예외적 조치였다.

- 하지만 이 예외적 조치가 남용되면서 그 비율이 점점 증가하고 있다. 항암제의 42.9%, 희귀질환치료제는 25%가 경평 면제로 진입하고 있으며, 이들 약제의 환자당 약품비는 일반 평가 약제보다 최대 8.5배 높았다. 연 평균 약품비 또한 35.6%로 가파르게 치솟고 있다
- 더욱 심각한 문제는 경평면제가 대조군 임상시험이 없어 경제성 평가가 불가능한 약제를 위한 제도였지만 실제로는 3상 임상이나 대조군이 있는 2상 임상 데이터를 보유한 약제(33개 중 21개)까지 이 제도로 혜택을 받았다는 점이다. 해외에서는 대부분 경제성 평가를 거치 약제들이 국내에서는 '평가 면제'라는 방식으로 손쉽게 고가로 등재되고 있는 것이다.

<그림1 신약의 급여평가 및 약가결정 체계>



○ (비싼 몸값의 신약, 효과는 '물음표') 최근 쏟아지는 고가 항암제 및 희귀질환치료제들은 연간 치료비용이 9천만원에서 약 20억까지 엄청난 고가로 등재되고 있다. <표 2> 그러나 이들 초고가의약품이 안고 있는 가장 큰 딜레마는 바로 '불확실성'이다. 여러 나라에서 평가한 결과에 따르면 초고가 신약은 그 가격에 걸맞지 않은 효과를 나타내는 것으로 확인되었다. 이에 따라 초고가 신약의 효과에 대한 불확실성을 관리하는 것은 정부의 중요한 역할이라 할 수 있다. 효과에 대해 충분히 검증되지 않은 신약의 무분별한 도입은 그 위험과 재정적 부담을 환자와가입자가 감당해야하는 것을 의미하기 때문이다.

<표 2 우리나라의 초고가 신약등재현황>

연번	약품명(성분명)	적용증	상한금액(원)
1	에브리스디건조시럽(리스디플람)	척수성 근위축증	9,520,000
2	과지비주4.5mg/mL(디누툭시맙메타)	신경모세포증	11,482,566
3	헵리브라피하주사150mg(에미시주맙)	A형 혈우병	12,000,000
4	리브말리액(마라릭시벳)	알라질증후군 답즙정체성 소양증	29,002,835
5	스핀라자주(뉴시너센나트륨)	척수성 근위축증	92,359,131
6	럭스터니주(보레티진네파보벡)	유전성 망악질환	325,800,000
7	김리아주(티사젠렉류셀)	림프성 백혈병/림프종	360,039,359
8	졸겐스마주(오나셈노진 아베파르보벡)	척수성 근위축증	1,981,726,933

- (미국) 2024년 미국의학협회지(JAMA)¹⁾에 발표된 연구에 따르면, 2013~2017년 FDA 가속 승인을 통과한 항암제를 5년 이상 추적 관찰한 결과 41%(19/46)가 전체 생존율이나 삶의 질을 개선하지 못했으며, 나머지 15%(7/46)은 아직 결과를 내놓지 못하고 있다. 또한, 5개 중 1개 꼴인 22%(10/46)는 효능 부족 등으로 시장에서 퇴출(허가철회) 된 것으로 밝혀졌다.
- (영국) 2017년 BMJ²⁾에 발표된 연구에 따르면, 2009-2013년간 EMA(유럽의약품국)의 허가받은 항암신약(68개 적용증, 48개 품목)의 효과를 후향적으로 조사한 결과, 허가 시점에 44개(65%)의 적용증에서 생존연장의 근거를 보여주지 못했는데, 시판후 조사 기간동안 생명연장을 입증한 경우는 7%(3개), 삶의 질 개선은 11%(5개)에서 나타났다. 나머지 82%는 생명연장의 근거를 보여주지 못하였다.
- (프랑스) 2019년 보고서³⁾에 따르면, 75개의 적용증에 대한 평가결과 70%가 기존 치료약 대비 효과가 낮거나 불충분한 것으로 나타났다.

1) Liu et al(2024) Clinical Benefit and Regulatory Outcomes of Cancer Drugs Receiving Accelerated Approval. JAMA
 2) Davis et al(2017), Availability of evidence of benefits on overall survival and quality of life of cancer drugs approved by European Medicines Agency: retrospective cohort study of drug approvals 2009–13 BMJ
 3) HaeringM., French Early Access Compassionate Use Program ATU : Still an Eternal Flame ? July 2019

○ (검증은 폐싱, 가격은 거품... 정부의 약가제도 개편 추진) 정부는 11.28 약가 개편안을 통해 희귀질환 치료제의 급여 등재 기간을 기존 240일에서 100일로 단축하는 '신속등재'정책을 발표했다. 이는 복잡한 검증 절차를 최소화하여 환자의 치료제 접근성을 높이겠다는 취지다.

- 구체적으로 제약사가 급여를 신청할 경우, 기존에 150일 소요되던 '임상적 유용성 평가(대체 약제 대비 치료 이득)' 와 '경제성 평가(효과 대비 적정 가격)' 절차를 생략하고 30일만에 급여 기준을 설정하는 것이 핵심이다. 문제는 속도에 치우친 나머지 안전장치가 실종되었다. 다수의 희귀 의약품에 대해 사실상 사전 검증을 면제하여 문턱을 낮췄지만 이를 보완할 핵심 수단인 '종합적 사후평가'는 아직 구체적인 방법론조차 마련되지 않았다.
- 가격 산정 기준의 거품 논란 또한 심각하다. 정부는 약가 협상 기간을 60일에서 1개월로 줄이면서 신속한 합의를 위해 주요 8개국(A8)의 '등재 가격'의 평균을 기준으로 약가를 책정하도록 했다. 그러나 해외의 경우 환급(Payback) 등 실제 구매 가격은 등재 가격보다 훨씬 낮게 형성된다. 결국 한국은 해외의 명목상 가격인 '거품 낀 가격'을 그대로 수용할 위험이 크다.

그림 2 희귀질환 치료제 신속 등재 절차(안) 2025.11.28

① 희귀질환 치료 접근성 제고										
<p>□ [현행] 희귀질환 치료제는 근거확보(대상환자 小) 등이 제한되나 일반 신약과 동일 절차로 평가함에 따라 현장에서 신속한 사용 제약</p> <p>* 경제성평가 생략 등을 통해 희귀질환 치료제의 급여평가 기간 단축 노력 중이나, 여전히 생략대상 여부 등을 先평가함에 따라 신속 급여화 한계</p>										
<p>□ 개선(안)</p>										
<p>○ (신속 급여화) 급여적정성 평가 및 협상 간소화를 통해 희귀질환 치료제의 신속 등재 추진 (現 최대 240일 → 改 100일 이내, '26~)</p> <p>* 일정 : 건강보험 시범사업 형태로 우선 착수('26.上) → 규정 정비하여 제도화</p> <p>- 등재 치료제는 임상적 성과 등을 종합적 사후평가 및 반영</p>										
<p style="text-align: center;">< 희귀질환 치료제 신속 등재 절차(안) ></p> <table border="1" style="width: 100%; border-collapse: collapse;"> <tr> <td rowspan="2" style="width: 20%;">안전성·유효성 심사</td> <td rowspan="2" style="width: 20%; text-align: center;">→</td> <td style="width: 20%; text-align: center;">급여기준 설정 (약평위 등)</td> <td rowspan="2" style="width: 20%; text-align: center;">→</td> <td style="width: 20%; text-align: center;">약가*, 총액제한액, 공급의무 협상</td> <td rowspan="2" style="width: 20%; text-align: center;">→</td> <td style="width: 20%; text-align: center;">건정심 등</td> </tr> <tr> <td style="text-align: center;">심평원 (최대 150일 → 1개월)</td> <td style="text-align: center;">건보공단 (최대 60일 → 1개월)</td> <td style="text-align: center;">복지부 (1개월)</td> </tr> </table> <p>* 약가 例) 제외국 평균가의 일정 수준으로 산정</p>	안전성·유효성 심사	→	급여기준 설정 (약평위 등)	→	약가*, 총액제한액, 공급의무 협상	→	건정심 등	심평원 (최대 150일 → 1개월)	건보공단 (최대 60일 → 1개월)	복지부 (1개월)
안전성·유효성 심사			→		급여기준 설정 (약평위 등)		→	약가*, 총액제한액, 공급의무 협상	→	건정심 등
	심평원 (최대 150일 → 1개월)	건보공단 (최대 60일 → 1개월)		복지부 (1개월)						

○ (환자 안전과 건보 재정을 위협하는 '위험한 개편안' 재검토 필요) 이번 개편안은 '효과가 불확실한 신약의 사용'과 '건강보험 재정 운영'에 큰 영향을 미칠

것으로 보인다. 현행과 같이 면밀한 검토 없이 졸속으로 추진될 경우, 환자의 안전이 위협받고 국민의 건강보험료 부담이 가중되는 부작용을 피할 수 없다. 환자의 생명권 보호를 위해 신약 접근성을 높이려는 정부의 노력은 지속되어야 하나, 평가관리체계가 부재하고 재정적 점검이 결여된 정부의 개편안은 지극히 위험하다.

- 이에 그동안 제한적으로 이뤄졌던 초고가 등재 의약품의 임상효과 평가 현황을 점검하고, 향후 등재가 예상되는 미등재 희귀의약품의 재정 소요 규모를 추계하여, 정부가 졸속으로 추진중인 약가제도 개편안의 문제점을 구체적으로 지적하고자 한다.

2. 조사 개요

- 조사대상
 - 2025년까지 적용된 성과기반 위험분담제 대상 8개* 고가 의약품 중 5개 성분
**스핀라자주(2019), 킴리아주(2022), 줄젠크스마(2022), 에브리스디(2023), 럭스터나(2024), 콰지바(2024), 빌베이(2025), 리브말리액(2025)*
 - 신약의 성과평가 결과(건강보험심사평가원 공개)*
- (불확실성을 낮추기 위한 위험분담제와 사전승인제) 초고가 신약의 효과에 대한 불확실성을 최소화하기 위해 많은 선진국에서는 성과기반 위험분담제와 사전승인제를 운영하고 있다.
 - 성과기반 위험분담제란 의약품의 효과(성과)개선지표를 충족하는지 확인 후, 이를 달성하지 못했을 경우 제약사에게 약품비 일부를 부담시켜 효과의 위험을 제약사와 분담하는 방식으로 2025년 말 기준 8개 성분에 적용.
 - 사전승인제란 의약품 효과의 불확실성을 관리하기 위해 환자에게 사용하기 전에 환자가 사용 조건에 부합하는지 적절성을 승인받아 투약하는 제도로 7개 성분에 적용.

3. 초고가 의약품의 효과평가 결과

○ 성과기반 위험분담제를 적용하고 있는 초고가 신약 5개 성분에 대한 성과평가 결과를 조사한 결과, 상당수 사례에서 치료 효과가 미충족된 것으로 나타났다.

- ‘기적의 항암제’로 불렸던 ‘킴리아 주’는 총 494명의 환자 중 59.1%에 달하는 292명에게서 치료 효과가 없었다(질병 진행, 사망 등). 이로 인한 재정 손실도 막대하다. 2022년부터 2024년까지 킴리아주에 투입된 1,296억 원 중, 효과를 보지 못한 케이스에 지급된 약품비도 약 766억 원으로 추산된다.
- 또한 투약 전 사전 승인이라는 엄격한 절차를 거치는 ‘스핀라자주’와 ‘럭스터나주’ 조차 성과 지표 달성을 50%에 머물렀다. 이는 면밀한 사전 검토를 거쳐 투약하더라도 초고가 신약의 절반은 기대한 효과를 거두지 못하고 있음을 시사한다.

<표3 고가 의약품의 성과평가 결과(건강보험심사평가원)>

연번	약품명	사전 승인	성과지표	대상건수	효과미충족	
					시유	비중
1	에브리스디건조시럽(리스디플립)	0	운동기능평가	4건		25%
2	스핀라자주(뉴시너센나트륨)	0	운동기능평가	4건	성과 미충족	50%
3	럭스터나주(보레티진네파보벡)	0	전시야광역치	6건		50%
4	킴리아주(티사전렉류셀)	X	무진행생존	494건	시망 질병진행 추적손실	16.6% 41.7% 0.8% 총 59.1%
5	줄겐스마주(오나셈노진아베파르보벡)	0	운동기능평가	24건	시망	4.2%

더불어민주당 서영석 의원실

4. 문제 및 개선방안

1) 기대보다 효과없는 초고가 신약, 옥석 가려내는 평가체계 강화해야

○ (생각보다 드라마틱하지 않은 신약의 효과) 주요 선진국에서는 초고가 신약에 대한 평가결과를 공개하고 있다. 이는 환자들에게 신약의 효과를 명확하게 알리고, 불필요한 기대를 갖지 않도록 하는 효과가 있다. 대표적으로 프랑스 보건고등청 (HAS)의 평가 결과를 공개하고 있다. <표 3>에 따르면, 국내에 경제성 평가를 생략한 채 도입된 고가 의약품의 “상대적 임상개선정도(ASMR)”를 등급별로 확인했을 때 II등급(중요한 개선) 이상을 받은 신약은 럭스터나주에 불과하였다. 대부분 신약이 대체약제 대비 경미한 개선(IV등급)을 보이거나 개선이 없는(V등급) 경우로 평가되었다.

<표 4 프랑스의 초고가 신약에 대한 평가결과>

연번	약품명	ASMR	평가사유
1	에브리스디간조시럽 (리스디플립)	III IV	스핀라자, 졸겐스마와 유사, SMA 1형, 2형, 3형 SMN2 유전자를 1~4개 보유한 전조증상
2	콰지바주(디누룩시맙베타)	IV V	고위험 신경모세포종 재발/불응성 신경모세포종
3	헬리브라피하주사(에미시주맙)	V	30MG/ML, 150MG/ML
4	리브클리액(마리릭시벳)	III	빌베이(오데빅시벳)과 유사
5	스핀라자주(뉴시너센나트륨)	III V	SMA 1형 및 2형, SMN2 유전자 2~3개 보유한 무증상 소아환자 SMA 3형
6	렉스터나주(보레티진네파보벡)	II	성인 및 소아에서 임상적 가치 중요
7	김리아주(티사전렉류셀)	III IV	B세포 급성림프구성 백혈병 미만성 거대 B세포 림프종(DLBCL)
8	졸겐스마주(오나셈노진 아베파르보벡)	III V	SMA 1형, SMN2 유전자 2~3개 보유한 전조증상 SMA 2형, SMN2 유전자 3개 보유한 전조증상

ASMR(Amélioration du Service Médical Rendu), 상대적 임상가치로 기존 약 대비 개선 정도

I, 혁신적 개선; II, 중요한 개선; III, 중등도 개선; IV, 경미한 개선; V, 개선없음

WWW.HAS-SANTE.FR

○ (견고한 평가체계의 강화 필요) 효과의 불확실성을 지닌 신약에 대해 더 견고한 평가체계를 갖추어야 한다. 정부는 이번 약가 개편을 통해 그나마 소수의 신약에 적용하는 성과기반 위험분담제도 폐지하고 그에 부합하는 평계체계도 갖추지 않은 채 신속등재와 A8 조정가격으로 등재하려하고 있다. 이는 50% 이상의 절박한 환자들에게 그들의 삶이 드라마틱하게 개선될 것이라는 희망고문을 하는 셈이다.

○ (치료효과 평가 결과 공개) 심각한 정보 비대칭 속에서 막연한 기대와 절박함을 가질 수 밖에 없는 환자에게 왜곡된 정보에 의존하지 않고 합리적인 선택을 할 수 있도록, 보험자인 당국은 객관적이고 정확한 정보를 제공할 의무가 있다. 건강보험심사평가원은 합리적인 의약품 사용을 유도하기 위해 모든 신약에 대해 임상적 유용성 평가 결과를 공개하여, 환자와 의료진의 합리적 의사결정을 지원해야 한다.

- 현행 신약의 효과평가는 경제성 평가를 통해 효과개선정도(incremental QALY)를 산출하고 있다. 주요 선진국에서는 이러한 평가결과를 공개하여 환자들에게 신약의 효과를 명확하게 알리고, 왜곡된 정보로부터 보호하고 있다.

○ (사전승인제 적용강화) 불확실한 효과를 지닌 초고가 의약품에 대해 불확실성을 낮추고 재정낭비를 최소화하기 위해서는 사전승인제 적용을 강화해야 한다. 사전승인제를 적용하는 약도 그 효과가 50%에서 나타나지 않은 점을 고려한다면, 처방의사의 자격을 제한하고, 성과지표에 대해 환자의 의견을 반영하는 등 충분한 효과가 기대되는 환자군을 면밀히 검토하여 신약의 효과가 최대한 나타날 수 있도록 하여야 한다.

2) 초고가 신약 재정지출 증가, 재정지속성을 위한 관리방안 마련해야

- (효과없는 초고가 의약품에 대한 사후대책 부재) 앞서 살펴본 바와 같이 59%의 환자에서 효과없는 킴리아에 대해 766억 원의 건강보험재원이 낭비되었는데 정부는 아무런 조치를 하고 있지 않다. 약값을 인하하거나 등재목록에서 삭제, 효과를 보인 일부 환자에게 별도지원체계를 마련하여 치료의 연속성을 보장하는 등의 조치는 선진외국에서 강력하게 도입되어 적용되고 있다. 이러한 조치를 취하지 않는 정부는 건강보험재정을 악화시키는 1등 공신이며 가입자의 보험료부담과 건강보험의 지속가능성을 위협하는 주범이라 할 수 있다.
- (예상되는 약품비 급증에 대한 대책부재) 신약의 약품비는 총 진료비와 총 약품비를 초과하는 연간 13.1%로 급증하고 있다. 정부가 추진하는 신속등재 절차 도입으로 연간 치료비가 수천만~수억 원에 달하는 초고가 의약품의 급여 진입이 가속화될 전망이다. 아직 등재되지 않았지만 이미 허가받은 희귀의약품 53개의 연간 평균 약품비는 약 2.7억 원이 될 것으로 예상된다. 이들 의약품이 아무런 평가체계 없이 등재되는 경우, 이로 인한 재정지출은 엄청난 속도로 가파르게 상승할 것으로 예상된다.

- [부록 참고] 53개 신약의 연간 약품비 총액 150억 원, 환자수 100명으로 추정시 약 1조 5천억 원 추가 예상

3) 터무니 없는 비싼 가격이 아닌, 효과에 부합하는 합리적 가격 책정해야

- (다국적 제약사의 독점적 지위 남용 방지 및 합리적 약가 수용) 제약사는 환자의 절박함을 이용해 정보를 왜곡하거나, 이른바 ‘코리아 패싱’을 언급하며 공급 거부를 시사하는 등 환자 접근성을 볼모로 한 비윤리적 영업 행태를 중단해야 한다. 각 국가들의 약가 결정체계를 무력화하려는 시도를 멈추고, 전 세계적으로 통용되는 ‘개선된 효과에 부합하는 적정가격’ 원칙을 한국 시장에서도 성실히 이행해야 한다.
- (환자 접근성 강화를 위한 사회적 책무 이행_기금 조성) 급여 등재 지연으로 인한 사각지대를 해소하기 위해 제약사는 별도의 환자 지원 기금 조성에 적극 참여해야 한다. 시혜성 ‘무상 지원 프로그램’을 마케팅 수단으로 활용하는 관행을 버리고, 경제적 이유로 치료받지 못하는 환자를 돋는 실질적이고 제도적인 사회적 책무를 다해야 한다.

5. 요구사항

암 등 희귀중증질환자에게 신약은 생명과 직결된 절막한 문제이다. 신약의 효과에 대한 정보가 충분히 제공되지 않아 환자는 막연한 기대로 의약품을 복용하지만 기대보다 효과없는 신약은 환자에게 또 다른 좌절감을 줄 뿐이다. 정부는 효과의 불확실성을 지닌 의약품에 대해 옥석을 가리는 체계를 마련하고 환자에게 그 정보를 투명하게 공개해야 한다. 그러나 정부는 신약 접근성의 속도만을 강조할 뿐 불확실한 위험과 재정부담을 환자와 국민에게 전가하려 하고 있다. 이에 우리 단체는 정부의 졸속적인 신약 신속 등재 및 약가결정제도 개편 추진에 대해 깊은 우려를 표한다. 환자와 국민 모두를 위한 의약품 정책이 되기 위해서는 ▲ 초고가의약품에 대한 면밀한 평가체계 마련과 투명한 결과 공개, ▲ 세계적 흐름과 역행하는 A8 평균가 결정방식 철회 ▲ 급증하는 약품비에 대한 관리방안이 마련되어야 한다. 정부는 ‘깜깜이’ 행정을 멈추고 사회적 합의를 통해 제도를 도입해야 한다. 환자 안전이 보장된 신속접근, 엄격한 평가체계, 그리고 이를 뒷받침할 재정관리가 유기적으로 작동해야 한다. 이에 우리는 보건복지부에 다음과 같이 요구한다.

1) 기존 등재 신약의 효과평가 결과를 공개하라

○ 정보 비대칭 해소 및 알권리 보장 : 건강보험심사평가원은 2007년부터 축적된 신약의 임상적 유용성 평가 결과를 전면 공개해야 한다. 이를 통해 환자와 국민이 신약에 대해 막연한 환상이 아닌, 객관적인 데이터에 기반하여 ‘옥석’을 가릴 수 있도록 지원해야 한다.

○ 환자 보호를 위한 최선의 방법 마련 : 객관적 정보 제공은 국민이 맹목적인 기대로 인해 스스로를 임상시험 대상으로 만드는 위험을 막는 길이다. 환자들이 제약사의 일방적 정보제공에 의존하지 않고, 정부가 공인하는 객관적 데이터를 바탕으로 최선의 치료를 받을 수 있는 환경을 조성해야 한다.

2) 정부가 도입하려는 신속 등재 도입에 따른 구체적인 사후평가 방안을 공개하라

○ 불확실성 통제 장치 마련 : 초고가 신약의 불확실성을 안고 도입되는 신속등재 제도는 반드시 엄격한 사후평가를 전제로 해야 한다. ‘옥석 가리기’가 가능한 구체적인 사후평가 체계 없이 제도가 도입되어선 안된다.

- **효과에 부합하는 가격결정체계 마련** : 효과없는 초고가 신약을 터무니 없이 높은 가격이 설정되지 않도록 효과와 가격이 연동되는 체계를 강화하여야 한다. 높은 가격결정은 환자의 의약품 접근성을 저해하는 주된 이유가 된다.

3) 정부는 고가 신약으로 인한 재정관리방안 마련하라

- **재정 건전성 확보** : 효과없는 신약에 대해 불필요하게 지출된 재원에 대한 관리체계를 마련해야 한다. 더불어 신속등재 도입으로 예상되는 재정추계와 재원조달방안을 투명하게 공개해야 한다.
- **급증하는 약품비의 안정적 관리**: 고가 신약의 적극적 도입에 따른 약품비 증가가 가속화될 것으로 예상되나 이에 대한 재정관리방안은 마련되어 있지 않다. 가격으로만 재정을 관리하려는 복지부는 단순한 가격중심 재정관리체계에서 벗어나 사용에 대한 규제책도 마련하여야 한다.

4) 환자와 국민 중심 약가제도 개편을 위한 사회적 논의 기구를 구성하라.

- **사회적 합의 우선기반의 정책 추진**: 효과가 불분명한 신약으로 국민을 ‘잠재적 임상시험 대상’으로 만드는 설익은 정책은 중단되어야 한다. 합리적인 의약품 정책은 환자의 치료 효과성뿐만 아니라 국민이 감당해야 할 비용 부담의 적정성까지 고려해야 한다. 이를 위해서는 일부 이해당사자만 전제한 일방적 추진을 타파해야 한다. 우리는 밀실 행정이 아닌 폭넓은 사회적 논의와 합의를 통해 정책의 정당성과 안정성을 확보할 것을 촉구한다. 정부는 지금 당장 투명하고 공정한 사회적 논의체 구성에 착수하라. 끝

2026년 02월 09일

경제정의실천시민연합 건강사회를위한약사회
한국중증질환연합회

[부록] 허가받은 희귀의약품의 신속등재 시 재정추산

- 정부의 계획대로 신속심사 제도 도입이 시행되는 경우 다수의 희귀의약품이 급여권에 진입할 것으로 예상된다. 그러나 이에 따른 재정추계나 구체적인 재원 마련 계획은 여전히 부재한 실정이다.
- 효과성 검증 과정을 생략하고 급여가 될 경우 급여 가능한 신약은 수십개에 달한다. 식약처의약품 허가보고서(2018~2024년)를 통해 최근 7년간 허가된 희귀의약품 96개를 전수 조사한 결과, 2026년 1월 기준으로 급여 등재에 성공한 약제는 19개에 불과했다.
 - 아직 급여 등재 되지 않은 77개 품목(60개 성분) 중 비용 추계가 가능한 53개 희귀의약품을 분석하였다. 그 결과 1개 의약품 당 평균 치료비용이 약 2.7억원으로 나타났다. 만약 53개 의약품을 모두 급여화되고 각 품목당 100명의 환자가 사용할 경우,⁴⁾ 소요되는 약품 비는 무려 1조 5천억 원에 달할 것으로 추산된다.

[미등재 희귀의약품 등재 시 재정 추산]

$$\begin{aligned} &= 53\text{개 약품} \times \text{총액} \times \text{사용 환자수} \\ &= \text{약 } 150\text{억 원} \times 100\text{명} \\ &= 1\text{조 } 5\text{천억 원} \end{aligned}$$

<부록표. 2018년 이후 허가된 의약품 중 급여등재되지 않은 희귀의약품>

No	제품명	효능효과	예상 연 치료비용
1	젠포자임주(올리푸다제알파)	소아 및 성인 환자에서 신성 스팽고미엘린 분해효소 결핍(ASMD)의 비-중추신경계 증상 치료를 위한 효소 대체 요법	약 7억 6,000만 원 (미국 가격, 소아 기준)
2	아키기정(나라파립, 아비라테론)	BRCA 변이 전이성 거세 저항성 전립선암 환자의 치료(프레드니솔론 병용)	약 7억 2,300만 원 (미국 가격 기준)
3	브리뉴라주세르리포나제알파	2형 신경세포 세로이드라이포푸신증(CLN2)의 치료	약 7억 원 (미국 가격 기준)
4	암부트라프리필드시린지주(부트리시란나트륨)	트랜스티레틴 가족성 아밀로이드성 다발신경병증(1단계 또는 2단계)	약 6억 원 (국내 보도 기준)
5	기텍스주(테두글루타이드)	비경구 영양에 의존하고 있는 만 1세 이상의 단장증후군 환자의 치료	약 5억 8,000만 원 (미국 가격 기준)
6	라이답연질캡슐(미도스타우린)	FLT3 변이 양성 급성 골수성 백혈병 및 전신성 비만세포증 치료	약 5억 8,000만 원 (국내 병원 비급여 기준)
7	엡킨리주(엡코리타맙)	두 가지 이상의 전신 치료 후 재발성 또는 불응성 미만성 거대 B세포 림프종(DLBCL) 성인 환자 치료	약 5억 5,100만 원 (미국 가격 기준)
8	탈베이주(탈쿠에타맙)	적어도 3차 이상의 치료를 받은 재발 또는 불응성 다발골수증 성인 환자에 대한 단독 요법	약 5억 4,400만 원 (미국 가격 기준)
9	웰리렉정(벨주티판)	폰 히펠-린다우(VHL)병 성인 환자의 신세포암, 중추신경계 혈관모세포종, 췌장 신경내분비종양 치료	약 5억 2,600만 원 (미국 가격 기준)

4) 특정 질환별 사용환자수에 대한 자료접근이 어렵다. 다만 희귀질환별 환자 수를 사용가능한 환자수로 예상할 수 있다. 희귀질환은 유병인구가 2만명 이하이거나 진단이 어려워 유병인구를 알 수 없는 질환이다. 2023년 기준 국내 희귀질환은 1,248개이며, 추정환자 수는 70만명이다(희귀질환 1개당 유병인구가 평균 560명). 또한 2023년 한해에만 총 6만명이 넘는 희귀질환자가 추가로 발생했다.

No	제품명	효능효과	예상 연 치료비용
10	옴짜라정(모멜로티닙염산염수화물)	빈혈이 있는 성인의 중간 위험군 또는 고위험군 골수암유증의 치료	약 4억 8,900만 원 (미국 가격 기준)
11	엔제이모주(수팀리맙)	한랭응집소병(Cold Agglutinin Disease)이 있는 성인 환자의 용혈 치료	약 4억 5,000만 원 (미국 가격 기준)
12	빌로이주((졸베툭시맙)	CLDN18.2 양성, HER2 음성의 절제 불가능한 국소 진행성 또는 전이성 위선암/위식도 접합부 선암의 1차 치료	약 4억 1,300만 원 (미국 가격 기준)
13	타브너스캡슐10밀리그램(이바코판)	중증육아종증다발혈관염(GPA), 혈마경적다발혈관염(MPA) 성인환자 치료	약 3억 3700만 원 (미국 가격 기준)
14	버제니오정(아베마시클립)	HR 양성 및 HER2 음성인 진행성 또는 전이성 유방암 치료	약 3억 980만 원 (미국 가격 기준)
15	업리즈나주(이네빌리주맙)	항아쿠아포린-4(AQP4) 항체 양성인 성인 환자에서의 시신경척수염 범주 질환의 치료	약 3억 8,470만 원 (미국 가격 기준)
16	질브리스큐프리필드시린지주(질루코플란나트륨)	성인에서 항아세틸콜린수용체 항체 양성인전 신증증근무력증 치료를 위한 표준요법에 부가 요법	약 3억 5,000만 원 (미국 가격 기준)
17	복스조고주(보소리타이드)	골단(성장판)이 닫히지 않은 4개월이상의 소아연골무형성증 환자의 치료	약 3억 4700만 원 (미국 가격 기준)
18	튜랄리오캡슐(펙시다티닙염산염)	증상을 동반하고 수술로는 개선이 어려운 중증이환상태이거나 기능적 제한이 있는 건출막거대세포증(TGCT) 성인환자치료	3억 4700만 원 (미국 가격 기준)
19	가브레토캡슐(프랄세티닙)	1. RET 융합 양성 국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암 성인 환자의 치료 2. 전신 요법을 필요로 하는 RET 변이 국소 진행성 또는 전이성 갑상선 수질암 성인 환자의 치료	약 3억 3,480만 원 (미국 가격 기준)
20	텍베일리주(테클리스티맙)	3차 이상의 치료를 받은 재발 또는 불응성 다발골수종 성인 환자에 대한 단독 요법	약 3억 3,800만 원 (국내병원 비급여 기준)
21	탈제나캡슐(탈라조파립토실산염)	이전에 항암화학요법 치료 경험이 있는 생식선 유방암 감수성 유전자(BRCA) 변이, HER2-음성인 국소 진행성 또는 전이성 유방암 성인 환자의 치료에 단독 요법으로 투여한다	약 3억 500만 원 (미국 가격 기준)
22	탁자이로주(라나델루맙)	성인 및 청소년(12세 이상)에서 유전성 혈관부종 별작의 일상적인 예방	약 3억 원 (국내 보도 기준)
23	울토미리스주(리불리주맙)	성인의 별작성 야간 혈색소뇨증(PNH)의 치료, 성인 및 소아에서 비정형 용혈성 요독 증후군(ahUS)의 치료	약 3억 원 (국내 보도 기준)
24	팀소보정(이보시데닙)	IDH1 변이 양성인 급성 골수성 백혈병 및 담관암 성인 환자의 치료	약 2억 7,000만 원 (국내병원 비급여 기준)
25	컬럼비주(글로피타맙)	두 가지 이상의 전신 치료 후 재발성 또는 불응성 미만성 거대 B세포 림프종 성인 환자의 치료	약 2억 7,550만 원 (미국 가격 기준)
26	리브티요주(세미플리맙)	근치적 수술이나 근치적방사선 요법의 대상이 아닌 국소진행성 또는 전이성 피부 편평 세포암	약 2억 7,000만 원 (미국 가격 기준)
27	룬수미오주(모수네투주맙)	두 가지 이상의 전신 치료 후 재발성 또는 불응성 소포성 림프종 성인 환자의 치료	약 2억 6,100만 원 (미국 가격 기준)
28	플루빅토주(루테툼)	PSMA양성 전이성 거세 저항성 전립선암(mCRPC) 성인환자의 치료	약 2억 2,000만 원 (국내병원 비급여 기준)
29	발베사정(얼다피티닙)	FGFR2 또는 FGFR3 변이가 있는 국소 진행성 또는 전이성 요로상피암 성인 환자(백금 기반 화학요법제 포함 최소 한 가지 이상 화학요법제 치료 중/후 진행 등)	약 1억 8,600만 원 (국내병원 비급여 기준)
30	레블로질주(루스파터셉트)	적혈구 생성 자극제(ESA) 치료에 불충분하거나 부적합하여 수혈이 필요한 성인 빈혈 환자 및 성인 베타 지중해 빈혈 환자의 치료	약 1억 7,400만 원 (국내병원 비급여 기준)
31	폰보리정(포네시모드)	성인의 재발이장성 다발성경화증의 치료	약 1억 7400만 원 (미국 가격 기준)
32	엑스카비티캡슐(모보서티닙숙신산염)	이전에 백금기반화학요법으로 치료받은적이있는상피성장인자 수용체(EGFR)엑손20삽입변이가있는국소진행성또는전이성비소세포폐암(NSCLC)성인환자의치료	약 1억 6,700만 원 (국내병원 비급여 기준)

No	제품명	효능효과	예상 연 치료비용
33	민쥬비주(타파시타맙)	자가 조혈모세포 이식(ASCT)이 적합하지 않은 재발성/불응성 미만성 거대B세포 림프종(DLBCL) 성인 환자 치료(레날리도마이드병용후단독)	약 1억 6500만 원 (국내병원 비급여 기준)
34	외키스필름코팅정(피톨리산트염산염)	탈력 발작을 동반하거나 동반하지 않는 성인의 기면증 치료	약 1억 5,150만 원 (미국 가격 기준)
35	살클리사주(이시툭시맙)	두가지 이상의 치료를 받은 다발골수종환자에서 포말리도마이드 및 덱사메타손과의 병용요법	약 1억 5,000만원 (미국 가격 기준)
36	리브리반트주(아미반티맙)	백금기반 화학요법 치료 중 또는 치료 이후에 질병이 진행된 표피성장인자수용체(EGFR) 엑손20 삼입 변이가 있는 국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암환자의 치료	약 1억 4280만 원 (국내 보도 기준)
37	파드셉주(엔포투맙베도틴)	이전에 PD-1/L1 억제제 및 백금 기반 화학요법제 치료 경험 이 있는 국소 진행성/전이성 요로상피암 성인 환자 치료	약 1억 4000만 원 (국내병원 비급여 기준)
38	베렉스브루정(티라브루티닙염산염)	재발성 또는 불응성의 B세포성 원발성 중추신경계 림프종 환자에서 단독 요법	약 1억 1,500만 원 (국내병원 비급여 기준)
39	레주록정(벨루모수딜메실산염)	이전에 2차 이상의 전신 요법에 실패한 만성 이식편대숙주질환 성인 및 12세 이상 소아 환자의 치료	약 1억 3,400만 원 (국내병원 비급여 기준)
40	풀라이비주(폴리투주맙베도틴)	재발성 또는 불응성 미만성 거대 B세포 림프종 성인 환자에서 벤다무스틴 및 리툭시맙과의 병용 요법	약 1억 2,000만 원 (국내병원 비급여 기준)
41	오스테도정(듀테트라베나진)	현팅톤 무도병의 증상 개선, 성인에서 지연성 운동장애의 증상 개선	약 1억 3,840만 원 (미국 가격 기준)
42	루마크라스정(소토라십)	이전에 적어도 한번의 치료를 받은 적이 있는 KRASG12C변이 국소 진행성 또는 전이성 비소 세포 폐암(NSCLC)성인환자의 치료	약 1억 2,264만 원 (국내병원 비급여 기준)
43	보이데아정(다니코판)	성인의 발작성 야간 혈색소뇨증(PNH): 혈관 외 용혈 증상이 있는 경우 C5 억제제에 부가 요법	약 9,367만 원 (미국 가격 기준)
44	레테브모캡슐(셀퍼카티닙)	1. 전이성 RET 융합 양성 비소세포폐암 2. 전신 요법을 요하는 진행성 또는 전이성 RET-변이 갑상선 수질암 3. 이전 소라페닙 및/또는 렌바티닙 치료 경험이 있는 전신 요법 요하는 RET 융합 양성 갑상선암	약 9,000만 원 (국내 보도 기준)
45	락손필름코팅정(이데베논)	레베르 시신경병증(LHON)으로 인한 시각 장애 치료	약 8,400만 원 (제약사 제시가격)
46	젭젤카주(라비넥테딘)	1차 백금 기반 화학요법에 실패한 전이성 소세포폐암 성인 환자의 치료	약 8,640만 원 (국내병원 비급여 기준)
47	스페비고주(스페솔리맙)	전신 농포성 건선 성인 환자의 급격한 악화 치료	약 7,320만 원 (급성기 1회 투약비용, 국내 보도 기준)
48	너링스정(네리티닙밀레산염)	조기 유방암의 연장 보조 치료(트라스투주맙 치료 완료 후)	약 8,400만원 (국내 보도 기준)
49	옴보주 (미리키주맙)	보편적인 치료제 또는 생물학적 제제에 적절히 반응하지 않거나 내약성이 없는 성인의 중등도에서 중증의 활동성 궤양성 대장염의 치료	약 8,000만 원 (미국 가격 기준)
50	온카스피동결건조주사(페그아스파르가제)	18세이하 소아 및 성인환자의 급성림프구성 백혈병(ALL)치료시 다른 항종양제와의 병용요법	약 5000만원 (국내병원 비급여 기준)
51	마일로탁주(겜투주맙오조가마이신)	새로이 진단된 CD33-양성의 급성 골수성 백혈병(AML)성인 환자의 치료	약 4,460만 원 (국내병원 비급여 기준)
52	타브렉타정(카프마티닙염산염일수화물)	MET 엑손 14 결손(skipping)이 확인된 국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암 환자의 치료	약 4,930만 원 (국내병원 비급여 기준)
53	엘렉스피오주(엘라나티맙)	3차 이상의 치료를 받은 재발 또는 불응성 다발 골수종 성인환자에 대한 단독요법	약 3,123만 원 (국내병원 비급여 기준)
합 계			약 150억 원