보건경제와 정책연구 제16권 제2호
The Korean Journal of Health Economics and Policy
Vol.16, No.2, 17~37, 2010

# 희귀의약품 보험약가결정: 문제점과 시사점

권혜영* · 양봉민*†

**(*서울대학교 보건대학원)**

(2010년 4월 30일 논문접수, 2010년 7월 9일 최종 수정, 2010년 7월 9일 게재확정)

**<국문초록>**

소수의 희귀질환 치료를 목적으로 하는 희귀의약품은 질환의 소수성과 의약품시장의 독점성으로 인해 건강보험 약가결정과 상충됨에 따라 우리나라에서 최근 공급거부의 상황을 야기시킨바 있다. 희귀의약품 특히 극소수의 환자에게 고비용이 소요되는 필수의약품인 초희귀의약품(ultraorphan drugs)은 쌍방독점시장으로 협상결렬의 문제, 소수질환자에게 과도한 보험재정을 지출함으로써 제기되는 건강가치에 대한 형평성 문제, 비용효과적인 의약품의 선별적 등재라는 원칙의 일관성 유지와의 상충의 문제, 그리고 보험재정의 지속가능성 측면에서 문제제기가 될 수 있다. 이러한 다양한 문제에 대한 정책적 대안으로, 별도의 재원을 통한 관리, 다양한 협상기법을 통해 가격을 결정하는 방안, 그리고 공급 거부에 대한 방편으로 긴급도입인정의약품의 적극적 활용 등의 검토를 제안 해 본다.

핵심용어: 희귀의약품, 초희귀의약품, 공급거부, 약가협상, 협상결렬

† 교신저자: 양봉민, 연락처: 02)880-2762, bmyang@snu.ac.kr
주소: 서울시 관악구 관악로 221동 407

# Ⅰ. 서 론

희귀의약품은 통상적으로 희귀질환을 치료하는 의약품을 지칭한다. 희귀질환에 대해서는 하나의 통일된 정의가 부재하나, 일반적으로 생명을 위협하거나 근본적인 치료가 어려우며 매우 낮은 유병율을 보이는 질환으로 현재 약 5,000여종이 규명되어 있다. 이 가운데 80%는 유전적 원인에 의해 발병한다고 한다. 우리나라에서는 희귀질환을 유병인구 2만 명 이하의 질환[1]으로 간주하고 있는데 유병율 수준은 각 국가별로 상이하게 정의[2]되고 있다. 희귀의약품은 질환의 소수성으로 인하여 치료의약품개발에 대한 동기 부여의 결여 및 연구개발투자에 대한 이윤확보의 불충분성 등의 문제가 존재한다. 따라서 선진외국에서는 정부의 개입을 통해 R&D 지원, 세액공제 등 다양한 인센티브를 부여함으로써 희귀의약품의 연구개발을 장려하고 있다. 우리나라는 희귀의약품의 품목 허가 시 제출 자료를 면제하거나 신속심사 및 시판 후 조사를 면제하는 등의 혜택은 부여하고 있으나, 연구개발을 위한 지원정책은 부재한 편이다. 이는 우리나라의 제약 산업이 복제약과 개량신약의 개발에 치중되어 있어 신약 개발을 위한 인프라가 충분치 않은 실정에 기인한다. 실제로 우리나라에 등재되어 있는 모든 희귀의약품은 다국적 제약사에서 개발된 약으로 수입에 의존하여 공급되고 있다.

의약품의 보험약가는 수요자인 국민건강보험공단(보험자)과 공급자인 제약사간의 협상[3]에 의해 결정되고 있다. 희귀의약품에 대해서도 동일한 절차를 거쳐 결정되나, 진료상 필수약제에 해당되는 경우 공단과 협상이 결렬되더라도 보건복지부장관의 직권결정에 따라 약제급여조정위원회[4]에서 약가를 결정하고 건강정책심의위원회(건정심)의 심의를 거쳐 급여 등재된다.

최근 불거진 희귀의약품의 공급거부는 약가를 둘러싸고 공급독점의 지위를 지닌 다국적 제약사와, 수요독점의 지위를 지닌 건강보험공단의 대립에 따른 결과물로 볼 수 있다. 이러한 희

---

1) 희귀의약품지정에 관한 규정(식품의약품안전청 고시) 제2조
   1. 국내 환자수(유병인구)가 20,000명 이하이며 적절한 치료방법과 대체의약품이 개발되지 아니한 질환에 사용되는 의약품으로서 원칙적으로 동일제제의 연간 총 수입실적이 150만불(미화) 이하이거나 연간 국내 총 생산실적이 15억원 이하인 것.
   2. 제1호의 규정에 불구하고 현 의약품 수급체계에 비추어 제한적으로 공급되는 경우 환자의 치료에 큰 지장을 초래할 우려가 있다고 식품의약품안전청장이 인정하는 의약품
2) 미국은 유병인구 200,000명 이하, 일본 5만명이하, 호주 2천명이하, 영국 25,000명 이하, 유럽연합은 215,000명 이하로 정의(MacCabe et al, 2005)
3) 신의료기술등의결정및조정기준(보건복지부 고시)
4) 국민건강보험 요양급여의 기준에 관한 규칙 제11조2(약제요양급여의 결정)
   제 8항 2목. 협상이 이루어지지 아니한 약제 중 환자의 진료에 반드시 필요하다고 인정되는 약제는 협상결과를 보고받은 날부터 60일 이내에 제 10항에 따른 약제급여조정위원회의 조정을 거친 후 심의위원회의 심의를 거쳐 요양급여대상 여부 및 약제의 상한금액을 결정하여 고시하여야 한다

귀의약품의 공급거부는 환자들에게는 치료중단에 따른 생명의 위협으로 느껴지나, 의약품의 안정적 공급을 강제할 수 있는 법적 장치가 부재한 실정이다. 또한, 제약사가 요구하는 수준의 약가를 보험자(정부)가 그대로 수용하는데 있어서도 정당성이 결여되는 문제가 존재한다.

본 연구는 희귀의약품 공급거부 사례들을 염두에 두고, 희귀의약품의 약가결정을 둘러싼 다양한 논의와 시사점을 경제학적 시각으로 살펴보고자 한다.

# II. 희귀의약품을 둘러싼 다양한 논쟁

## 1. 시장독점과 가격차별화

일반적으로 의약품시장은 독점시장으로 간주되어 제약사가 가격을 조정하기에 충분한 힘을 지닌 것으로 간주되고 있다. 이러한 독점적 시장지배력은 두 가지 측면에 기인하고 있는데, 하나는 특허나 허가과정과 같은 법적 진입장벽이고, 또 다른 하나는 신약 개발에 필요한 대규모의 연구 인프라와 같은 경제적 장벽이다. 의약품의 시장 독점력은 러너지수(Lerner index)[5]로 계량화할 수 있는데 일부 연구에서 의약품시장의 러너지수(L)는 0.72로 독점시장임을 입증한 바 있다 (Schweitzer, 2007).

대부분의 의약품은 대체약제가 존재하며 이에 따라 시장경쟁이 일부 가능하지만, 희귀의약품은 질환자체의 소수성, 대체약제가 부재한 경우 등을 고려할 때 시장 독점력은 훨씬 강력하다. 희귀의약품 시장의 독점력에 대해 별도로 연구된 자료는 없으나 의약품 시장 전체의 러너지수(L)를 감안할 때 완전 독점시장에 가까울 것으로 판단된다.

희귀의약품은 정부차원에서 연구개발을 활발히 지원하고 신약개발 인프라가 갖춰진 일부 다국적 제약사에 의해 개발되는 특징이 있으며, 개발된 약의 제조사는 전 세계를 대상으로 시장 독점적 지위를 획득하는 것과 동시에 소수 질환자에 기인한 시장성 부재로 인해 가격을 극대화하고자 하는 전략을 통한 고가정책을 고수하는 경향이 있다.

Ridley(2005)에 의하면, 다국적 제약사들은 가격차별화 전략을 통해 이윤을 극대화함과 동시에 의약품의 접근성을 증가시킨다고 한다. 가격차별화 전략은 의약품에 대한 가격민감도가 국가별로 상이하기 때문에, 저개발국가의 낮은 지불 용이도와 선진국의 높은 지불 용의도를 충족시키는 가격차별화로 제약사는 이윤을 극대화 할 수 있다.

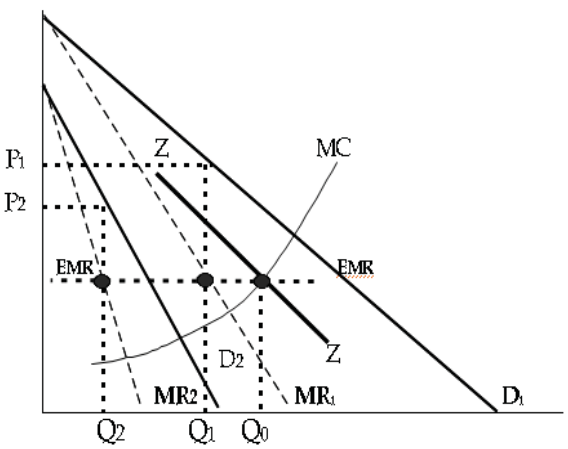
[그림 1]은 국가 간 가격차별화를 설명하는 그래프로 각 나라의 수요는 소득에 비례하므로 소득수준이 높은 국가(1)와 소득수준이 낮은 국가(2)의 수요곡선은 D1과 D2로 나타난다. 제약사는 두 나라의 한계수입을 결합한 것(ZZ)과 한계비용이 동일해지는 수준으로 전체 총량을 생산할 때

---

5) L=(P-MC)/P (P: 의약품 가격, MC: 한계비용)
가격과 한계비용의 차가 클수록 독점력이 크다는 의미로, 강한 독점력의 경우 L은 1에 근접하게 된다.

이윤을 극대화 할 수 있다. 따라서 두 국가의 한계수입을 합한 ZZ와 한계비용(MC)곡선이 만나는 지점의 Q0이 이윤을 극대화하는 총생산량이 될 것이다. ZZ와 한계비용곡선이 만나는 지점에서 수평으로 EMR(equal marginal revenue)이라는 선을 그으면, 국가1에서는 P1의 가격으로 Q1의 산출량을, 국가2에서는 P2의 가격으로 Q2의 산출량을 통해 이윤을 극대화하게 된다.

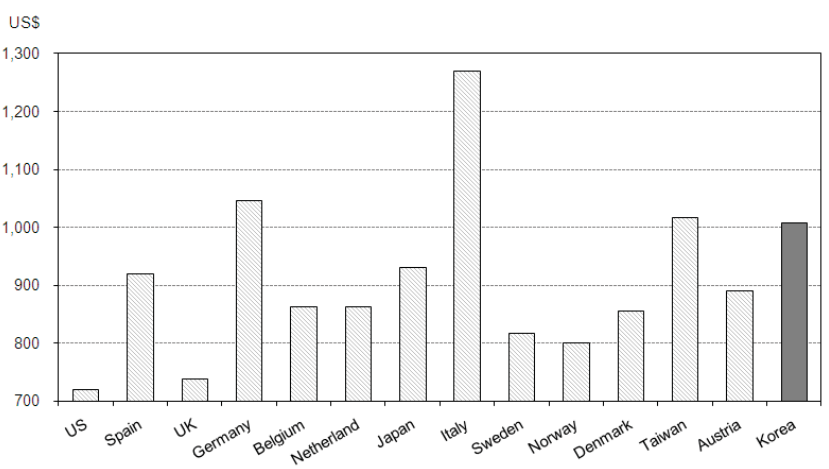
[그림 1] 국가간 가격차별화




자료 : Schweitzer(2007) 인용

실례로 [그림 2]에서 처럼 단백질 지질대사 장애인 폼페병 치료제인 마이오자임주® (alfa-glucosidase)의 국가별 약가수준을 살펴보면 상당한 차이를 보이는 것을 알 수 있다

[그림 2] 폼페병 치료제 Alfa-glucosidase의 세계가격 수준(US$)




자료 : 미국(Redbook), 스페인(vademecum), 영국(MIMS), 독일(Documed), 벨기에(INAMI), 네덜란드(CVZ), 일본(日本醫藥品濮), 이태리(Informatorefarmaceutico), 스웨덴(FASSE), 노르웨이(Norweigian Medicine Agency), 덴마크(Medicinepriser), 대만(中央健康保險局), 오스트리아(Ami-info)

## 2. 세계 동일가(Global Standard Price) 전략

희귀의약품을 포함한 신약의 경우, 가격차별 보다는 세계동일가 전략을 갖는 경우도 종종 발생한다. Danzon et al(2005)에 의하면, 제약사는 한 국가의 가격이 다른 국가에서의 가격설정에 파급효과(spillover effect)를 나타내기 때문에 신약의 출시를 지연하거나 낮은 가격에서는 공급을 하지 않는 전략을 취한다고 한다. 이러한 이유는 병행무역(parallel import)나 외국가격을 참조하여 약가를 설정하는 방식(external referencing)에 기인하기 때문이다. 그의 연구결과에 따르면, 가장 많은 제품을 출시하는 국가는 미국, 독일, 영국 순으로 나타났으며, 이들 국가는 출시가격을 통제하지 않는 특징을 지닌다. 반면, 낮은 가격이 기대되는 국가일수록 출시 품목이 적으며, 출시시점이 지연되는 특징을 보이고 있다.

다시 말하면, 각 국가별 지불 용의도에 따라 다른 가격을 설정함으로써 기업의 이윤을 극대화한다는 가격 차별화 이론과 달리, 낮은 가격이 기대되는 국가에서의 이윤을 포기하는 것이 기업의 이윤을 더욱 극대화 시킨다는 의미로 해석될 수 있다. 따라서, 제약사는 소득이 낮고 기대매출이 적은 국가에서도 세계 동일가 전략에 따라 여전히 높은 외국가를 요구하거나, 공급을 지연 또는 공급하지 않는 전략을 펼치고 있다.

또한 Danzon et al(2003)은 의약품시장은 세계 단일가보다는 가격차별화를 통해 사회후생을 증대시키는데, 세계 단일가 전략을 취할 경우에는 저소득국가의 소비자들의 소비가 이루어지지 않게 된다고 하였다.

관련된 논의로 Dumoulin(2001)은 90개 국가를 대상으로 의약품가격전략을 시뮬레이션 한 결과, 가격 차별화를 취할 경우 기업의 판매가 극대화됨과 동시에 환자의 의약품에 대한 접근성도 고취되는 긍정적 효과를 보여주었다. 반면, 세계 동일가 전략을 취할 경우 기업의 판매는 감소하며, 환자의 접근성은 4~7배 감소되는 결론을 도출하였다.

## 3. 의약품 접근과 환자지원 프로그램

Stolk(2006)은 상당수의 희귀질환을 치료하기 위해 효과적이고 안전한 치료법은 없으며, 설사 치료법이 존재한다 하더라도 이에 대한 접근성은 비용효과성과 임상적 유용성에 대한 평가에서의 한계, 지식 및 훈련 부족, 진단체계의 부재, 높은 비용이라는 장애물로 인해 용이하지 않다고 하였다. 그는 희귀의약품의 임상적 평가는 임상시험단계의 결과물(efficacy)이 대부분이고 실제 임상에서의 효과(effectiveness)를 찾기는 어려우며, 대부분의 희귀질환에 대한 가용할 수 있는 정보가 제한적이고 전문가 교육, 진단방법 및 진단 가능한 전문기관이 부재하다는 문제점을 지적하였다. 또한, 희귀의약품의 가격은 매우 고가여서 보험자의 지불가능성이 주요 논쟁이 되고 있으며 이해 당사자들간의 강한 긴장관계를 유발하는 요소로 부각되고 있다고 한다. 이러한 논쟁의 대안으로 제약사에서는 희귀의약품의 접근성을 용이하게 하기 위한 환자지원 프로그램을 제시하기도 한다.

제약사의 환자지원 프로그램은 고가로 인해 제한되는 환자의 접근성을 높이고자 무상 또는 본인부담을 일부 지원하여 공급하는 형태로 박애주의에 근거한 자선적 의미를 지닌다. 주로 저개발국가의 환자들 또는 건강보험 등으로 재정적 지원을 받지 못하여 해당 의약품을 구매할 능력이 없는 환자들을 대상으로 실시되고 있다. 대표적인 예로 고셔병 치료제인 세레자임주® 의 Gaucher Initiative, 글리벡국제환자지원프로그램인 GIPAP(Glivec® International Patient Assistance program) 등이 있다.

## 4. 가격규제에서의 정부실패

일반적으로 필수성이 강한 희귀의약품의 경우 보험자의 수요독점보다는 공급자의 공급독점이 훨씬 강하게 작용된다. 따라서 공급독점력을 지닌 개발사는 의약품의 가격결정에서 우위를 차지하게 되며 수요독점적 지위를 지닌 단일 보험자가 구매가격을 결정한다 하더라도 필수의약품에 있어서는 공급사의 영향력이 크게 작용하는 경향이 있다.

Dumoulin(2001)에 의하면, 혁신적 신약의 가격을 통제함에 있어 약가 및 보험정책은 덜 효과적이며, 출시가격보다는 가격지수에 따른 사후평가에 보다 많은 관심을 둔다고 한다. 특히 치료적 대체제가 없는 혁신성을 지닌 약에 대해서 정부나 보험자는 제조사가 희망하는 가격이하로 가격 산정을 강제하지 못하는 실정이다. 출시가격 수준은 의약품의 출시 시점 및 공급여부와 밀접하게 관련되어 진다. 출시가격이 제조사가 원하는 가격 수준 이하일 경우, 앞서 논의된 바와 같이 출시 시점을 지연시키거나 출시를 아예 하지 않을 수 있다.

이는 공급독점력을 지닌 의약품에 대해서는 제약사의 가격 만족도, 즉 가격수준과 공급여부가 상당한 연관성을 지니고 있음을 보여준다. 실제로 최근 빈번히 발생한 의약품 공급거부의 근본 원인은 출시가격에 대한 불만에 기인한다. 국내의 공급거부 사례는 극단적인 상황으로서 환자의 생명을 위협하는 동시에 가격규제에 있어서 정부실패로 비춰진다. 일부 국가에서는 이러한 문제점들을 방지하고자 다양한 위험분담기전[6]을 도입하여 적용해오고 있다.

## 5. 재원지출의 형평성

희귀의약품에 대한 재정지출에 대하여 여러 가지 논쟁이 가능한데, 특히 초희귀의약품(ultraorphan drug)[7]은 이러한 논쟁의 핵심에 있으며, 그 바탕은 대상 환자수는 극소수이나 보

6) 위험분담기전(Risk Sharing Scheme)은 급여여부 및 약가결정시 발생하는 다양한 불확실성으로 인한 위험(예, 보험재정의 위험, 효과의 위험 등)을 제약사와 분담하는 기전이다.

7) 희귀질환 가운데 극소수의 환자를 지닌 초희귀질환(ultraorphan disease)을 치료하는 의약품으로 우리나라에서는 이에 대한 논의가 이루어지지 않았다. 일반적으로 대상 환자수가 극소수라는 점과 매우 고가라는 뚜렷한 특징을 지니고 있는데 법적정의가 부재한 상황이다. 다만, 일부 국가에서 초희귀의약품에 대한 논의가 활발하며 이에 따라 영국(NICE)에서는 초희귀질환의 유병인구를 1,000명 이하, 실질적으로는 400명 이하로 정의하였고, 네덜란드의 경우 400명 이하를, EU는 인구5만명당 1명으로 그 유병율을 정의하여 권고한 바 있다.

험재정에서 지출하는 비중이 매우 크다는 점에서 두고 있다. 즉, 건강보험이라는 제한된 재원을 소수의 환자만을 대상으로 높은 비용을 지불하는 것에 대해서는 다양한 논쟁이 제기되고 있다.

McCabe et al(2005)는, 초희귀의약품은 그 희귀성에 따라 특별한 혜택이 부여되고 있는데 다른 질환의 치료에 의해 발생하는 건강에 대한 가치보다 희귀성으로 인한 건강의 가치에 더 많은 가중치를 부여하는 형평성의 문제와 함께, 비용효과성의 기준을 다르게 임시방편으로 적용함에 따라 향후 보건의료체계에 상당한 비용을 가중시킴으로서 지속가능성에 대한 문제점을 제기하고 있다.

희귀의약품을 둘러싼 형평성의 문제는 다양한 관점에서 바라볼 수 있다. 먼저 경제성평가의 근간이 되는 공리주의(utilitarian) 접근법 즉, 사회 전체의 편익을 극대화하는 원칙에 입각해 볼 때 소수에게 상당한 자원을 투입함으로써 다수의 일반 환자들이 치료기회를 상실하게 되는 점은 사회 전체의 편익을 극대화하지 못하기에 적절하지 않다는 관점이다(Gericke et al, 2005, Hughes et al, 2005).

반면 권리주의 접근법에서는 사회 구성원인 개인은 최소한의 의료서비스를 받을 수 있는 자격이 부여되어 있으며, 희귀질환이라도 이를 관리하기 위한 치료를 받을 수 있다는 것이다. 건강권을 인간에게 부여된 기본적인 권리로 간주한다면, 생명을 위협하는 초희귀질환자의 치료는 자원의 배분과 무관하게 이루어져야 하는 것이 주장의 요점이다.

"구조의 법칙"(rule of rescue)은 사회가 소수의 희귀질환자에 대해 보다 높은 가치를 부여해야 하는 것을 정당화하는 이론이다. 기회비용과 무관하게 위험에 직면한 개인(identifiable individuals)을 구조하는 것은 도덕적 의무에 기인한다(McKie et al, 2003)는 점이다.

위의 다양한 논쟁에 대한 대안으로 Hughes(2006)는 효과를 보이지 않으면 지불하지 않는 방식("no cure, no pay")의 위험분담기전이나, 지정 기금방식을 통해 전문 의료기관이 희귀질환자의 치료를 지원하는 것을 제안하고 있다. 이러한 방식을 통해 재원을 배분하는 것은 일반적인 보건의료기술평가 원칙에 영향을 받지 않게 됨을 의미한다.

## 6. 보험급여원칙의 예외적 적용

초희귀의약품은 비용효과적인 의약품에 우선순위를 두어 건강보험이라는 제한된 재원을 효율적으로 분배하고자 하는 급여원칙이 예외적으로 적용되어야 한다. 이는 초희귀의약품의 점증적비용효과비(ICER)가 비용효과성의 판단기준이 되는 임계값(ICER threshold)보다 과도하게 높은 특징을 지니기 때문이다. 국내에서는 이에 대한 연구가 이루어진 바가 없으나, 20,000~30,000￡/QALY의 명시적 ICER 임계값을 사용하는 영국의 경우를 살펴보면, <표 1>에서 보는 바와 같이 이러한 약제들은 급여원칙상 비급여로 판단될 가능성이 크다. 그러나 질환의 특성 등을 감안하여 급여로 인정되기도 한다.

<표 1> 초희귀의약품의 점증적비용효과비(ICER)

(단위: 명)

| 제품명 | 해당 질환 | 유병인구수 | ICER(£ per QALY) |
|---|---|---|---|
| 파브라자임주 | 파브리질환 | 200 | 203,009 |
| 세레자임주 | 고셔병(I,III형) | 270 | 391,244 |
| 알두라자임주 | 뮤코다당증I형 | 130 | 334,880 |
| 자베스카 | 고셔병(I형) | 270 | 116,800 |

주: NICE, Appraising orphan drugs(draft)

영국과 달리 호주는 비용효과성이라는 일반적 급여원칙에 부합하지 않아 대부분 비급여 결정되었으나, 질환의 특성 등을 감안하여 연간 400억 원의 별도 재정으로 세레자임주®, 파브라자임주®, 알두라자임주®, 라플라갈주® 등에 대해 급여혜택을 부여하는 LSDP(Life saving drug program)를 운영하고 있다.

# III. 우리네 현황 및 정책적 시사점

## 1. 희귀의약품의 약가결정

### 1) 보험약가결정 절차

앞서 언급한 바와 같이 희귀의약품의 보험약가결정은 다른 의약품과 마찬가지로 식품의약품안전청의 품목허가를 득한 후 약제요양급여결정신청을 통해 결정되는 동일한 절차를 따르며 희귀의약품에 대해 예외적으로 가격을 보전해주는 기전은 없다.

약제요양급여결정신청 후 약제급여평가위원회(건강보험심사평가원 산하)의 평가 및 건강보험공단과의 약가협상을 통해 최종 약가가 결정되어 급여 등재된다. 다만, 약가재평가[8]에서 희귀의약품은 제외 대상이 되는 혜택이 부여된다.

약제급여평가위원회의 평가 시 진료상 반드시 필요한 약제[9]로 평가되는 경우에는 해당 의약

8) 약가 사후 관리기전의 하나로 등재 후 3년마다 A7조정평균가(미국, 영국, 프랑스, 독일, 스위스, 이태리, 일본의 색인가의 65%(일본 82%)를 산출, 여기에 유통거래폭 및 부가세를 합한 가격의 평균)를 기준으로 인하하는 제도

9) 요양급여의평가절차및기준등에관한 세부사항
제6조 (진료상 반드시 필요하다고 판단되는 약제) 요양급여기준 제11조의2제8항2호 및 제13조제2항에 따른 환자의 진료에 반드시 필요하다고 인정하는 약제는 다음 각 호의 어느 하나와 같다.

품은 이후 약가결정에서 우위를 지니게 된다. 진료상 반드시 필요한 약제로 평가된 의약품은 건강보험공단과의 약가 협상시 결렬이 되더라도 보건복지가족부장관의 직권결정에 따라 약제급여조정위원회에서 약가가 결정되어 건정심의 심의를 거쳐 급여 등재되는 절차를 거치게 된다.

우리나라에서 필수의약품의 통합적 관리를 위한 별도의 규정은 없다. 국가예방접종사업에 의한 예방접종 백신 등에 해당되는 필수 의약품은 공중보건측면에서 반드시 필요한 의약품이나 현행 「건강보험법 요양급여의 기준에 관한 규칙」에 따라 "법정 비급여"로 관리되고 있다. 반면, WHO가 지정하는 필수의약품은 대부분 「신의료기술등의 결정 및 조정기준」에 따라 "퇴장방지의약품"으로 지정되어 급여 관리되고 있다.

나머지는 약제요양급여결정신청을 통해 약제급여평가위원회의 평가를 거칠 경우에 필수성이 평가되는 것 이외에 필수의약품에 대한 공식적인 평가과정은 부재한 상황이다.

희귀의약품지정에 관한 규정에 따르면, "적절한 치료방법과 대체의약품이 개발되지 아니한 질환에 사용되는 의약품"에서 희귀의약품 지정 시 대체가능약제의 여부, 즉 필수성을 고려하여 지정하는 것으로 이해되지만 해당 질환에 기 지정된 의약품이 있을 경우 어떤 사항을 고려하여 지정하겠다는 구체적인 기준이 없는 실정이며, 그로 인해 희귀의약품 가운데에도 진료상 반드시 필요한 약제와 그렇지 않은 약제로 구분될 수 있다. 결국 희귀의약품 자체가 필수성과 반드시 부합하여 관리되고 있지는 않다. 이는 희귀의약품의 관리와 보험급여대상의 관리, 진료상 필수약제에 대한 평가가 이를 주관하는 기관(식약청, 건강보험공단, 심평원)간의 이해관계에 따라 결정되는 것에 기인한다.

본 연구의 대상이 되는 사례들은 희귀의약품이면서 진료상 필수약제(rare essential drugs)로서 공급자가 고가를 기대할 수밖에 없는 동시에 보험자에게는 재정적 부담이 되는 의약품인 초희귀의약품으로 귀결되는 것을 알 수 있다.

### 2) 협상 결렬

약가협상시 참고가격의 수준은 약가협상지침 제10조 및 제11조에 서술되어 있는 바와 같이 대체약제의 투약비용, 제 외국 가격, 보험재정에 미치는 영향 등을 고려하여 산출하게 된다.

통상적으로 대체약제가 없는 필수의약품의 경우, 대체약제의 투약비용 비교가 불가능하므로 참조국가의 가격 수준과 추가적인 보험재정 소요규모 등을 고려하여 약가협상을 하게 되나, 궁극적으로 이러한 약제의 가격결정은 공급독점력을 지닌 제약사가 우위를 지니게 된다. 많은 경우 제약사는 "세계 동일가 원칙"이라는 명분하에 가격을 요구하며, 이 가격은 현행 약가협상지침에서 참조하는 OECD 가입 국가들의 가격보다 오히려 높은 수준이며, 우리나라의 경제적 부담능력을 감안할 경우 상당히 고가로 간주된다.

---

1. 대체가능한 다른 치료법이 없는 경우
2. 생존을 위협할 정도의 심각한 질환에 사용되는 약제로 대체 가능한 다른 약제가 없는 경우
3. 희귀질환에 사용되는 약제로 환자의 진료에 반드시 필요하다고 인정하는 경우
4. 기타 약제급여평가위원회(이하 "위원회"라 한다)가 환자의 진료에 반드시 필요하다고 평가하는 경우

건강보험공단은 제약사와의 협상가능영역(ZOPA ; Zone of Possible Agreement) 및 최선의 대안(BATNA ; Best Alternatives to Negotiated Agreement)을 찾고자 하나, 이들 의약품의 보험재정영향을 고려해 보면 재정지출의 형평성과 재정의 지속가능성 등의 문제점들이 고스란히 드러나게 된다. 일례로 건강보험에 청구한 혈우병 환자 1명의 노보세븐주® 청구금액은 최대 연간 23억 원, 엘라프라제주®는 33명으로 예측되는 환자의 걷기능력을 개선시키는 데 연간 130억 원의 재정을 부담하여야 한다. 일반적으로 건강보험가입자 1명당 지출하는 약품비는 연간 약 213,946원(2008년 기준)임을 감안할 때, 이러한 초희귀의약품들은 환자 1명당 약 4억 원에서 최대 23억 원을 지출함으로써 보험급여혜택의 형평성 문제를 초래한다. 더불어, 비용효과적인 의약품을 선별적으로 등재하고자 하는 현행 선별등재방식(positive list)의 원칙에 비추어 볼 때 이러한 약제는 급여대상으로 쉽게 인정되기 어렵다. 다만, 질환의 희귀성과 대체약제의 부재라는 이유로 급여하게 되나, 보험재정영향을 감안할 때 의사결정을 하기는 쉽지 않다.

"세계 동일가 원칙"에 근거한 제약사의 요구가를 수용하는 데에도 정당성은 잘 찾아지지 않는다. [그림 2]와 같이 실제로 해당 의약품의 가격수준은 국가별로 상당한 변이를 보이고 있으며, 세계 어느 나라에서도 공식적으로 우리나라의 가격을 참고하는 나라는 없는 점을 감안하면 "세계 동일가 원칙"의 근거를 파악하기가 쉽지 않다. 많은 경우 희귀의약품판매 제약사는 제 외국가격 가운데에도 높은 수준의 가격을 요구하며, 이러한 가격 자체는 국내의 보험재정 소요규모나 보험자의 구매능력을 전혀 고려하지 않은 가격이기 때문에 현행 협상방식에서는 합의를 이루기 곤란한 이유가 되기도 한다.

제약사의 요구가격 불수용은 공급중단 또는 공급거부라는 극단적 상황으로 이어져왔다. 그럼에도 공급거부를 해결할 수 있는 법적 수단이나 협상당사자간의 합의를 꾀할 수 있는 구체적 대안이 부재한 상황에서 동일한 사태가 반복되고 있는 실정이다.

이러한 문제점을 해결하기 위하여 2009년 6월, 정부는 1년간 한시적으로 리펀드 제도의 시범실시를 도입하였다. 리펀드 제도는 대체약제가 없는 희귀난치성질환 치료의약품에 한하여 표시가격은 제약사가 요구하는 세계 동일가 수준으로 하되, 실질적으로는 건강보험공단이 원하는 수준의 약가로 합의 후 표시가와 실제가의 차액을 건강보험공단에 반환하는 방식이다. 이 제도의 도입 취지는 국내의 고시가(표시가)가 제 외국의 가격결정에 영향을 미치는 것을 우려하여 공급을 거부하는 사태를 방지하고자 표시가와 실제가라는 이중가격을 설정함으로써 희귀의약품의 원활한 공급을 추구하고자 함이다.

리펀드 제도의 도입과 관련하여 시민단체 등은 실제가격이 공개되지 않으므로 이로 인한 불투명성과 환자 본인부담에 미치는 영향 등의 문제점을 제기한 바 있으며, 외국의 리베이트(payback)제도가 가격과 사용량의 곱으로 산출되는 약품비 전체를 통제하는 기전인데 반해 리펀드제도는 단순한 실제가와 표시가의 차액을 사용량만큼 곱하여 반환받는 임기응변식의 조치라는 정책적 결함이 있다.

## 2. 공급거부 사례 [부록 참고]

약가불만에 기인한 공급거부가 논란이 된 것은 2001년 글리벡정®에서 시작된다. 당시 글리벡정®은 백혈병환자들에게 마법의 탄환으로 인식되었다. 정부의 약가결정고시에 대한 불만으로 공급거부를 실시한 노바티스(주)는 백혈병환자들의 농성과 시민단체의 비판 속에도 결국 정부의 약가인상고시라는 결과를 얻게 되었다.

이후 에이즈치료제인 푸제온주®, 프레지스타정®에서 혈우병 치료제인 노보세븐주®에 이르기까지 7건의 공급거부 사례들이 발생하였다. 프레지스타정®은 약가협상 합의 후 비급여 신청을 하였다가 철회한 후 공급을 거부한 약제로 공급독점의 영향력을 보여주는 사례이며, 헌터증후군 치료제인 엘라프라제주®를 비롯하여 마이오자임주®, 나글라자임주®는 협상결렬에 따라 약제급여조정위원회에서 약가를 조정 결정고시 하였음에도 불구하고 공급을 거부한 정부실패의 사례로 볼 수 있다.

노보세븐주®는 업체의 자진인하 후 6개월 뒤에 인상조정 신청한 경우로 6개월 전 당시의 과도한 인하분과 환율 등을 인상사유로 조정 신청하였고, 협상 기간 중 공급이 중단됨으로써 환자들의 생명에 위협이 되는 급박한 상황으로까지 번진 경우다.

이처럼 희귀의약품의 공급거부가 유독 우리나라에서 빈번히 발생하는 이유는 무엇일까? 우리나라에서 결정된 가격이 매우 낮아서 그런 것인가?, 또는 공급사의 논리처럼 우리나라의 약가수준이 다른 나라의 약가산정에 지대한 영향을 미치기 때문인가?

이러한 공급거부 의약품들은 다음과 같은 공통점이 존재한다. 먼저 공급거부 당시 대체가능한 약제가 없는 진료 상 필수인 희귀의약품인 점, 둘째, 공급사가 다국적 제약사로 수입완제품인 점, 셋째, 약가협상이 결렬된 점, 넷째, 약가에 대한 불만으로 공급을 거부한 점, 그리고 마지막으로 공급거부에 따른 환자의 치료는 무상으로 지원하는 점 등을 들 수 있다.

공급 거부 시 환자가 겪게 되는 불안감은 해당 의약품이 생명과 직결되든 그렇지 않던 매우 높아진다. 공급을 강제할 수 있는 수단과 공급거부에 대응할 수 있는 법적 장치가 부재한 상태에서 공급거부는 환자의 접근성을 저해함과 동시에 정부의 약가규제 정책의 실패로 비취진다. 이러한 상황에서 제약사가 취하는 무상공급은 영업윤리측면에서 바람직하지 못하다는 도덕적 비난을 시혜적 이미지로 바꾸는 수단이 되기도 한다. 약가인상을 전제로 한 무상공급은 정상적 유통거래로 간주하기 곤란하며, 제약사의 이미지 메이킹과 장기적 고객확보를 위한 마케팅 수단으로 활용되고 있다. 더불어, 의약품 공급거부의 원인을 정부의 실책으로 돌리는 효과도 동시에 지니고 있다.

## 3. 정책적 시사점

본 연구에서는 희귀의약품 특히 초희귀의약품의 공급거부 사례와 문제점들을 근간으로, 약가결정의 다양한 국면을 살펴보면서, 공급거부에 대한 정책적 시사점을 간단히 언급하고자 한

다. 어떤 사유에서든 대체약제가 없는 상황에서 희귀의약품의 공급거부가 발생함은 바람직스럽지 못하며, 이를 개선하기 위한 정책적 접근이 이제 검토될 시점이다.

초희귀의약품이 가지는 공급독점력, 그리고 이를 통한 공급사의 가격전략이, 세계동일가 원칙이든 가격차별화 원칙이든 보험약가결정에서는 공급사가 주도적인 역할을 할 수 밖에 없는 특징이 있다. 이러한 가격결정에 따라 보험재정에 미치는 영향이 과도함에 따른 형평성과 보험재정의 지속가능성, 보험급여원칙에 예외적으로 적용되는 점들을 해결할 수 있는 정책적 개입을 통해 공급거부라는 극단적 상황을 예방할 수 있는 몇 가지 논의를 다음과 같이 제시하고자 한다. 본 연구에서 제시한 논의점은 이전에 논의되었던 강제실시 등과 같이 정치적 파장으로 인해 실현가능성이 불투명한 접근방법 보다는 근본적으로 희귀필수의약품이 가지는 특징과 건강보험의 한계를 파악하고 이에 기반한 해결방안을 제시하였다.

1) 별도 재원을 통한 급여

초희귀의약품의 빈번한 협상결렬은 보험급여 및 약가결정의 일반적 원칙에 예외적으로 적용할 수 있는 기전 없이 일반 약제와 동일한 절차와 동일한 기준으로 적용하기 때문에 기인한다. 또한, 소수 질환자에게 과도한 보험재정을 지출함으로써 제기되는 건강가치에 대한 형평성의 문제와 사회전체의 편익을 극대화하지 못하는 점 등을 해결하기 위해서는 건강보험재정이 아닌 별도의 재정확보를 통해 급여되는 것이 검토되어야 한다. 이 경우, 비용효과적인 의약품의 선별적 등재라는 일반적 원칙에서의 일관성 유지 및 보험재정의 지속가능성과 형평성에 관한 문제점들이 근본적으로 해결 가능하다. 더불어, 비용효과적이지 않지만 소수의 희귀질환자들이 해당 의약품을 경제적인 부담없이 이용할 수 있도록 국가차원에서 이들에 대한 치료 접근권을 확보해 주어야 한다. 제한된 별도의 기금을 감안하여 적정한 수준의 약가를 협상함으로써 약가불만에 따른 협상결렬 및 공급거부를 방지할 수 있을 것으로 판단된다.

2) 협상 기법의 다양화

별도기금으로 재원조달을 하더라도 재원이 한정적이므로 제약사가 요구하는 가격을 그대로 수용하기는 어려울 수 있다. 다만, 재원이 예측 가능한 점과 초희귀의약품의 특성상 정확한 환자수의 예측이 불가하며, 임상적 효능에 대한 불확실성, 이로 인한 재정영향의 불확실성 등을 감안하여 우선적으로 재정에 기반한 위험을 공급자인 제약사와 분담하는 기전들을 협상의 기법으로 활용할 경우 효율적 재정 관리와 약가협상의 합의가 가능하다. 예를 들면, 협상시 예측된 환자수를 초과하거나, 실제 사용량이 기준 사용량보다 초과되는 경우 또는 예측된 효과보다 실제 효과가 낮은 경우 등 재정소요를 필요로 하는 다양한 불확실성을 감안하여 이에 대한 위험분담기전을 적용한다면 협상당사자간의 합의는 더욱 용이할 것이다. 이러한 위험분담기전은 가격인하나 리베이트(payback) 또는 제약사의 비용분담 등의 방식으로 적용 가능하다. 위험분담기전의 무분별한 적용은 약가제도 전체를 불투명하게 만들 가능성이 있다. 명확한 근거가

없는 약에 대해서도 적용함으로써 환자의 편익으로 이어지지 못하고, 제약사의 시장진입만을 유리하게 만드는 우려도 존재한다. 따라서 이러한 기전은 약제의 특성상 다양한 불확실성을 가질 수 밖에 없는 초희귀의약품에 대해 제한적으로 적용하되 적극적으로 활용하여 초희귀의약품에 대한 환자의 접근성을 더욱더 강화함과 동시에 제한된 재정에 대한 지속가능성을 추구할 수 있도록 활용되어야 한다.

3) 공급거부에 대한 제도적 대응

앞서 언급한 정책적 개선에도 불구하고 공급사는 여전히 공급여부를 독자적으로 결정할 수 있기에 의도적 공급거부에 대한 우려는 여전히 존재할 수밖에 없다. 이러한 상황을 고려하여 다양한 대응방안을 마련할 필요가 있다. 현행 약사법 시행규칙[10]상 공급중단의 경우 10일내에 그 사유를 식약청장에게 보고하도록 의무화되어있으나, 이에 대한 대응방안은 부재하다. 공급중단에 대한 근본적인 대응방안으로 거론되는 것은 강제실시(compulsory licensing), 병행수입(parallel import), 자가치료용으로의 수입, 긴급도입인정의약품의 적용이 있으나, 특허권으로 인한 통상마찰의 우려가 있는 강제실시는 정책적 적용보다는 정치적인 논쟁으로 이어질 우려가 있어 대안으로 기대하기 곤란하다. 자가치료용 수입은 환자가 모든 비용을 부담해야하는 경제적 장벽으로 대안이 되기 어렵다. 병행수입에 대해서는 한 번도 심도있게 논의가 된 적이 없지만, 1999년 화장품 병행수입을 허용한 사례를 통해 해결책으로 간주될 수 있겠다. 또한 긴급도입인정의약품은 식약청장의 인정에 의해 의약품 허가를 득하지 않고도 보험급여혜택을 받을 수 있는 방안으로 실질적인 공급거부의 대응방안으로 볼 수 있다. 이를 적용할 경우, 희귀의약품센터는 공급거부 의약품을 제 3국으로부터 직접 수입하여 보험급여 등재 신청할 수 있으므로, 적극적으로 검토할 하나의 대안이 된다. 이 경우 희귀의약품센터는 최대한 저렴한 가격으로 구매할 수 있는 구매력을 강화하는 것이 큰 관건이 되겠으나, 공급거부의 극단적 상황을 모면할 수 있는 돌파구로서 적극적으로 활용할 필요가 있다.

# Ⅳ. 결 론

이상으로 희귀의약품의 가격결정을 둘러싼 다양한 논쟁점과 공급거부와 관련한 정책적 개선의 여지를 검토해 보았다.

희귀의약품은 희귀질환으로 고통 받는 환자들에게 제공되어 환자의 편익을 추구하고자 하는 것을 목표로 개발되고 있다. 희귀의약품을 개발한 제약사는 환자의 편익 이외에 이윤극대화라

10) 제44조 제3항 및 제51조 제1항

는 경영상의 목적을 동시에 추구하고자 한다. 그러나 건강보험공단은 제한된 재정을 통해 환자에 반드시 필요한 희귀의약품이 적정수준의 비용으로 제공되게 함으로써 환자의 편익은 물론 건강보험재정의 지속가능성을 추구하고자 한다. 이처럼 희귀의약품의 공급을 둘러싼 이해당사자들이 추구하는 상이한 목적들은 희귀의약품의 가격결정에서 고스란히 드러나게 된다. 즉, 공급자와 보험자가 추구하는 목적은 가격결정과정에서 서로 양립할 수 없는 부분이 존재할 수 있다. 문제는 의약품의 지속적이고 안정적 공급을 담보할 수 있는 법적 근거의 부재에 기인하는 것으로 판단된다. 안정적 공급을 담보할 수 없는 상태에서 공급거부를 취할 때 약가를 실질적으로 상향조정하여 주는 것은 장기적 해결방안이 되기 어렵다는 판단이다.

최근 불거진 의약품 공급거부사례는 이와 같은 문제들이 얽혀져 표출된 극단적인 경우로 비춰지나, 향후 유사한 사례가 더욱 더 빈번하게 발생할 가능성도 동시에 존재한다. 따라서 희귀의약품을 둘러싼 이해당사자인 환자, 제약사, 보험자(정부)의 입장과 원칙을 고려하여 포괄적이며 근본적인 개선에 대한 논의가 필요한 시점이다.

본 연구에서는 이에 대한 대안으로 별도의 재원을 통한 관리, 다양한 협상기법의 도입, 긴급도입인정의약품의 적극적 활용과 같은 방안을 간단한 수준에서 제시하여 보았다.

# 참고문헌


국민건강보험법 시행령(개정 2009.7.1, 대통령령 제21584호)

국민건강보험법 시행규칙(개정 2009.7.1, 보건복지가족부령 제123호)

국민건강보험 요양급여의 기준에 관한 규칙(개정 20091.13,보건복지가족부령 제87호)

한국백혈병환우회, “글리벡 투쟁”, http://www.hamggae.net

최은택, “약가불만 희귀약제 줄줄이 공급거부”, 데일리팜, 2009. 5. 8.

허현아, “희귀질환약 약가 ‘리펀드제’ 도입 일단 보류”, 데일리팜, 2009. 5. 8.

최은택, “필수약제 독점가격 인정, ‘리펀드제’ 첫발”, 데일리팜, 2009. 6. 18.

배은영・정연・이병란, 의약품 등재가 결정방식 및 개선방안 연구, 건강보험심사평가원 2007.

식품의약품안전청 의약품사이트, http://ezdrug.kfda.go.kr/kfda2

신의료기술등의 결정 및 조정기준 보건복지가족부 고시 제2009-3호(개정 2009.1.13)

약사법 시행규칙(개정 2008.12.14, 보건복지가족부령 제77호)

약가협상지침 (개정 2008.12.31, 공고 제2008-189호)

수입요건확인면제대상물품중의약품등수입추천요령(식품의약품안전청고시 제2008-45호)

한국제약협회, 2008 제약산업통계집. 서울;한국제약협회;2006

한국희귀의약품센터, 희귀의약품관리제도 선진화 방안마련. 식품의약품안전청;2006

희귀의약품지정에관한규정, 식품의약품안전청 고시 제2009-221호(개정 2009.12.31, 개정)

Baltussen R. and Niessen L., "Priority setting of health interventions : the need for multi-criteria decision analysis. Cost-effectiveness and Resource allocation", 2006.4.14.

Beerman B., "Development of the European Orphan Drug regulation in comparison with the American Orphan Drug Act – similarities and differences", http://www.ehfg.org.

Canada Ontario, Ministry of health and long-term care, http://www.health.gov.on.ca.

Clarke J., "Is the current approach to reviewing new drugs condemning the victims of rare diseases to death? A call for a national orphan drug review policy [commentary]" *Canadian Medical Association Journal,* 174(2), 2006, pp.189-190.

Cookson R., "Public healthcare resource allocation and the Rule of rescue[abstract]" *Journal of medical ethics,* 34, 2008, pp.540-544.

Danzon P., Wang Y., Wang L., "The impact of price regulation on the launch delay of new drugs - evidence from twenty-five major markets in the 1990s", Health economics ,14, 2005, pp.269-292.

Danzon P., "At what price?", Nature : vol 449(13), 2007, pp.176-179.

Genzyme. Gaucher initiative, http://www.genzyme.com/commitment/patients/gaucher_initiative.asp.

Gericke C., "Priority setting in resource allocation for health research : Orphan drug R&D", http://www.mig.tu-berlin.de.

Gericke C., Risberg A., Busse R., "Ethical issues in funding orphan drugs research and development" Journal of medical ethics, 31, 2005, pp.164-168.

Glivec, "Glivec International Patient Assistance Programme(GIPAP)", http://www.accesstotreatment.org/en/programs/GIPAP.aspx.

Holding J., "Do orphan medicines benefit patients?" *The pharmaceutical journal,* 280, 2008, pp.216-218.

Hughes D.A., Tunnage B., Yeo S.T. "Drugs for exceptionally rare diseases : do they deserve special status for funding?" *Q J Med* 98, 2005, pp.829-836.

Hughes D., "Rationing of Drugs for rare diseases." *Pharmacoeconomics,* 24(4), 2006, pp.315-316.

Kesselman I., Elsterin D., Israeli A., Chertkoff R., Zimran A., "National health budgets for expensive orphan drugs: Gaucher disease in Israel as a model. Blood cells," *Molecules and Diseases,* 37, 2006, pp.46-49.

Koch T., "Learning from the economic crisis : public health and private ventures [extract]." *Journal of medical ethics,* 35, 2009, pp.145-146.

McCabe C., Claxton K, Tsuchiya A., "Orphan drugs and the NHS : should we value rarity?", BMJ 331, 2005, pp.1016-9.

McKie J., Richardson J., "The rule of rescue. Socal science and medicine.", 56, 2006, pp. 2407-2419

Miles K., Packer C., Stevens A., "Quantifying emerging drugs for very rare conditions" *Q J* Med, 100, 2007, pp.291-295.

National Institute for Health and Clinical Excellence. Appraising Orphan Drugs(draft), http://www.nice.org.uk/niceMedia/pdf/smt/120705item4.pdf.

Orphanet, www.orpha.net

Ridley D., "rice differentiation and Transparency in the Global Pharmaceutical Marketplace." *Pharmacoeconomics* 23(7), 2005, pp.651-658.

Schweitzer S., "Pharmaceutical economics and policy", Oxford university press, 2007, pp.149~150.

Schlander M., "The use of cost-effectiveness by the National Institute for Health and Clinical Excellence(NICE):no(t yet an) exemplar of a deliberative process" *Journal of medical ethics,* 34, 2008, pp.534-539.

Stolk P., Willeman M., Leufkens H., "Rare essentials : drugs for rare diseases as essential medicines." Bulletin of the World Health Organization September, 84(9), 2006.

Vogel R., "Pharmaceutical economics and public policy", Pharmaceutical Products Press, 2007, p61~7, p100~115

WHO Essential Drugs, www.essentialdrugs.org

# 부 록

## 의약품 공급거부 사례

① 글리벡정(Imatinib mesylate, 만성백혈병 치료)

2001년 만성백혈병환자들에게 마법의 탄환같이 나타난 글리벡정의 공급자인 노바티스(Novartis)는 당시 정부가 고시한 상한가격(17,862원/정)에 대한 불만으로 공급거부를 하였다. 이에 따라 백혈병 환자들의 생명을 담보로 한 약가싸움이 불거지게 되었으며, 결국 정부는 2003년 1월, 23,045원/정으로 상한금액을 인상고시하게 되었다. 글리벡정의 공급거부는 보건의료정책에 있어 큰 의미를 지닌 사례이다. 우선, 건강보험의 보장성이 낮다는 지적, 환자단체가 자가치료용[11]으로 인도의 나코(Natco)에서 제조한 비낫정(Veenat, 글리벡의 복제약)을 수입하여 공급한 점, 환자단체 및 시민단체가 강제실시를 청구('02.1.30)한 점은 큰 의미를 지닌다. 글리벡의 강제실시 청구는 기각되었으나 우리나라에서 강제실시를 청구한 3번째 사례에 해당된다.

의약품 공급이 중단된 2년 여 동안, 공급사는 무상공급을 지원하였으며, 약가 인상 고시 후 희귀의약품센터를 통해 본인부담금의 10%를 현금지원하고 있다.

② 푸제온주(Enfuvirtide, HIV감염 치료)

2004년 11월, 24,996원/병으로 등재된 푸제온주는 스위스에 본사를 둔 로슈(Roche)가 공급하는 에이즈치료제로 기존의 치료법에 내성이 생긴 경우에 투여하는 약제이다. 공급사는 2004년 이후 단 한 번도 의약품을 공급한 적이 없으며, 2차례의 약가 인상조정신청을 제출한 바 있다. 그러나 인상사유가 모두 기각되었으며, 2008년 12월 환자단체가 특허 강제실시를 청구하자, 2009년 2월부터 희귀의약품센터를 통해 무상공급하고 있다.

③ 프레지스타정(Darunavir, HIV감염 치료)

2008년 5월 건강보험공단과 약가협상에 합의하여 3,480원/정으로 결정되어 보험등재된 약제로 얀센(Janssen)이 공급하고 있다. 이 약은 기존의 치료법에 내성이 생긴 경우 투여하는 에이즈 치료제이며, 약가 고시 후 업체는 비급여 신청을 하였으나, 철회한 바 있다. 2009년 2월부터 희귀의약품센터를 통해 무상공급하고 있다.

---

11) 대외무역법 제 14조 및 식품의약품안전청 고시 제 2008-45호

④ 엘라프라제주(Idursulfase, 헌터증후군 치료)

샤이어(Shire)가 개발한 유전자 재조합의약품으로, 헌터증후군(뮤코다당증 II형)환자의 걷기 능력을 개선시키는 효과를 지닌다. 건강보험공단과의 약가협상이 결렬되고 약제급여조정위원회의 조정결과 2,789,961원/병으로 결정 고시되었다('08.12). 그러나 국내 판매권을 소유하고 있는 삼오제약은 2009년 1월부터 공급을 거부해 왔으며, 기획재정부의 관세면제 조치를 부여받고 공급을 재개하였다.

⑤ 나글라자임주(Galsulfase, 뮤코다당증 VI형 치료)

바이오마린(Biomarin)이 개발한 유전자재조합의약품으로 뮤코다당증 VI형 환자의 걷기와 계단 오르기 능력을 개선시킨다. 엘라프라제주와 같이 협상 결렬되어 약제급여조정위원회의 조정결과 1,614,275원/병으로 최종 결정되었으나, 공급이 이루어지고 있지 않고 있었으나, 리펀드 시범사업실시로 인해 리펀드제도를 적용하여 고시가 인상(1,900,000원/주) 후 공급하고 있다.

⑥ 마이오자임주(Alglucosidase alfa, 폼페병 치료)

세계 3대 바이오기술을 보유한 제약사인 젠자임(Genzyme)이 개발한 유전자재조합의약품으로 폼페병(글리코겐저장이상)의 치료를 적응증으로 하고 있다. 약가 협상이 결렬되어 약제급여조정위원회의 조정결과 705,000원/병으로 최종 결정되었으나('09.4), 약가인상이 없으면 공급하지 않겠다는 의사를 표한 바 있다. 무상공급을 필요한 환자에게 공급하고 있었으나, 나글라자임주와 함께 리펀드제도를 적용하여 고시가 인상(957,000원/병) 후 공급하고 있다.

⑦ 노보세븐주(Eptacog alfa, 혈우병 치료)

덴마크에 본사를 둔 노보노디스크사에 의해 공급되는 유전자재조합의약품으로 혈우병 항체 환자에게 적용되는 의약품이다. 1998년 우리나라에 허가되어 보험 등재되었으며 등재 당시 가격(1,758,310원/60KIU, 3,413,190원/120KIU, 6,619,520원/240KIU)에 대해 10여 년 동안 한 번도 재평가되지 않았다. 2007년 12월, 희귀난치성질환연합회의 약가인하조정신청에 따라 노보세븐주의 약가에 대한 평가가 이루어졌는데, 당시 가격은 A7조정평균가 대비 약 1.7~1.8배의 높은 수준을 유지하고 있었다. 노보노디스크사는 2008년 5월, 당시 약가의 45.5%를 자진인하(929,674원/60KIU, 1,861,504원/120KIU, 3,353,154원/240KIU)하였으며 이로 인해 노보세븐주는 2차 약제에서 1차 약제로 급여기준이 완화되었다.

그러나, 노보노디스크사는 동년 12월, 61%의 약가인상조정을 신청하였고, 그 사유로 환율의 급격한 인상과 자진인하 당시 과도한 인하율을 들었다. 또한, 약가가 조정되지 않을 경우 공급을 중단하겠다는 의사를 표하였으며, 급기야 약가협상('09.4~'09.6)이 진행되는 2009년 5월, 의약품재고가 모두 소진되어 환자들이 위급한 상황에 처하게 되었다.

약가협상은 결렬되었고, 2009년 7월 약제급여조정위원회에서 평균 33% 인상을 결정, 노보세븐주의 가격이 최종 결정(1,203,927원/60KIU, 2,410,647원/120KIU, 4,714,199원/240KIU)되었다. 부가 조건으로 1년 후 건강보험공단과 재협상 하는 것과 20억 원의 현물지원을 제시하였다.

<Abstract>

# Issues with Orphan Drug Pricing in South Korea

Hye-Young Kwon* · Bong-Min Yang*†

(*Graduate School of Public Health, Seoul National University)

Orphan drugs to treat rare diseases constitute a unique market structure, with strong monopoly at the producer side. The various characteristics embedded with orphan drugs create an environment which often in conflict with health policy goals of a health care system. For example in Korea, conflicts between the orphan drug producers and the public insurer generated the problem of drug supply refusal in recent years. Facing this as a health policy issue, this study examines diverse aspects involved surrounding orphan drug pricing and supply in the Korean context.

In particular, ultraorphan drugs, orphan drugs with higher need of patient protection from insurer perspective, are susceptible to breakdown of price negotiations. The end result of negotiation breakdown takes the form of supply refusal, due mainly to supplier's dissatisfaction with the proposed reimbursement price by the insurer. Moreover, for the health system's perspective, funding high priced ultraorphan drugs within a limited public insurance budget often implies a painful trade-off, that many patients with more common diseases may have to forego highly cost-beneficial treatments. Facing all kinds of social and economic issues involved, this study investigates related concerns with the pricing and supply of orphan drugs first, and then a number of health policy options are offered within the Korean public health context.

Key Words : Orphan drug, Ultraorphan drug, Supply refusal, Price negotiation

† Corresponding author: Bong-Min Yang, Tel: +82-2-880-2762, e-mail: bmyang@snu.ac.kr
Address: Seoul National University, 221-407 Gwanak-ro, Gwanak-gu, Seoul 151-742