

Specialty Drugs의 현황과 정책과제

- 생명공학 및 유전체학에 기반한 신약개발 기술이 발전함에 따라, 생물의약품 중심이 되어 암, 면역질환 등 중증질환의 전문치료제로 개발되는 Specialty drugs가 증가하고 있음

- Specialty drugs에 대해서도 현재의 건강보험 급여원칙에 의해 급여 및 약가결정을 하는 것이 바람직하고, 약제 사용의 적정성을 확보하기 위하여 사용 과정에서의 질 관리를 강화할 필요가 있음

1. Specialty drugs의 일반 현황

가. Specialty drugs의 정의

- 생명공학과 의과학의 발전에 따라 질병 진단기술과 신약개발 기술이 발달하면서, 최근의 신약들은 일차의료 영역 이상의 전문적이고 특화된 의료기관에서 주로 다루는 중증질환을 대상으로 하는 전문치료제가 증가하고 있음
- Specialty drugs는 그 범위를 배타적으로 정의하기는 어려우며, 그것이 나타내는 특징을 종합하여 다음과 같이 정의할 수 있음 : “생물의약품을 중심으로 하여 암, 면역질환과 같은 중증질환의 전문치료제로 개발되는 의약품”

나. Specialty drugs의 특성

- Specialty drugs의 상당수는 생물의약품이며 주사제로 공급되는데, 주사제는 일반적으로 경구용 의약품보다 가격이 높으며 의료기관에서 투여하게 되므로 결과적으로 약물의 사용 장소에도 영향을 미침
- Specialty drugs의 주요 부문을 차지하는 항암제, 류마티스 관절염 치료제 등 신약들은 질병에 직접 관련된 세포 또는 물질 자체를 공격하는 표적치료제로 개발되는 추세임
- Specialty drugs는 대부분 생물의약품으로 생산, 보관, 관리 비용이 높고, 중증질환 및 희귀질환 치료를 위한 신약으로서 시장독점력이 높아 약가가 매우 높음

〈표 1〉 세계적인 주요 초고가 specialty drugs

제품명	성분	제조사	연간 약품비용	적응증
Soliris	eculizumab	Alexion Pharmaceuticals	\$409,500	발작성 야간혈색뇨증
Elaprase	idursulfase	Shire Pharmaceuticals	\$375,000	헌터 증후군
Naglazyme	galsulfase	BioMarin Pharmaceutical	\$365,000	마로토-라미 증후군
Cinryze	C1 esterase inhibitor	ViroPharma	\$350,000	유전성 혈관부종
Myozyme	alglucosidase alpha	Genzyme	\$300,000	폼페병
Arcalyst	riloncept	Regeneron	\$250,000	크리오피린 관련 주기적 증후군
Fabrazyme	agalsidase beta	Genzyme	\$200,000	파브리병
Cerezyme	imiglucerase	Genzyme	\$200,000	고셔병

자료: http://www.pharmaceuticalcommerce.com/frontEnd/1383-Forbes_rare_disease_orphan_drug_Genzyme_Biomarin.html

다. Specialty drugs의 시장 현황과 전망

□ 세계 신약 시장에서 Specialty drugs의 비중이 빠르게 증가하고 있음

- 2000년대 중반 이후 고혈압, 당뇨, 고지혈증 등 일차의료 영역의 대규모 인구집단을 대상으로 하는 기존의 블록버스터 신약의 특허만료가 계속되어 왔는데 이에 반해 중증질환에 대한 Specialty drugs의 개발 및 출시는 증가하고 있음
- 2006년 미국 의료보험 약제비용에서 Specialty drugs은 10.4%를 차지하였으며 아직 전체 시장에서의 비중은 높지 않음. 그러나 연간 시장성장률이 기존 의약품시장 성장률의(5.8%) 3배에 이르는 16.1%로 매우 높게 나타남 (Towers Perrin, 2008)

□ 생명공학 및 유전체학에 기반한 신약개발 기술이 발전함에 따라 Specialty drugs의 개발이 더욱 활발해지고 있음

- 2009~2014년 시장성장률이 가장 높은 분야로 항암제, 면역질환 치료제의 생물약품으로 전망되며 전통적인 화합물약품 시장의 비중은 감소할 것으로 전망됨 (Datamonitor, 2010)

□ Specialty drugs는 시장이 좁은 특정질환을 대상으로 하므로 상대적으로 대규모의 마케팅이나 판촉비용이 들지 않음

- Specialty drugs는 대상 환자의 범위가 넓지 않고 상급병원에서 주로 사용하므로 질환전문가를 중심으로 마케팅을 하게 되며, 따라서 일차의료 부문에서 주로 사용되는 의약품에 비해 마케팅 전략이 달라짐
- Specialty drugs는 치료제의 필요성이 높은 질환을 대상으로 하며, 대체치료제가 없거나 기존 치료제와 차별성을 가지는 경우 보험급여 가능성이 높고 고가로 판매 가능하므로 제약기업의 주요 전략시장으로 인식됨

□ 대표적인 Specialty drugs 의약품군은 다음과 같음 (MM&M, 2010)

- 항암제, 항바이러스제 및 HIV/AIDS약, 면역억제제, 에리스로포이에틴, 자기면역질환 생물약품 치료제, 면역촉진제, 자가면역 조절제, 이뮤노글로불린, 혈액응고제, C형간염 치료제 인터페론
- 위 의약품군의 대부분은 세계 시장 상위 20개 치료군에 속해 있으며, 자가면역조절제, HIV 항바이러스제, 다발성경화증 치료제 등은 2010년 전년 대비 10% 이상 성장하였음

〈표 2〉 세계시장 10대 Specialty drugs 유형

구분	전체 Specialty drugs 시장 중 비중 (%)
항암제	35.7
항바이러스제 및 HIV/AIDS약	9.1
면역억제제	9.1
에리스로포이에틴	8.5
자기면역질환 생물약품 치료제	8.2
면역촉진제	6.6
자가면역 조절제	4.2
이뮤노글로블린	3.7
혈액응고제	3.0
C형간염 치료제 인터페론	2.9

자료: IMS Health, 2011.

〈표 3〉 2010년 세계시장 20대 의약품

순위	제품명	적응증	2010년 판매액 (백만 US\$)	전년 대비 성장률 (%)
1	Lipitor	고혈압	12,657	5.2
2	Plavix	고지혈증	8,817	-6.2
3	Seretide	천식	8,469	-3.4
4	Nexium	위궤양	8,362	4.4
5	Seroquel	정신분열증	6,816	1.3
6	Crestor	고지혈증	6,797	13.2
7	Enbrel	류마티스관절염	6,167	24.0
8	Remicade	류마티스관절염	6,039	5.2
9	Humira	류마티스관절염	5,960	10.3
10	Zyprexa	정신분열증	5,737	19.7
11	Avastin	대장암	5,532	6.6
12	Singular	천식	5,466	11.1
13	Abilify	정신분열증	5,430	9.2
14	Mabthera	비호지킨 림프종	5,034	16.3
15	Lantus	당뇨병	4,686	7.8
16	Aricept	치매	4,432	16.7
17	Actos	당뇨병	4,317	8.5
18	Lovenox	혈전	4,282	3.9
19	Herceptin	유방암	4,165	-5.3
20	Diovan	고혈압	4,157	6.7

자료: IMS Health, 2011.

□ Specialty drugs는 향후 더욱 빠르게 성장하여 의약품 시장의 성장을 견인할 것으로 전망됨

- 미국에서 항암제 시장은 2013년까지 연간 10% 이상씩 성장할 것으로 예상되며, 현재 900개 이상의 항암제가 개발중임 (Krauskopf, 2011)
- 2013년까지 Specialty drugs의 세계시장 규모가 1천6백억 달러를 넘어설 것으로 예상됨 (MM&M, 2010)

2. Specialty drugs 관련 정책 이슈

가. 높은 약품비와 빠른 성장에 의한 재정적 부담 증가

□ Specialty drugs의 대부분은 생물의약품 신약으로서, 특히 만료 시 이를 대체할 저가의 복제의약품 개발에 대한 사회경제적 필요가 존재함

- 미국, 유럽 등 Specialty drugs가 활발하게 사용되며 또한 약제비 지출 억제에 대한 요구가 큰 국가들에서는 2000년대 중반 이후 생물의약품 복제약의 허가체계를 마련하고 있으며, 생물의약품 신약의 시장독점기간이 정책의 주요 이슈가 되고 있음

〈표 4〉 주요 바이오의약품 특허 만료현황

제품명	성분명	2007 매출 (\$B)	적응증	개발사	특허 만료 연도
엔브렐(Enbrel)	Etanercept	5.3	류마티스 관절염	Amgen	2012
에포젠(Epogen)	Epoetin- α	5.3	빈혈	Amgen	2013
레미케이드(Remicade)	Infliximab	4.4	류마티스 관절염	Johnson&Johnson	2013
아보넥스(Avonex)	Interferon β -1a	1.8	다발성 경화증	Biogen Indec	2013
레비프(Rebif)	Interferon β -1a	1.6	다발성 경화증	Serono	2013
휴마로그(Humalog)	Insulin lispro	1.4	당뇨병	Eli Lilly	2013
뉴포젠(Neupogen)	Filgrastim	1.2	호중구 감소증	Amgen	2013
세레자임(Cerezyme)	Imiglucerase	1.1	고셔병	Genzyme	2013
코팍손(Copaxone)	Glatiramer acetate	1.6	다발성 경화증	Teva	2014
리투산(Rituxan)	Rituximab	4.5	비호지킨 림프종	Genentech	2015
뉴라스타(Neulasta)	Pegfilgrastim	3.0	백혈구 개선 촉진	Amgen	2015
란투스(Lantus)	Insulin glargin	2.7	당뇨병	Sanofi-Aventis	2015
얼비투스(Erbitux)	Cetuximab	1.7	대장암	BMS/Merk	2015
휴미라(Humira)	Adalimumab	3.0	류마티스 관절염	Abott	2016
허셉틴(Herceptin)	Trastuzumab	4.0	유방암	Genentech	2019
아바스틴(Avastin)	Bevacizumab	3.4	대장암	Genentech	2019
루센티스(Lucentis)	Ranibizumab	1.2	황반변성	Novartis	2019

자료: 생명공학정책연구센터, 2010 Biopharmaceutical Special Issues & Topics, 2010.

- Specialty drugs 중 특히 고가의 제품들은 대체치료제가 없는 희귀의약품으로서, 초고가 입에도 불구하고 보험등재의 가능성이 높지만 약가 결정이 쉽지 않음

- 국내에서도 일부 초고가 Specialty drugs에 대해 약가결정 과정이 순탄하지 않았으며 리펀드 제도를 새로 도입하여 공급이 이루어진 바 있음

나. 건강보험 급여 결정과 관련한 근거의 중요성

- Specialty drugs 중 항암제, 희귀의약품 등은 임상적 최종 효과(clinical outcome)가 아닌 중간단계의 효과(surrogate outcome)만으로 허가되기도 함. 그러나 중간단계의 효과가 반드시 임상적인 효과성을 보장하지는 못함

- 고가로 출시되는 Specialty drugs는 대체치료제가 있는 경우 급여권에 진입할 가능성이 낮아질 수 있으며, 비급여되는 경우 임상적 효과성 및 비용효과성에 관한 근거 생산은 더욱 어려워질 수 있음

- 그러나 중증질환자들은 치료제에 대한 요구도가 높으며, 기존 치료제로 제대로 치료되지 않을 경우 비급여된 치료제라도 사용하고자 할 것임

- 고가의 치료제이므로 임상적 효과성 및 비용효과성에 관한 근거가 더욱 요구됨에도 불구하고, 급여에서 제외되는 경우 계속 근거생산이 어려워지는 문제가 발생함

다. 의약품 사용의 적정화 및 관리 중요

- Specialty drugs는 중증질환자의 장기간 치료과정에서 사용되므로 환자의 건강과 의료비에 미치는 영향이 크고, 따라서 적정 사용이 특히 중요함

- 장기간 처방조제 후 부작용 발생 시 약제 사용이 중단되므로 재정 낭비가 초래됨. 따라서 치료효과 및 부작용 발생에 대하여 조기에 파악하고 적절한 약물선택이 이루어져야 함

- 비용효과성 미비 등의 이유로 비급여되거나 허가초과(off-label) 범위에서 사용되는 Specialty drugs의 경우, 적정 사용을 위한 질관리 대상에서 제외될 가능성이 있음

- 암 치료에서 이루어지는 의약품 사용의 75%, 희귀질환에서 의약품 사용의 90%가 허가사항 초과 사용에 의한 것으로 보고됨 (Hampton, 2007)

라. 의약품 사용 및 비용 관리 대상 영역의 변화

- 의약품의 적정 사용 또는 약제비용 관리를 위한 제도적 개입(intervention) 시 Specialty drugs에서는 환자 보다는 공급자를 대상으로 하는 것이 적절함
 - 전통적으로 약제 사용을 통제하는 방법으로는 제네릭 의약품의 사용 활성화 또는 약제비용 억제에 의해 환자의 본인부담금제도를 이용하거나 공급자의 제네릭 처방 조제를 촉진하는 전략이 이루어져 왔음. 그러나 Specialty drugs에서는 대부분 제네릭 의약품이 개발되지 않았으므로 이러한 전략이 효과를 거두기 어려움
- Specialty drugs의 주요 대상인 중증질환자들은 치료제에 대한 요구도가 특히 높아 본인 부담금의 조절을 통한 약제 사용 통제는 효과가 낮으며 오히려 환자의 비용부담을 가중하거나 필요한 치료제에 대한 접근성을 낮출 우려가 있음
 - 중증질환에서 본인부담금의 인상이 Specialty drugs의 최초 사용을 결정하는 데는 영향을 미치지만, 일단 약의 사용이 이루어진 이후에는 본인부담금이 인상된다고 하여 약의 사용이 감소하지는 않는 것으로 나타남(Goldman et al., 2006)
- Specialty drugs의 상당수는 생물약품으로서 주사제 형태로 공급되므로 의료기관에서 직접 투여되며, 의원보다는 종합병원 이상의 상급의료기관에서 사용될 가능성이 높음
 - 따라서 Specialty drugs 사용의 질 관리 및 비용지출의 효율화를 위한 제도의 주요 대상 영역은 일차의료가 아닌 전문치료 영역이 될 것이며, 의원보다는 병원 부문이 주요 대상 기관이 될 것임

3. Specialty drugs 관련 정책 방향

가. Specialty drugs의 보험급여 관련 정책

- 건강보험 틀 내 급여 원칙 유지
 - 고비용 의약품은 신약개발 기술 패러다임의 변화에 따라 향후 더욱 증가할 것이며, 현재와 같이 건강보험 체계 내에서 임상적 유용성, 비용효과성을 중심으로 평가하여 급여가 이루어져야 할 것임

○ Specialty drugs가 주요 치료제의 한 부분으로 자리잡을 것이며, 이를 현재의 건강보험체
계에서 관리하는 것이 바람직함

○ 현재 약제 급여 기준으로 사용하고 있는 임상적 유용성과 비용효과성이라는 기준은 제한된
보건의료자원의 효율적 사용을 위한 원칙이라는 점에서 약가 수준과 관계없이 적용하는
것이 바람직함

□ 급여에 관한 의사결정의 유연화

○ 현재 중증질환 및 희귀질환에서 본인부담률이 5% 및 10%로 낮아 환자의 약제에 대한 접근성이
높은 편이나 비급여 Specialty drugs에서는 전액 본인부담하게 되므로 환자의 부담수준이 매우
높아짐. 그럼에도 중증질환에서는 환자의 약제에 대한 선택폭이 낮으므로 고가의 Specialty
drugs를 불가피하게 사용해야 하는 경우가 있음

○ 대체 가능한 치료제가 극히 제한되어 있는 경우 낮은 급여율을 적용하더라도 급여권에
포함시켜 전액 본인부담하던 환자의 부담을 낮추어 접근성을 제고하는 것이 필요함

나. Specialty drugs의 적정 사용을 위한 정책

□ 의약품 공급에 대한 관리 강화

○ Specialty drugs의 대상 질환은 환자들의 치료제에 대한 수요가 높은 중증질환이며, 현재의
행위별 수가제 하에서 약제의 사용이 자발적으로 낮아질 가능성 또한 낮음. 중증질환에
서 약제 사용으로 인한 부작용에 대한 관찰과 관리는 더욱 중요하며, Specialty drugs의
사용 후 환자에서 나타나는 약효과 부작용을 조기에 파악하고 사용을 적절히 통제하는
기전이 필요함

○ 환자의 질병 진행에 미치는 영향이 크고 재정적 영향이 큰 고가의 Specialty drugs에 대해서는
처방할 수 있는 의료기관을 해당 질환의 전문의사가 있고 약제 사용에 대한 자발적 질 관리가
가능한 의료기관으로 제한하여 적정 사용이 이루어질 수 있도록 할 필요가 있음

□ 급여권 내 관리를 통한 적정 사용 촉진

○ 비용효과성의 미흡으로 비급여되었으나 위험 대비 편익으로 볼 때 사용이 합리적인 Specialty
drugs에 대해서, 낮은 급여율로 시작하여 점차 급여권으로 흡수하여, 치료제에 대한 환자의 접
근성을 높이고 적정 사용을 위한 관리 하에 두는 것이 필요함

다. Specialty drugs의 근거 강화를 위한 정책

□ 조건부 급여 제도의 도입

- 우수한 치료효과의 가능성이 있으나 보험급여를 결정하기에는 근거가 불충분한 경우, 추가 근거를 생산하기 위한 제한된 시험조건에서 사용하는 경우에 한해서 급여하는 근거생산 조건부급여(conditional coverage with evidence development, CED) 제도를 도입함
- 조건부급여는 급여와 비급여의 중간적 의사결정이라 할 수 있으며, Specialty drugs에 대한 환자의 접근성을 보장하면서 어느 정도 통제된 조건 하에서만 사용하도록 하여 사용의 적절성을 최소한 확보할 수 있으며, 임상적 유용성 및 비용효과성 등에 대한 근거를 추가 생산하여 급여의 타당성에 관하여 추후 재평가할 수 있다는 장점이 있음

□ 허가초과 사용(off-label use)에 대한 근거 확보

- 사회적으로 근거 생산이 필요한 허가초과 사용을 파악하여 연구를 수행하고 근거를 생산하여 합리적 사용이 이루어지도록 할 필요가 있음
- 현재 이루어지고 있는 허가초과 사용 약제에 대하여 보건학적, 재정적 영향에 따라 우선 순위를 정하여 과학적으로 충분히 타당한 근거를 생산할 수 있는 연구를 수행하여 안전성, 유효성 자료를 생산함
- 안전성, 유효성 평가 결과 새로운 적응증으로 허가할 만큼 근거가 확보되었다면 적응증을 추가하고 비용효과성에 대한 평가를 통해 보험급여 여부도 판단하는 것이 바람직함
- 안전성, 유효성이 미흡하다면 더 이상 그러한 허가초과 사용이 이루어지지 않도록 약물 사용지침을 수립해야 함

박실비아(보건의료연구실 연구위원) 문의(02-380-8134)

- 한국보건사회연구원 홈페이지의 발간자료에서 온라인으로도 이용하실 수 있습니다.
http://www.kihasa.re.kr/html/jsp/public/public_01_01.jsp