

호주의 Life Saving Drugs Program 운영 현황과 시사점

Life Saving Drugs Program of Australia

박실비아 한국보건사회연구원 연구위원

채수미 한국보건사회연구원 전문연구원

1. 들어가며

희귀질환 치료제는 대상 환자 수가 적어 오랫동안 제약기업들의 개발 동기가 약했던 치료제 분야이다. 그러나 1983년 미국의 희귀의약품법(Orphan Drug Act) 제정 이후, 일본(1993년)과 EU(2000년) 등에서도 희귀의약품 개발 촉진을 위한 제도가 시행되면서 세계적으로 희귀질환 치료제의 개발과 시판이 빠르게 증가하였다. 특히 생명공학 및 유전자정보의 해독기술의 발전은 희귀질환 치료제 개발을 더욱 가속화시키고 있어 향후 희귀의약품 시장은 전체 의약품 시장의 성장률을 훨씬 앞서가며 확대될 것으로 예상된다.¹⁾

희귀의약품은 대부분 개발회사가 세계시장을 독점하여 공급하는 신약으로 출시되며 매우 고가로 판매된다. 새롭게 개발되어 시판되는 희귀의약품은 주로 생명을 위협하거나 심신을

쇠약하게 하는 중증 희귀질환을 대상으로 하며, 이들 중 많은 의약품은 질병을 완치하기 보다는 생명을 연장하거나 증상을 완화하는 정도의 효과를 기대할 수 있다. 이러한 효과(effectiveness)는 다른 신약의 그것과 비교할 때 작은 것일 수 있으나 대체치료제가 없고 심신의 고통이 큰 희귀질환자 입장에서는 매우 큰 효용(utility)일 수 있다.

희귀의약품의 이러한 특징은 오늘날 국내의 건강보험 약제급여 결정과정에서 어려움을 낳고 있다. 우리나라를 포함하여 대부분의 건강보장체계에서는 약제급여 결정 시 신약의 비용효과성(cost-effectiveness)을 평가하고 있으며, 고가의 희귀의약품은 이 기준을 충족시키지 못하는 경우가 많다. 일반적으로 신약이 비용효과성 기준을 충족시키지 못하면 급여에서 제외되는데, 희귀의약품은 대체치료제가 없고 환자 수가 적다는 것, 그리고 비급여 시 환자의 비용부

1) 박실비아, 채수미, 박은자, 주민희, 구현민, 유원근(2013). 희귀의약품 제도의 국가별 비교 연구, 보건사회연구, 33(2), pp.515~548.

답이 매우 높다는 특징이 복합적으로 작용하여 급여에 관한 의사결정을 매우 어렵게 한다.

의료비가 급등하고 고가의 희귀의약품이 점차 증가하는 환경에서 한정된 재원으로 국민의 보건의료수요를 충족시키기 위해서는 지불의 가치가 있는 의약품을 적절히 선별하여 합리적으로 사용하도록 하는 제도 개발의 필요성이 더욱 커진다. 이러한 측면에서 호주의 Life Saving Drugs Program(이하 LSDP)은 국가 건강보장체계의 의약품 급여체계의 원칙을 유지하면서 일부 중증희귀질환 치료제에 대한 환자의 접근성을 확보하려는 제도의 한 사례를 보여준다. 이 글에서는 호주의 건강보장체계에서의 의약품 급여제도와 희귀의약품 제도를 개괄한 후 LSDP의 운영현황을 소개하고 정책적 시사점을 논하고자 한다.

2. 호주의 의약품 제도와 LSDP 위치

1) 호주의 의약품 급여제도 개요²⁾

호주는 연방 정부 책임 하에 전국민을 대상으로 의료보장체계(Medicare)를 통해 포괄적 의료서비스를 제공하고 있다. 의약품과 관련해서는 Medicare 체계 내에서 Pharmaceutical

Benefit Scheme(이하 PBS)라는 의약품 급여프로그램을 운영하고 있다. PBS는 1948년 연금수혜자에게 무료 의약품 제공 및 기타 지역주민에게 ‘생명을 구하며 질병을 예방하는’ 139개 의약품을 무료로 제공하면서 시작되었으며, 현재는 호주 국민들에게 필요한 의약품에 대한 시의적절하고 구매가능한 접근성을 보장하는 역할을 하고 있다. PBS는 호주 국가의약품정책(National Medicines Policy)의³⁾ 한 부분으로 인식되고 있으며, 그 운영과정도 국가의약품정책(National Medicines Policy)의 원칙에 충실하다고 할 수 있다.

호주는 의료기술평가(health technology assessment; HTA)가 세계적으로 확산되기 전부터 일찍이 의약품의 비용효과성을 평가하여 급여결정을 해온 국가로 잘 알려져 있다. PBS에서 의약품의 급여 여부에 관한 검토는 PBAC(Pharmaceutical Benefit Advisory Committee)가 담당하는데, PBAC는 정부로부터 독립적인 전문조직으로서 의사, 보건의료전문가, 보건경제학자, 소비자 대표 등이 참석한다. 신약이 PBS의 급여 목록에 포함되기 위해서는 PBAC의 급여 권고가 반드시 필요하다. PBAC는 의약품 급여 여부를 심의할 때 임상적 유효성과 안전성, 비용효과성을 평가하며 구체적으로는 다음 요소를 검토한다.

- 호주 의약품 허가당국인 TGA(Therapeutic

2) <http://www.pbs.gov.au>(2013. 12. 10)

3) 호주 국가의약품정책(National Medicines Policy)은 다음 네 개의 목적을 명시하고 있다: (1) 국민들이 필요로 하는 의약품에 대해 개인 및 지역사회가 구매 가능한 비용으로 시의적절하게 접근 가능한 것. 이를 위해 급여 의사결정 시에는 치료제의 효과성과 비용효과성 모두를 고려해야 함; (2) 의약품은 질, 안전성, 효능의 적절한 기준을 충족해야 함; (3) 의약품의 합리적 사용; (4) 책임성 있고 독립적인 의약품산업의 유지.

Goods Administration)가 허가한 적응증. PBAC는 의약품의 급여와 관련하여 TGA가 허가한 적응증에 대해서만 권고한다.

- 해당 용도로 사용했을 때 다른 치료방법과 비교한 유효성과 안전성.

- 발생 비용. PBAC는 PBS에 지출되는 돈이 세금의 비용효과적 지출이 되도록 보장할 의무가 있다.

- 건강상의 편익과 기타 요소들. 예를들어 입원 비용, 기타 치료비용, 환자의 삶의 질.

이상의 요소들을 고려하여 PBAC가 신약에 대해 급여를 권고하게 되면, 정부는 의약품 공급회사와 약가협상에 돌입하고 약가를 결정하여 최종 급여된다.

PBS 급여 대상이 된 의약품은 환자가 구입 시 최대 36.10호주달러까지 본인부담하고 (빈곤층 등 복지수급자들(concessional patients)은 최대 5.90호주달러) 나머지는 정부에서 부담한다. 가족의 처방의약품 구입비가 연간 1,390.60호주달러에 도달하면 (빈곤층 등 복지수급자들(concessional patients)은 연간 354.00호주달러) 그 해의 남은 기간 동안 환자의 처방 당 최대 본인부담 금액은 5.90호주달러로 인하되며, 빈곤층 등 복지수급자들(concessional patients)은 무료로 처방약을 구입할 수 있다.

이와같이 PBS 급여대상이 된 의약품에 대해서는 환자의 접근성이 상당히 보장되고 있다. 그러나 비용효과성 미흡 등의 이유로 급여에서 제외된 의약품에 대해서는 구입 시 환자가 전액

부담해야 한다.

2) 호주의 희귀의약품 제도와 LSDP

호주는 1998년 희귀의약품정책(Orphan Drug Policy)을 구축하고 희귀의약품에 대한 환자의 접근성을 보장하고자 하였다. 호주에서 희귀의약품은 희귀질환을 치료, 예방, 진단하기 위한 약, 백신, 생체(in vivo)진단기구를 의미하며 다른 질환의 치료, 예방, 진단 목적으로 공급하더라도 상업적으로 유지 불가능한 시장인 경우에는 인정되기도 한다. 희귀질환이란 호주 인구 중 2천 명 이하(1만 명 당 1명 이하)의 유병률을 가지는 질환으로 정의된다.⁴⁾

희귀의약품으로 지정받기 위해서는 TGA에 신청해야 하며, 신청자는 그것이 왜 희귀의약품으로 인정되는지를 문서로 보여주어야 한다. 희귀의약품 지정 신청 및 TGA의 평가와 관련한 수수료는 없다. 희귀의약품의 안전성, 유효성, 품질에 대한 허가심사기준은 다른 의약품과 동일하게 적용된다. TGA의 허가심사를 거쳐 안전성, 유효성, 품질을 인정받으면 희귀의약품으로 시판 가능하다.⁵⁾

호주는 국내 제약산업에서 희귀의약품을 개발하여 공급하기보다는 주로 외국에서 개발된 희귀의약품을 수입하여 국내에서 사용하고 있다. 이에 따라 희귀의약품 허가에서도 외국의 허가사항을 참조하고 있어, 미국, 영국, 캐나다, 스웨덴, 네덜란드, EU 중 한 곳에서라도 의약품

4) Office of Parliamentary Counsel, Australia. Therapeutic Goods Regulations 1990- Statutory Rules No.394, 1990.

5) <http://www.tga.gov.au/industry/pm-orphan-drugs.htm> (2013. 12. 11)

의 안전성을 이유로 허가를 거부하면 호주에서도 희귀의약품으로 허가되지 않는다.

다음으로 시판허가가 난 희귀의약품을 PBS의 급여목록에 등재하기 위한 등재신청이 이루어지며 이 단계에서 비용효과성을 평가하게 된다. 비용효과성이 인정되고 PBS 등재가 이루어지면 이 약은 PBS를 통해 환자에게 급여된다. 그러나 만일 효과에 비해 비용이 너무 높아 PBS 등재가 거부될 경우에는 LSDP를 통한 재정 지원을 신청할 수 있다.

3. Life Saving Drugs Program(LSDP) 운영 현황

1) Life Saving Drugs Program(LSDP)의 개요

호주의 건강보장체계에서 의약품에 대한 급여는 연방정부 차원의 PBS를 통해 제공하고 있으며, 희귀의약품도 다른 신약과 마찬가지로 PBS의 급여절차에 따라 환자에게 제공된다. 그러나 PBS의 급여 결정 과정에서 PBAC으로부터 임상적 유효성에 대해서는 인정을 받았으나 비용효과성 조건을 충족하지 못하여 비급여된 의약품으로서, 심각한 질환에 사용되고 생명을 구하는 고가의 의약품에 대해서는 LSDP라는 별도의 프로그램을 운영하여 환자에게 접근성을 보장하고 있다. 희귀의약품을 비롯하여 중증

질환 치료제로 개발되는 최근의 신약들이 매우 고가로 제공되는 경향이 증가하면서 기존의 의약품급여체계(PBS)의 급여기준(특히 비용효과성 기준)을 충족하지 못하는 경우가 많아졌다. LSDP는 PBS의 급여원칙을 지키면서 중증 희귀질환자들의 치료제 접근성을 보호하는 역할을 하고 있다고 할 수 있다.

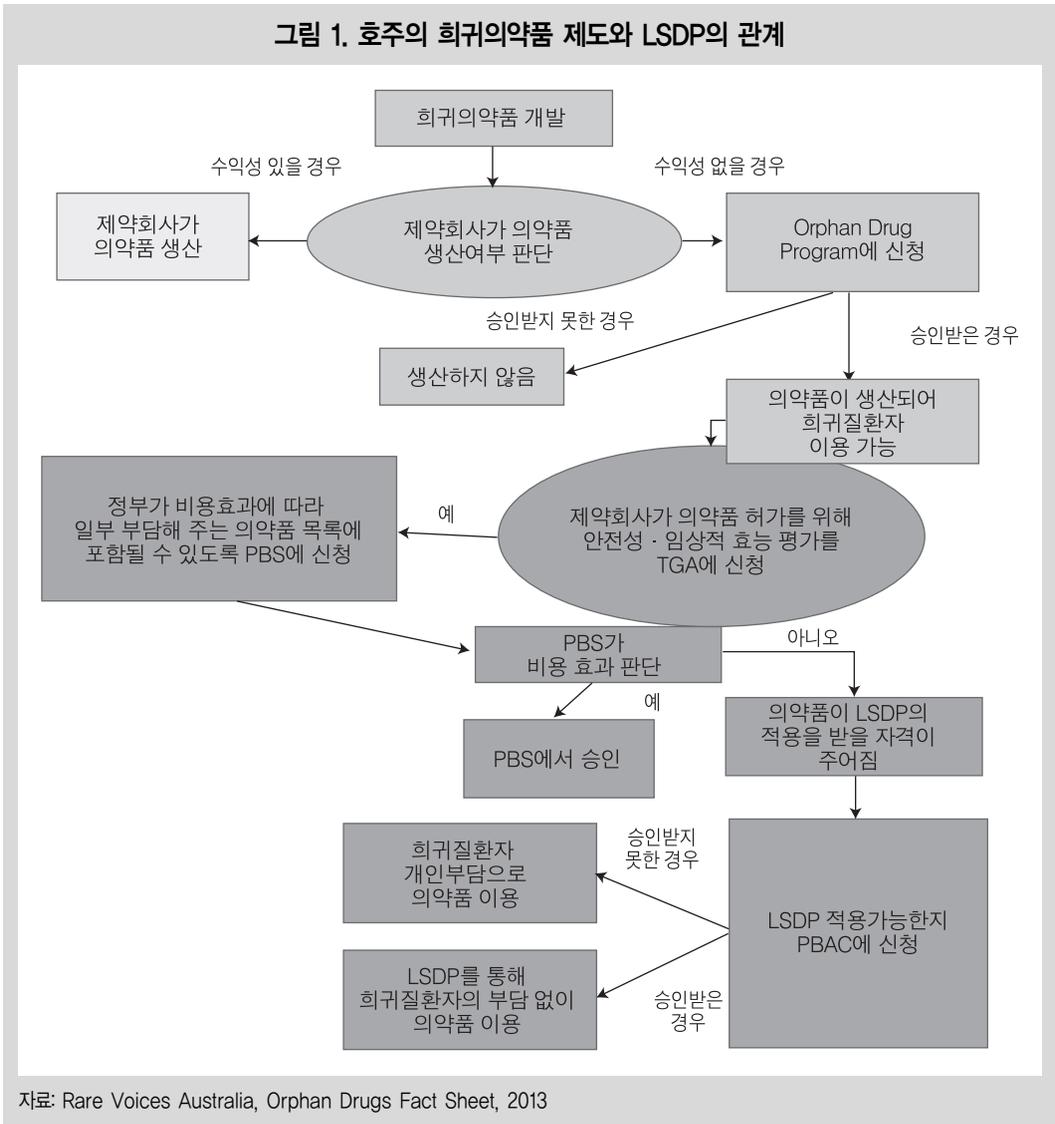
[그림 1]은 호주의 희귀의약품과 관련한 허가체계와 급여체계, LSDP의 관계를 보여준다. 먼저 허가체계에서 희귀의약품 지정 및 시판허가를 받고, PBS 급여체계에서 급여여부를 평가 받은 후 급여 거부된 경우에는 LSDP 적용을 신청할 수 있다.

LSDP는 1995년부터 호주 보건부(Department of Health and Ageing)가 운영하고 있는데, 이는 과거 재정부(Department of Finance)가 「Audit Act 1901」에 의거하여 운영하던 Act of Grace 지불제도에서 연유된다. LSDP는 PBS와는 별개의 프로그램으로서 매년 정부 예산을 통하여 운영된다. 즉, 매년 의회에서 승인하는 세출예산의 하나로 정부가 재정을 지원한다.⁶⁾

LSDP의 비용은 매년 크게 증가하였는데, 그 이유는 LSDP로 지원되는 신약들의 가격 수준이 기존 의약품에 비해 높고, 프로그램에 대한 수요 증가 및 치료질환의 발병률 증가 때문이다. 그 결과 LSDP로 치료되는 환자 당 연간 소요비용이 증가하였다.

6) Department of Health and Ageing, Australian government, Guidelines for the treatment of [insert name of condition/disease] through the Life Saving Drugs Program.

그림 1. 호주의 희귀의약품 제도와 LSDP의 관계



자료: Rare Voices Australia, Orphan Drugs Fact Sheet, 2013

2) Life Saving Drug Program(LSDP)의 대상⁷⁾

기본적으로 LSDP는 대상 의약품의 유형 또

는 질병의 범위에 어떠한 제한도 가하지 않지만, LSDP의 대상에 포함되기 위해서는 정해진 기준을 충족해야 한다. LSDP 지원 대상 환자의 초기 조건 및 지속지원 조건, 의약품의 재정 지

7) [http://www.health.gov.au/internet/main/publishing.nsf/Content/lspd-criteria\(2013.12.10\)](http://www.health.gov.au/internet/main/publishing.nsf/Content/lspd-criteria(2013.12.10))

원 요건 등은 보건부(Department of Health and Ageing)와 재정부(Department of Finance and Deregulation)가 동시 승인하여 작성된다. 지원 대상 자격에 대한 최종 결정은 정부부처의 대표가 맡고, LSDP의 각 질환마다 해당 영역의 임상 전문가로 이루어진 각각의 위원회가 구성되어 별도의 가이드라인이 만들어진다. LSDP로 지원되는 해당 질환을 가진 환자는 자신의 치료 의사로부터 안내되어 LSDP 적용 여부를 검토 받게 된다. 개별 환자마다 전문위원회가 적용요건에 따라 심사 평가한다.

LSDP의 지원 대상이 될 수 있는 약은 생명 위협 질환자의 생명을 연장하는 데 효과가 있어야 한다. 그리고 PBS를 통해서서는 그 질환에 대해 이용 가능한, 적절한, 비용효과적인 치료제가 없는 경우에 해당이 된다. 대상 의약품은 매년 계속 지원 여부를 검토받는다.

의약품이 LSDP를 통한 지원 대상으로 포함되기 위해 반드시 갖추어야 할 구체적인 요건은 다음과 같다.

- ① 희귀하지만 임상적으로 정의 가능한 질환이며, 의약품의 증명된 치료효과가 인정되어야 한다(예. TGA에 의해 허가된 적응증).
- ② 그 질환자를 합리적인 진단방법으로 식별 가능해야 한다.
- ③ 역학 및 기타연구를 통해 그 질환이 기대수명을 상당히 감소시킨다는 근거가 도출되어 PBAC에 제공되고 받아들여져야 한다.
- ④ 의약품을 사용한 직접적 결과로서 환자의 생명이 상당히 연장될 것임을 예측할 수 있는 근거가 PBAC에 제공되고 받아들여져야 한다.

⑤ PBAC가 임상적으로 효과적이라고 인정했으나 PBS에서 비용효과성의 문제로 기준을 충족하지 못하여 급여 거부된 것이어야 한다.

⑥ PBS에 등재된 또는 공공 병원의 입원에서 사용 가능한, 대체 가능한 약이 없어야 한다. 그러나 LSDP 하에 다른 대체약이 있는 경우, 그것 때문에 LSDP 지원 대상의 자격이 없어지는 것은 아니다.

⑦ 질환에 적절하고 비용효과적인 치료로 의학전문가들이 인정하는 대체 가능한 치료 방법(예. 수술, 방사선요법)이 없어야 한다.

⑧ 약제의 비용(도스 당 비용 곱하기 환자 당 연간 사용량)이 환자 개인이 부담하기에는 비합리적인 수준으로 높은 것이어야 한다. 위의 조건 외에 다음 사항에 대해 검토가 이루어질 수 있다.

① 비교 가능한 해외 의약품 시장에서의 약가와 해당 의약품의 제안된 가격(price)의 비교

② 비교 가능한 약-LSDP를 통해 이미 지원되는 약이라도-의 비용과 해당 의약품의 제안된 비용(cost)의 비교

LSDP에서는 의약품 비용만을 지원하는데, 의약품 제조자가 환자의 의약품 투여 장소로 약을 수입, 운송하는 데 관련되는 비용만을 포함한다. 의약품의 사용에 관련되는 기타 운송, 보관, 관리비용 및 그 외의 병원비용 및 의료비는 LSDP에서 지원되지 않는다.

의약품이 LSDP 지원 대상으로 결정되고 난 후, 환자가 LSDP를 통해 의약품 비용을 지원받기 위해서는 다음 요건을 만족시켜야 한다.

- ① 해당 의약품/질환별 LSDP 가이드라인에 제시된 치료 요건을 충족시켜야 한다.
- ② 해당 의약품/질환별 LSDP 가이드라인에서 지시한 바에 따라, 의약품의 유효성(effectiveness)에 대한 정기적인 평가에 참여해야 하며, 만일 참여하지 않는 경우에는 합당한 이유가 있어야 한다.
- ③ 환자는 다른 질환(합병증 또는 다른 주요 질환)을 함께 가지지 않아야 한다. 그런 경우 약물 치료의 효과를 제대로 파악하기 어려울 가능성이 있다.
- ④ 환자는 Medicare의 자격이 되는 호주 거주민이어야 한다.

환자의 자격 여부는 해당 의약품/질환에 관한 LSDP 가이드라인에 명시된 바에 따라 재검토받게 되는데, 보통은 최초 치료를 시작한 지 12개월 후에 이루어지며 그 후로도 매 12개월마다 검토가 이루어진다. 지속 지원 자격 여부는 LSDP 가이드라인에 제시된 바에 따라, 다음에 관한 근거를 평가하여 결정된다.

- ① 환자에서 임상적 개선 또는
- ② 환자 상태의 안정

자격 여부에 관한 평가는 LSDP 가이드라인에 명시된 바에 따라 질환의 자연적 진행과 단계에 연계하여 이루어지며, 적용 가능한 예외적 상황에 대해서도 검토한다.

2013년 현재 LSDP를 통해 재정 지원이 이루어지고 있는 치료제는 다음과 같다.⁸⁾

- ① 고셔병 치료제 imiglucerase(Cerezyme®), velaglucerase(VPRIV®) miglustat(Zavesca®)

- ② 파브리병 치료제 agalsidase alfa(Replagal®), agalsidase beta(Fabrazyme®)
- ③ 뮤코다당증 I형 치료제 laronidase (Aldurazyme®)
- ④ 뮤코다당증 II형 치료제 idursulfase (Elaprase®)
- ⑤ 뮤코다당증 VI형 치료제 galsulfase (Naglazyme®)
- ⑥ 폼페병 치료제 alglucosidase alfa (Myozyme®)
- ⑦ 발작성 야간 혈색소뇨증 치료제 eculizumab(Soliris®)

가장 최근에 추가된 치료제는 고셔병 치료제인 velaglucerase(VPRIV®)와, 발작성 야간 혈색소뇨증 치료제인 eculizumab(Soliris®)이다. 현재 LSDP를 통해 재정 지원을 받는 제1형 고셔병 치료제로 두 가지 효소대체요법제가 있는데, Cerezyme과 VPRIV가 모두 제1형 고셔병의 1차 치료제(first line treatment)로 TGA에 등록되었다. VPRIV는 2012년 8월 1일에 LSDP에 새롭게 추가되었는데, Cerezyme과 같은 용량으로 동일한 효과를 나타내는 것으로 평가되었으며, 복용 빈도도 같다. 국가 정책은 같은 건강 결과에 대해 같은 비용을 지불하는 것이다. 지금까지 대부분의 고셔병 환자가 Cerezyme으로 치료를 받고 있었는데, 2013년 7월 1일부터 임상적 적절성에 따라 Cerezyme 치료제를 사용하던 환자를 VPRIV로 바꾸도록 하였다. VPRIV로 치료제를 변경하는 것은 고셔병 관리 경험이 있는 전문의로 구성된 Gaucher Disease Advisory Committee

8) <http://www.health.gov.au/lspd> (2013.12.10)

(GDAC)의 상담을 통해서만 가능하다. GDAC는 환자의 담당 의사로부터 자료를 받아 검토하고 지속적인 치료를 위해 VPRIV의 적절성을 결정한다. 이 때 LSDP의 지속 가능성, 그리고 생명을 위협하는 희귀 질환자에게 고가의 치료제에 대한 접근성을 보장해야 하는 LSDP의 중요한 역할을 함께 고려한다.⁹⁾

3) Life Saving Drugs Program의 채택 과정¹⁰⁾

LSDP에 채택되기까지의 절차는 PBAC에 신청하는 것으로 시작이 된다. PBAC가 비용 효과 기준을 근거로 PBS 목록에 포함하는 것을 거부하면 다음의 과정을 거치게 된다.

- ① PBAC가 의약품을 LSDP 대상으로 검토
- ② PBAC의 권고
- ③ 가격 검토
- ④ 정부 검토

이 기간 중에 신청자(의약품 수입, 수출, 생산자 등)는 보건부와 합의 증서(Deed of Agreement)에 대한 논의를 시작하고, 질병 지침서(Condition Guideline) 초안을 제출해야 한다. 질병지침서(Condition Guideline)는 LSDP를 통해 재정 지원되는 각 질환마다 작성되며, LSDP 지원을 받기 위한 자격 여부를 결정하고 치료의 지속성을 모니터하기 위한 지침이다. 2009년 LSDP 평가 이후 LSDP에서는 새로운 질병지침서(Condition Guideline)가 개발되면 PBAC의 승

인을 받도록 하고 있다. LSDP 지원을 받기 위해서 질병지침서(Condition Guideline)의 초안은 각 질환자문위원회(Disease Advisory Committee; DAC)의 자문을 거쳐야 하며 최종적으로 보건부가 확정한다. 보건부는 질병지침서(Condition Guideline)를 LSDP 지원 과정에서 활용하며, 자신의 환자에게 적용되기를 원하는 의사들, 그리고 환자와 환자 가족도 참고할 수 있다.

합의 증서(Deed of Agreement)는 LSDP를 통해 의약품을 공급하기 위해 보건부가 요구하는 표준 조항 및 조건에 대해 정리한 것이다. 합의 증서(Deed of Agreement)의 조항들은 재정 관리 및 책임에 대한 법(Financial Management and Accountability ACT 1997 (FMA))에 따라 보건부가 의무를 다하는 것을 보장하기 위해 정하는 것이다. LSDP를 통해 처음 그리고 계속적으로 재정이 지원되는 의약품 및 환자 질병에 대한 기준은 보건부와 재무부가 함께 승인하고 있다.

PBAC는 National Health Act(1953)에 따라 설립되었으며, 보건경제학자, 기타 보건 전문가, 소비자 대표로 구성된 독립적인 전문가 자문 기관이다. PBAC는 생명을 위협하는 매우 희귀한 질환을 평가하고, LSDP를 통해 의약품을 지원하도록 권고할 수 있는 적절한 전문 지식을 갖고 있다. PBAC가 LSDP 신청에 대해 긍정적으로 권고하는 것은 중요한 첫 번째 단계이지만, LSDP 대상이 되기까지 정부 승인을 포함한 다른 여러 단계를 거쳐야 한다.

9) <http://www.health.gov.au/lscp> (2014. 1. 20)

10) Department of Health and Ageing. Administrative requirements for proposals to fund a drug through the Life Saving Drugs Program, 2011, 11.

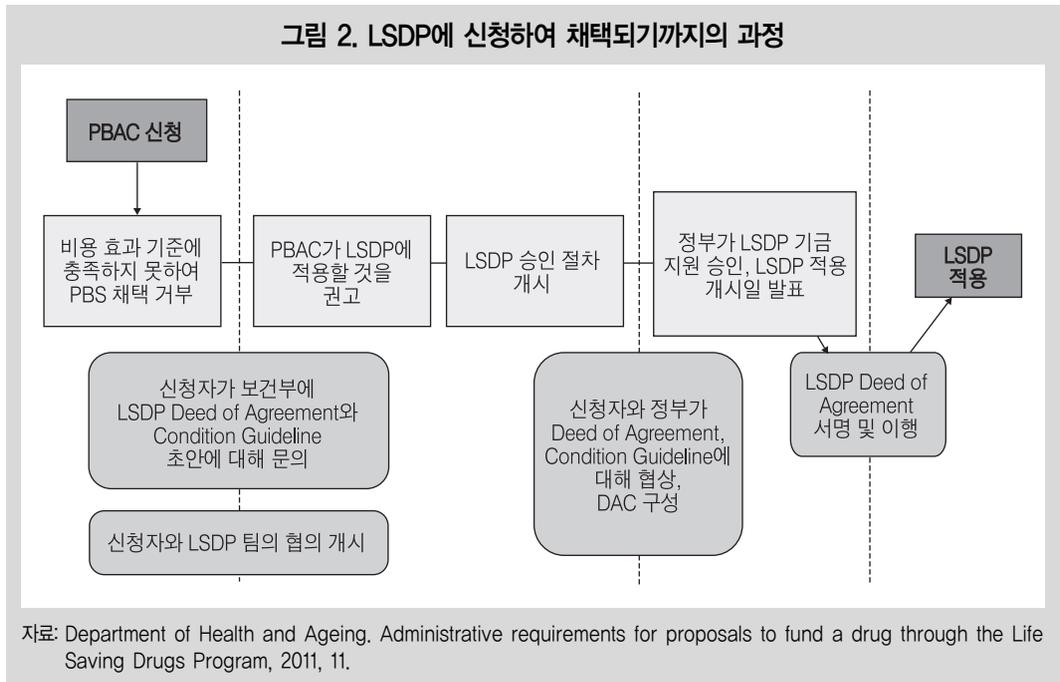
PBAC는 의약품의 효과, 비용, 그리고 환자의 수명을 상당히 연장시킨다는 근거 등의 기준을 바탕으로 대상 의약품이 LSDP에 적용될 수 있는지를 평가한다. 의약품이 LSDP의 적용을 받는 것으로 승인이 나면 환자에게 의약품 구매를 위한 재정지원이 이루어지며 일부 행정 비용은 환자가 부담해야 할 수 있다.

의약품의 지속적인 사용을 관리하고 평가하는 기준은 LSDP 산하 각 질환자문위원회(DAC)에서 관리하는데, 질환자문위원회(DAC)는 유전적인 희귀 대사 장애를 관리하는 전문의 등 임상전문가로 구성되어 있다. 질환자문위원회(DAC)는 LSDP에서 지원하는 각 의약품에 대해 환자의 자격, 치료의 지속 여부를 결정하는 역할을 한다. 또한 환자의 치료에 따른 진행경과

를 검토하고, LSDP 관리의 임상적 측면에 대하여 권고를 한다. 이것을 바탕으로 보건부 대표는 환자가 LSDP의 지원을 받을 수 있는지 자격을 최종 결정한다.

PBAC가 긍정적으로 권고한 이후 의약품이 LSDP 대상으로 승인될 때까지의 총 시간은 정부가 주어진 시간 내에 다루어야 하는 여러 가지 사항들 중에 이 문제를 얼마나 우선순위로 하느냐에 달려있다. LSDP 승인 절차가 개시된 후 정부의 평가기간 중 신청자는 연방정부(보건부가 대신함)와 합의 증서(Deed of Agreement)에 대한 논의와 협상을 시작하게 된다. 정부가 LSDP 기금을 지원하도록 승인을 하면 최종 합의 증서(Deed of Agreement)가 실행되고 LSDP에 채택이 된다. 합의증서(Deed of Agreement)

그림 2. LSDP에 신청하여 채택되기까지의 과정



자료: Department of Health and Ageing, Administrative requirements for proposals to fund a drug through the Life Saving Drugs Program, 2011, 11.

에는 위험분담에 대한 합의 내용을 반드시 포함해야 하는데, 정부가 1년 단위로 결정하는 예산 중에서 LSDP를 통해 의약품 기금을 지원하기 때문이다.

4) Life Saving Drug Program의 운영¹¹⁾

LSDP를 통한 약제의 재정지원은 허가된 제약사로부터 연방정부가 약을 구매하는 비용만 커버한다. 구매 비용은 연방정부와 제약사가 Pharmaceutical Benefits Pricing Authority (PBPA)가 제시한 가이드라인에 따라 협상한 가격에 따라 결정된다. PBPA는 외국에서의 가격 또는 비교 가능한 약의 가격을 고려하여 가격을 권고할 수 있다. 가격 책정 시 제조자가 환자의 약물 투여에 필요한 장소에 직접 운반하는 데 필요한 비용을 고려할 수도 있다.

정부는 2009년 이 프로그램을 전반적으로 평가하면서, LSDP를 통해 의약품을 공급하는 것에서 정부가 더 큰 확실성을 가지기 위하여 정부와 제약회사 간의 위험분담계약 방식에 대해 검토했다. 정부는 이런 형태의 계약이 PBS로 급여되는 고가 의약품에서 잘 작동한다는 것을 확인하였고, 보건부에 LSDP를 통하여 지원되는 모든 약에 도입할 것을 요청하였다.

LSDP를 통해 지원받는 환자는 본인부담금을 지불하지 않고 있으며, 2009년 정부의 LSDP 프로그램 평가 시 본인부담금 부과에 대해 논의했으나 최종적으로 본인부담금을 부과하는 것은 권하지 않았다.

2009년 호주 정부는 LSDP를 검토, 평가한 결과, LSDP가 호주의 의약품정책 4대 원칙 중에서 '치료의 비용효과성' 원칙과 부합하지 않는다고 밝혔다. 그렇지만 이 프로그램이 전반적으로 희귀, 중증 질환자들에게 고가 약제에 대한 접근성을 확보하는 데 도움을 주었고, 환자의 상태를 더 악화시키지 않고 안정시키는 데 효과적이었다고 평가하였다. 그리고 해당 약들이 생명을 구하는 약으로서 모두 효과적이었다고 결론지었다.

정부의 평가 결과 LSDP는 호주 National Medicines Policy의 목적에 부합하는 것으로 밝혀졌다. LSDP가 보건의료체계의 다른 어떤 곳에서도 커버하지 않는 기능을 하고 있는 것으로도 인정되었다. 그 결과 정부는 LSDP를 통해 해당 환자에게 현재 이용 가능한 모든 약을 지속적으로 공급하는 것에 동의하였다.

호주의 희귀질환자단체는 LSDP가 호주 희귀질환자들의 치료제 접근성을 보장하는 데 매우 중요하다는 것을 인정하고 있다. 그리고 LSDP 내의 질환별 자문위원회(DAC)의 전문적 역할에 대해서도 높이 평가하고 있다. 그렇지만 환자들이 더 일찍 치료제를 사용할 수 있도록 하기 위해서는 의사결정 과정의 적시성과 투명성이 제고되어야 한다고 주장한다. 그들은, LSDP 지원 대상으로 결정되기까지 소요기간에 대한 명시적 기준이 없다는 것은 환자를 매우 불안하게 하는 요소라고 지적하였다.

보통 LSDP 지원 여부 의사결정 과정에 진입하여 최종적으로 환자가 치료제를 사용하게 되

11) <http://www.health.gov.au/internet/main/publishing.nsf/Content/lstdp-preview> (2013. 12. 10)

기까지 20개월이 소요되는데, 최근 LSDP의 지원 대상이 된 eculizumab(Soliris®)의 경우 22개월이 소요되었다. PBAC는 2009년 3월 이 약에 대해 LSDP 신청을 권고했고, 정부는 2010년 5월 연방 예산에서 이를 고려하기로 결정했다. 그러나 예산을 책정하기 하루 전 새로 개정된 LSDP 기준에 따라 재평가하는 것으로 결정되어 PBAC로 되돌아갔다. 결국 2011년 1월 최종적으로 LSDP 적용을 승인받았고 이후 자격이 되는 환자들에게 재정 지원되고 있다. 이 기간 동안 LSDP 검토 진행 과정에 대한 의미있는 정보를 얻기 위한 환자단체의 투쟁이 지속되었고, 환자들은 치료제의 사용 가능성에 대한 불확실성 문제가 개선되어야 한다고 주장하였다.¹²⁾

4. 시사점

우리나라는 의약품에 대한 보장을 건강보험 제도를 통하여 추구하며 호주의 LSDP와 같은 별도의 재정에 의한 의약품 급여제도는 존재하지 않는다. 지난 몇 년 동안 우리나라에서는 일부 희귀의약품의 건강보험 급여와 약가 결정 과정에서 난관이 있었으며, 그 결과 리펀드제도 시범사업과 위험분담제도라는 새로운 제도를 도입하게 되었다. 이들 제도는 대상 의약품에 대해 임시적 약가를 설정하여 급여한다는 점에서 기존의 건강보험 약제급여 원칙에서 일부 벗어난 것으로 볼 수 있으며, 이에 대해서는 긍정적인 시각과 비판적인 시각이 공존한다.

반면 호주의 LSDP는 건강보장재정과 다른 별도의 재정(조세)을 통해 운영함으로써 건강보장체계의 의약품 급여원칙을 고수한다는 점이 두드러진다. 즉 호주의 LSDP는 건강보장체계의 의약품 급여원칙-특히 비용효과성-을 지키면서 중증 질환자의 치료제 사용을 보장하기 위하여 선택된 제도로 볼 수 있다. LSDP 지원 대상 의약품은 대부분 우리나라에서도 건강보험 급여 결정이 어려웠던 의약품들이다.

질병의 치료를 위한 의약품은 기본적으로 건강보험을 통해 보장되는 것이 타당하다. 희귀질환 치료제를 대상 환자수가 적다는 이유로 건강보험 급여체계에서 예외적으로 취급하는 데 대해서는 논쟁이 있다. 마찬가지로 고가의 희귀의약품에 대해 건강보험이 아닌 별도의 재원으로 보장하는 데 대해서도 논쟁이 있으며, 이에 대해서는 사회적으로 치열한 논의와 합의가 필요하다.

본고에서 소개한 호주의 LSDP는 이러한 맥락에서 한 국가에서 채택한 결정사항으로 볼 수 있으며, 운영과정에서는 정부와 의회, 의료계 내 당사자간의 협력 및 감시가 중요한 역할을 하고 있었다. 또한 별도의 정부예산으로 환자를 지원하면서도 그 범위와 예산규모를 엄격히 제한하고 환자 개인 단위로 치료효과를 평가하여 재정지출의 비용효과성을 최대한 확보하고자 하는 것은, 단지 별도의 프로그램을 운영한다는 사실보다 정책적으로 더 중요한 시사점을 제공한다. **본문
복기**

12) Charlton L, The Life Saving Drugs Program: What it means to consumers. Health Voices. 2011. 10.