

희귀의약품의 공급 중단 실태와 정책과제¹⁾

Discontinued Orphan Drugs in Korea: Policy Suggestions

박실비아 한국보건사회연구원 연구위원

국내 공급되는 희귀의약품은 대부분 수입의약품이며, 세계적으로 독점공급되는 경우가 많아 공급중단 가능성이 높다. 1993~2013년 8월까지 허가 유지된 희귀의약품 139개 성분 239개 제품 중 66개 성분(47.5%) 116개 제품(38.4%)이 2013년 9월 현재 유통되지 않고 있었다. 전체 139개 성분 중 50개 성분은 성분 내 모든 제품이 유통되지 않았고, 11개 성분은 성분 내 모든 희귀의약품이 건강보험 급여약이면서 유통되지 않았다.

희귀의약품의 공급 안정을 위해서는 (1) 의약품 공급중단 보고제도를 더욱 체계화, (2) 건강보험 비급여 영역의 희귀의약품에 대한 보장성 확보, (3) 희귀의약품의 국내 개발 및 생산 강화, (4) 의약품 시장독점제도에서 안정 공급 의무를 부과하는 정책적 대응이 필요하다.

1. 들어가며

희귀질환은 인구 중 발생빈도가 매우 낮은 질환으로 생명을 위협하거나 쇠약하게 하는 경우가 많은 특징이 있다. WHO는 발생률이 인구 천 명 당 0.65~1명 규모로 희귀질환을 정의하고 있다. 희귀질환의 80%는 유전질환이며 희귀질환의 50%는 어린이에 영향을 미치고 희귀질환자의 30%는 5

세 이전에 사망하는 것으로 알려져있다²⁾. 희귀질환 각각은 환자 수가 적으나 희귀질환의 종류는 5천~7천 개에 이르며, 미국과 EU의 환자수를 합했을 때 5천 5백만 명을 넘는 것으로 추산된다. 또 연간 약 250개의 새로운 희귀질환이 밝혀지고 있어 희귀질환의 수는 계속 증가하고 있다³⁾.

희귀의약품은 환자 수가 적어서 수익성이 낮고 임상시험이 어려운 점 등의 이유로 과거 개발이 부진하였으나, 최근 연구개발 지원 및 건강보험 급여

1) 이 글은 '박실비아, 채수미, 이예슬(2014). 국내외 희귀의약품 개발 및 환자 지원제도 연구, 한국희귀의약품센터 · 한국보건사회연구원'의 일부를 가공한 글입니다.

2) EURODIS(2009). *Orphan drugs: rising to the challenge to ensure a better future for 30 million patients in Europe*.

3) Song P, Gao J, Inagaki Y, Kokudo N, Tang W(2012). Rare diseases, orphan drugs, and their regulation in Asia: Current status and future perspectives, *Intractable & Rare Diseases Research*, 1(1), pp.3-9.

측면에서 다양한 제도적 혜택이 제공되면서 세계적으로 개발이 확대되고 있으며 한편으로 제약기업들은 희귀의약품의 개발을 새로운 성장의 기회로 인식하기도 한다. 2012년 세계 희귀의약품 시장규모는 830억 달러로 전체 의약품시장의 13%를 차지하였는데, 2012~2018년 희귀의약품 시장은 연간 7.4%의 증가율로 성장할 것으로 예측되고 있다. 현재 희귀의약품은 알려진 희귀질환의 5% 이하에 해당하는 치료제로서 향후 기술발전에 따라 희귀의약품의 개발은 더욱 증가할 잠재성이 있으며, 결과적으로 희귀의약품은 의약품시장에서 뿐만 아니라 의약품 정책에도 큰 영향을 미칠 것으로 예상된다⁴⁾.

우리나라에서도 신약 연구개발 역량이 향상되면서 세계적인 희귀의약품 개발의 성과가 나타나기 시작하였고, 제도적 지원에 힘입어 향후 국내 개발 희귀의약품이 증가할 것으로 기대된다. 그러나 현재 국내에 공급되는 희귀의약품의 대부분은 해외에서 개발되어 수입되는 제품이며 세계적으로 독점 공급되는 제품이 많다. 이러한 요소는 희귀의약품의 공급을 불안정하게 하는 한 요인이 되며 실제로 공급이 중단되는 희귀의약품이 많다. 대체치료가 없는 희귀질환을 앓는 환자에게 희귀의약품의 공급 불안정은 치료의 기회 상실로 건강에 심각한 영향을 미칠 수 있다.

이 연구는 희귀의약품의 공급 관리의 제도적 현황을 살펴보고 공급 중단 실태를 실증자료를 이용하여 분석하고자 한다. 이를 통해 희귀의약품의 공급 중단 현황을 고찰하고 향후 국내 희귀의약품의

공급 안정을 위한 정책 과제를 제안하고자 한다.

2. 희귀의약품의 공급 관리 현황

의약품의 공급 불안정 문제는 희귀의약품에만 존재하는 것은 아니며 국내외적으로 전문의약품에서 흔히 발생하는 문제이다. 의약품의 공급 중단 문제에 대처하기 위해 국내에서는 2010년부터 의약품 공급 중단 보고제도를 시행하고 있다. 정부가 지정하는 의약품의 생산, 수입, 공급의 중단이 예상되는 경우 제약기업은 공급 중단 60일 이전에 식품의약품안전처장에게 보고하여야 한다. 보고 대상 의약품은 희귀의약품을 포함하여 WHO의 필수약품 목록에 해당하는 의약품, 퇴장방지 의약품 등이 해당되며 2014년 총 1,633개 품목이 대상으로 선정되었다.

2010년 3월~2014년 9월까지 국내에서 발생한 의약품 공급 중단·부족의 보고건수는 총 318건에 달했으며 연도별로는 2010년 56건, 2011년 61건, 2012년 77건, 2013년 85건, 2014년 8월까지 39건으로 최근까지 점차 증가하는 추세를 나타냈다⁵⁾. 의약품의 공급 중단은 특히 주사제를 포함하는 전문의약품에서 흔히 발생하여 중증질환의 환자 치료에 어려움을 겪을 가능성이 크다. 2013년 전국 국공립병원 13개를 대상으로 2012년 한 해 동안 발생한 의약품 공급 중단 현황을 조사한 결과 13개 병원 모두에서 공급 중단을 경험한 바가 있었으며, 8개 병원에서는 10개 미만, 2개 병원에서

4) SCRI(2014). Orphan drug fact sheet.

5) 김제식 의원 보도자료 (2014.9.21.), 데일리팜 기사-‘팔면 팔수록 손해·채산성 악화 153품목 공급중단’(2014.9.21.)에서 재인용

는 10~20개 미만, 2개 병원에서는 20~30개 미만, 1개 병원에서는 30개 이상의 공급중단 건수가 있었다고 조사되었다⁶⁾.

의약품의 공급 중단이 발생하는 사유는 여러 가지가 있는데 가장 주요한 이유는 수익성 감소에 의한 생산·수입 중단이며, 그 외에 원료수급의 지연, 생산과정의 문제, 행정절차에 의한 중단 등의 요인이 있다.

희귀의약품의 공급 중단 사유도 다른 의약품의 공급 중단 사유와 크게 다르지 않을 것으로 볼 수 있지만 희귀의약품의 특수성이 공급 안정성을 더욱 낮출 수 있다. 희귀의약품은 시장 규모가 작으므로 제약사가 예측한 시장규모에 미치지 못할 경우 시장독점력을 이용하여 공급 중단 결정을 내리는 경우가 있다. 건강보험 급여 대상에 포함되는 경우에도 결정된 가격이 공급사의 기대에 미치지 못하는 경우 공급을 거부하기도 한다. 희귀의약품의 상당수는 다국적 기업이 세계시장을 독점하여 공급하고 있으며, 한 국가에서의 가격이 다른 국가

에서의 가격 결정에 참고가 되어 영향을 미치므로, 때때로 제품을 판매하여 매출실적을 올리는 것보다 명목 가격을 더 중요하게 여기기도 한다. 그리하여 건강보험에서 결정된 가격을 거부하고 제품을 공급하지 않는 사례가 있었으며 이것은 희귀의약품에 대한 환자의 접근성과 적정 가격에 관한 논쟁을 가져오는 이슈가 되고 있다.

고가 희귀의약품의 보험급여 가격 문제가 공급 거부로 이어지거나 이를 해결하기 위해 2009년 8월부터 2개 제품(나글라자임, 마이오자임)을 대상으로 리펀드제도를 실시하였다. 리펀드제도에서는 명목 가격과 건강보험자가 제시하는 가격을 각각 설정하여 명목 가격으로 건강보험에서 지불한 후 두 가격의 차액을 추후 제약사가 보험자에 환급하여 희귀의약품이 공급될 수 있도록 하였다.

2014년부터는 보장성 강화의 일환으로 대체치료법이 없거나 치료적 위치가 동등한 제품 또는 치료법이 없는 고가 항암제, 희귀질환치료제 등을 대상으로 위험분담제도를 실시하고 있다. 위험분담

표 1. 의약품 공급 중단 보고 대상 의약품의 공급 중단 사유

공급 중단 사유	건수
수익성 (의약품 사용량 감소)	153
원료수급 차질	33
해외제조원 계약 종료 등	58
행정절차에 의한 공급 중단 (행정처분, 재평가 미 실시 등)	26
기타 (수요 급증, 제형 변경 등)	48
계	318

자료: 김제식 의원 보도자료(2014.9.21.), 데일리팜 기사 - '팔면 팔수록 손해 · 재산성 약화 153품목 공급중단'(2014.9.21.)에서 재인용.

6) 김대진, 권경희(2013), 국공립병원 의약품 공급중단 현황 및 정보 전달체계 개선연구, 약학회지, 57(2), pp.150-159.

제도는 사전 합의된 예상금액을 초과하여 지출된 경우 일부를 제약사가 건강보험에 환급하거나, 예상했던 효과가 나타나지 않은 경우 약품비를 제약사가 건강보험에 환급하는 등 고가 의약품의 급여에 의한 과도한 보험재정 지출의 위험을 제약사와 분담하는 제도이다. 몇몇 고가 희귀의약품이 위험 분담제도를 통하여 급여되면서 해당되는 희귀의약품의 공급은 비교적 안정적으로 이루어지고 있다.

그러나 모든 희귀의약품이 위험분담제도의 대상이 될 수는 없으며 독점 공급되는 희귀의약품의 경우 제약사의 결정에 따라 공급 중단이 이루어질 가능성은 여전히 존재한다. 특히 해외에서 생산되어 국내에 수입되는 희귀의약품이 경우 해외 생산 시설의 문제로 공급이 부족해질 수도 있다.

즉, 가격이 비싸고 대체의약품이 없으며 수입 제품이 많은 희귀의약품의 특성은 공급을 불안정하게 하는 복합적 요인으로 작용하며, 공급 불안정의 가능성은 희귀의약품의 관리와 정책에서 항시적으로 고려해야 하는 문제라고 할 수 있다.

3. 희귀의약품의 공급 중단 현황

한국희귀의약품센터는 매년 국내 허가된 희귀의약품의 유통 현황을 조사하여 비유통 제품의 목록을 발표하고 있다. 이 연구에서는 2013년 9월 현재 한국희귀의약품센터에서 발표한 비유통 희귀의약품 목록을 식품의약품안전처의 허가목록에서 1993~2013년 8월까지 허가 유지된 희귀의약품 139개 성분 293개 제품에 대하여 적용하였다. 각 제품의 건강보험 급여 여부에 관한 정보는 2013년

9월 건강보험 급여약 목록 파일을 이용하였다.

연도별 허가건수를 보면 희귀의약품 허가건수는 2002년에 49건으로 가장 높았고 2010년 이후 매년 20개 이상을 유지하여 최근 희귀의약품의 도입이 매우 활발하였음을 알 수 있다. 허가된 희귀의약품들의 유통 현황을 보면, 전체 293개 희귀의약품 중에서 66개 성분(47.5%) 116개(38.4%)가 2013년 9월 현재 유통되지 않고 있었고 그 중 83개 제품(28.3%)은 보험급여 약이면서 유통되지 않고 있었다.

유통되지 않는 희귀의약품 116개 중에서 2011~2013년 허가된 제품이 53개(45.6%)로서 비교적 최근에 허가된 제품이 높은 비중을 차지하고 있었다. 보험급여 약이면서 유통되지 않는 제품 83개 중에서는 2011~2013년 허가된 제품이 48개(57.8%)를 차지하였다. 특히 2011~2013년 허가된 희귀의약품 중에서는 절반 이상이 유통되지 않고 있었으며 유통되지 않는 제품의 대부분은 건강보험 급여 의약품이었다 (표 2 참조).

2007년부터는 건강보험 약제 등재방식이 선별 목록제로 전환되면서 질병의 중증도가 심각하고 대체치료제가 없으면서 희귀질환 치료제인 경우 필수치료제로 인정하여 급여하고 있는데, 즉 2007년 이후 건강보험 등재된 희귀의약품은 희귀질환자의 진료에 필수적으로 요구되는 치료제일 가능성이 높다. 그럼에도 불구하고 2007년 이후 허가된 희귀의약품 160개 중에서 66개(41.3%) 제품이 급여의약품이면서 유통되지 않고 있었던 것으로 나타났는데, 이는 희귀질환자의 필수적 치료제에 대한 접근성과 공급 안정성이 매우 취약함을 보여 준다.

한편, 전체 139개 성분 중에서 50개 성분은 성

표 2. 희귀의약품의 허가 연도별 제품수, 비유통 제품수, 비유통이면서
급여약인 제품수 현황 (2013. 9월 기준)

(단위: 개, %)

허가 연도	총 제품수	비유통 제품수 (비율)	비유통약이면서 급여약인 제품수 (비율)
1993	9	1 (11.1)	0 (0.0)
1994	5	3 (60.0)	3 (60.0)
1995	9	0 (0.0)	0 (0.0)
1996	0	0	0
1997	12	4 (33.3)	2 (16.7)
1998	1	1 (100)	1 (100)
1999	10	4 (40.0)	1 (10.0)
2000	2	1 (50.0)	0 (0.0)
2001	14	2 (14.3)	0 (0.0)
2002	49	12 (24.5)	9 (18.4)
2003	2	1 (50.0)	0 (0.0)
2004	8	5 (62.5)	0 (0.0)
2005	7	1 (14.3)	0 (0.0)
2006	5	1 (20.0)	1 (20.0)
2007	16	8 (50.0)	6 (37.5)
2008	19	6 (31.6)	6 (31.6)
2009	14	6 (42.9)	2 (14.3)
2010	27	7 (25.9)	4 (14.8)
2011	27	18 (66.7)	18 (66.7)
2012	29	15 (51.7)	12 (41.4)
2013	28	20 (71.4)	18 (64.3)
계	293	116 (39.6)	83 (28.3)

본 내 모든 희귀의약품이 유통되지 않고 있었다. 또한 50개 성분 중에서 11개 성분은 성분 내 모든 희귀의약품이 급여의약품이면서 유통되지 않고 있었다. 희귀의약품이 허가되고 급여되었음에도 불구하고 성분 내 모든 제품이 유통되지 않는 경우가 11개 성분이나 된다는 것은 희귀질환자의 치료제

사용에 어려움이 있으며 의약품이 공급되지 않는 원인의 분석과 해결방안의 모색이 시급하다는 것을 말해준다 (표 3 참조).

이 연구에서는 2013년의 비유통 희귀의약품을 중심으로 분석했으나 추가적으로 2012년의 비유통 희귀의약품 정보를 함께 수집하여 비교해보았

표 3. 성분 전체가 공급 중단인 희귀의약품 성분 목록 (2013. 9월 기준)

성분명	보험급여 여부
Anti-D(Rho)면역글로불린	급여
Operlivekin(Interleukin-11)	급여
Tetanus/Diphtheria/Streptococcus/Tuberculin/Proteus/candida/Trichophyton AG	급여
구연산실데나필	비급여
글라티라머아세테이트	급여/비급여
나탈리주맙	비급여
날푸라핀염산염(경구제)	비급여
니티시논(경구제)	비급여
다루나비어	급여
로미덱신(주사제)	비급여
로미플로스팀(주사제)	비급여
룩소리티닙인산염(경구제)	비급여
마이파머티드(주사제)	비급여
메실산넬피나비어	급여
무수네비라핀, 반수네비라핀	급여
미포멀손나트륨(주사제)	비급여
발간시클로버	비급여
베타인(경구제)	비급여
벤타무스틴염산염(주사제)	비급여
비스모데킵(경구제)	비급여
비스콴알붕(아종: 아비에티스)에서추출한수용성엑스	비급여
사람의C1-에스테라제억제제	비급여
사크로시다제	비급여
송아지흉선건조추출물	비급여
시트르산카페인	비급여
안식향산나트륨, 페닐아세트산나트륨	비급여
엔잘루타마이드(경구제)	비급여
엔푸버타이드	급여
엘트롬보팍올라민	비급여
엠트리시타빈, 테노포비어디소프록실푸마르산염, 엘비테그라비어(경구제)	비급여
오파투무맙	비급여
우베니맥스	급여
인터페론베타-1a, 유전자재조합	급여
자기유래지방세포	비급여
초산데스모프레신	급여
초산소마토렐린	비급여
초산아연	비급여
카르글루민산(경구제)	비급여

다. 2013년 유통되지 않은 116개 제품 중에서 57개 제품은 2012년 한국희귀의약품센터의 희귀의약품 유통현황 조사에서도 유통되지 않는 것으로 나타났던 의약품들이다. 이는 희귀의약품 중에서 수년간 지속적으로 유통되지 않는 의약품이 상당수 존재할 수 있음을 시사한다.

또한 2012년 조사에서 성분 내 모든 제품이 유통되지 않는 성분 개수는 32개였는데 2013년에는 50개 성분으로 증가하여 희귀의약품의 공급 불안정 문제가 점차 심각해지고 있음을 알 수 있다.

4. 희귀의약품의 공급 안정을 위한 정책 과제

앞에서 살펴본 바와 같이 국내에 허가된 희귀의약품의 상당수가 시장에 공급되지 않고 있었다. 또한 동일 성분 내 모든 제품이 유통되지 않는 경우가 적지 않았으며 건강보험 급여 의약품임에도 불구하고 유통되지 않는 경우가 있었다. 또한 2012년에 비해 2013년에 비유통되고 있는 희귀의약품이 더욱 증가하였고 두 개 연도에서 연속적으로 비유통되는 제품도 흔히 발생하여 희귀의약품의 공급 불안정 문제가 단기간에 해소되기 어려울 것으로 예상할 수 있다.

이는 희귀의약품 공급 관리에 관한 현재의 시스템으로는 한계가 있으며 희귀의약품의 공급 안정화를 위한 보다 적극적인 대책이 필요하다는 것을 말해준다. 희귀의약품의 공급이 불안정한 배경에는 다양한 요소들이 관여되어 있으며 따라서 희귀의약품의 공급 안정화는 공급 자체에 대한 관리뿐

만 아니라 공급 불안정에 기여하는 요소를 정책적으로 다루는 것이 필요하다.

1) 희귀의약품 공급 관리의 체계화

의약품의 공급 안정화를 위해서는 공급 중단이 최소화되도록 하는 것이 가장 효과적일 것이나 공급 중단 사유를 제도적으로 완전히 제거할 수는 없으므로 신속히 파악하는 것이 매우 중요하다. 우선 중단 예정임을 파악하고 다음으로 공급 재개를 위한 제도적 조치 또는 다른 대체 공급자를 통한 공급 안정화를 추구할 수 있다.

희귀의약품은 다른 의약품에 비해 공급 불안정의 가능성이 본질적으로 높으므로 이에 더 큰 관심이 요구되며 그 정보를 체계적으로 관리하여 환자와 의료공급자에게 제공하는 것이 중요하다. 이를 위해 현재의 의약품 공급 중단 보고제도에서 희귀의약품에 대해서는 공급 중단 보고 의무를 강화하는 것이 필요하다. 공급 중단 보고 시에는 공급 중단 사유와 공급 재개를 위한 노력 현황, 중단 기간 및 공급 재개 예상 시점, 대체 가능 의약품 또는 대체 공급자 가능성 등 공급 관리를 위해 필요한 정보도 함께 보고하도록 해야 한다. 희귀의약품을 제조 또는 수입하는 업체는 허가 과정에서 희귀의약품이라는 이유로 다양한 혜택을 받으며 건강보험 급여 과정에서도 완화된 급여 조건을 적용받고 있으므로, 사회에 안정적으로 공급할 의무가 있고 공급 중단에 관한 정보를 신속히 제공할 책임이 있으며 이를 위한 제도적 체계가 구축되어야 한다.

공급 중단이 보고된 희귀의약품에 대해 식품의약품안전처는 행정적 조치를 통하여 공급을 재개할 수 있는지 또는 국내에 다른 대체의약품이 있는

지에 대해 검토하고 필요한 조치를 이행해야 한다. 만일 특허가 종료된 의약품이라면 국내의 생산시설을 통하여 생산하도록 할 수도 있다. 국내에서 생산이 불가능하고 해외에서 대체 의약품을 수입하는 것이 가능한 방법이라면 한국희귀의약품센터를 통하여 공급할 수 있다. 또한 장기적으로 공급이 중단되고 공급 중단이 잦으면서 국내 환자가 지속적으로 존재하는 경우에는 국내 연구개발 대상으로 포함하여 지원하는 방안을 고려할 수 있다.

공급 중단에 관한 정보는 즉각 의료기관과 국민에게 알릴 필요가 있으며 정부는 이를 위한 웹사이트를 개설하여 공급 중단 내역을 실시간으로 공개해야 한다. 의료기관과 환자들은 웹사이트의 정보를 통해 관심 대상 의약품의 공급 가능성을 파악할 수 있다.

2) 희귀의약품에 대한 보장성 강화

희귀의약품의 개발과 공급에서 제약사가 중요하게 고려하는 것은 시장성이다. 특히 환자수가 많지 않으므로 예상했던 시장규모에서 약간 부족하더라도 제품 판매를 재고할 수 있는 변수가 될 수 있다. 희귀질환자들의 희귀의약품 사용 가능성을 결정하는 중요한 요인은 지불 가격이며, 이것은 건강보험 급여 여부에 따라 완전히 달라진다. 희귀의약품이 건강보험 급여될 경우 환자는 약가의 10%만 부담하면 되고 비급여로 결정되면 약값을 전액 본인부담해야 한다. 환자가 약값을 전액 본인부담하게 되면 자신의 경제적 능력으로 구입 가능한 한도 내에서만 희귀의약품을 구매하게 되므로 아예 사용하지 않는 경우부터 초기 몇 개월 또는 몇 년 동안만 사용하게 되는 등 희귀의약품을 안정적으

로 구입, 사용하는 데 큰 제약을 받게 된다. 이는 곧 희귀의약품을 판매하는 제약사의 수익과도 직결된다.

따라서 희귀의약품을 개발한 제약사에게는 자사의 제품이 건강보험 급여 대상으로 포함되는 것이 안정적 매출 달성에 중요한 결정 요소가 되며, 제품을 지속 공급하게 하는 동력이 될 수 있다. 그런데 급여에 포함된다 하더라도 보험가격이 제약사의 기대가격보다 크게 낮을 경우에는 공급을 꺼려하기도 한다. 건강보험 제도에서는 제약사와 보험자가 약가협상을 통하여 가격을 합의 하에 결정하는데, 희귀의약품은 독점 공급하는 경우가 많으므로 매우 높은 가격을 요구하게 된다. 이는 약가협상 과정을 어렵게 하며 협상 결렬로 이어지기도 하는데 이 때 해당 희귀의약품이 진료상 필수제로 인정되어 반드시 급여해야 하는 대상이 되는 경우 약가조정위원회에서 직권으로 가격을 결정한다. 제약사와 보험자는 이 가격을 수용하여 의약품을 공급하고 급여해야 한다. 그런데 이 결정 가격에 불만을 품은 제약사가 일방적으로 희귀의약품의 공급을 거부하는 사례도 있었다. 즉 희귀의약품의 공급 안정성에는 건강보험 급여 여부와 가격이 큰 영향을 미친다.

2014년부터 실시된 위험분담제도를 통하여 몇몇 고가 희귀의약품이 급여권에 포함되었고 이는 희귀질환자의 치료제 사용을 용이하게 하였으며 대상 제품의 공급이 안정적으로 이루어지는 데 기여하였다. 위험분담제도는 건강보험 급여 원칙에서 다소 벗어나는 성격을 가지지만 생명을 위협하는 질환에서 대체치료제가 없는 경우에 한하여 환자가 전액 부담하기 어려운 고가 희귀의약품에 대한 환자의 접근성을 보장한다는 측면에서 긍정적

으로 볼 수 있다.

그렇지만 위험분담제도로 희귀의약품의 공급 불안정 문제를 모두 해결할 수는 없으며, 위험분담 제도 하에서도 급여 대상에 포함되지 못하는 희귀 의약품도 있다. 그렇지만 그러한 비급여 고가 희귀 의약품이 필요한 희귀질환자도 존재하며 이 때 환자는 의약품을 구매하기 위한 재정부담이 매우 크고 구입 가능성이 떨어질 수 있다. 제품을 공급하는 제약사도 시장성이 보장되지 않으므로 판매를 포기할 수도 있다.

그렇다고 희귀의약품의 건강보험 급여를 무조건 확대하는 것은 바람직하지 않다. 건강보험 재정은 희귀질환만을 위한 것은 아니며, 희귀의약품도 의약품의 급여를 결정하는 원칙에 따라 평가받아야 할 가치가 있는 의약품으로 판단될 때 급여하는 것이 바람직하다. 그리고 희귀의약품의 급여도 기본적으로 건강보험제도를 통하여 이루어지는 것이 건강보험의 원리에 맞다. 희귀질환이나 희귀의 약품을 별도로 분리하여 보장하는 것은 향후 희귀 질환과 희귀의약품의 확대 시에 보장성이 오히려 떨어질 위험도 있으므로, 건강보험 체계 내에서 급여 결정이 이루어져야 한다.

그러나 그럼에도 불구하고 대체 치료제가 없고 생명을 위협하는 심각한 희귀질환의 경우 비급여 결정된 치료제가 일부 환자에게는 유일한 대안일 수 있다. 따라서 희귀의약품의 공급 안정성을 높이기 위해서는 건강보험에서 급여할 수 없으면서 환자에게는 꼭 필요한 의약품에 대해 재정지원을 할 수 있는 프로그램을 마련하는 것이 필요하다.

이것은 건강보험제도로 보장할 수 없는 치료제에 대한 환자의 접근성을 확보하여 환자를 보호하고 의약품의 공급이 이루어지도록 하기 위한 제도

로서, 어떤 질환군 전체가 아닌 환자 개인 단위로 지원 여부를 결정하여 제한적으로 운영하여야 한다. 대체치료제가 없는 희귀질환자를 대상으로 하여 환자 단위로 의약품의 의학적 필요성과 재정부담 정도를 고려하여 지원 대상을 선정하며, 환자의 치료제 사용 결과를 지속적으로 모니터링하여 효과와 부작용 등을 관찰하고 주기적으로 계속 지원 여부를 결정하여 해당 치료제가 반드시 필요한 환자에게 지원이 이루어지도록 해야 한다.

그런데 희귀질환자의 경우 허가된 적응증의 의약품만 사용하는 것이 아니라 마땅한 치료제가 없어 허가초과 용도로 의약품을 사용하거나 국내 허가되지 않은 외국의 의약품을 자가치료용으로 수입하여 사용하기도 한다. 두 경우 모두 의사의 처방에 의해 의약품이 선택되었고 환자가 현재 전액 부담하고 있다. 따라서 이러한 환자들에 대해서도 의학적으로 반드시 필요한 경우라면 재정 지원 대상에 포함하는 것이 필요하다. 따라서 제도의 초기에는 식품의약품안전처의 허가를 받은 의약품과 적응증으로 한정하여 그 범위 내에서 의약품을 사용하는 환자를 대상으로 재정 지원을 하고, 제도 운영이 안정화되면 점차적으로 허가초과 의약품 사용 환자 및 자가치료용 의약품 사용 환자에 대해서도 지원을 확대할 필요가 있다.

건강보험과 별도로 치료제의 사용을 지원하기 위한 프로그램의 재원 마련 방법은 여러 측면에서 생각할 수 있다. 국민의 건강보장을 목적으로 하며 건강보험제도를 보조한다는 측면에서 건강보험 재정을 사용할 수도 있고, 건강보험과 별도로 운영되므로 국가 예산을 사용할 수도 있으며, 궁극적으로 제약사의 의약품을 판매 가능하게 하는 것이므로 제약사로부터 일정 기금을 각출하며 재원을 마련

할 수도 있다. 유사한 프로그램을 운영하는 외국의 경우를 보면 벨기에는 건강보험 재정을, 호주는 국가 예산을, 이태리는 제약사로부터 기금을 형성하는 방법을 취하고 있다. 우리나라는 제도 설계 사회적 논의와 합의를 통하여 프로그램 운영과 재원 조달 방식을 결정할 수 있을 것이다.

3) 희귀의약품의 국내 개발 및 생산을 통한 공급 안정화

희귀의약품의 공급을 불안정하게 하는 하나의 주요한 요인은 수입의약품이라는 점이다. 외국에서 발생한 생산과정의 문제에 대해 국내에서 전혀 대응할 수 없으며 생산 문제로 인해 부족한 물량의 국가별 공급 배분이 외국 제약사에 의해 결정되기 때문에 수입 희귀의약품은 특히 공급 안정성이 취약하다.

만일 국내에서 생산하는 제품이 공급 부족 문제를 겪는다면 행정적 수단을 통해 생산시설 문제를 조기에 해결하거나 원료조달을 통해 대체 생산하는 등 문제 해결의 가능성이 높아진다. 그러므로 수입 희귀의약품 중에서 장기적으로 공급이 중단되는 의약품 중에서 국내 수요가 분명히 존재하고 특허 등 지적재산권 문제가 없다면 국내 제약회사를 통하여 생산하는 것이 필요하다. 일반적으로 특허 만료 의약품의 복제의약품 생산하여 판매하는 결정은 제약회사에 의하여 이루어지고 허가신청하게 되지만, 희귀의약품과 같이 시장규모가 작은 경우에는 제약회사가 자발적으로 관심을 갖지 않을 가능성이 크다. 따라서 정부가 선제적으로 국내 생산이 필요한 희귀의약품을 검토하여 제약회사로 하여금 생산, 판매하도록 장려하는 것이 필요

하다. 제약회사가 제품을 생산하기 위해서는 시장성과 수익성이 고려되어야 하므로, 정부는 국내 환자 규모를 고려하여 생산 필요량을 산출하고 제품 생산을 제약회사에 위탁하여 이후 생산된 의약품을 책임지고 구매하는 방식을 생각해볼 수 있다.

생산위탁이 아니라 새로운 희귀의약품을 국내 제약사가 개발하는 경우에도 상대적으로 공급의 안정성을 확보할 수 있다. 개발된 치료제가 없는 희귀질환의 치료제 또는 외국 제약사에 의해 독점적으로 공급되는 희귀의약품의 경쟁 제품에 대한 연구개발을 지원하여 제품화에 성공한다면 환자들은 국내 공급 제품으로서 자신에게 필요한 치료제를 이용할 기회를 얻게 된다.

국내 생산 및 개발 대상의 희귀의약품을 선정하기 위해서는 국내 환자 규모와 의약품에 대한 수요 파악이 매우 중요하다. 따라서 국내에서 허가된 희귀의약품의 연도별 공급 내역과 중단 내역, 한국희귀의약품센터의 희귀의약품 및 자가치료용 의약품의 연도별 공급 내역을 데이터베이스화하여 공급과 수요의 갭 분석에 활용할 수 있도록 해야 한다.

4) 시장독점제에서 안정 공급 의무를 부과

2014년 9월부터 국내에서 임상시험을 실시한 희귀의약품이 재심사 대상으로 지정되면서 시장독점권이 부여되었다. 시장독점권이 부여되면 허가받은 날로부터 4년의 기간 동안 동일 질환에 동일한 의약품이 허가되지 않음으로써 독점적으로 판매할 수 있게 된다. 지금까지는 희귀의약품이 재심사 대상에서 제외됨에 따라 이러한 시장독점권을 누릴 수 없었으나 앞으로는 국내에서 임상시험을 수행하여 개발된 희귀의약품은 시장독점권을 갖게

표 4. 미국, EU, 대만의 희귀의약품 시장독점제도

	독점 기간	독점의 구체적 내용	독점기간 중에도 다른 제품의 허가가 가능한 경우	기타
미국	7년	동일질환의 치료 목적으로 동일 또는 유사약품의 허가 금지	<ul style="list-style-type: none"> - 충분한 양의 의약품이 공급되지 않는 경우 - 독점제품 허가권자가 승인하는 문서를 서면으로 제출하는 경우 - 유사제품으로서 기존 제품보다 임상적으로 우수한 경우 	
EU	10년 또는 6년	동일 질환의 치료 목적으로 유사 약품의 허가/허가신청 금지	<ul style="list-style-type: none"> - 독점제품 허가권자가 시판허가 승인을 동의하는 경우 - 충분한 수량의 의약품을 공급할 수 없는 경우 - 유사제품으로서 기존 제품보다 더 안전하거나 더 효과적이거나 임상적으로 우수한 경우 	5년째 말에 재평가하여 (특히 수익성) 독점기간 확정
대만	10년	동일한 종류의 다른 약품의 허가신청 금지	<ul style="list-style-type: none"> - 독점제품 허가권자가 허가신청을 동의하는 경우 - 기존 제품이 수요를 충족시키지 못하는 경우 - 기존 제품과 동일한 적응증, 유사한 품질 및 안전성, 효능을 가진 경우라도 기존 제품보다 우수함을 입증하는 경우 - 기존 제품의 가격이 비합리적이라고 중앙 당국이 판단하는 경우 	

된다.

시장독점권은 미국, EU, 일본 등 희귀의약품 개발을 선도해 온 국가들이 제약기업의 희귀의약품 개발을 촉진하기 위하여 활용해 온 인센티브 제도로서 효과가 매우 큰 것으로 알려져 있다. 제약기업은 시장규모가 작은 희귀의약품을 수 년 동안 독점적으로 판매 가능하다면 수익성이 확보될 수 있다고 믿고 희귀의약품 개발에 나선다고 할 수 있다.

그런데 시장을 독점하고 있는 희귀의약품에서 공급 부족 문제가 생긴다면 환자들은 질병 관리에 큰 어려움을 겪을 수 있고 이것은 희귀의약품 개발

촉진을 위해 운영하는 시장독점제도의 모순이라 할 수 있다. 따라서 미국, EU, 대만 등 희귀의약품에 대한 시장독점권을 부여하고 있는 국가들은 공급 안정성을 확보하기 위하여, 희귀의약품이 수요에 맞게 충분히 공급되지 않는 경우에는 시장독점권을 박탈하고 있다. 즉 희귀의약품의 시장독점제도의 내용으로서 공급의 안정성을 요구하고 있다(<표 4> 참조).

우리나라는 의약품의 시장독점제도가 별도 제도가 아닌 재심사제도의 일부로 운영되고 있어서 시장독점제도의 원래 취지를 충분히 실현하지 못하는 문제가 있다. 이것은 우리나라의 의약품 규제

관리에서 재심사제도와 시장독점제도의 분리라는 과제로서 해결해야 하는 것이므로, 희귀의약품과 별도로 논의가 필요하다.

우선 희귀의약품과 관련하여 논의해 볼 때 국내 임상시험을 실시한 희귀의약품은 2014년 9월부터 시장독점제도의 대상이 되었으며, 다른 의약품에

비해 공급 안정성이 취약한 희귀의약품에 대해서는 공급이 중단되거나 불안정하여 시장독점권을 부여하는 것이 적절하지 않은 경우에는 즉각 시장독점권을 박탈하고 다른 제약사가 대체의약품을 생산, 공급할 수 있도록 하는 것이 필요하다. 