

罕藥 HTA 報告的實質意涵

醫療科技評估(HTA) -以價值為導向的新藥給付審議流程

財團法人醫藥品查驗中心

醫藥科技評估組

黃莉茵組長

日期：111年09月27日



Disclaimer

- **This presentation was not officially cleared, and the views offered here do not necessarily represent the official positions at Ministry of Health and Welfare (MOHW), including National Health Insurance Administration (NHIA).**
- **本次演講內容僅為個人之觀點，凡涉及政策方向及法規解釋與適用，應依衛生主管機關之指示為準。**

大綱

1 
醫療科技評估
(HTA) 是什麼?

2 
病友參與HTA及
健保給付決策機
制簡介

3 
彈性的價值閾值
(value
thresholds)

4 
**Accelerated
Access
Collaborative**

Health Technology Assessment (HTA) for Universal Health Coverage (全民健康覆蓋)



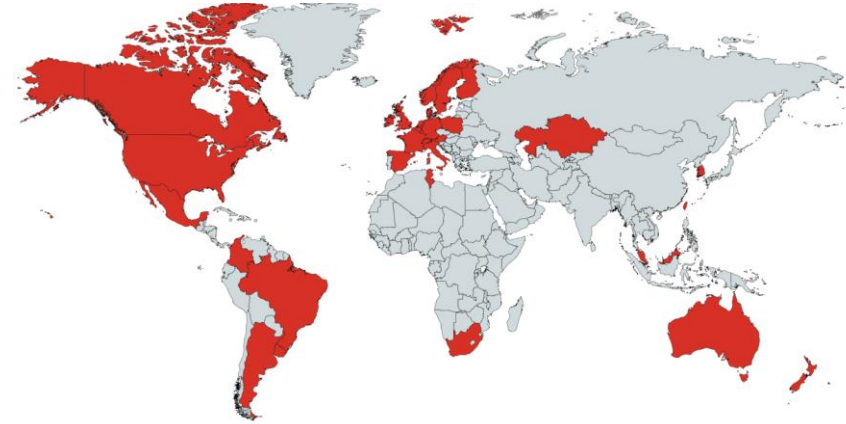
HTA can help

1. Evidence-Based-Policy-Making
2. Maximizing health benefit
3. Equity
4. Transparency



醫療科技評估 (HTA) 是什麼？

- 針對衛生醫藥照護所使用的科技產品或服務提出評估，評估的範圍包括臨床、社會、經濟及倫理等層面。
- 提供決策者客觀的資訊，以協助他們在有充分、客觀的證據下做出政策規劃。
- 必須具有資訊透明、不偏頗及系統性等特性。這些特性奠基於紮實的研究與科學方法。



International Network of Agencies for HTA (INAHTA)

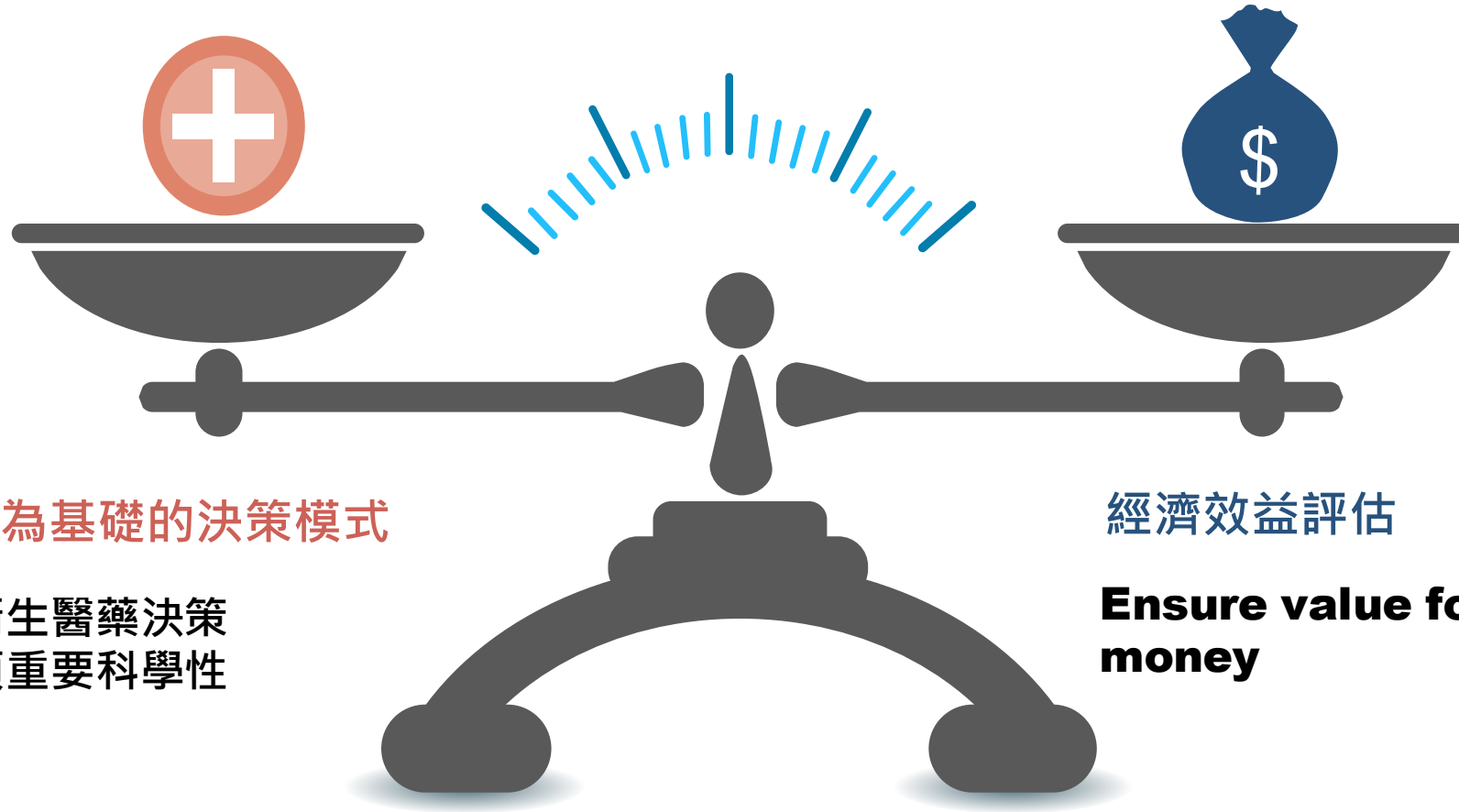
Agencies by region:

- 31 Europe
- 5 Latin America
- 5 Canada & USA
- 5 Asia
- 3 Australia & New Zealand
- 2 Africa

Agencies by country economic status:

- 42 in high income countries
- 8 in upper-middle income countries
- 1 lower-middle income country

醫療科技評估是...



以實證為基礎的決策模式

協助衛生醫藥決策
的一項重要科學性
工具

經濟效益評估

**Ensure value for
money**

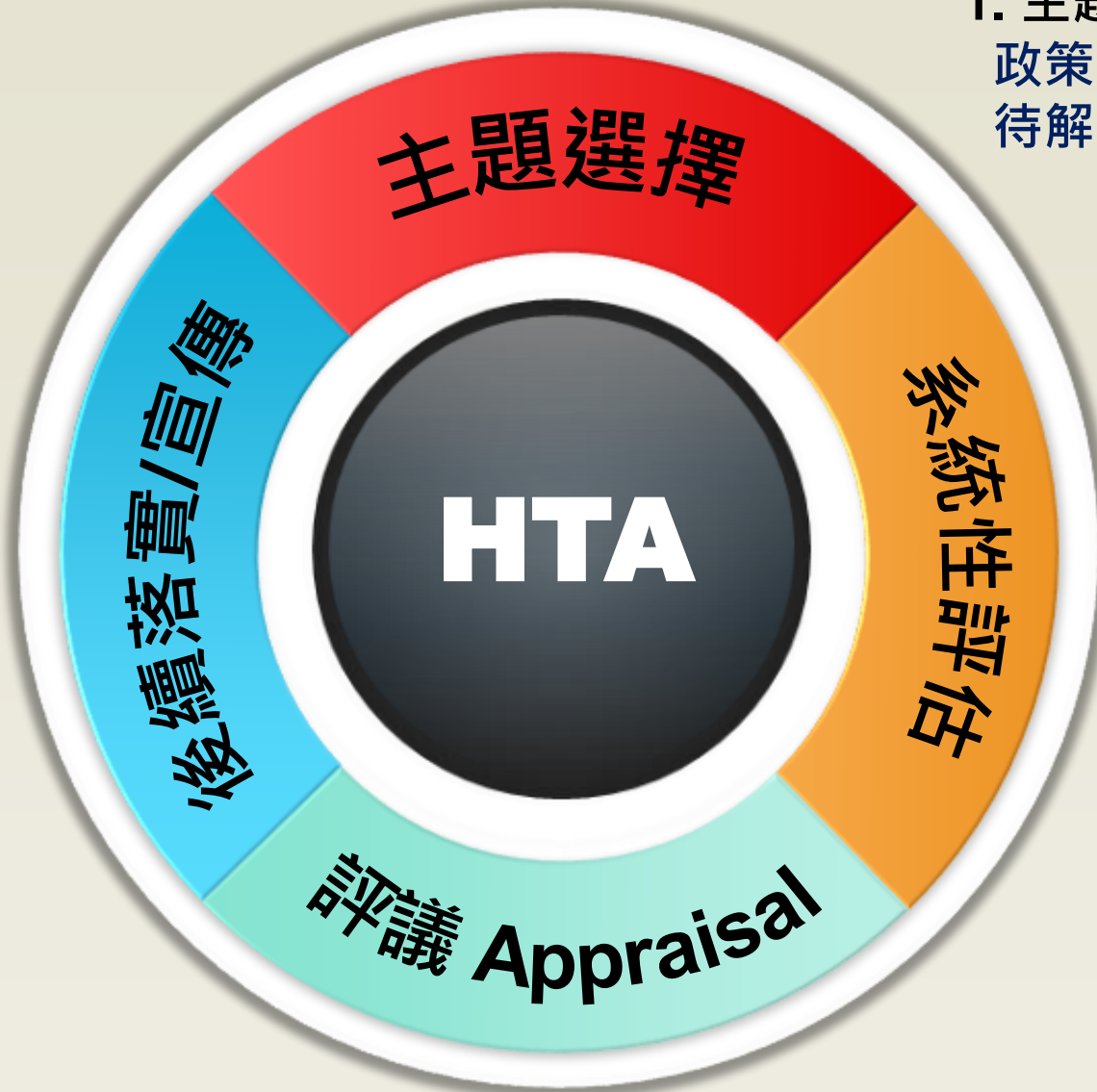
醫療科技評估核心過程

4. 後續落實/宣傳 Dissemination

政策的推廣與落實
將決策結果落實執行
將評估及評議結果傳遞給目標族群，以發揮影響力

3. 評議 Appraisal

根據前述資料進行討論並作出決策
評價原則(例: 罕病或癌末病人是否有不同標準)



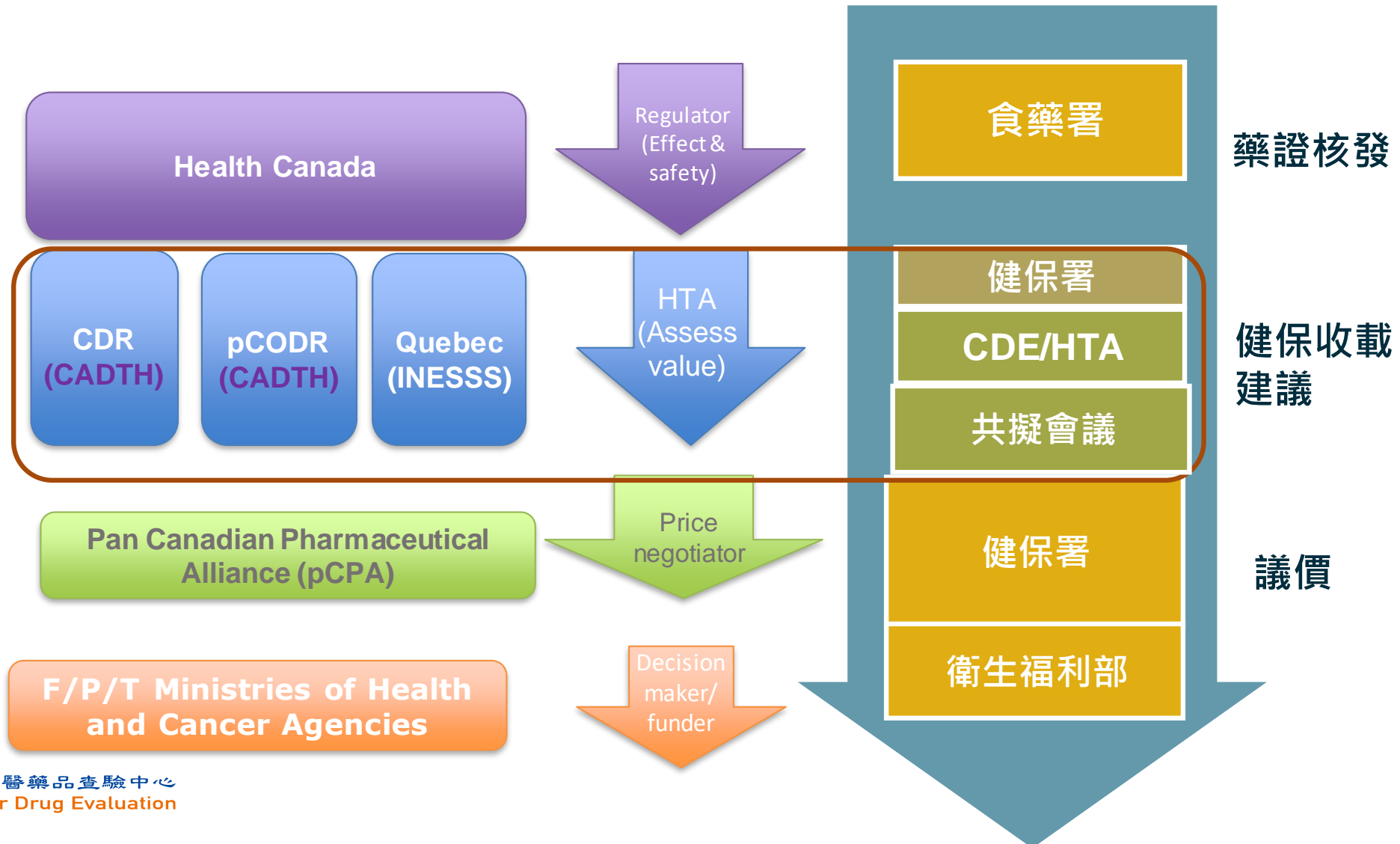
1. 主題選擇/優先性
政策所面臨的現況及待解決的問題

2. 系統性評估

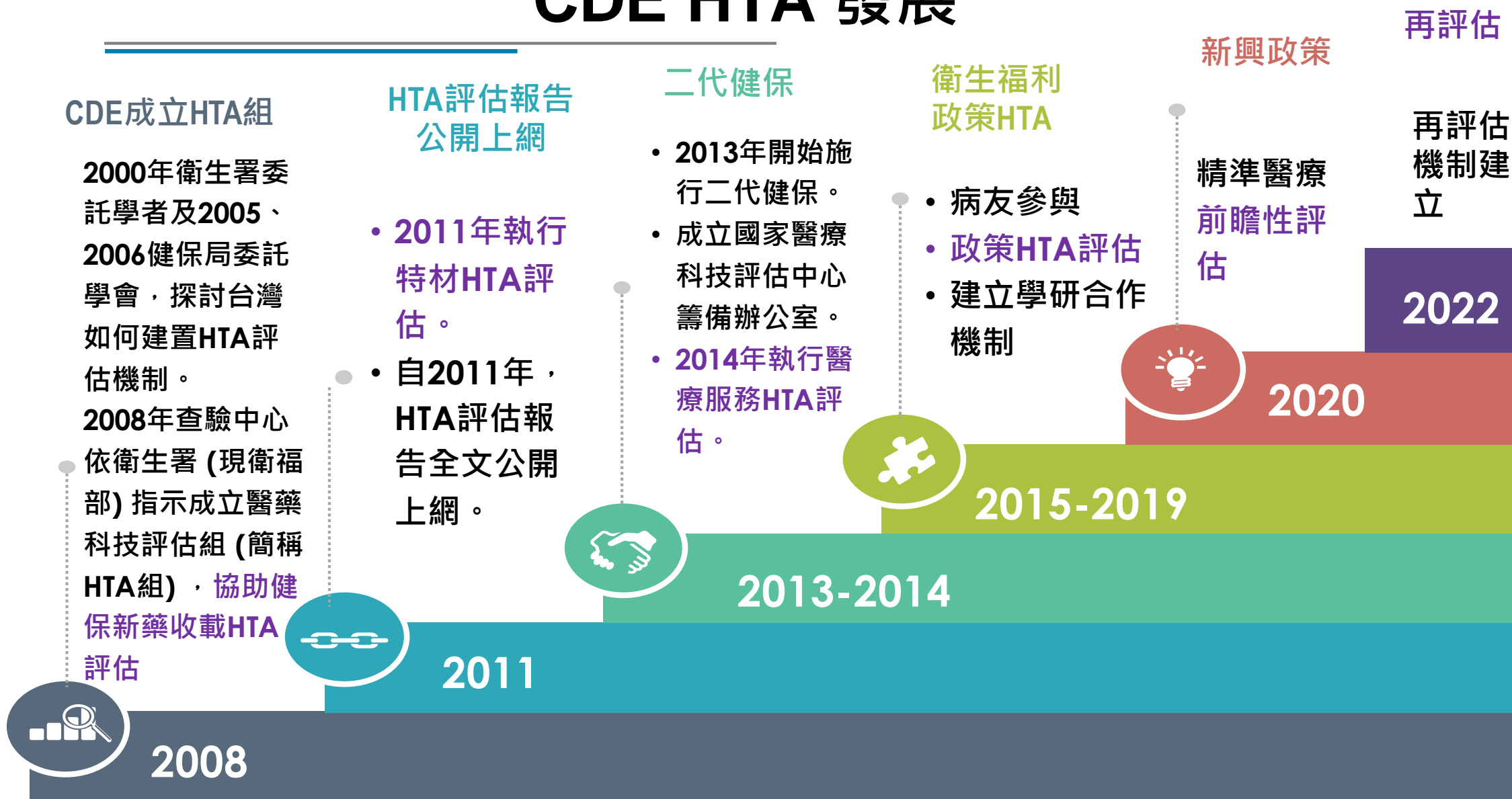
Scoping：確認PICOS、參與人員及角色、研究團隊擬定細部計畫書
進行各種科學證據的整合，包括療效、成本效益、預算衝擊分析

國際 vs. 我國 HTA 制度設計架構

- 以加拿大藥品支付制度為例



CDE HTA 發展



HTA可能應用的範圍

健保收載決定

- 藥物給付項目及支付標準
- 醫療服務給付項目及支付標準
- 部份負擔之評估
- 品項的定期檢討-再評估
- ...

衛生政策制定

- (疫苗或藥品)公費購買給付
- 高科技醫療器材-醫用粒子治療設備之健康科技評估
- 推動身心障礙者社區日間作業設施之效益評估。

前瞻規畫

- 未來新科技可能發展、及對體系的衝擊
- 了解缺少哪些實證以便進行相關研究
- 針對即將出現的高額、發展中之新興醫療科技或台灣利基重點政策，為其決策爭取更多前導時間(lead time)

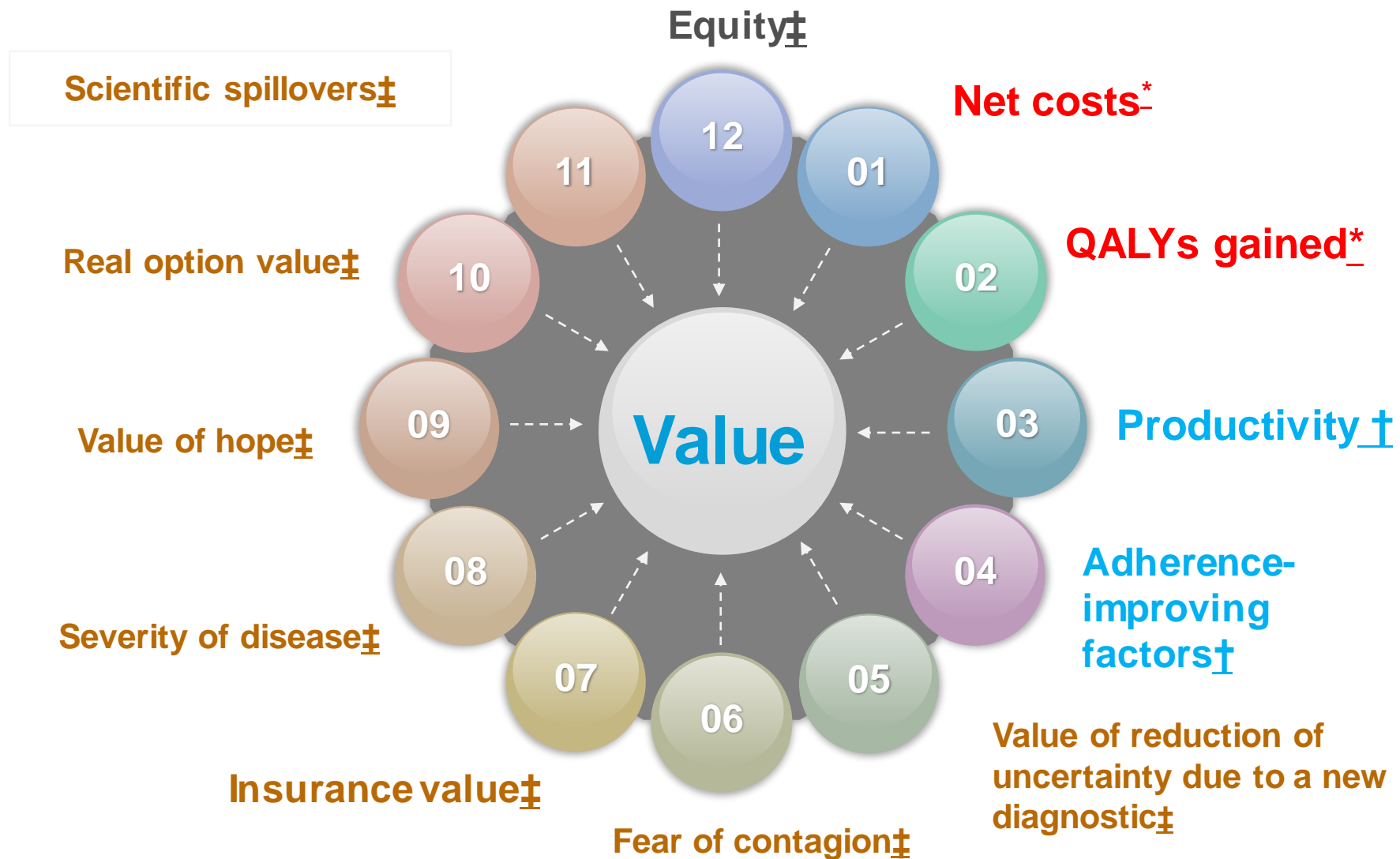
資源合理配置

- 建立全民健康保險現行給付效益評估機制-以醫療科技評估(HTA)技術為基礎
- 檢視資源配置現況
- 討論合理配置
- ...



如何在HTA報告中，說明
罕藥創新藥物帶來的生活
品質及臨床需求？

12項在評估醫療科技價值時可納入考慮之元素



*core elements of value; ‡potential novel elements of value; †common but inconsistently used elements of value

Lakdawalla DN, Doshi JA, Garrison LP Jr, Phelps CE, Basu A, Danzon PM. Defining Elements of Value in Health Care-A Health Economics Approach: An ISPOR Special Task Force Report [3]. *Value Health*. 2018 Feb;21(2):131-139.

當代醫藥法規月刊. <https://www.cde.org.tw/Content/Files/Knowledge/42b1ddf1-b991-4797-8cf6-6c3b2877d798.pdf>.

HTA報告的架構與格式及透明公開

申請品項基本資料		
醫療科技評估報告摘要	<ul style="list-style-type: none"> ■ 相對療效與安全性(人體健康) ■ 成本效益 ■ 醫療倫理 ■ 財務衝擊 ■ 主要醫療科技評估組織之給付建議(加拿大, 澳洲, 英國) 	
醫療科技評估報告	1. 疾病治療現況	
	2. 疾病治療醫材於我國之收載現況(根據治療目標族群)	
	3. 療效評估報告	<ul style="list-style-type: none"> • 參考主要醫療科技評估組織報告(加拿大, 澳洲, 英國) • 參考文獻資料庫(Cochrane/PubMed/Embase) • 參考其他實證資料
	4. 療效評估結論	
	5. 成本效益評估	<ul style="list-style-type: none"> • 廠商執行之本土成本效益分析 • 參考主要醫療科技評估組織報告(加拿大, 澳洲, 英國) • 參考文獻資料庫(CRD/INAHTA/Cochrane/PubMed/Embase) • 參考其他成本效益分析資料
	6. 疾病負擔與財務影響	<ul style="list-style-type: none"> • 疾病負擔 • 財務影響
	7. 經濟評估結論	
參考資料		
相關附錄		

健保HTA評估報告全文公開上網

健保署

首頁

健保資料站

醫療科技評估
報告

⋮

醫療評估報告

醫療科技評估報告

新增診療項目-醫療科技
評估報告

首頁 > 健保資料站 > 醫療評估報告 > 醫療科技評估報告

⋮

醫療科技評估報告

110年

109年

108年

107年

106年

105年

104年

103年

102年

101年

100年

醫藥科技評估

時限、公平、程序、科學



致力法規科學
守護生命健康

Regulatory Science, Service for life

▾ 簡介

▾ 相關法規及指引

▾ 醫療科技評估報告

政策HTA評估報告

藥品HTA評估報告

特材HTA評估報告

藥品HTA評估報告

• [首頁](#) > [醫藥科技評估](#) > [醫療科技評估報告](#) > [藥品HTA評估報告](#)

2022 2021 2020 2019 2018 2017 2016 2015 2014 2013

達珂凍晶注射劑 (Dacogen® Powder for Concentrate for Solution for Infusion)

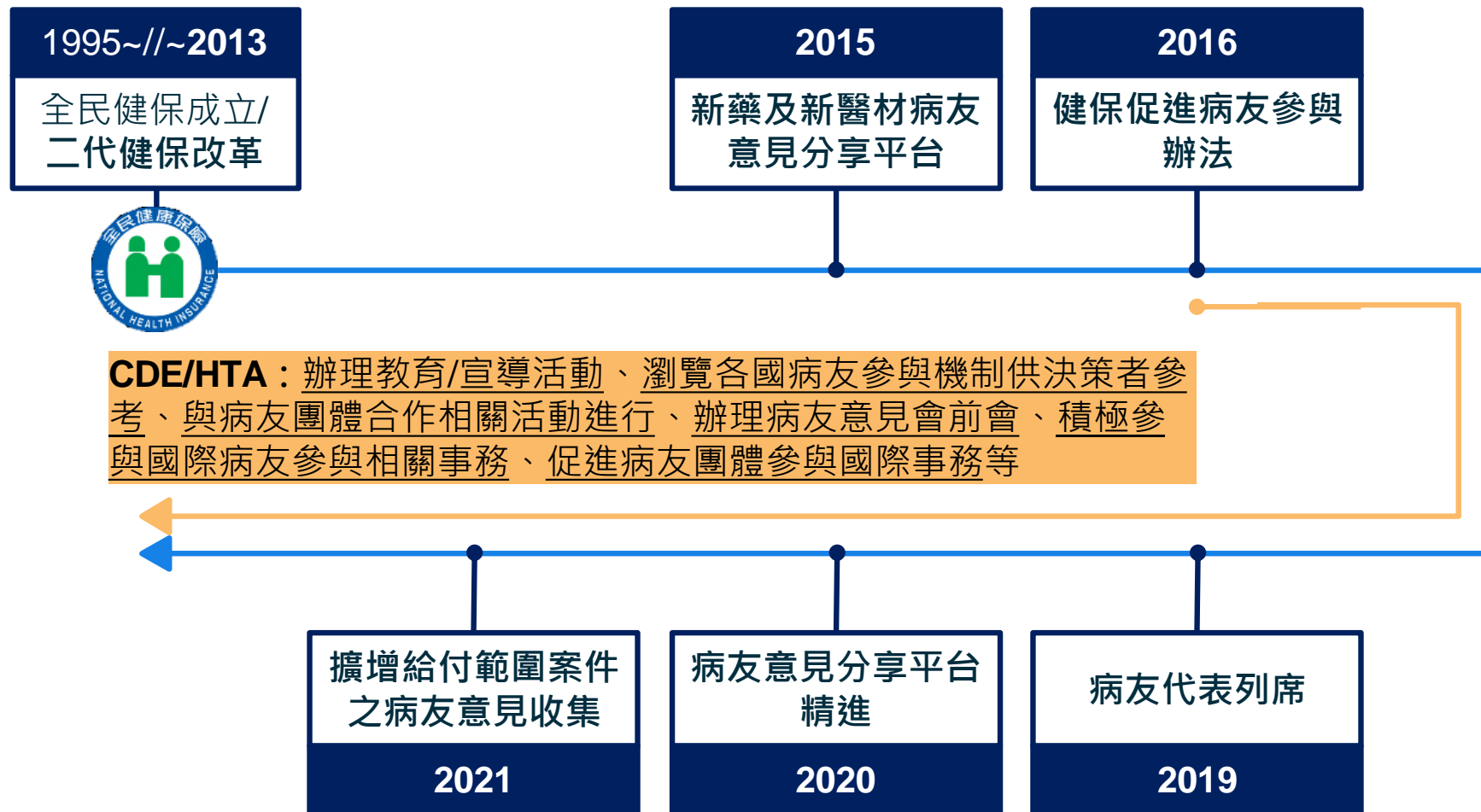
檔案下載

Demylocan lyophilized powder for injection

檔案下載

病友參與HTA及健保給付決策機制簡介

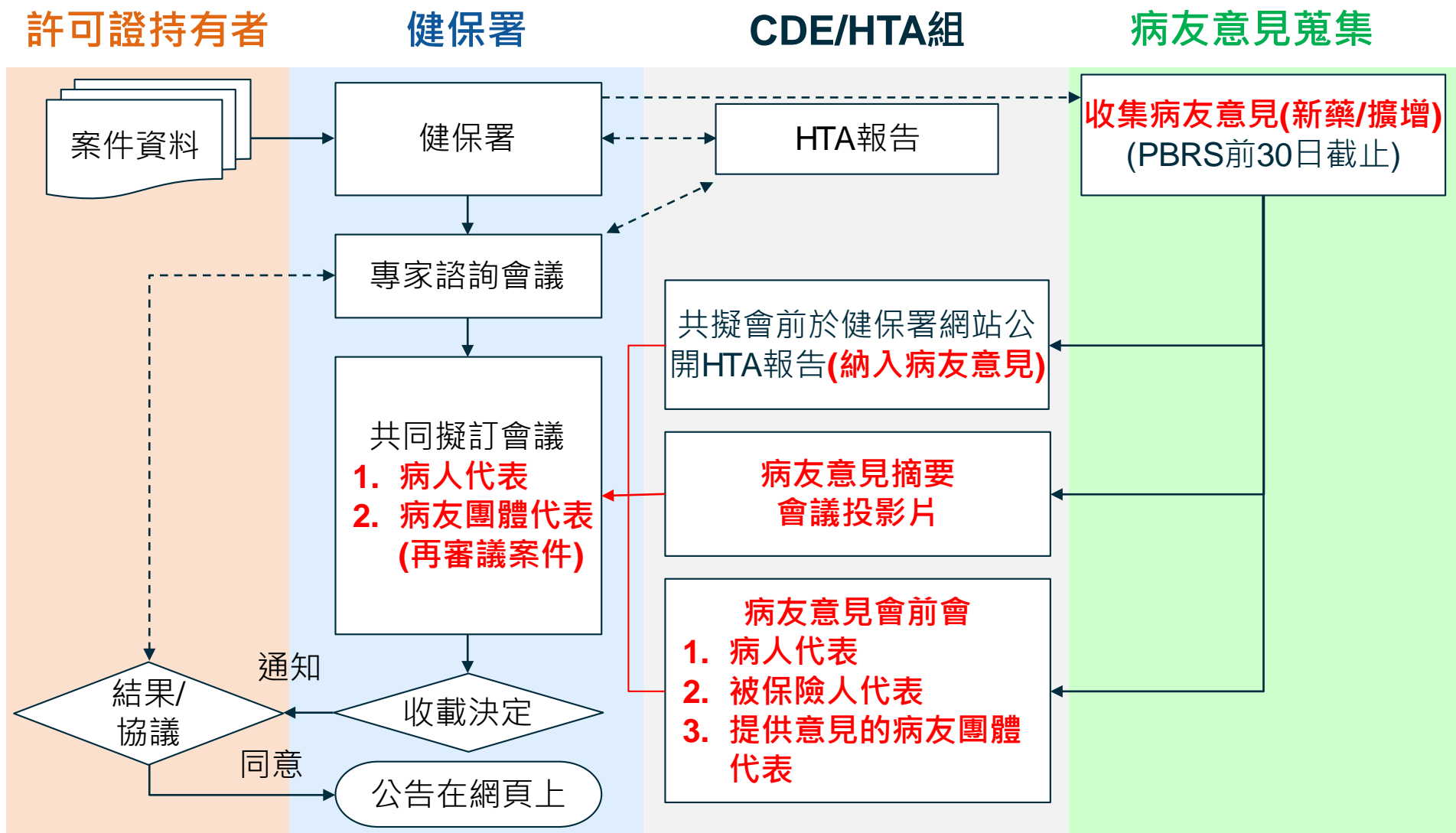
病友參與健保藥物給付決策之發展



HTA納入病友參與之歷程



健保藥物給付決策流程



優化在共擬會議上病友意見的呈現方式

辦理共同擬訂會議病友意見會前會

- 會議目的：
 - 共同擬訂會議前，召開病友意見會前會，會議目的希望，與會代表可更加理解來自病友的意見，使共同擬訂會議討論過程中，更能融入病友觀點證據。
 - 增進病友/病友團體/代表及CDE間的溝通
 - 精進病友意見收集
 - 優化在共擬會議上病友意見的呈現方式
 - 參與人員：提供平台病友意見的病友團體代表、中央健康保險署代表、共擬會議2位病友代表、共擬會議被保險人代表、查驗中心團隊
 - 109年2月起至111年8月止 CDE HTA共辦理14場共同擬訂會議病友意見會前會

HTA評估報告納入我國病友聲音



111CDR02011_Nexviazyme

財團法人醫藥品查驗中心
Center For Drug Evaluation

貝瑞酶凍晶注射劑 (Nexviazyme 10 mg/mL Powder for Concentrate for Solution for Infusion)

醫療科技評估報告

「藥物納入全民健康保險給付建議書-藥品專用」資料摘要

藥品名稱	Nexviazyme 10 mg/mL Powder for Concentrate for Solution for Infusion	成分	Avalglucosidase alfa
建議者	賽諾菲股份有限公司		
藥品許可證持有商	賽諾菲股份有限公司		
含量規格劑型	100 mg/vial；注射劑		
主管機關許可適應症	用於6個月以上龐貝氏症(酸性 α -葡萄糖苷酶缺乏)病人的長期酵素替代療法		
建議健保給付之適應症內容	同上		
建議健保給付條件	<input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> 有， 用於確診為主管機關認定之6個月以上龐貝氏症患者，限由具兒科專科醫師證書，且經小兒遺傳及內分泌新陳代謝科或小兒神經科訓練之醫師，或具神經科專科醫師證書之醫師處方使用，並應於病歷詳實記載病程、確診之檢驗資料及治療反應，亦應符合下列任一條件： (1) 嬰兒型龐貝氏症為未滿1歲前發病，包括出現肌肉無力、心室肥大、肌酸激酶(CK)升高、或肌肉切片顯示有肝糖堆積者。 (2) 晚發型龐貝氏症為滿1歲後發病，包括出現肌肉無力、肌酸激酶(CK)持續升高、或肌肉切片顯示有肝糖堆積者。		

四、醫療倫理：

無系統性收集之相關資訊可供參考。惟在加拿大 CADTH 與澳洲 PBAC 之給付收載審議會報告中，皆有呈現病人代表的意見，茲重點呈現其內容如下：

- (一) 對於病友而言，因龐貝氏症而出現的活動與平衡能力受限、呼吸困難等症狀，明顯影響其生活品質並累及家人。雖然，部分病友過去僅接受過物理治療、部分病友僅接受過 alglucosidase alfa 治療，並因為這些療法使其病況略為改善，但是，他們仍希望有新的處置被納入給付，期望能藉此更進一步改善既有的症狀並預防疾病惡化。
- (二) 對於照護者而言，如果有新的處置方法被給付，除了可以更有效掌控病人的病況與疾病進展，更因為簡便的給藥方式可以居家自行輸注，提升病人的用藥可近性，或者避免因為接受治療往返醫院的舟車勞頓。

此外，本報告摘錄自衛生福利部中央健康保險署「新藥及新醫材病友意見分享」平台，截至民國 111 年 8 月 8 日所蒐集到的資料，共有 1 個病友團體提供問卷調查結果及 1 位病友回覆意見。

- (一) 病人認為疾病對生活最大的影響為肌肉無力；下肢無力影響行走能力也容易跌倒；呼吸功能退化導致呼吸急促及睡眠呼吸中止；眼皮下垂影響視力；吞嚥問題及容易噎咳；發音模糊，有時也影響到聽力，導致人際互動的困難。
- (二) 由於多數病人有肌力不足的症狀，常需要照顧者陪伴；較嚴重的病人在如廁、洗澡及更衣等日常活動都需旁人協助。夜間病人需要使用呼吸器及咳嗽機，導致照顧者睡眠不足；此外，也常需請假陪伴病人就醫打針及復健。
- (三) 病友期待新治療可減輕相關症狀(如減少肌肉無力、提升呼吸功能、延緩惡化等)，亦期待服藥方便性提升(如拉長治療間隔少奔波、有口服劑型免挨針)。
- (四) 有 3 位病友具本品使用經驗，其中 2 位由 alglucosidase alfa 轉換為本品治療，換藥後治療兩個月時間自覺症狀有些改善，沒什麼副作用。

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

商品名：Alprolix Powder for Injection 250IU、500IU、1,000IU、2,000IU、3,000IU

學名：rFIXFc (eftrenonacog alfa)

事由：

1. 本案為賽諾菲股份有限公司（以下簡稱建議者）建議 Alprolix Powder for Injection 250IU、500IU、1,000IU、2,000IU、3,000IU (eftrenonacog alfa, rFIXFc) 納入全民

健康保險給付用於「成人和兒童 B 型血友病患者之：控制處置(perioperative management)、常規的預防或減少出血」

2. 基於財團法人醫藥品查驗中心（以下簡稱查驗中心）前於 106 年 9 月 11 日，已針對本案藥品用於「12 歲及以上先後完成醫療科技評估報告，本報告將以補充報告格式，評估組織之給付建議、相關臨床研究結果及財務影響分析」另，本報告依據 109 年 3 月健保署藥品專家諮詢會議結論，建議 B 型血友病病人之預防性治療、「每週注射一次、每次 50 IU」價格更新財務影響推估。

4. 於全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂會議，建議將 B 型血友病友團體於健保署「新藥及新醫材病友意見分享」平台中分享意見，現於評估結論，以供參考。

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告

商品名：Firazyr 30 mg solution for injection in pre-

學名：Icatibant

事由：

1. 夏爾生技醫藥股份有限公司於 108 年 4 月函文（以下簡稱健保署）建議 Firazyr 納入健保給付，用於血管性水腫 (hereditary angioedema, HAE) 患者。108 年 8 月藥品專家諮詢會議討論，主要結論為建議學會（以下簡稱學會）參考加拿大的給付建議

2. 學會於 108 年 10 月函覆健保署提出給付規定建議及財務影響分析資料，主要建議之給付條件為必須評估患者是否存在遺傳性血管性水腫發生的重大風險，如至少中度嚴重的非喉部發作或急性喉部之發作。

3. 健保署於 108 年 11 月函請本中心針對學會提供之資料進行財務影響再評估，以供後續研議相關事宜參考。

4. 本案接獲三位病友於健保署「新藥及新醫材病友意見分享」平台中分享意見，故另綜整相關收集意見於評估結論，以供參考。

本報告摘錄自衛生福利部中央健康保險署「新藥及新醫材病友意見分享」平台中收集的 1 個病友團體意見：

1. 重度病人會自發性出血，最常見的出血部位為關節腔；預防性補充凝血因子可避免病人因關節腔內長期反覆出血，以致發生關節病變甚至肢體障礙。
2. 現有第九凝血因子製劑因半衰期短，採取預防性治療時需頻繁地注射，對於年長者與孩童是為挑戰，也有造成血管硬化的問題。
3. 病友期待長效型第九凝血因子製劑可減少施打頻率、提供更好的止血及預防效果，減少病人關節傷害。此外，期望新藥能夠造福所有血友病病人，而若考量健保資源，建議優先給付於預防性使用，以減輕患者及其家庭治療上之負擔。

五、成本效益：未查獲 IDELVION 用於 B 型血友病人預防性與控制出血之相關成本效益研究。

六、財務衝擊：

1. 建議者參考人口推估資料及相關研究資料等，並設定用藥病人主要為男性，推估未來五年 B 型血友病盛行人數每年均約 160 人；此外，建議者假設本品納入給付後僅會用於重度病人預防性治療，並參考市調資料、國民營養調查資料及相關研究等，分別預估 BeneFIX、RIXUBIS 及本品的市占率及用量，預估未來五年本品年度藥費為第一年約 1.4 億元至第五年約 3.8 億元，扣除取代藥費，對健保財務影響為第一年新增約 15 萬元至第五年節省約 140 萬元。
2. 本報告對於建議者財務影響推估主要疑慮包含：(1)病人數推估：建議者僅納入男性病人，但本報告認為仍應將少數之女性病人納入；(2)藥品使用量推估：建議者

其他參考資訊

分享我國病友參與經驗
發表於國際SCI期刊



Health Equality
Europe

認識醫療科技評估 (Understanding Health Technology Assessment, HTA)



這本指引在描述病人和大眾如何參與決定何種醫療照護應該被給付。它也能用來提醒大家對病人需求的重視。

2008年7月

- Chen KA, Huang LY and Gau CS (2022) Patient Involvement in the Health Technology Assessment Process in Taiwan. *Front. Med. Technol.* 3:732160. doi: 10.3389/fmed.2021.732160
- 陳奎安 (2020) 探討我國病人參與醫療科技評估機制. *當代醫藥法規月刊*. 113.
- 黃莉茵·譚延輝. 認識醫療科技評估. 2009. Available from: http://www.htai.org/fileadmin/HTAi_Files/ISG/PatientInvolvement/EffectiveInvolvement/HTAToolkitMandarin.pdf

彈性的價值閾值 (value thresholds)

NICE-Apply different value thresholds

- Some **gene therapies** for rare conditions may qualify for the “**Highly Specialised Technologies**” (HST) programme.
- The HST programme provides for a **higher cost-effectiveness threshold of £100,000 per QALY**, with possibility of rising to **£300,000 per QALY** if 30 QALYs are gained over the patient’s lifetime.

英國臨終照護政策 (I)

- 英國NICE於2009年公布英國臨終照護(End-of-Life (EoL))政策[1]，主要針對部分治療，若符合相關的條件，即使成本效益 (ICER) 的閾值大於3萬英鎊/QALY gained，也可能會通過評議委員會建議納入給付 [2]，評議委員會 (Appraisal Committees (ACs))在該項政策下，可有彈性的在符合特定標準時接受成本效益較差的治療。

Reference:

[1]. National institute for health and clinical excellence. Appraising life-extending, end of life treatments. Available from :: <https://www.Nice.Org.Uk/guidance/gid-tag387/documents/appraising-life-extending-end-of-life-treatments-paper2>.

[2]. Rawlins M, Barnett D, Stevens A: Pharmacoeconomics: NICE's approach to decision-making. *British journal of clinical pharmacology* (2010) 70(3):346-349.

英國臨終照護政策 (II)

過去該政策將病人數量的規模納入考量 (僅同意將病人族群為少數者列為考量)，但已於2016年調整前述考量，該臨終照護(**End-of-Life [EoL]**)政策現在不再將病人數考量進去，而著重於考量後述2項因子[3]：

- 針對現有的治療，病人的預期壽命(**life expectancy, LE**)通常少於**24個月**。
- 對於此新藥若能提供生命延續(**extension to life, EtL**)，且該新的治療相較於目前的**NHS治療**，通常至少能延續**3個月**的生命。

若該類新藥符合上述標準，評議委員會在部分案件，期待藉由臨終照護(**End-of-Life (EoL)**)政策蒐集該類疾病治療的結果，嘗試克服這類資訊缺口。**[概念為蒐集RWD後再評估RWE]**

Reference: [3]. Shah KK, Tsuchiya A, Wailoo AJ: **Valuing health at the end of life: A review of stated preference studies in the social sciences literature.** *Social science & medicine* (1982) (2018) **204**: 39-50.

Accelerated Access Collaborative



“If you want to go fast, go alone; if you want to go far, go together”-

African Proverb

獨行可快，同行能遠

病友和登錄資料庫

- 澳洲、法國、德國和英國的囊腫性纖維化協會 (cystic fibrosis associations) ，已經開始建立登錄資料庫並蒐集相關資料。
- 在日本，對罕見和難治疾病(Advocacy Service for Rare and Intractable Disease, ASrid)的倡議服務，已組織了各種病友團體在**J-RARE**上一起工作，病友在該登錄資料庫中輸入自己的資訊，包含藥物、檢測結果、經濟成本和對於他們具有重要性的結果。
 - 收集六個疾病的特定資料，例如遠端肌肉病變 (distal myopathy)、艾薩克斯症候群 (Isaacs' syndrome)、馬凡氏症候群 (Marfan syndrome)、復發性多軟骨炎 (relapsing polychondritis)、羅素—西弗氏症和粒線體疾病 (Silver-Russell syndrome and mitochondrial disease) ，以及其他罕見疾病病人的一般資料收集。

廠商於送審資料中提供 **Patient-based evidence (PBE)** 等相關資訊

Summary of Information for Patients (SIP): International SIP template

International Journal of
Technology Assessment in
Health Care

cambridge.org/thc

Commentary

Cite this article: Cook N et al (2021).
Development of an international template to
support patient submissions in Health
Technology Assessments. *International Journal
of Technology Assessment in Health Care* 37,
e50, 1-7. [https://doi.org/10.1017/
S0266462321000167](https://doi.org/10.1017/S0266462321000167)

Development of an international template
to support patient submissions in Health
Technology Assessments

Nigel Cook¹, Heidi Livingstone², Jennifer Dickson³, Louise Taylor³,
Kate Morgan⁴, Martin Coombes⁵, Sally Wortley^{6,7}, Elisabeth Oehrlein⁸,
María José Vicente-Edo⁹, Franz Waibel¹⁰ and Barry Liden¹¹

¹Novartis Pharma AG, Basel, Switzerland; ²The National Institute for Health and Care Excellence (NICE), London, UK; ³Scottish Medicines Consortium (SMC), Glasgow, UK; ⁴Myeloma Patients Europe, Brussels, Belgium; ⁵Bristol Myers Squibb, Wirral, UK; ⁶Department of Health, Office of Health Technology Assessment, Sydney, Australia; ⁷Menzies Centre for Health Policy, The University of Sydney Australia, Sydney, Australia; ⁸National Health Council, Washington, DC, USA; ⁹Aragon Health Sciences Institute (IACS), Zaragoza, Spain; ¹⁰Independent Consultant, Therwil, Switzerland and ¹¹Edwards Lifesciences, Irvine, CA, USA

Cook N, Livingstone H, Dickson J, Taylor L, Morgan K, Coombes M, Wortley S, Oehrlein E, Vicente-Edo MJ, Waibel F, Liden B. Development of an international template to support patient submissions in Health Technology Assessments. *Int J Technol Assess Health Care*. 2021 Apr 1;37(1):e50



Guidance to submitting companies for completion of New Product Assessment Form (NPAF)

April 2022

2d) Patient-based evidence (PBE) about living with the condition

Context:

- Patient-based evidence (PBE) is when patients input into scientific research, specifically to provide experiences of their symptoms, needs, perceptions, quality of life issues or experiences of the medicine they are currently taking. PBE might include outputs from patient preference studies, when conducted in order to show what matters most to patients and where their greatest needs are. Such research can inform the selection of patient-relevant endpoints in clinical trials.

In this section, please provide a summary of any PBE evidence that has been collected or published to demonstrate what is understood about patient needs and disease experiences. Any such evidence included in the SIP should be formally referenced wherever possible.

AL amyloidosis from the patient perspective

AL amyloidosis and its treatments can place a heavy physical and emotional burden on patients and their carers. Disease symptoms have a significant impact on patients' quality of life.

Feedback from patients' workshop

One participant from a Patient Focus Group described his ability to walk as 'greatly impaired' and his breathing as 'appalling'. He described himself as "unable to bend down and feeling exhausted".¹⁸ Beyond their physical health, patients with AL amyloidosis experience significant mental health challenges.^{24,27,38}

In the same Focus Group, patients expressed feelings of low self-worth, frustration at their declining physical ability and distress at their loss of independence.¹⁸

Key Takeaways



2. 病友參與HTA及健保給付決策

機制

- 辦理共同擬訂會議病友意見會前會
- HTA評估報告納入我國病友聲音

4. 大家一起合作 (Collaboration)

- 病友和登錄資料庫
- 廠商於送審資料中提供Patient-based evidence (PBE) 等相關資訊

1. 醫療科技評估(HTA)

- 以實證為基礎的決策模式
- 協助衛生醫藥決策的重要科學性工具

3. 彈性的價值閾值 (value thresholds)

- “Highly Specialised Technologies” (HST) programme

Acknowledgements

- CDE/HTA Team
- Government funding
 - Ministry of Health and Welfare
 - National Health Insurance Administration (NHIA), Ministry of Health and Welfare (MOHW)

Thank you for your attention



Website

<https://www.cde.org.tw/>