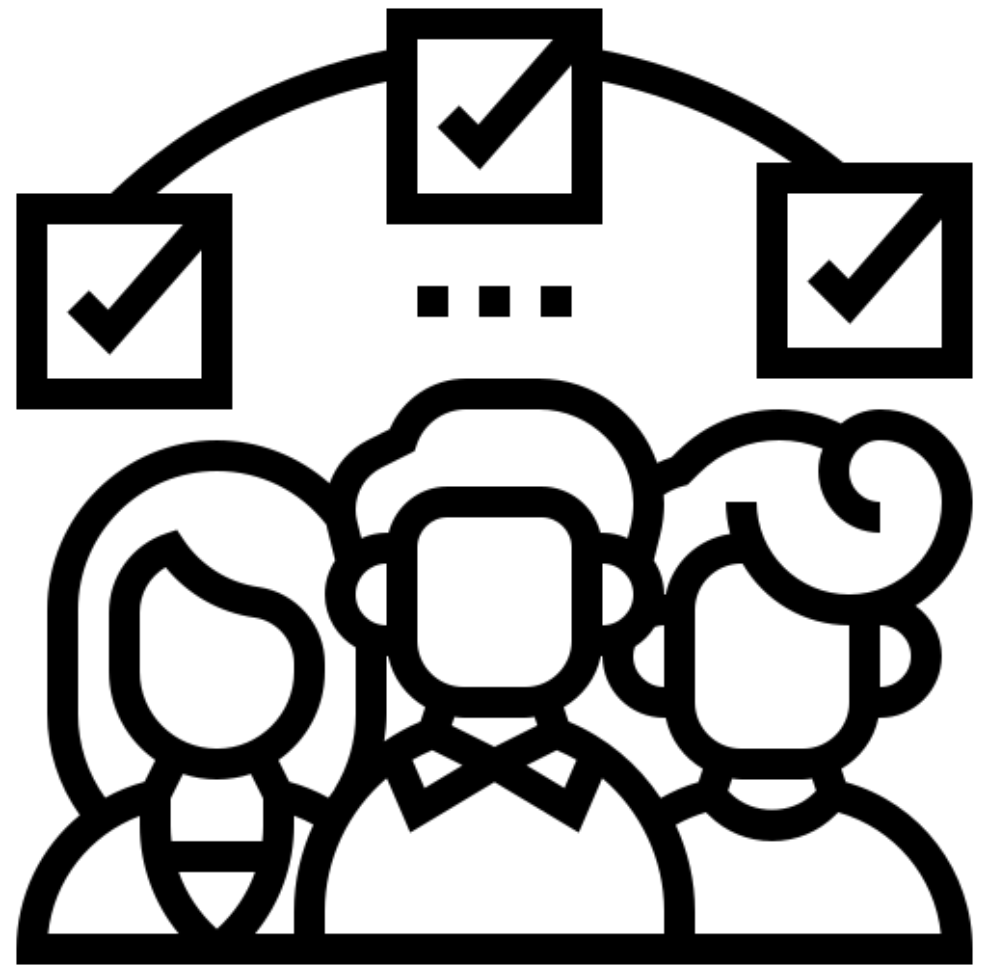


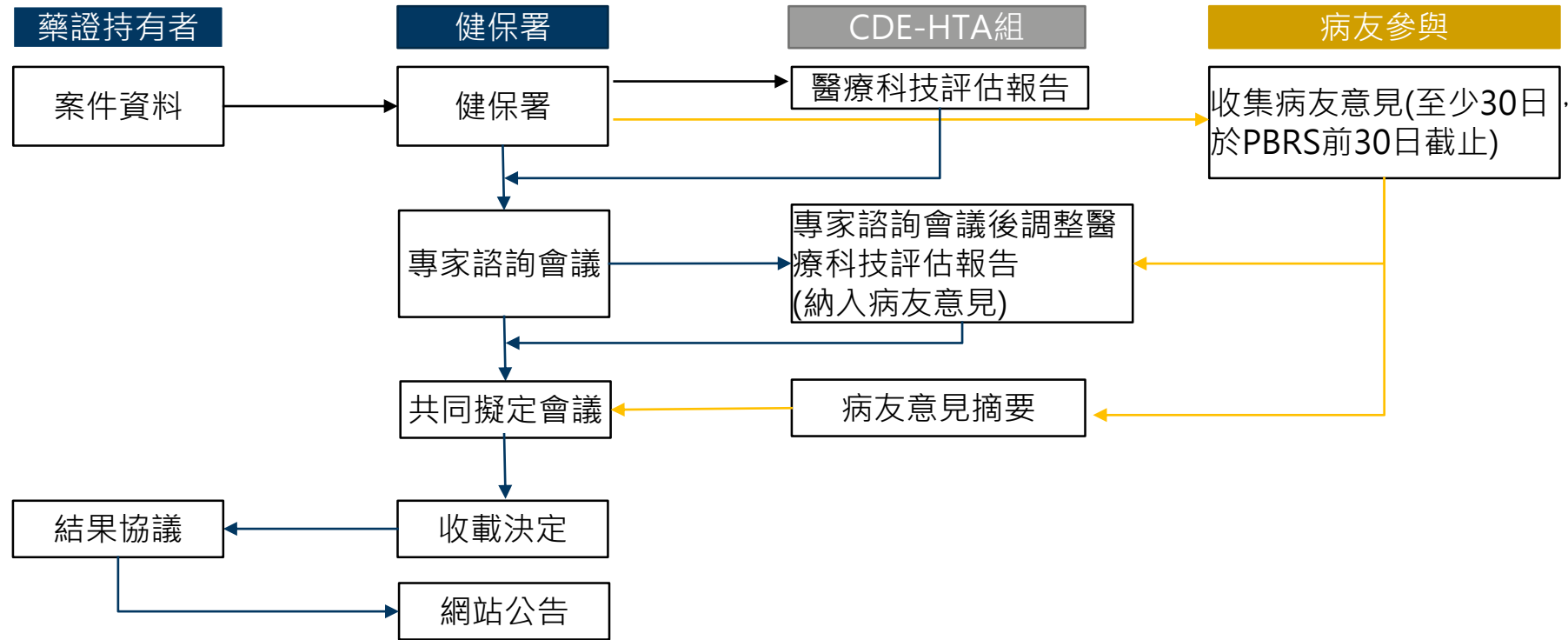
罕藥納入健保審議過程的 考量面向

Fei-Yuan Sharon Hsiao, Ph.D.

Professor and Director
Graduate Institute of Clinical Pharmacy,
National Taiwan University
2022.09.27



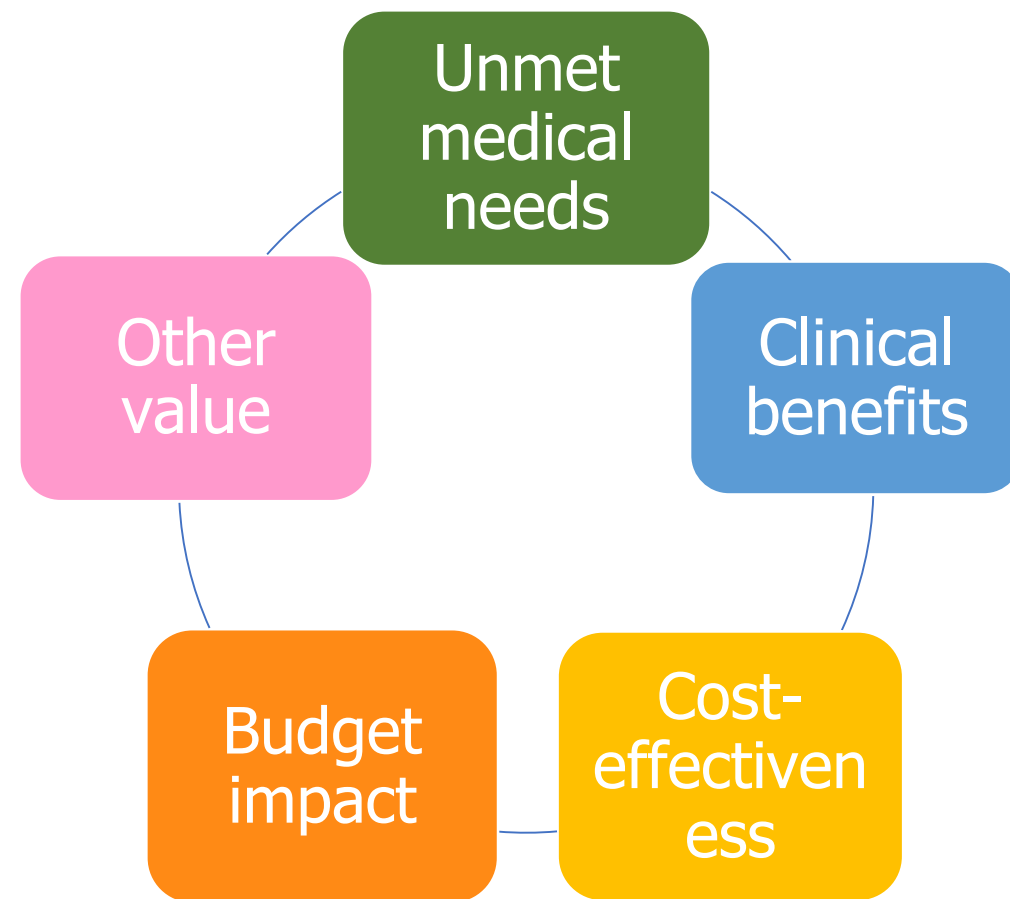
健保審議過程



健保審議過程的考量面向

新醫療科技(罕藥)的價值

疾病流行病學
參考品
相對療效與安全性
主要醫療科技評估組織之給付建議
醫療倫理
成本效益
財務衝擊
病人意見
.....



健保審議過程的考量面向

未被滿足的醫療需求

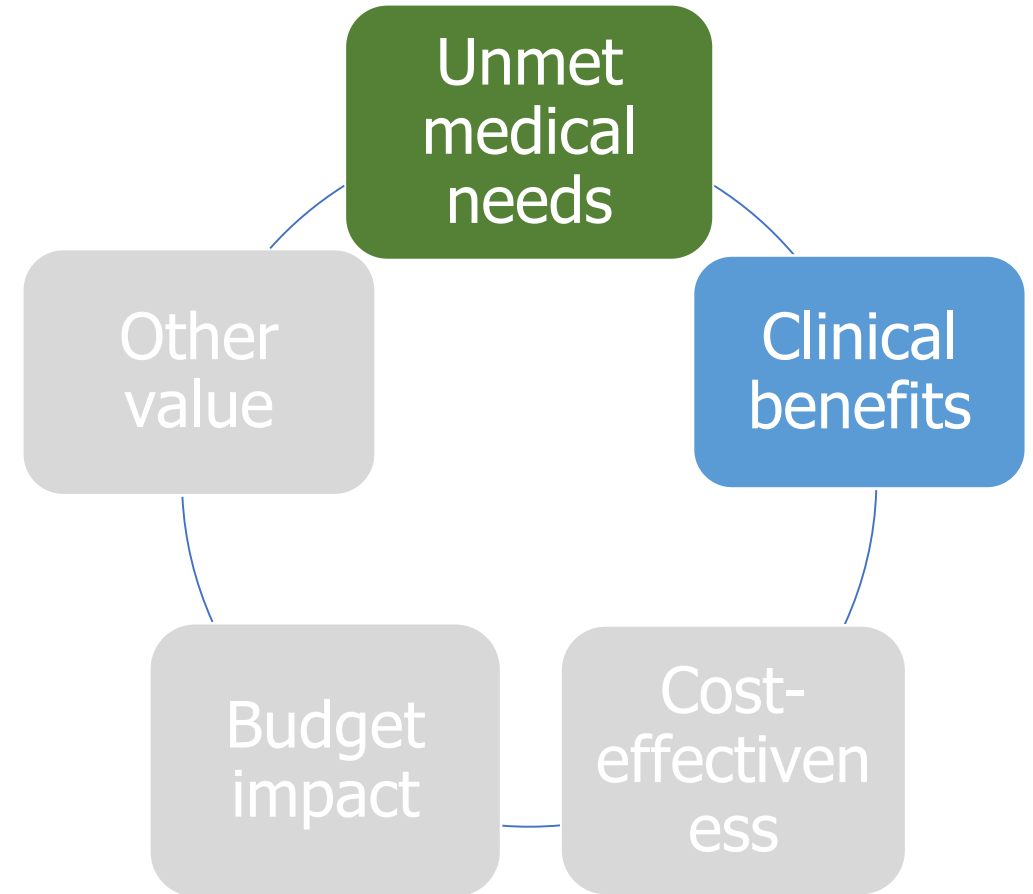
罕病流行病學

- 人數少
- 型態多元
- 多數疾病治療選擇有限

臨床療效

罕藥臨床療效的評估

- 客觀 vs. 主觀
- 生活品質
- 生產力
- 照護者面向



健保審議過程的考量面向

成本效益

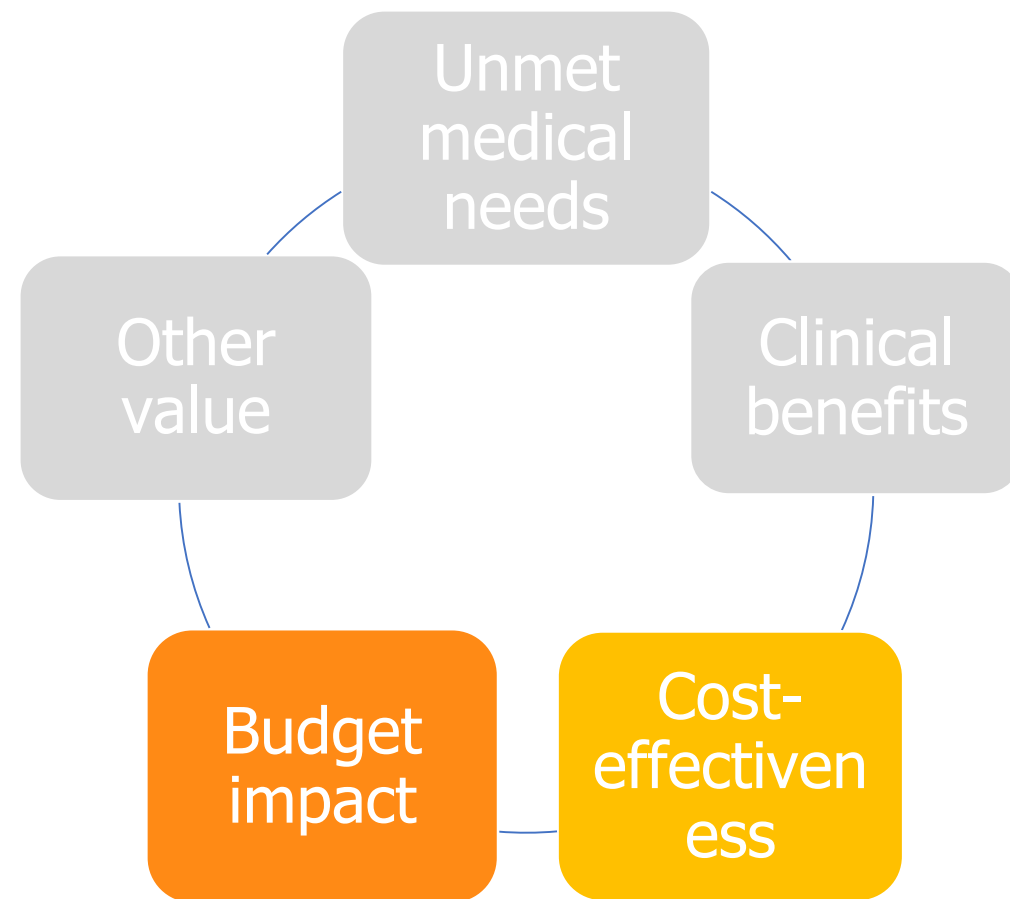
Cost-effectiveness

- ICER (threshold)
- 主要醫療科技評估組織之給付建議

預算衝擊

Budget

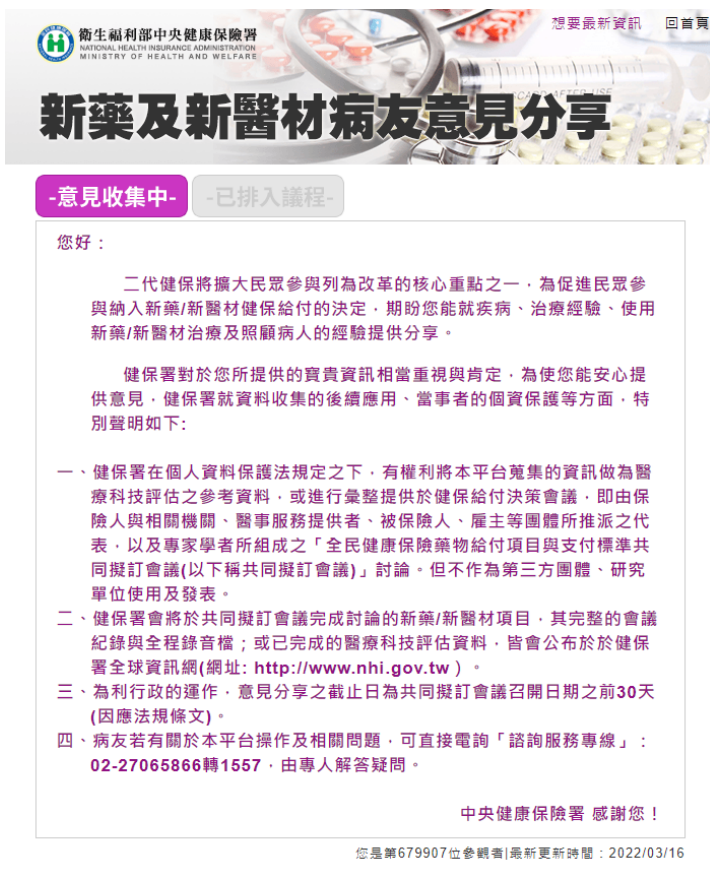
- 罕藥專款 vs. 一般新藥預算
- Within 罕藥專款



健保審議過程的考量面向

其他價值

病友意見與決策過程



衛生福利部中央健康保險署
NATIONAL HEALTH INSURANCE ADMINISTRATION
MINISTRY OF HEALTH AND WELFARE

新藥及新醫材病友意見分享

-意見收集中- -已排入議程-

您好：

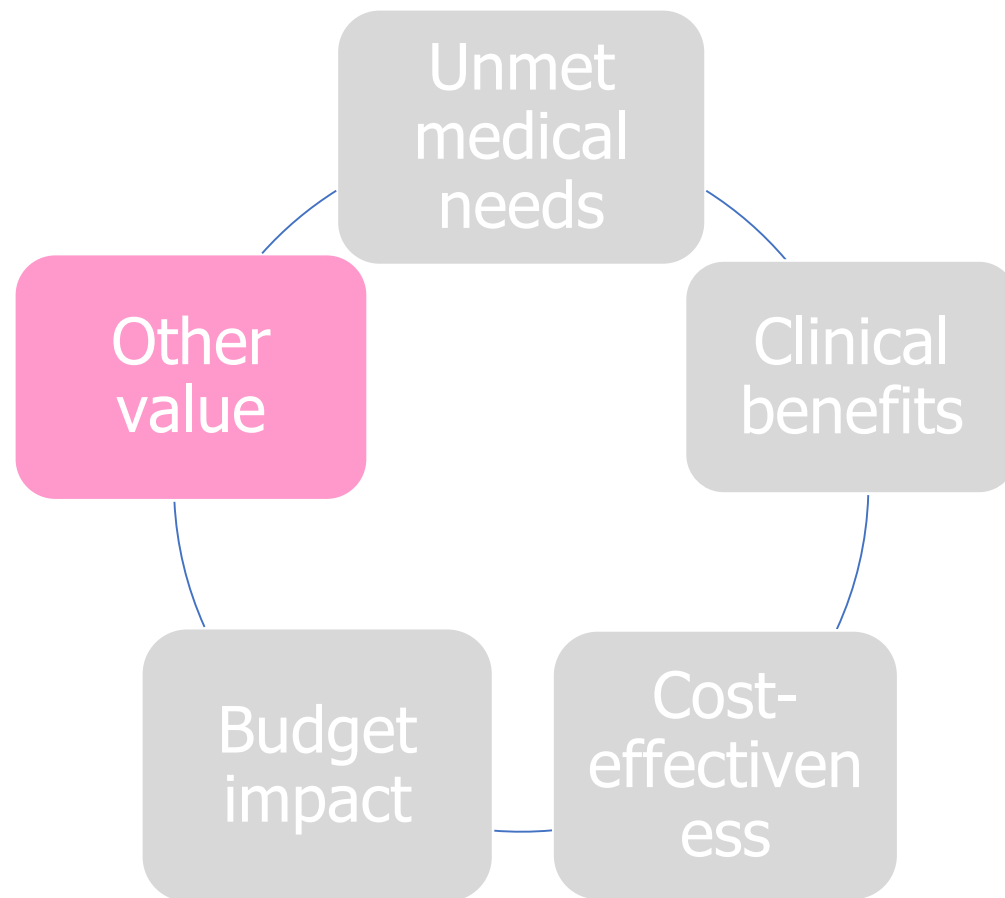
二代健保將擴大民眾參與列為改革的核心重點之一，為促進民眾參與納入新藥/新醫材健保給付的決定，期盼您能就疾病、治療經驗、使用新藥/新醫材治療及照顧病人的經驗提供分享。

健保署對於您所提供的寶貴資訊相當重視與肯定，為使您能安心提供意見，健保署就資料收集的後續應用、當事者的個資保護等方面，特別聲明如下：

- 一、健保署在個人資料保護法規定之下，有權利將本平台蒐集的資訊做為醫療科技評估之參考資料，或進行彙整提供於健保給付決策會議，即由保險人與相關機關、醫事服務提供者、被保險人、雇主等團體所推派之代表，以及專家學者所組成之「全民健康保險藥物給付項目與支付標準共同擬訂會議(以下稱共同擬訂會議)」討論，但不作為第三方團體、研究單位使用及發表。
- 二、健保署會將於共同擬訂會議完成討論的新藥/新醫材項目，其完整的會議紀錄與全程錄音檔；或已完成的醫療科技評估資料，皆會公布於於健保署全球資訊網(網址：<http://www.nhi.gov.tw>)。
- 三、為利行政的運作，意見分享之截止日為共同擬訂會議召開日期之前30天(因應法規條文)。
- 四、病友若有關於本平台操作及相關問題，可直接電詢「諮詢服務專線」：**02-27065866轉1557**，由專人解答疑問。

中央健康保險署 感謝您！

您是第679907位參觀者|最新更新時間：2022/03/16



病友意見與決策過程

全民健康保險(台灣)

項目	內容
意見開始收集通知	以電子郵件通知
收集時間長度	藥物品項 <u>放置於意見分享平台之時間應至少30日</u> ，並於共同擬訂會議開會前30日下架
意見來源	病友、照顧者及病友團體
意見整理	由醫藥品查驗中心(CDE)醫藥科技評估組(HTA)小組進行整理
意見使用階段	共同擬定會議(PBRS)
意見呈現方式	<ul style="list-style-type: none">- 由健保署該案件承辦人於共同擬定會議中報告病友意見- 再次建議之藥物個案:健保署於召開藥物共同擬訂會議討論該個案前，以正式書面函文邀請於意見分享平台有對該藥物表達具體意見之病友團體指定代表二名到會列席表達意見，報告以及與會議代表互動時間，原則以十分鐘為限

病友意見分享平台

新藥及新醫材病友意見分享

-意見收集中-

-已排入議程-

您好：

二代健保將擴大民眾參與列為改革的核心重點之一，為促進民眾參與納入新藥/新醫材健保給付的決定，期盼您能就疾病、治療經驗、使用新藥/新醫材治療及照顧病人的經驗提供分享。

健保署對於您所提供的寶貴資訊相當重視與肯定，為使您能安心提供意見，健保署就資料收集的後續應用、當事者的個資保護等方面，特別聲明如下：

- 一、健保署在個人資料保護法規定之下，有權利將本平台蒐集的資訊做為醫療科技評估之參考資料，或進行彙整提供於健保給付決策會議，即由保險人與相關機關、醫事服務提供者、被保險人、雇主等團體所推派之代表，以及專家學者所組成之「全民健康保險藥物給付項目與支付標準共同擬訂會議(以下稱共同擬訂會議)」討論。但不作為第三方團體、研究單位使用及發表。
- 二、健保署會將於共同擬訂會議完成討論的新藥/新醫材項目，其完整的會議紀錄與全程錄音檔；或已完成的醫療科技評估資料，皆會公布於於健保署全球資訊網(網址：<http://www.nhi.gov.tw>)。
- 三、為利行政的運作，意見分享之截止日為共同擬訂會議召開日期之前30天(因應法規條文)。
- 四、病友若有關於本平台操作及相關問題，可直接電詢「諮詢服務專線」：02-27065866轉1557，由專人解答疑問。

中央健康保險署 感謝您！

您是第679907位參觀者|最新更新時間：2022/03/16

紀錄與全程錄音檔；或已完成的醫療科技評估資料，皆會公布於於健保署全球資訊網(網址：<http://www.nhi.gov.tw>)。

- 三、為利行政的運作，意見分享之截止日為共同擬訂會議召開日期之前30天(因應法規條文)。
- 四、病友若有關於本平台操作及相關問題，可直接電詢「諮詢服務專線」：02-27065866轉1557，由專人解答疑問。

中央健康保險署 感謝您！

您是第679907位參觀者|最新更新時間：2022/03/16

1.新藥意見分享品項 想要認識產品,請按藥品中文名稱

項次	藥品中文名稱	藥品英文名稱	上網截止日	提供意見分享
1	諾和長效第八因子注射劑(新藥)	Esperoct powder and solvent for solution for injection	111/05/17	按我
2	麥欣露膜衣錠 2毫克(已給付藥物擴增給付範圍)	Mekinist Film - Coated Tablets 2 mg	111/05/17	按我
3	奔麗生凍晶注射劑(新藥)	Benlysta powder for solution for infusion	111/05/17	按我
4	多髓易濃縮輸液 2.0毫克/毫升(新藥)	SARCLISA concentrate for solution for infusion 2.0 mg/mL	111/05/17	按我
5	諾健生 注射液(新藥)	ZOLGENSMA 2 x 1013 vg/mL solution for infusion	111/05/17	按我

第一頁 上一頁 1 下一頁 最後一頁

2.新醫材意見分享品項 想要認識產品,請按醫材中文名稱

項次	醫材中文名稱	醫材英文名稱	上網截止日	提供意見分享
尚無任何資料！！				

第一頁 上一頁 1 下一頁 最後一頁

病友意見分享平台

一、意見分享品項資料 **★想要認識產品,請按藥物中文名稱**

藥品/醫材中文名稱 泰伏樂膠囊 50毫克(已給付藥物擴增給付範圍)

藥品/醫材英文名稱 Tafinlar Capsules 50mg

二、填答者基本資料

病人 (您是 本人 代填者)

病友團體 病友團體

照顧者

三、為瞭解您是否曾接受廠商贊助使用新藥物或目前意見分享品項，以及病友本人或病友團體、配偶及直系親屬業務上之利益，與本意見分享品項之事項內容有無相涉。請您協助填答如下事項：

(一)曾使用廠商贊助之新藥物經驗： 是 否

(二)目前意見分享品項為廠商所贊助： 是 否

(三) 本人或病友團體、配偶及直系親屬就業務上之利益，與意見分享品項之事項是否相涉：

是(請繼續填答如下) 否

四、請提供對此新藥/新醫材品項之意見

請問您填寫以下題目所根據的資料來源為何？(可複選)

個人經驗

網路查詢

訪談

焦點團體

問卷收集

其他

資料來源(及資料數量)

個人經驗、網路查詢、訪談、焦點團體、問卷收集
(共收集幾位病友/照顧者資料)

病友意見分享平台

疾病的經驗

請問您的疾病或症狀如何影響您或家人的日常生活？

您可針對疾病或症狀對於飲食、自我照顧能力、行動能力、社交參與、情緒管理、工作
或睡眠等不同面向之影響進行說明，
例如想要幫家人準備飯菜，但因手臂疼痛且無法站立因此沒辦法執行。

如果您還未使用本項新藥/新醫材，目前接受的治療是什麼？治療效果如何？
有無副作用或造成困擾的情況？

現有治療的經驗

(1) 請說明目前的治療對您最大的幫助是什麼？

例如先前曾接受A藥併用B藥，但3個月後惡化，所以現在改接受C藥，使用C藥時，
會有便秘、疲倦、疼痛等狀況。

(2) 名詞說明：

- 目前接受的治療例如手術、化療或其他藥品、醫療器材等。
- 治療效果例如身體症狀或腫瘤大小改變等。
- 副作用例如疼痛、掉髮、白血球減少、腹瀉或口腔黏膜受損等。

對新藥/新醫材的期待

若您尚未使用過本項新藥/新醫材，請問您對新治療有什麼期待？希望可以改善
哪些症狀、副作用或生活能力？

- (1) 您可說明對於新治療的期望是什麼？例如：最期望新的治療能夠改善掉髮的狀況，
這樣才敢出門工作；或是希望能減少疼痛或手腳無力的症狀，這樣才可以照顧孩子。
- (2) 名詞說明：
 - 治療效果：身體症狀或腫瘤大小改變等。
 - 副作用：疼痛、掉髮、白血球減少、腹瀉或口腔黏膜受損等。
 - 日常生活：如飲食、自我照顧能力、行動能力、社交參與、情緒狀態、工作、睡眠或
用藥方便性等。

病友意見分享平台

新藥/新醫材的經驗 (治療效果、副作用及治療對生活的影響)

如果您已使用本項新藥/新醫材，請說明治療效果、治療產生的副作用以及治療對生活的影響。

(1) 請您說明使用本項新藥/新醫材多久時間了，對您最大的幫助是什麼？最大的困擾是什麼？例如：

- 目前接受新治療 13 個月，相較於之前的治療，沒有掉髮的狀況，關節痛等副作用也獲得改善，但就是白血球低下的問題比較嚴重；
- 新的治療一天使用 3 次，相較於現有治療一天使用 6 次而言，可跟著日常作息使用，更能增進使用方便性，有助於回歸原本的生活
- 出門旅遊時，因新治療的包裝為塑膠瓶，較容易攜帶，也不會有打破玻璃瓶的問題。

(2) 名詞說明：

- 治療效果：身體症狀或腫瘤大小改變等。
- 副作用：疼痛、掉髮、白血球減少、腹瀉或口腔黏膜受損等。
- 日常生活：如飲食、自我照顧能力、行動能力、社交參與、情緒狀態、工作、睡眠或用藥方便性等。

照顧者的經驗 (病人症狀或副作用)

如果您為照顧者，請問病人有哪些症狀或副作用帶給您照顧上的困難？而您的生活因照顧病人而受到什麼影響？

您可描述病人的疾病、症狀或治療是如何影響您的的日常生活、社交參與、情緒狀態、工作、睡眠或用藥方便性等，

例如為了照顧病人，每天需額外耗費多少小時照顧病人，及其所造成的影響，如請假無法工作、掉髮造成病人不願意出門，因必須照顧病人，自己也沒有社交生活等。

若還有其他關於您疾病或治療的訊息，也請提供說明？

本題希望能夠了解其他關於您的疾病或治療的訊息，若是在上述的題目中沒有提到，請您補充說明。

病人意見與醫療科技評估

羅思克 200 毫克膠囊 (Rozlytrek 200mg hard capsules)

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	Rozlytrek 200mg hard capsules	成分	Entrectinib
建議者	羅氏大藥廠股份有限公司		
藥品許可證持有商	羅氏大藥廠股份有限公司		
含量規格劑型	膠囊劑；每顆含 200 毫克		
主管機關許可適應症	1. <i>ROS1</i> 陽性之非小細胞肺癌 適用於治療 <i>ROS1</i> 陽性之局部晚期或轉移性非小細胞肺癌的成人病人 2. <i>NTRK</i> 基因融合陽性之實體腫瘤 適用於治療 <i>NTRK</i> 基因融合陽性之實體腫瘤的成人病人，並應符合以下條件： (1) 具 <i>NTRK</i> 基因融合且無已知的後天阻抗性突變(acquired resistance mutation) (2) 為轉移性實體腫瘤，或手術切除極可能造成嚴重病狀(severe morbidity) (3) 於治療後發生疾病惡化，或沒有合適的替代治療選項		
建議健保給付之適應症內容	<i>ROS1</i> 陽性之局部晚期或轉移性非小細胞肺癌成人病人		
建議健保給付條件	<input type="checkbox"/> 無 <input checked="" type="checkbox"/> 有， 1. 單獨使用於 <i>ROS-1</i> 陽性之晚期非小細胞肺癌患者。 2. 須經事前審查核准後使用：		

醫療倫理

四、醫療倫理：本報告參考相關資訊；為彌補現有醫療倫理議題之不足，本報告於此摘述主要醫療科技評估組織評估報告及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」平台收集到的病友意見供作參考：

(一)澳洲 PBAC 及英國 NICE 評估報告論及的病友意見：對於 *ROS-1* 陽性非小細胞肺癌病人，其治療選擇仍未充足，尤其是伴隨腦轉移的病人，而不適合或不耐受當前治療的病人也有取得替代治療選擇的需求。

PBAC/NICE

(二)自中央健康保險署病友意見分享平台收集的病友意見：截至民國 110 年 3 月 16 日止，共接獲 2 個病友團體分享，包括癌症希望基金會透過網路問卷蒐集到 20 位病友(其中 2 位為 *ROS1* 陽性)與 7 位主要照顧者的意見，以及台灣癌症基金會透過電話訪談蒐集到具有本品使用經驗之 2 位病友的意見；綜合整理如後：

1. 與 *ROS1* 陽性晚期肺癌相關訊息：在過去沒有標靶治療的情況下，治療以化療為主。
2. 有 2 位肺癌病友在化療無效後透過臨床試驗接受本品治療，目前疾病控制良好，雖有下肢水腫、便秘及體重上升等副作用，但對生活的影響不大。

3. 與中央健康保險署病友意見分享平台
食慾不振、疼痛、皮膚疹、中風、暈浪、掉髮等副作用，對病友的生活品質、身心健康、日常活動、工作及社交等多重面向造成影響，照顧者也因為陪伴病人而需捨棄原有生活習慣並承受情緒壓力。罹癌同時造成病友及其家庭之經濟負擔。肺腺癌病友及主要照顧者多數期望新藥可改善治療帶來的副作用並可有效控制疾病。

五、成本效益：

(一) 澳洲 PBAC 建議收載 entrectinib 用於局部晚期或轉移性 *ROS1* 陽性非鱗狀細胞或其他未註明型之非小細胞肺癌病人；PBAC 基於最低成本分析結果，並考量接受治療之病人族群不大，故而認定 entrectinib 不會對於財務產生顯著性的影響。

加拿大CADTH framework

Overall clinical benefits

A measure of the net health benefits

Alignment of patient values

An assessment made after considering information on patient values
Patient advocacy groups inputs at beginning of review

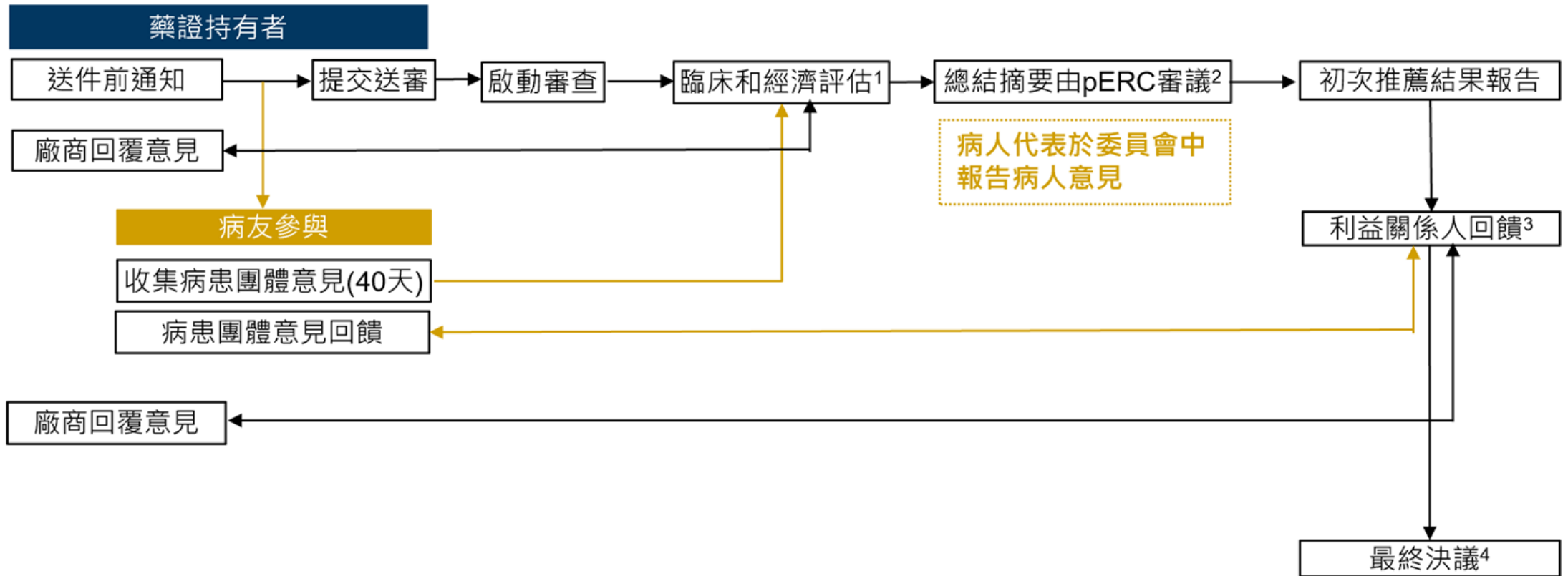
Cost effectiveness

A measure of the net efficiency of the drugs and companion technology compared to other drug and non-drug alternative

Feasibility of adoption to the health system

病友意見與決策過程

加拿大CADTH



病友意見與決策過程

加拿大CADTH

- 經濟評估報告中，**專節說明病人代表團體意見如何影響經濟評估報告**，以確保病人代表團體的意見被落實在經濟評估報告中。
- **pERC 專家審查委員會**：由 17 位委員組成，主席與副主席皆為腫瘤科醫師，其他包含腫瘤科醫師、醫學專家、藥學專家、腫瘤藥學專家、健康經濟專家、**2 位病人代表 與 1 位備用病人代表 (patient alternate)**。病人代表的選擇是基於他們對癌症及管理相關問題的個人知識、經驗和理解，或其他資格。當病人代表討論到其自身疾病的用藥時，為了利益迴避，由備用病人代表代為參加投票表決。
- 在 pERC 會後的 12 個工作天內，pCODR 秘書處必須在網路上公開 pERC 的初步建議、臨床與經濟審查團隊的評估報告。本案相關的利益關係人，包括申請廠商、各省主導團體、**病人代表團體**可以在 10 個工作天內**對初步建議提出意見**，上述利害關係人的意見皆公開於 pCODR 網站。每個案件由 pERC 主席與 3 位主審委員負責檢閱所有利害關係人的意見，判斷是否需要修訂初步建議或重提 pERC 討論
- pERC 可能的建議有三種，包括：1. 建議收載；2. 有條件的建議收載（通常是臨床效果無虞，但是不符成本效果，可望藉由議價達到建議收載的標準）；或 3. 不建議收載。

病友意見與決策過程

加拿大CADTH

Table 14: Key Milestones for Patient Group Engagement

Milestones	Description
Call for patient group input	The call for patient input is issued 20 business days before the anticipated date of filing the application and will be open for 35 business days from the date the call for input is issued in the weekly update.
Posting complete patient group input^a	All patient group input will be posted on the CADTH website (this typically occurs at the same time the CADTH reports are posted).
Commentary on recommendations	Patient groups will have 10 business days to review and comment on the draft recommendations during the stakeholder feedback period.
Follow-up correspondence	Following completion of the review, all groups that contribute input to a reimbursement review will receive a feedback letter from CADTH.

^a This will include all conflict of interest declarations.

加拿大CADTH

Patient inputs template

Patient Input Template for CADTH Reimbursement Reviews

Name of Drug: <Enter Response here>
Indication: <Enter Response here>
Name of Patient Group: <Enter Response here>
Author of Submission: <Enter Response here>

1. About Your Patient Group

病人組織的簡介

Describe the purpose of your organization. Include a link to your website.

<Enter Response Here>

2. Information Gathering

資料蒐集

CADTH is interested in hearing from a wide range of patients and caregivers in this patient input submission. Describe how you gathered the perspectives: for example, by interviews, focus groups, or survey; personal experience; or a combination of these. Where possible, include **when** the data were gathered; if data were gathered **in Canada** or elsewhere; demographics of the respondents; and **how many** patients, caregivers, and individuals with experience with the drug in review contributed insights. We will use this background to better understand the context of the perspectives shared.

<Enter Response Here>

3. Disease Experience

疾病的經驗

CADTH involves clinical experts in every review to explain disease progression and treatment goals. Here we are interested in understanding the illness from a patient's perspective. Describe how the disease impacts patients' and caregivers' day-to-day life and quality of life. Are there any aspects of the illness that are more important to control than others?

<Enter Response Here>

4. Experiences With Currently Available Treatments

現有治療的經驗

CADTH examines the clinical benefit and cost-effectiveness of new drugs compared with currently available treatments. We can use this information to evaluate how well the drug under review might address gaps if current therapies fall short for patients and caregivers.

Describe how well patients and caregivers are managing their illnesses with currently available treatments (please specify treatments). Consider benefits seen, and side effects experienced and their management. Also consider any difficulties accessing treatment (cost, travel to clinic, time off work) and receiving treatment (swallowing pills, infusion lines).

<Enter Response Here>

5. Improved Outcomes

改善臨床結果

CADTH is interested in patients' views on what outcomes we should consider when evaluating new therapies. What improvements would patients and caregivers like to see in a new treatment that is not achieved in currently available treatments? How might daily

對送審藥品的經驗

6. Experience With Drug Under Review

CADTH will carefully review the relevant scientific literature and clinical studies. We would like to hear from patients about their individual experiences with the new drug. This can help reviewers better understand how the drug under review meets the needs and preferences of patients, caregivers, and families.

How did patients have access to the drug under review (for example, clinical trials, private insurance)? Compared to any previous therapies patients have used, what were the benefits experienced? What were the disadvantages? How did the benefits and disadvantages impact the lives of patients, caregivers, and families? Consider side effects and if they were tolerated or how they were managed. Was the drug easier to use than previous therapies? If so, how? Are there subgroups of patients within this disease state for whom this drug is particularly helpful? In what ways? If applicable, please provide the sequencing of therapies that patients would have used prior to and after in relation to the new drug under review. Please also include a summary statement of the key values that are important to patients and caregivers with respect to the drug under review.

<Enter Response Here>

7. Companion Diagnostic Test

伴隨診斷

If the drug in review has a companion diagnostic, please comment. Companion diagnostics are laboratory tests that provide information essential for the safe and effective use of particular therapeutic drugs. They work by detecting specific biomarkers that predict more favourable responses to certain drugs. In practice, companion diagnostics can identify patients who are likely to benefit or experience harms from particular therapies, or monitor clinical responses to optimally guide treatment adjustments.

What are patient and caregiver experiences with the biomarker testing (companion diagnostic) associated with regarding the drug under review?

Consider:

- Access to testing: for example, proximity to testing facility, availability of appointment.
- Testing: for example, how was the test done? Did testing delay the treatment from beginning? Were there any adverse effects associated with testing?
- Cost of testing: Who paid for testing? If the cost was out of pocket, what was the impact of having to pay? Were there travel costs involved?
- How patients and caregivers feel about testing: for example, understanding why the test happened, coping with anxiety while waiting for the test result, uncertainty about making a decision given the test result.

<Enter Response Here>

8. Anything Else?

Is there anything else specifically related to this drug review that CADTH reviewers or the expert committee should know?

<Enter Response Here>

Appendix: Patient Group Conflict of Interest Declaration

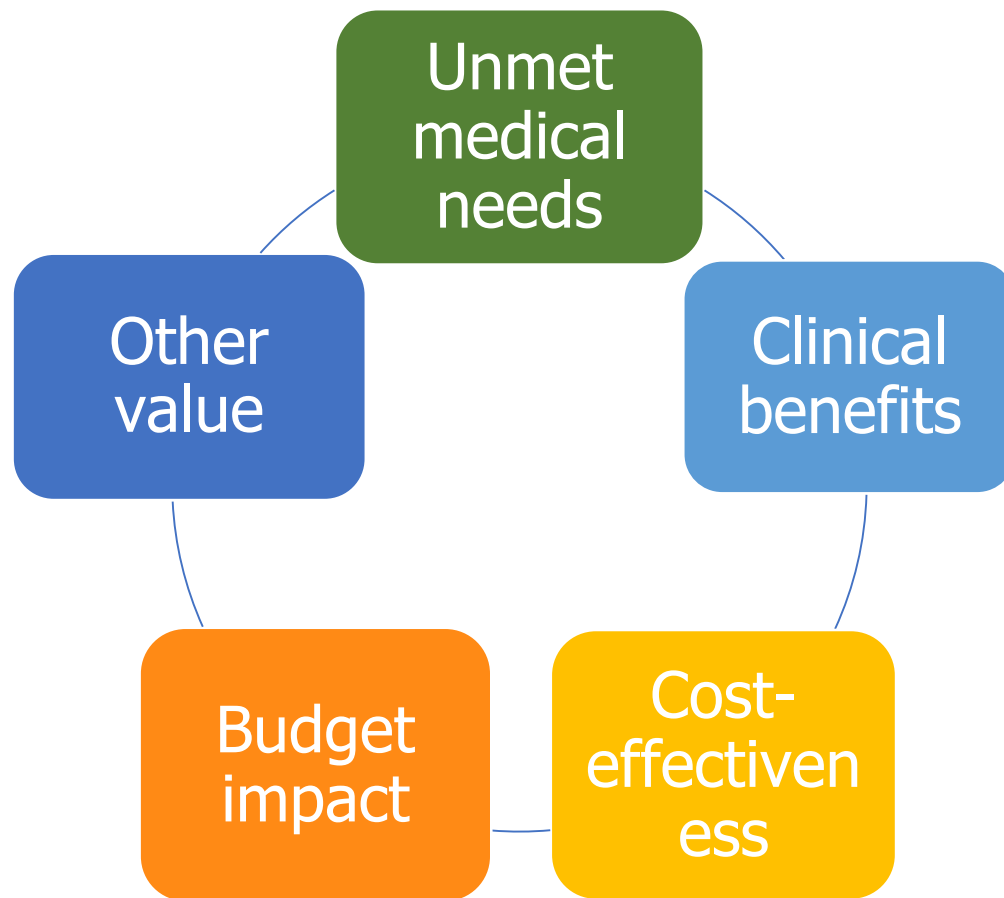
To maintain the objectivity and credibility of the CADTH reimbursement review process, all participants in the drug review processes must disclose any real, potential, or perceived conflicts of interest. This Patient Group Conflict of Interest Declaration is required for participation. Declarations made do not negate or preclude the use of the patient group input. CADTH may contact your group with further questions, as needed.

病友意見與決策過程

Learn from CADTH?

健保審議過程的考量面向

新醫療科技(罕藥)的價值





Thank you very much

fyshsiao@ntu.edu.tw