

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：Xospata film-coated Tablets 40 mg

學名：Gilteritinib

事由：

1. 有關台灣阿斯泰來製藥股份有限公司（以下簡稱建議者）建議將新成分新藥 gilteritinib（Xospata film-coated Tablets 40 mg）（以下簡稱本品）納入健保給付用於「治療具 FLT3 突變的復發性或難治性急性骨髓性白血病(R/R AML)成年病人」一案，經 111 年 9 月藥品專家諮詢會議討論，會議結論為建議調整健保支付價及藥品給付協議之還款比例，並限縮使用療程數為 4 個療程。
2. 衛生福利部中央健康保險署（以下簡稱健保署）於 111 年 10 月函請財團法人醫藥品查驗中心（以下簡稱查驗中心）依專家諮詢會議結論重新評估財務影響，查驗中心已於 111 年 10 月完成評估報告乙份。
3. 建議者依專家諮詢會議之建議調降本品健保支付價，但仍維持 111 年 5 月申請時藥品給付協議之還款比例，以及維持使用療程數為 6 個療程進行申覆。爰此，健保署再次函請查驗中心協助進行財務影響評估，俾利後續討論。

完成時間：民國 112 年 04 月 06 日

評估結論

一、財務影響

1. 由於建議者本次提出之財務評估資料僅調整本品健保支付價，故本報告主要呈現更新之推估結果，至於推估過程將不再贅述。
2. 本報告之推估假設及參數主要沿用查驗中心111年7月完成之本品HTA評估報告內容，惟依建議者設定，調整本品健保支付價，並維持藥品療程數為6個療程。
3. 本報告推估未來五年（112至116年）本品使用人數為第一年36人，第二年20人至第五年33人；本品年度藥費約為第一年0.91億元，第二年0.49億元至第五年0.83億元；扣除被取代藥費後，藥費財務影響第一年約增加0.89億元，第二年增加0.48億元至第五年增加0.81億元；若納入藥事服務費與住院費用之其他醫療費用節省，則總額財務影響第一年約增加0.87億元，第二年增加0.47億元至第五年增加0.79億元。
4. 建議者本次另外提供藥品給付協議折扣方案，但顧及商業機密，本報告不予呈現。

二、醫療倫理

雖無系統性資料可供參考，而本報告摘錄自健保署「新藥及新醫材病友意見分

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

享」平台，截至民國 112 年 3 月 23 日止，收集到的 8 筆病友意見。經排除 1 筆重複填寫後，納入 7 筆意見；其中，2 筆為病友團體（分別為癌症希望基金會與台灣癌症基金會），3 筆意見是由照顧者直接填答。癌症希望基金會是以問卷收集 1 名病友及 1 位照顧者的意見，兩位病友提供之意見提及兩位 AML 病人分別為 FLT3-TKD 突變及 FLT3-ITD 突變。而台灣癌症基金會是透過訪談方式獲得 1 位病友及 1 為照顧者之意見，但並未說明其基因型。

1. 醫療現況

4 位有使用本品經驗之病友曾接受治療包含化學治療、移植及服用抗排斥藥品，治療副作用包含白血球過少造成容易感染、虛弱疲倦等；未使用過本品之 3 位病友，分別接受化學治療、標靶藥物及骨髓移植。其中 1 位病友接受過化療及骨髓移植，困擾的症狀為乾眼症，另 1 位為 FLT3 陽性的病友接受化療合併標靶藥物 midostaurin (Rydapt[®]，療德妥) 而後復發，雖有使用其他藥物治療，但效果有限。

2. 本品使用經驗

4 位病友有本品使用經驗，並於使用本品前/後接受骨髓或造血幹細胞移植手術，病友分別透過臨床試驗或自費使用本品，使用時間為四個月至將近兩年。病友均表示使用本品僅需定時服藥及每個月回診一次，不僅可控制疾病，同時也提升生活品質及便利性。以下依據移植前後使用本品，分別說明病友之使用經驗。

有 3 位病友於移植前使用本品，2 位病友表示使用本品後沒有副作用，也未再出現癌細胞。病友之照顧者提到，因使用本品期間疾病獲得控制，可爭取時間以接受移植，並提升移植成功機會。另 1 位病友先前接受 azacitidine 治療未緩解，但在使用本品合併 azacitidine (Vidaza[®]，委丹扎) 及 venetoclax (Venclexta[®]，唯可來) 後達到無微量殘存疾病 (MRD negative)，並接受移植。

有 2 位病友於移植後使用本品經驗。其中 1 位曾接受 2 次幹細胞移植，於首次移植後使用本品，已復發；但目前仍持續使用本品合併 azacitidine 及 venetoclax，且有出現影響白血球生長、血小板降低、肝指數明顯增加、肌肉痠痛之情形。另 1 位加入本品治療後達到微量殘餘疾病陰性並接受幹細胞移植的病友，完成移植後繼續服用本品但劑量減低為一天一顆，並未復發。

3. 生活品質

有本品使用經驗之病友表示，使用本品後日常生活大多可自理，精神、體力及食慾都較接受化療時佳，生活品質改善。但其中 2 位病友提及本品治療相當昂貴，1 位表示若未參加試驗則無法負荷，另 1 位在移植後每日劑量減少，但認為

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

經濟負擔仍然龐大。

未使用本品之病友則表示疾病造成白血球異常，導致免疫力低下，另有病友雖已服用相關藥品，生活品質仍受到失眠的影響。此外，病友為接受化學治療，需承受副作用及長時間住院之不便，及無法工作或上學之情形。

照顧者方面，因陪伴病友長期住院、疾病治療不順利，造成心情低落，除無法工作，再加上治療所需之醫療費用，對於家庭經濟為沉重負擔。

4. 對新治療的期待

病友期望新治療可以控制疾病，並減少疾病復發，有病友提到因身體虛弱暫時無法接受化療及移植，期望透過使用本品以接受移植。病友們也希望健保可給付本品，減輕醫療之經濟負擔，幫助更多需要的病友。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

一、背景

台灣安斯泰來製藥股份有限公司（以下簡稱建議者）於 2020 年向衛生福利部中央健康保險署（以下簡稱健保署）提出 gilteritinib (Xospata film-coated Tablets 40 mg, 以下簡稱本品) 納入健保給付用於治療具有 FLT3 (FMS-like tyrosine kinase, FLT3) 突變的復發性或難治性急性骨髓性白血病 (relapsed or refractory acute myeloid leukemia, R/R AML) 成年病人之建議案，案經藥品專家諮詢會議兩次討論，後因建議者無法同意專家諮詢會議建議之給付條件而撤案。

建議者另於 2022 年 5 月再次向健保署提出給付建議，建議給付規定如後表。財團法人醫藥品查驗中心（以下簡稱查驗中心）業於同年 7 月完成 HTA 評估報告。案經 2022 年 9 月藥品專家諮詢會議討論，初核結論為建議調整本品健保支付價及藥品給付協議之還款比例，並限制藥品療程數為 4 個療程，待查驗中心重新計算財務影響後再議。

建議者 2022 年 5 月建議之給付規定

1. 限單獨使用於具有 FLT3 突變的復發性或難治性急性骨髓性白血病 (R/R AML) 且計畫進行造血幹細胞移植的成年病人，每位病人限給付 6 療程。病患須至少接受過一次含 anthracycline 藥物的化學治療。
 2. 須事前審查核准後使用，初次申請時須檢附：
 - (1) 相關病歷資料
 - (2) 完整之造血幹細胞移植計畫，並詳細記載確認捐贈者名單及移植前調適治療等資料。需由具訓練血液及骨髓移植醫師能力之醫院申請，並由完成血液及骨髓移植訓練之醫師確認移植計畫。
 - (3) 染色體檢驗報告，若為 unfavorable karyotype (包含 complex karyotype、-5、-5q、-7、-7q、除 t(9;11) 外的 11q23 abnormalities、inv(3)、t(3;3)、t(6;9) 以及 t(9;22) 等) 則不予給付。
 3. 每次申請為二個療程；續申請次二個療程時須檢附達到 PR、CRi 或 CR 的證明方可續用。申請劑量以每日 120 mg 為上限¹。
-

健保署於 2022 年 10 月函請查驗中心依 2022 年 9 月份藥品專家諮詢會議結論，協助重新估算財務影響，本中心業於同年 10 月完成 HTA 評估報告，且鑒於建議者未提供更新資料，故僅呈現查驗中心更新後的財務影響評估結果。

¹ 依據仿單建議之用法用量[1]，本案藥品的建議起始劑量是 120 mg (40 mg 三錠) 每天一次。若治療 4 週後沒有出現反應，病人未達到複合完全緩解 (CRc)，則當病人可以耐受且臨床上有必要時，可考慮將劑量增加到 200 mg (40 mg 五錠) 每天一次。應該持續治療直到病人在臨床上不再因 gilteritinib 獲益或出現無法耐受的毒性為止。治療反應可能會延遲出現；因此，應考慮以處方劑量持續治療達 6 個月，以便有時間產生臨床反應。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

今建議者於 2022 年 11 月回覆相關資料，依 2022 年 9 月藥品專家諮詢會議建議結果調降本品建議價格，維持原藥品給付協議，且維持本品建議給付療程數為 6 療程。健保署於同月再次函請本中心進行財務影響評估，以供後續研議參考。

二、療效評估

略。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

三、經濟評估

建議者按 2022 年 9 月份藥品專家諮詢會議之建議，調降本品之建議健保支付價格重新進行財務影響分析。另一方面，建議者綜合考量 ADMIRAL 臨床試驗平均療程數中位數為 5 個療程、ADMIRAL 日本次族群分析結果之平均療程數中位數為 6 個療程以及本品仿單說明，決定仍維持 2022 年 5 月初始建議給付療程為 6 個療程進行申請。由於建議者財務影響分析僅調整本品建議健保支付價格，且分析所採用之主要邏輯與參數均沿用 2022 年 5 月估算方式，故在此略去不重複描述。

建議者設定本品與 MEC、LDAC 與 FLAG-IDA 等救援性化療藥物¹之臨床地位為取代關係，推估未來五年（2023 年至 2027 年）本品使用人數為 22 人至 40 人，本品年度藥費約 0.55 億元至 0.99 億元。扣除被取代藥費後，藥費財務影響第一年約增加 0.54 億元至第五年增加 0.97 億元。若再扣除藥事服務費及住院費用等其他醫療費用節省後，總額財務影響第一年約增加 0.52 億元至第五年增加 0.94 億元。建議者本次另外提供藥品給付協議折扣方案，但顧及商業機密，本報告不予呈現。

由於本次評估僅調整本品建議健保支付價格重新進行財務影響分析，分析中其餘估算邏輯及參數均沿用本中心於 2022 年 7 月完成之相關醫療科技評估報告，故在此略去不重複描述。

本報告推估未來五年（2023 年至 2027 年）本品使用人數第一年 36 人，第二年 20 人至第五年 33 人。在調降本品建議健保支付價格後，推估本品之年度藥費約為第一年 0.91 億元，第二年 0.49 億元至第五年 0.83 億元。扣除被取代藥費後，藥費財務影響第一年約增加 0.89 億元，第二年增加 0.48 億元至第五年增加 0.81 億元。若再扣除藥事服務費及住院費用等其他醫療費用節省後，則總額財務影響第一年約增加 0.87 億元，第二年增加 0.47 億元至第五年增加 0.79 億元。

後表依時間序呈現本中心於 2022 年 10 月完成之相關醫療科技評估報告、本次建議者推估以及本報告推估之重要影響參數及未來五年財務影響推估結果。

¹ MEC (mitoxantrone、etoposide 及 cytarabine)、LDAC (low-dose cytarabine)、FLAG-IDA (fludarabine、cytarabine、granulocyte-colony stimulating factor 及 idarubicin)。

財團法人醫藥品查驗中心
醫療科技評估報告補充資料

版本 (依時間序)	本中心 2022年10月推估*	建議者 本次推估	本報告 本次推估
建議給付 療程數	4	6	6
建議本品健保 支付價	4,942 元/錠	4,942 元/錠	4,942 元/錠
每療程藥費	415,128 元	411,923 元**	415,128 元
本品使用人數	36 人至 33 人	22 人至 40 人	36 人至 33 人
本品年度藥費	約 0.60 億元 至 0.55 億元	約 0.55 億元 至 0.99 億元	約 0.91 億元 至 0.83 億元
被取代品年度 藥費	均約 0.01 億元	約 0.01 億元 至 0.02 億元	均約 0.01 億元
藥品財務影響	約增加 0.59 億元 至增加 0.54 億元	約增加 0.54 億元 至增加 0.97 億元	約增加 0.89 億元 至增加 0.81 億元
其他醫療費用	均約-0.02 億元	約-0.01 億元 至-0.03 億元	均約-0.02 億元
總額財務影響	約增加 0.57 億元 至增加 0.52 億元	約增加 0.52 億元 至增加 0.94 億元	約增加 0.87 億元 至增加 0.79 億元

*依據 2022 年 9 月藥品專家諮詢會議建議調降本品初核支付價格、療程數為 4 療程

**建議者設有相對劑量密度參數 99.2%