

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：顛控達®0.5 毫克/毫升口服懸液劑 (Fycompa® 0.5 mg/ml oral suspension)

學名：perampanel 0.5 mg/ml；340 ml/瓶

事由：衛采製藥股份有限公司建議將治療癲癇之新劑型新藥 Fycompa® 納入健保給付。

衛生福利部中央健康保險署於 109 年 9 月委請財團法人醫藥品查驗中心，就財務影響進行評估，以供後續研議之參考。

完成時間：民國 109 年 10 月 20 日

評估結論

1. 建議者建議將perampanel口服液劑（以下簡稱本品）作為（1）4歲以上病人局部癲癇發作併有或未併有續發型全身發作之治療；（2）12歲以上成人及青少年病人原發型全身性強直陣攣癲癇發作併有原發性全身發作之輔助治療。建議者認為臨床地位將取代sodium valproate、oxcarbazepine、levetiracetam以及gabapentin等4種成分口服液劑的市場；根據建議者的估算，未來五年本品年度藥費約為1,400萬元至8,600萬元；財務影響約為800萬元至4,800萬元。
2. 本報告對於建議者目標族群估算的資料引用及給付藥品之加權年度藥費計算有所疑慮。本報告根據臨床醫師意見及健保資料庫分析口服液劑藥品使用情形，校正相關參數後進行後續本品使用人數與財務影響估算。
3. 本報告推估本品納入健保給付後，未來五年本品年度藥費約為2,300萬元至1億4,400萬元；財務影響約為1,300萬元至8,200萬元。本報告針對部分癲癇以及原發型全身性強直陣攣癲癇之比例進行敏感度分析，財務影響約為1,400萬至8,800萬元。

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

衛采製藥股份有限公司（以下簡稱建議者）建議將新成分新藥 Fycompa® 0.5 mg/ml, 340ml oral suspension（以下簡稱本品）納入健保給付，作為癲癇病人治療使用。衛生福利部食品藥物管理署（以下簡稱食藥署）核定本品適應症為「1. 適用於 4 歲以上病人局部癲癇發作併有或未併有續發型全身發作之治療。 2. 適用於 12 歲以上成人及青少年病人原發型全身性強直陣攣癲癇發作併有原發性全身發作之輔助治療」。建議者申請健保給付之適應症內容同食藥署核可之適應症。

依建議者所遞交之財務影響分析顯示，本品納入健保後未來五年之年度藥費均未增加逾 1 億元，按新藥建議全民健康保險收載作業手冊之收載作業流程，不需辦理醫療科技評估作業。為協助衛生福利部中央健康保險署後續會議之討論，本報告以補充報告格式，呈現本案財務影響評估結果，以供後續研議之參考。

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

依建議者所提供之財務影響分析，係設定 perampanel 口服液劑（以下簡稱本品）作為（1）4 歲以上病人局部癲癇發作併有或未併有續發型全身發作之治療；（2）12 歲以上成人及青少年病人原發型全身性強直陣攣癲癇發作併有原發性全身發作之輔助治療。建議者認為本品將取代現行治療癲癇之口服液劑的部分市場，故對健保財務而言，屬取代關係。在新情境下，建議者估計未來五年（自 2021 年至 2025 年）本品年度藥費約為 1,400 萬元至 8,600 萬元，而本品合併現有口服液劑之新情境年度藥費則約為 1 億 5,800 萬元至 1 億 9,800 萬元；另原情境下全數使用現有口服液劑之原情境年度藥費則估計每年皆約 1 億 5,000 萬元；最終估計本品年度財務影響第一年約增加 800 萬元至第五年約增加 4,800 萬元。

建議者財務影響分析所採用之主要邏輯與參數說明如後：

1. 臨床地位

依建議之給付條件，建議者認為本品將取代 sodium valproate、oxcarbazepine、levetiracetam 以及 gabapentin 等 4 種成分口服液劑的部分市場，故對健保財務而言，屬取代關係。

2. 目標族群估計

建議者在此部分的估算依建議之給付條件，分為「4 歲以上局部癲癇發作併有或未併有續發型全身發作使用抗癲癇口服液劑之病人數」以及「12 歲以上原發型全身性強直陣攣癲癇發作併有原發性全身發作使用抗癲癇口服液劑之病人數」兩部分進行估算。

建議者估計未來五年「4 歲以上局部癲癇發作併有或未併有續發型全身發作使用抗癲癇口服液劑之病人數」每年皆約 5,500 人；12 歲以上原發型全身性強直陣攣癲癇發作併有原發性全身發作使用抗癲癇口服液劑之病人數」每年皆約 800 人；將上述兩目標族群合計每年皆約 6,300 人。相關估算細節，簡述如下：

(1) 4 歲以上局部癲癇發作併有或未併有續發型全身發作使用抗癲癇口服液劑之病人數

- 4 歲以上癲癇復發病人數估算

建議者透過我國國家發展委員會所公布之「中華民國 2018 至 2065 年人口推估報告」之中推計數，取得 2021 年至 2025 年的總人口數，並引用一篇已發表

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

之本土文獻中所推估我國癲癇盛行率 0.585%，估計未來五年罹患癲癇之總人數。

以同樣之估算邏輯，建議者改以人口推計報告中 0 至 4 歲的人口數為基礎，結合一篇已發表本土文獻中所推估之 0 至 4 歲癲癇盛行率約 0.36% 進行計算，估計未來五年 0 至 4 歲罹患癲癇之病人數。

建議者將前述估計之癲癇總病人數與 0 至 4 歲癲癇病人數相減，作為未來五年 4 歲以上罹患癲癇之病人數代表，再引用一篇本土文獻中所推估之癲癇病人使用兩種以上抗癲癇藥物（antiepileptic drugs, AEDs）比例約 29%，合併估計每年約 39,000 位復發的癲癇病人。

- 4 歲以上癲癇新發病人數估算

建議者以人口推計報告中 4 歲以上之總人口數為代表，結合一篇本土文獻所推估之癲癇發生率 0.097% 進行計算，推估未來五年新發的癲癇病人每年皆約 22,000 人

- 4 歲以上局部癲癇且使用口服液劑之病人數估算

建議者將上述 4 歲以上之癲癇復發病人及新發病人數加總後，透過一篇本土文獻所推估之局部癲癇比例 79.5% 以及市調公司所估計之口服液劑占整體癲癇口服製劑之市場約 11.19% 進行計算，最終估計未來五年 4 歲以上局部癲癇使用口服液劑之人數皆約為 5,500 人。

(2) 12 歲以上原發型全身性強直陣攣癲癇發作併有原發性全身發作使用抗癲癇口服液劑之病人數

- 12 歲以上之癲癇病人數估算

建議者以人口推計報告為基礎，使用與前段同樣的推估邏輯，以 0 至 4 歲、5 至 9 歲以及 10 至 12 歲之人口數分別乘以本土文獻所推估之符合相同年齡層之盛行率，再透過癲癇總病人數減去 12 歲以下之癲癇病人數而求得，估計未來五年 12 歲以上之病人數每年皆約 13 萬人。

- 12 歲以上屬於原發型全身性強直陣攣癲癇使用口服製劑之病人數估算

建議者將上述的推估人數，結合癲癇復發時使用兩種 AEDs 之比例 29%、原發型全身性強直陣攣癲癇比例 20% 以及使用口服液劑比例 11.19% 進行估算，估

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

計未來五年原發性全身性強直陣攣癲癇病人使用口服液劑的人數每年皆約 800 人。

3. 原情境年度藥費估算

建議者假設在原情境下，前段估算之目標族群，將全數使用現有給付之口服液劑進行治療。建議者以各成分 AEDs 之每日標準劑量 (defined daily dose, DDD) 為基礎，計算出每人每年各成分的使用量，並以現行健保給付價為代表，計算出各成分 AEDs 之每人每年年度藥費，最後再透過市調公司所估計之現行給付藥物之市占率，計算現行給付 AEDs 每人年度加權藥費。合併前段估計之目標族群病人數以及每人年度加權藥費，建議者估計未來五年原情境年度藥費每年皆約 1 億 5,000 萬元。

4. 新情境年度藥費

建議者在此部分的估算分為「本品年度藥費」以及「現有給付藥品年度藥費」兩部分進行估算，建議者估計在新情境下未來五年「本品年度藥費」約為 1,400 萬元至 8,600 萬元；「現有給付藥品年度藥費」約為 1 億 4,400 萬元至 1 億 1,300 萬元；合計之新情境年度藥費約為 1 億 5,800 萬元至 1 億 9,800 萬元。相關估算細節，簡述如下：

(1) 本品年度藥費

建議者依其設定之本品市占率，合併前段所估計之目標族群病人數，估計未來五年使用本品之病人數約 300 人至 1,600 人。建議者透過一篇本土文獻取得過去我國病人使用 perampanel 成分藥品之每日平均劑量為 5.31 毫克，建議者以上述劑量為基礎估算年度使用量，再結合其建議之給付價以及目標族群病人數估算在新情境下，未來五年本品年度藥費約為 1,400 萬元至 8,600 萬元。

(2) 現有給付藥品年度藥費

建議者設定新情境下未使用本品進行治療之病人，皆以現有藥品進行治療。建議者透過新情境下使用現有藥品之病人數以及每人之現有給付藥品年度加權藥費，推估未來五年現有藥品年度藥費約為 1 億 4,400 萬元至 1 億 1,300 萬元。

5. 財務影響

綜上所述，建議者估計在本品納入給付後未來五年之財務影響，第一年約增加 800 萬元至第五年約增加 4,800 萬元。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

6. 敏感度分析

建議者針對其市占率進行敏感度分析，當市占率增加 2%時，其未來五年財務影響之結果約為 1,200 萬元至 5,200 萬元；而當市占率減少 2%時，其財務影響則約為 400 萬至 4,400 萬元。

本報告針對建議者財務影響分析之評論如下：

1. 本報告認為建議者所進行之財務影響分析架構大致合宜，惟在目標族群估算之資料引用以及現有給付藥品加權年度藥費之計算上，本報告有所疑慮，認為建議者所提供之財務影響分析，可能有其不確定性。
2. 臨床地位

本報告依建議者所設定之本品建議給付條件，與臨床醫師進行諮詢，醫師表示口服液劑的使用通常有其特殊的需求性，例如 4 至 10 歲的小孩尚無法服用錠劑時，會以口服劑型替代，如治療失敗，也應為轉用其他成分的口服液劑。而一般可服用非口服液劑的成人，並不會轉用口服液劑，同理，本品亦不會取代同成份之錠劑。故基於上述理由，本報告認為建議者所設定之臨床地位應屬合理，本品若納入給付，將取代 sodium valproate、oxcarbazepine、levetiracetam 以及 gabapentin 四種成分口服液劑的部分市場，故對健保財務而言，屬取代關係。

3. 目標族群估計

建議者在進行目標族群推估時所使用之盛行率數據，雖為使用我國健保資料庫為基礎求得，但是使用距今約 15 至 20 年前之資料進行推估，因資料年代較為久遠，故本報告對於該盛行率所推估之結果有所疑慮，認為可能具有不確定性。

為減少因使用多個參數預估所增加之不確定性，本報告另經諮詢臨床醫師，依臨床醫師建議之撈取條件，以 ICD-10 疾病代碼註記為 G40.x (ICD-9 疾病代碼註記為 345.xx)，曾使用至少一種 AEDs 口服液劑之病人作為撈取對象，並依病人之年齡區分為 4 歲以上及 12 歲以上兩群，進行 2016 年至 2018 年健保資料庫之撈取。

分析結果顯示上述兩癲癇病人數之人數有逐年微幅下降趨勢，與臨床醫師討論推測可能是因少子化（新發生個案降低）以及部分病人治療兩年後逐漸減量至不須再服用藥物所致。考量病人數之下降幅度不大，本報告以多種推估方式進行未來人數之估計，並與臨床醫師討論較合理的分布人數後，最終選擇以三年平移法之估計作為代表，推估未來五年（自 2021 至 2025 年）4 歲以上使用任一種抗癲癇藥物（antiepileptic drugs, AEDs）口服液劑之病人數第一年約為 11,200 人至

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

第五年約為 11,300 人；12 歲以上使用任一種 AEDs 口服液劑之病人數每年皆約 8,400 人。

本報告另引用文獻中局部癲癇以及原發型全身性強直陣攣癲癇之比例[1, 2]，推估未來五年 4 歲以上且使用一種以上 AEDs 口服液劑之局部癲癇病人數每年皆約為 8,900 人；12 歲以上且使用一種以上 AEDs 口服液劑之原發型全身性強直陣攣癲癇病人數每年皆約 1,700 人；兩族群合計即為本次評估之目標族群，每年皆約為 10,600 人。

4. 原情境年度藥費推估

依據臨床專家對於本品臨床地位設定之論述，本報告認為原情境下建議者所設定目標族群均以現有給付之口服液劑進行治療應屬合理，故按此設定進行後續之推估；此外，考量建議者計算現有給付藥品加權年度藥費之參數資料為外部市調公司所提供，本報告認為可能具有不確定性，故此次亦針對現有給付藥品實際之使用量以及使用人數，進行健保資料庫分析。

本報告以 sodium valproate、oxcarbazepine、levetiracetam 以及 gabapentin 等 4 種成分口服液劑之各劑型規格，進行健保資料庫分析，並以 2018 年之分析資料為基礎，以各成分劑型規格之使用人數計算出現有給付藥品之市占率，再根據上述藥品仿單進行每日病人所需劑量之設定，計算出各成分劑型規格口服液劑之年度藥費後，合併上述推估之市占率，估計現有給付藥品年度加權藥費。本報告估計在原情境下未來五年之年度藥費每年皆約為 2 億 4,800 萬元。

5. 新情境年度藥費推估

本報告按建議者之邏輯，在此部分的估算分為「本品年度藥費」以及「現有給付藥品年度藥費」兩部分進行估算，本報告估計在新情境下未來五年「本品年度藥費」約為 2,300 萬元至 1 億 4,400 萬元；「現有給付藥品年度藥費」約為 2 億 3,800 萬元至 1 億 8,600 萬元；合計之新情境年度藥費約為 2 億 6,100 萬元至 3 億 3,100 萬元。相關估算細節，簡述如下：

(1) 本品年度藥費

本報告依建議者之估算邏輯以及建議之給付價，合併本報告按建議者設定之市占率所估計之本品使用人數，未來五年約 400 人至 2,700 人進行本品年度藥費之推估，本報告估計未來五年新情境下本品之年度藥費約為 2,300 萬元至 1 億 4,400 萬元。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

(2) 現有給付藥品年度藥費

本報告在此部分均依建議者之估算邏輯進行估算，僅將每人每年現有給付藥品年度加權藥費以及新情境下現有藥品之使用人數以本報告所推估之數據進行置換，本報告估計未來五年新情境下現有藥品年度藥費 2 億 3,800 萬元至 1 億 8,600 萬元。

6. 財務影響

綜上所述，本報告估計在本品納入給付後未來五年之財務影響，第一年約增加 1,300 萬元至第五年約增加 8,200 萬元。

7. 敏感度分析

本報告依臨床醫師之建議，按其臨床經驗，針對部分癲癇以及原發型全身性強直陣攣癲癇之比例進行敏感度分析。分析結果顯示，未來五年之財務影響將增加 1,400 萬至增加 8,800 萬元。

參考資料

1. Chen R-C, Chang Y-C, Chen TH-H, Wu H-M, Liou H-H. Mortality in adult patients with epilepsy in Taiwan. *Epileptic disorders* 2005; 7(3): 213-219.
2. Goldenberg MM. Overview of drugs used for epilepsy and seizures: etiology, diagnosis, and treatment. *Pharmacy and Therapeutics* 2010; 35(7): 392.