

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：PhosAdd Tab.

學名：Na₂HPO₄、KH₂PO₄、NaH₂PO₄·H₂O

事由：有關華宇藥品股份有限公司（以下簡稱建議者）建議將 PhosAdd Tab. 納入健保給付用於「性聯遺傳型低磷酸鹽佝僂症」一案，衛生福利部中央健康保險署委託財團法人醫藥品查驗中心，就財務影響提供相關評估意見，以供後續研議參考。

完成時間：民國 112 年 2 月 6 日

評估結論

建議者預估本案藥品納入給付後可取代含磷口服液 (Phosphate oral solution)，其主要根據罕見疾病藥物年報數據，推估未來五年 (112 至 116 年) 本案藥品使用人數為第一年 33 人至第五年 94 人，年度藥費約為第一年 104 萬元至第五年 295 萬元，對健保藥費的財務影響約為第一年增加 24 萬元至第五年增加 67 萬元。

本報告認為建議者之財務影響推估大致合理，僅校正部分不適用的統計數據後，推估未來五年 (112 至 116 年) 的本案藥品使用人數為第一年 36 人至第五年 102 人，年度藥費約為第一年 113 萬元至第五年 321 萬元，對健保藥費的財務影響約為第一年增加 26 萬元至第五年增加 73 萬元。

健保署藥品專家諮詢會議後更新之財務影響評估

本報告依據 111 年 12 月份藥品專家諮詢會議建議價格更新財務影響，推估本品使用人數為第一年 36 人至第五年 102 人，本品年度藥費約為第一年 105 萬元至第五年 296 萬元，對健保藥費的財務影響約為第一年增加 17 萬元至第五年增加 48 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

華宇藥品股份有限公司（以下簡稱建議者）藥品 PhosAdd Tab.（以下簡稱本品）為一膜衣錠劑，主成分為「 $\text{KH}_2\text{PO}_4 + \text{Na}_2\text{HPO}_4 + \text{NaH}_2\text{PO}_4 \cdot \text{H}_2\text{O}$ 」，每錠約可提供 250mg 磷，其獲主管機關認定為適用「罕見疾病防治及藥物法」之藥物品項，認定適應症為「性聯遺傳型低磷酸鹽佝僂症」。建議者向衛生福利部中央健康保險署（以下簡稱健保署）建議將本品納入給付，建議給付之適應症為「性聯遺傳型低磷酸鹽佝僂症」。

本品為治療「性聯遺傳型低磷酸鹽佝僂症」的磷補充劑，先前國內獲健保給付用於該疾病的磷補充劑為吉帝藥品股份有限公司專案進口的 K-PHOS NO.2 口服錠，或國內醫院自製的含磷口服液（如 Joulie's solution）；然吉帝藥品股份有限公司已於 2018 年 9 月底終止 K-PHOS NO.2 口服錠之專案進口。後續，信東生技股份有限公司專案製造之含磷口服液（Phosphate oral solution）於 2019 年 1 月納入健保給付，故目前有健保給付於該疾病的磷補充劑為信東生技股份有限公司專案製造之含磷口服液（Phosphate oral solution）以及國內醫院自製的含磷口服液。

有關建議者建議將本品納入健保給付用於治療「性聯遺傳型低磷酸鹽佝僂症」一案，健保署於 2022 年 4 月函請財團法人醫藥品查驗中心（以下簡稱查驗中心）進行財務影響評估。爰此，查驗中心以補充報告格式提供財務影響評估意見，俾供健保相關審議會議參考。

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

建議者預估本品納入健保給付後，於 2023 至 2027 年的使用人數為第一年 33 人至第五年 94 人，年度藥費約為第一年 104 萬元至第五年 295 萬元，對健保藥費的財務影響約為第一年增加 24 萬元至第五年增加 67 萬元。

1. 臨床地位

建議者預期本品將取代目前專案製造的含磷口服液部分市場，對健保財務而言屬於取代關係。

2. 目標族群人數推估

建議者依據 2018 至 2021 年罕見疾病通報個案統計表¹中的性聯遺傳型低磷酸鹽佝僂症人數[1]，以線性回歸推估未來病人數，進一步結合 2020 至 2022 年適用「罕見疾病防治及藥物法」之藥物年報中的磷補充劑藥物使用人數²[2]，假設有 55% 的病人會使用磷補充劑藥物，最後據上述結果，推估 2023 至 2027 年目標族群人數為第一年 83 人至第五年 94 人。

3. 本品使用人數推估

建議者於基礎分析假設未來五年市占率為第一年 40% 至第五年 100%，並於敏感度分析進行市占率的調整，推估 2023 至 2027 年本品使用人數為第一年 33 人至第五年 94 人。

4. 本品年度藥費

建議者設定每人每日攝取 1000 毫克的磷（使用 4 顆本品）、每年使用 365 天，再以建議健保支付價進行計算，推估 2023 至 2027 年本品年度藥費約為第一年 104 萬元至第五年 295 萬元。

5. 被取代品的年度藥費

建議者同樣設定每人每日攝取 1000 毫克磷、每年使用 365 天，並根據 Phosphate oral solution 之健保支付價，以每克磷為 66.67 元進行計算。推估 2023 至 2027 年被取代品年度藥費約為第一年 80 萬元至第五年 227 萬元。

¹罕見疾病通報個案統計表為每月一份，建議者依據每年的 12 月統計表進行推估

²專案進口的 K-PHOS No. 2 或專案製造的 Phosphate oral solution

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

6. 財務影響

建議者預估本品納入給付後，2023 至 2027 年對健保藥費的財務影響約為第一年增加 24 萬元至第五年增加 67 萬元。

7. 敏感度分析

建議者假設本品市占率低推估為第一年 10% 並逐年增加 5% 至第五年 30%；高推估為第一年 80% 並逐年增加 5% 至第五年 100%，推估結果如下：

情境	項目	2023 至 2027 年敏感度分析結果
基礎情境	本品使用人數	第一年 33 人至第五年 94 人
	本品年度藥費	第一年 104 萬元至第五年 295 萬元
	藥費財務影響	第一年增加 24 萬元至第五年增加 67 萬元
低推估	本品使用人數	第一年 8 人至第五年 28 人
	本品年度藥費	第一年 26 萬元至第五年 88 萬元
	藥費財務影響	第一年增加 6 萬元至第五年增加 20 萬元
高推估	本品使用人數	第一年 66 人至第五年 94 人
	本品年度藥費	第一年 208 萬元至第五年 295 萬元
	藥費財務影響	第一年增加 47 萬元至第五年增加 67 萬元

本報告認為建議者之財務影響分析架構完整，且附有參數依據並清楚說明，本報告針對建議者之估算評論如下：

1. 臨床地位

依據罕見疾病基金會網頁[3]，性聯遺傳型低磷酸鹽佝僂症的治療方式為每天攝取維生素 D 和無機磷酸鹽。根據 2022 年版罕見疾病藥物處方集[4]，有四種磷補充劑藥物項用於該適應症³，目前僅有專案製造的含磷口服液（Phosphate solution）一項已納入健保給付。另外，根據 2018 年 10 月藥品共同擬定會議附錄[5]，醫院自製的含磷口服液（如 Joulie's solution）亦有被健保給付，本報告經 2016 至 2021 年健保資料庫分析後，認為磷補充劑市售品進出市場對醫院自製含磷口服液使用族群的影響有限，故認為建議者假設之取代專案製造的含磷口服液為合理。

³ 磷補充劑藥物成分：Burosumab、Phosphate solution、Potassium acid phosphate + sodium acid phosphate, anhydrous 和 KH₂PO₄ + Na₂HPO₄ + NaH₂PO₄ · H₂O

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

2. 目標族群人數推估

建議者依據罕見疾病通報個案統計表和適用「罕見疾病防治及藥物法」之藥物年報，推估本品的目標族群人數。本報告經查 2022 年版適用「罕見疾病防治及藥物法」之藥物年報，發現 2019 年同時有 K-PHOS No. 2 和 Phosphate oral solution 的使用人數及使用量，但建議者只計算 Phosphate oral solution 的使用人數。本報告考量 K-PHOS No. 2 已於 2018 年停止進口，2019 年可能為藥品轉換之過渡期，兩藥品的使用族群有重疊的可能性且難以得知重疊比例，故改參考 2018 年和 2020 年有使用磷補充劑藥物病人的平均比例，假設有 60% 的病人會使用磷補充劑藥物進行推估，本報告推估 2023 至 2027 年目標族群人數為第一年 90 人至第五年 102 人。

3. 本品使用人數推估

建議者依自行假設的未來五年市占率，推估未來五年本品的使用人數。本報告參考罕見疾病基金會網頁[3]，大部分的患者會在幼兒時期出現症狀並開始治療，對於幼兒族群口服液較口服錠容易服用，而本品劑型為口服錠；被取代品劑型為口服液，故在考量有幼兒族群後，本報告認為建議者假設本品市占率會達 100% 較不符合未來實際情形。因此，本報告基礎分析暫依建議者假設方法進行推估，並於敏感度分析降低本品市占率進行推估。本報告推估 2023 至 2027 年本品使用人數為第一年 36 人至第五年 102 人。

4. 本品年度藥費

建議者以每人每日攝取 1000 毫克磷和本品建議支付價推估未來五年本品的年度藥費。本報告參考罕見疾病藥物處方集的 Phosphate Solution 處方建議[4]，成人建議劑量為每人每日攝取四次 8 至 25 毫莫耳（約 1 至 3 克的磷），兒童建議劑量為每人每日攝取每公斤 2 至 3 毫莫耳；另根據適用「罕見疾病防治及藥物法」之藥物年報中磷補充劑藥物的年使用量[2]，推估每人每年平均的磷補充量約在 225 克至 451 克之間，而建議者假設的每人每年磷補充量為 365 克，故本報告認為建議者之設定屬可接受範圍。因此，本報告同建議者方法進行推估，推估 2023 至 2027 年本品年度藥費約為第一年 113 萬元至第五年 321 萬元。

5. 被取代品的年度藥費

建議者以每人每日攝取 1000 毫克磷和 Phosphate oral solution 的健保支付價進行計算，推估未來五年被取代品的年度藥費。如前述，本報告同建議者方法進行推估，推估 2023 至 2027 年被取代品年度藥費約為第一年 88 萬元至第五年 248 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. 財務影響

本報告預估本品納入給付後，2023 至 2027 年對健保藥費的財務影響約為第一年增加 26 萬元至第五年增加 73 萬元。

7. 敏感度分析

在考量建議者市占率有高估之疑慮，本報告於敏感度分析調降本品市占率進行推估。本報告參考建議者基礎分析第一年的市占率 40% 並逐年增加 10% 至第五年 80% 進行推估，在此情境下，2023 至 2027 年，本品使用人數為第一年 36 人至第五年 82 人，本品年度藥費約為第一年 113 萬元至第五年 257 萬元，對健保藥費的財務影響約為第一年增加 26 萬元至第五年增加 59 萬元。

健保署藥品專家諮詢會議後更新之財務影響評估

本報告依據 2022 年 12 月份藥品專家諮詢會議結論及與建議者商議之價格更新財務影響，推估本品使用人數為第一年 36 人至第五年 102 人，本品年度藥費約為第一年 105 萬元至第五年 296 萬元，對健保藥費的財務影響約為第一年增加 17 萬元至第五年增加 48 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

參考資料

1. 罕見疾病通報個案統計表. 衛生福利部國民健康署.
<https://www.hpa.gov.tw/Pages/List.aspx?nodeid=1558>. Accessed May 20, 2022.
2. 適用「罕見疾病防治及藥物法」之藥物年報. 社團法人台灣臨床藥學會.
https://www.pharmaceutic.idv.tw/year_report.aspx. Accessed May 20, 2022.
3. 性聯遺傳型低磷酸鹽佝僂症. 財團法人罕見疾病基金會.
http://www.tfrd.org.tw/tfrd/rare_b/view/id/61. Accessed May 20, 2022.
4. 111 年版罕見疾病藥物處方集. 社團法人台灣臨床藥學會.
https://www.pharmaceutic.idv.tw/prescription_download.aspx. Accessed May 20, 2022.
5. 全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂會議第 34 次(107 年 10 月)會議紀錄. 衛生福利部中央健康保險署.
https://www.nhi.gov.tw/Content_List.aspx?n=C9AD7A30DC886EFA&topn=5FE8C9FEAE863B46. Accessed May 20, 2022.