

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：Demylocan

學名：decitabine

事由：有關曜盟醫藥生技股份有限公司（以下簡稱建議者）建議將抗癌瘤新成分新藥 Demylocan lyophilized powder for injection（以下簡稱本品）納入健保給付用於治療骨髓增生不良症候群高危險性病患一案，衛生福利部中央健康保險署於民國 110 年 1 月函請財團法人醫藥品查驗中心進行財務影響評估，以供後續研議參考。

完成時間：民國 110 年 02 月 23 日

評估結論

1. 建議者認為本品納入給付後將取代具有相同給付條件之 azacitidine 成分藥品(如 Vidaza 及 Andason)，並以 azacitidine 健保醫令申報量及自行預估之本品市占率，以本品每療程使用 5 劑及 azacitidine 每療程使用 14 劑進行換算，預估未來五年本品使用量約為第一年 380 瓶至第五年 2,410 瓶，年度藥費約為第一年 1,400 萬元至第五年 8,600 萬元，扣除 azacitidine 被取代藥費後之財務影響約為第一年增加 5,000 元至第五年增加 2,000 元。
2. 本報告認為建議者之財務影響推估大致合理，惟 azacitidine 醫令申報數略有誤植；另外，建議者預估本品建議價格略低於 azacitidine 成分藥品加權價格，但其推估之財務影響卻呈現微幅增加的現象，此乃因其計算藥品使用量時使用四捨五入方式所導致。
3. 本報告在校正 azacitidine 醫令申報數後，預估未來五年本品使用量約為第一年 390 瓶至第五年 2,500 瓶，年度藥費約為第一年 1,400 萬元至第五年 8,900 萬元，扣除 azacitidine 被取代藥費後之財務影響約為第一年節省 100 元至第五年節省 600 元。
4. 本報告考量目前 azacitidine 成分藥品之給付價格具有差異，分別為 Vidaza 100 mg 價保價 12,729 元，以及 Andason 100 mg 價保價 12,146 元，因此，若未來 Andason 市占率成長，則本案財務影響將由節省改變為增加，例如若原情境 Vidaza 及 Andason 將會均分市場，則本品納入給付後之財務影響將提高為第一年增加 30 萬元至第五年增加 192 萬元。

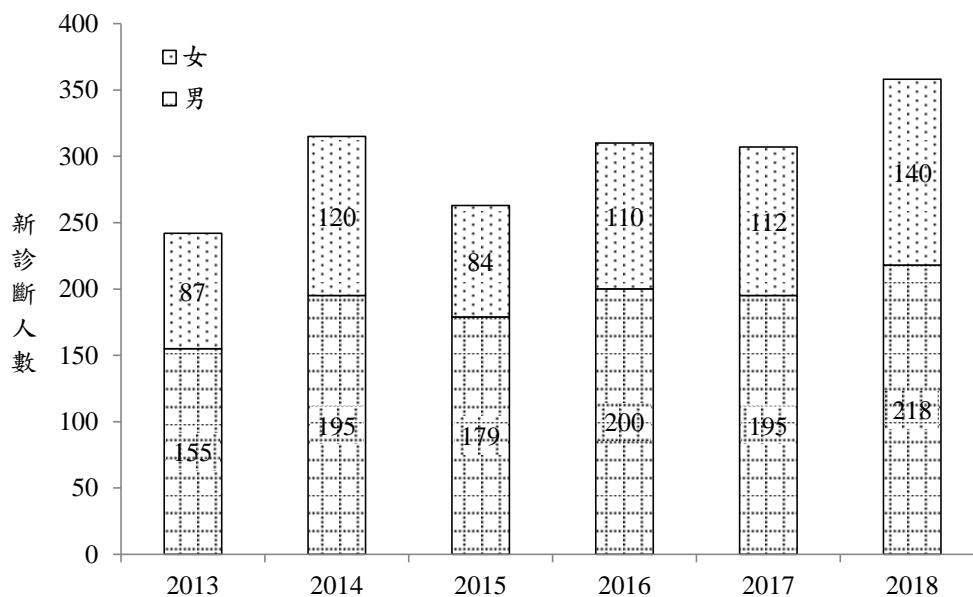
財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

一、背景

曜盟醫藥生技股份有限公司（以下簡稱建議者）向衛生福利部中央健康保險署（以下簡稱健保署）建議將抗癌瘤新成分新藥Demylocan lyophilized powder for injection（decitabine，以下簡稱本品）納入全民健康保險給付，用於骨髓增生不良症候群（myelodysplastic syndrome, MDS）高危險性病患的治療。本品於國內主管機關核可之適應症包括急性骨髓性白血病（acute myeloid leukemia, AML）及MDS病患[1]；建議者建議之健保給付內容擬與目前已收載的健保藥品azacitidine（如Vidaza）相同[2]，相關適應症內容參見附錄一。

本品為胞苷去氧核苷（cytidine deoxynucleoside），可抑制DNA甲基轉移酶，促使腫瘤抑制基因再活化等；國際相關醫療科技評估組織皆尚未公告本品用於MDS治療之醫療科技評估報告[3-6]。根據國內最新癌症登記報告顯示[7]，2018年新診斷為骨髓分化不良症候群人數為358人、平均年齡約69歲，其中男性約占60%；近年來MDS的新診斷人數呈現成長的趨勢，近五年之平均成長率約4%，歷年新診斷人數如下圖：



財團法人醫藥品查驗中心於2021年1月接獲健保署委託，協助評估本品納入健保給付後之財務影響，以供後續會議研議相關事宜。

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

(一) 財務影響

依據建議者所提供之財務影響分析，本品將用於骨髓增生不良症候群高危險性（high risk myelodysplastic syndrome, HRMDS）病患的治療，建議者採用健保使用量推估法，預估本品若納入健保給付後，2022年至2026年本品年度使用量約第一年的380瓶至第五年的2,410瓶，本品年度藥費約第一年的1,360萬元至第五年的8,590萬元，對健保藥費的財務影響約第一年的5,000元至第五年的2,000元。

建議者採用的主要假設與理由分列如下：

1. 臨床地位

建議者建議本品健保給付之適應症內容與已給付之健保藥品 azacitidine（如 Vidaza）相同，故臨床地位為取代關係。

2. 目標使用量

建議者根據2016年至2019年健保公告之 azacitidine 醫令申報數量、以線性迴歸推估2022年至2026年 azacitidine 用於治療 HRMDS 的年度使用量，約第一年的36,000瓶至第五年的45,000瓶。

3. 本品使用量

建議者以 azacitidine 每療程的使用瓶數換算本品每療程的使用瓶數¹，並假設本品之市占率約從第一年的3%成長至第五年的15%，推估本品年度使用量約第一年的380瓶至第五年的2,410瓶。

4. 原情境年度藥費

目前 azacitidine 藥品有 Vidaza 100 mg（目前健保價格 12,729 元）及 Andason 100 mg（目前健保價格 12,146 元）兩種品項，建議者參考商業調查資料及仿單用法用量，以加權平均方式估算每療程 azacitidine 100 mg 14 劑之合計藥費約 17.8 萬元，推估原情境年度藥費約第一年的 4.5 億元至第五年的 5.7 億元。

¹ azacitidine 以 75mg/m² 連續 7 天、每天一次以皮下注射或靜脈注射方式給藥，然後休息 21 天（28 天治療週期、每療程 14 瓶）；decitabine 以 20mg/m² 連續 5 天、每天一次以靜脈注射方式給藥，每 4 週重複一次（28 天治療週期、每療程 5 瓶）。decitabine 使用瓶數=azacitidin 使用瓶數/14*5。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

5. 新情境年度藥費

建議者根據上述假設之市占率推估本品使用量，並依據仿單用法用量估算本品每療程藥費約 17.8 萬元，推估本品年度藥費約第一年的 1,400 萬元至第五年的 8,600 萬元，新情境年度藥費約第一年的 4.5 億元至第五年的 5.7 億元。

6. 財務影響

建議者推估本品若納入健保給付後，對健保的藥費財務影響約第一年的增加 5,000 元至第五年的增加 2,000 元。

7. 敏感度分析

建議者將本品市占率進行高低推估的敏感度分析，結果如下：

- (1) 市占率設定值的 75%：財務影響約第一年的節省 5,000 元至第五年的節省 13,000 元。
- (2) 市占率設定值的 125%：財務影響約第一年的增加 2,000 元至第五年的節省 18,000 元。

本報告針對建議者財務影響的評論如下：

建議者有提供財務影響推估架構及 Excel 檔案以供驗證，本報告認為建議者之基本架構合理，惟醫令申報數值略有誤植、及使用量換算落差的疑慮。

1. 臨床地位

建議者建議之健保給付適應症與 azacitidine（如 Vidaza）相同，本報告認為取代關係設定合理。

2. 目標使用量

本報告認為建議者參考 2016 年至 2019 年健保公告的 azacitidine 使用量推估法合理，惟 2019 年之使用量有誤植。本報告根據 2016 年至 2019 年健保公告之 azacitidine 醫令申報數量[8]，更新相關線性迴歸方程式後，推估 2022 年至 2026 年 azacitidine 用於治療 MDS 的年度使用量約第一年的 37,000 瓶至第五年的 47,000 瓶。

3. 本品使用量

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

本報告認為建議者以取代品使用量換算本品使用量合理，但估算使用量時以四捨五入公式處理，使得總數有些許落差，此也導致建議者 5 年間之財務影響結果，呈現增加或節省之交錯情形發生。本報告以上述更新的使用量，先估算年度療程數，再來考量市占率的分配，並參考建議者之市占率設定推估本品所需療程數與使用量（本品每療程需 5 瓶），預估未來五年本品年度使用量約第一年的 390 瓶至第五年的 2,500 瓶。

4. 原情境年度藥費

本報告認為建議者採加權平均方式估算取代品（Vidaza 及 Andason 兩種品項）的療程藥費部分合理，本報告根據目標使用量及療程藥費，推估原情境年度藥費約第一年的 4.7 億元至第五年的 5.9 億元。

5. 新情境年度藥費

本報告認為建議者的市占率設定合理，根據上述估算之本品與取代品使用量，推估本品年度藥費約第一年的 1,400 萬元至第五年的 8,900 萬元，新情境年度藥費約第一年的 4.7 億元至第五年的 5.9 億元。

6. 財務影響

推估本品若納入健保給付後，對健保的藥費財務影響約第一年的節省 100 元至第五年的節省 600 元。

7. 敏感度分析

本報告認為本品與取代品的療程藥費相近，以市占率進行高低推估對健保財務的影響甚微。本報告另外針對 azacitidine 兩項藥品加權平均之療程藥費進行敏感度分析，結果如下：

- (1) 假設 Vidaza 與 Andason 之占比為 90% 及 10%：加權平均估算 azacitidine 之療程藥費約 17.7 萬元，對健保的藥費財務影響約第一年的增加 4.5 萬元至第五年的增加 28.5 萬元。
- (2) 假設 Vidaza 與 Andason 之占比為 50% 及 50%：加權平均估算 azacitidine 之療程藥費約 17.4 萬元，對健保的藥費財務影響約第一年的增加 30 萬元至第五年的增加 192 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

(二) 經濟評估結論

1. 建議者採用健保使用量推估法，預估本品若納入健保給付後，2022 年至 2026 年本品年度藥費約第一年的 1,360 萬元至第五年的 8,590 萬元，對健保藥費的財務影響約第一年的增加 5,000 元至第五年的增加 2,000 元。
2. 本報告認為建議者財務影響分析架構清楚，惟醫令申報數值略有誤植及使用量換算上有四捨五入處理上的落差。本報告根據 2016 年至 2019 年健保公告之 azacitidine 醫令申報數量，更新相關使用量，並以年度療程數進行後續使用量推估。
3. 推估本品年度藥費約第一年的 1,400 萬元至第五年的 8,900 萬元，未來五年對健保的藥費財務影響約第一年的節省 100 元至第五年的節省 600 元。另外，本報告針對 azacitidine 兩項藥品（Vidaza 與 Andason）加權平均之療程藥費進行敏感度分析，若 Andason 之占比有上升的趨勢，則對健保的財務影響可能轉變為增加。

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. 衛生福利部食品藥物管理署. 西藥、醫療器材、含藥化粧品許可證查詢.
<https://info.fda.gov.tw/MLMS/H0001D.aspx?Type=Lic&LicId=52027930>.
Published 2020. Accessed Jan 1, 2021.
2. 衛生福利部中央健康保險署. 藥品給付規定.
https://www.nhi.gov.tw/Content_List.aspx?n=E70D4F1BD029DC37&topn=5FE8C9FEAE863B46. Published 2021. Accessed Jan 1, 2021.
3. CADTH. Decitabine-Cedazuridine (Inqovi) for MDS
<https://www.cadth.ca/decitabine-cedazuridine-inqovi-mds-details>. Published 2020.
Accessed Jan 11, 2021.
4. PBAC. Public Summary Documents by Product.
<https://www.pbs.gov.au/info/industry/listing/elements/pbac-meetings/psd/public-summary-documents-by-product#D>. Published 2020. Accessed Sep 26, 2020.
5. NICE. Niraparib for maintenance treatment of relapsed, platinum-sensitive ovarian, fallopian tube and peritoneal cancer.
<https://www.nice.org.uk/guidance/ta528>. Published 2018. Accessed Sep 26, 2020.
6. SMC. niraparib tosylate monohydrate (Zejula®) is accepted for restricted use within NHSScotland.
<https://www.scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/niraparib-tosylate-monohydrate-zejula-fullsubmission-134118/>. Published 2020. Accessed Sep 26, 2020.
7. 衛生福利部國民健康署. 癌症登記報告
<https://www.hpa.gov.tw/Pages/List.aspx?nodeid=269>. Published 2020. Accessed Jan 12, 2021.
8. 衛生福利部中央健康保險署. 藥品使用量分析.
https://www.nhi.gov.tw/Content_List.aspx?n=5AA7CAFFF61CB16D&topn=3FC7D09599D25979. Published 2019. Accessed Jan 12, 2021.

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

附錄一、本品於國內主管機關核可與建議健保給付之適應症

國內主管機關核可之適應症	<p>(1) Decitabine適用於治療不適合進行標準誘導化學療法之新診斷出患有原發性或續發性急性骨髓性白血病病患（AML，依據世界衛生組織（WHO）分類）。須符合Poor-or intermediate-risk Cytogenetics，且不適合用於Acute Promyelocytic Leukemia（M3 Classification）。</p> <p>(2) Decitabine適用於治療骨髓化生不良症候群（MDS）患者，包括先前曾接受治療及未曾接受治療、所有French-American-British亞型之原發性與續發性MDS（頑固性貧血、環形鐵粒幼細胞的頑固性貧血、頑固性貧血併有過量芽細胞、頑固性貧血併有過量芽細胞轉變型、以及慢性骨髓單核球性白血病）、以及國際預後評分系統分類為中度危險-1、中度危險-2與高危險的患者。</p>
建議健保給付之適應症	<p>1.骨髓增生不良症候群高危險性病患：頑固性貧血併有過量芽細胞（RA with excess blasts, RAEB）、轉變中的頑固性貧血併有過量芽細胞（RAEB in transformation, RAEB-T）、及慢性骨髓單核細胞性白血病（chronic myelomonocytic leukemia, CMMoL）。</p> <p>2.需經事前審查核准後使用，申請事前審查時必須確定病患無病情惡化至急性骨髓性白血病，即可繼續使用。</p> <p>（1）第一次申請4治療療程。</p> <p>（2）第二次開始每3療程申請一次。</p> <p>3.急性骨髓性白血病之定義：骨髓芽細胞（myeloblast）大於30%。</p>

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：Demylocan

學名：decitabine

事由：

1. 有關曜盟醫藥生技股份有限公司（以下簡稱建議者）建議將抗癌瘤新成分新藥 Demylocan lyophilized powder for injection（decitabine，以下簡稱本品）納入健保給付用於治療骨髓增生不良症候群高危險性病人一案，財團法人醫藥品查驗中心（以下簡稱查驗中心）已於民國 110 年 3 月完成一份醫療科技評估報告，而該案經 110 年 4 月藥品專家諮詢會議討論，結論為建議納入給付。
2. 因建議者不同意 110 年 4 月藥品專家會議提出之本品初核價格並重新提出建議價格，爰此，衛生福利部中央健康保險署委請查驗中心協助更新財務評估資料，以供後續研議參考。
3. 本報告依據民國 110 年 11 月藥品專家諮詢會議建議之給付規定及初核價格更新財務影響推估。

完成時間：民國 111 年 01 月 21 日

評估結論

1. 建議者本次並未重新提交財務影響推估資料，因此本報告利用其前次提交之資料來試算其財務影響推估，預估未來五年本品年度藥費約為第一年 1,330 萬元至第五年 8,410 萬元，對健保藥費財務影響約為第一年節省 29 萬元至第五年節省 185 萬元。
2. 本報告同前次報告評估意見，主要就取代藥品 azacitidine 之醫令申報數進行校正；而依據建議者本次更新之建議價格，重新推估未來五年本品年度藥費約第一年 1,370 萬元至第五年 8,710 萬元，對健保藥費財務影響約為第一年節省 30 萬元至第五年節省 192 萬元。

健保署藥品專家諮詢會議後更新財務影響評估

本報告依據民國 110 年 11 月藥品專家諮詢會議建議之給付規定及初核價格更新財務影響推估，預估本品納入給付後，未來五年年度藥費約為第一年 590 萬元至第五年 3,750 萬元，對健保藥費財務影響約為第一年節省 750 萬元至第五年節省 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

一、背景

曜盟醫藥生技股份有限公司(以下簡稱建議者)建議將Demylocan lyophilized powder for injection (decitabine, 以下簡稱本品)納入健保給付,用於骨髓增生不良症候群(myelodysplastic syndrome, MDS)高危險性病患的治療;財團法人醫藥品查驗中心(以下簡稱查驗中心)受衛生福利部中央健康保險署(以下簡稱健保署)委託,已於2021年3月完成一份醫療科技評估報告;而該案後續經2021年4月藥品專家諮詢會議討論後,已建議納入給付及初核健保價格。

因建議者對於藥品專家諮詢會議所採用的健保藥品支付價格訂定原則有異議,因此參考「全民健康保險藥物給付項目及支付標準」¹之核價原則,更新建議價格後再次送件。

於國際相關醫療科技評估組織中再次搜尋,加拿大藥品及醫療科技評估機構(Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health, CADTH)有一份審核評估中的申請案[1],其餘皆尚未公告decitabine用於MDS治療之醫療科技評估報告。

針對建議者更新之建議價格,健保署於2021年5月再次函請查驗中心更新財務影響分析資料,以供後續會議研議相關事宜參考。

二、療效評估

略。

¹ 全民健康保險藥物給付項目及支付標準第 17 條「新藥支付價格之訂定原則」、第 28 條「新品項屬原開發廠藥品之同藥品分類核價方式」。

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

建議者本次並未就更新之建議價格重新提交財務影響推估資料。因此本報告利用建議者第一次送件所提供之財務影響架構來進行建議者的財務影響更新；基於建議者之財務影響架構，經本報告校正推估本品若納入健保給付後，未來五年（2022年至2026年）本品年度藥費約第一年的1,330萬元至第五年的8,410萬元，對健保藥費的財務影響約第一年的節省29萬元至第五年的節省185萬元。建議者2次送件之財務影響結果如後表：

建議者	第一次送件	本次送件
本品年度使用量	第一年的380瓶至第五年的2,410瓶	
本品年度藥費	1,360萬元至8,590萬元	1,330萬元至8,410萬元
財務影響	5,000元至2,000元	節省29萬元至節省185萬元

本報告針對建議者的財務影響評論，已於2021年3月之Demylocan醫療科技評估報告中說明，主要就取代藥品azacitidine之醫令申報數進行校正，其餘評估意見則不再贅述（本中心校正建議者之資料及使用量換算方法）。本報告本次針對建議者所建議之健保支付價格進行更新，預估未來五年本品年度藥費約第一年的1,370萬元至第五年的8,710萬元，對健保藥費的財務影響約第一年的節省30萬元至第五年的節省192萬元。本中心針對建議者2次送件之財務影響結果如後表：

查驗中心	第一次送件	本次送件
本品年度使用量	第一年的390瓶至第五年的2,500瓶	
本品年度藥費	1,400萬元至8,900萬元	1,370萬元至8,710萬元
財務影響	節省100元至節省600元	節省30萬元至節省192萬元

(二) 經濟評估結論

- 建議者本次更新建議之健保支付價格，但未提供財務影響分析結果。經本報告基於建議者之財務影響架構下，校正推估未來五年本品年度藥費約第一年的1,330萬元至第五年的8,410萬元，對健保藥費的財務影響約第一年的節省29萬元至第五年的節省185萬元。
- 本報告針對建議者更新之健保支付價格，預估未來五年本品年度藥費約第一年的1,370萬元至第五年的8,710萬元，對健保藥費的財務影響約第一年的節省30萬元至第五年的節省192萬元。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

健保署藥品專家諮詢會議後更新財務影響評估

本品經藥品專家諮詢會議討論，建議給付之適應症與9.44.Azacitidine（如Vidaza）相同，作為「骨髓增生不良症候群高危險性病患：頑固性貧血併有過量芽細胞（RA with excess blasts, RAEB）、轉變中的頑固性貧血併有過量芽細胞（RAEB in transformation, RAEB-T）、及慢性骨髓單核細胞性白血病（chronic myelomonocytic leukemia, CMMoL）」之治療。

本報告依據藥品專家諮詢會議建議之健保給付規定、初核價格及更新比較品價格進行財務影響修正，預估本品若納入健保給付，未來五年本品年度藥費約為第一年590萬元至第五年3,750萬元，對健保藥費財務影響約為第一年節省750萬元至第五年節省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

參考資料

1. CADTH. Decitabine-Cedazuridine (Inqovi) for MDS
<https://www.cadth.ca/decitabine-cedazuridine-inqovi-mds-details>. Published 2021. Accessed June 10, 2021.