

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：Qarziba

學名：dinutuximab beta

事由：

1. 吉帝藥品股份有限公司（以下簡稱建議者）建議將寬利安濃縮輸注液（Qarziba[®] 4.5 mg/mL concentrate for solution for infusion）納入健保給付，本案業經民國 111 年 7 月藥品專家諮詢會議討論，建議限縮給付於「高危險神經母細胞瘤且在接受自體幹細胞移植前至少達到部分緩解，在自體幹細胞移植後的病人」，並考量本品治療費用昂貴，請建議者重新檢送財務影響方案。
2. 建議者根據上述 7 月藥品專家諮詢會議建議內容，再度提出申請，衛生福利部中央健康保險署（以下簡稱健保署）於民國 111 年 9 月函請財團法人醫藥品查驗中心（以下簡稱查驗中心）就建議者更新後的財務影響方案進行評估，以供後續審議會議參考。

完成時間：民國 112 年 04 月 07 日

評估結論

一、財務影響

- （一）建議者推估未來五年本品使用人數為每年 14 人，及未來五年本品年度藥費為每年 1.04 億元，由於本品臨床地位屬於新增關係，故本品年度藥費即為本品財務影響。
- （二）本次建議者引用查驗中心於 111 年 5 月完成之醫療科技評估報告中有關五年本品使用人數推估結果，且本報告也再次諮詢專家確認「高危險神經母細胞瘤且在接受自體幹細胞移植前，若經誘導治療有反應的病人都能完成鞏固治療」，故本報告認為建議者之推估應屬合理。
- （三）本報告依最新建議之給付規定，推估未來五年本品使用人數為每年 14 人，及未來五年本品年度藥費為每年 1.04 億元，因本品為新增關係，故本品年度藥費即為本品財務影響。

二、醫療倫理

雖無系統性資料可供參考，本報告摘錄自健保署「新藥及新醫材病友意見分享」平台，截至民國 112 年 3 月 23 日止，收集到的 22 筆病友意見。經排除 2 筆重複填寫後，納入 20 筆意見；係由 19 位病友直接填答。病友年齡介於 4 個月至 7 歲。

（一）醫療現況

未使用本品之病友，接受之治療包含化學治療¹、腫瘤切除手術、放射線治療及

¹ 化療藥品包含 cisplatin (Cisplatin[®], 西伯拉丁)、cyclophosphamide (Endoxan[®], 癌得星)、vinblastine (Vinblastine[®], 敏伯斯登)、etoposide (Fytosid[®], 癌妥滅)、ifosfamide (Holoxan[®], 好克癌)、carboplatin、epirubicin、irinotecan、temozolomide、bortezomib 等。

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

骨髓或自體幹細胞移植；部分病友因無法獲得有效緩解，需要反覆接受治療，經常住院。治療副作用有虛弱、發燒、上吐下瀉、局部疼痛、口腔黏膜受損、食慾不佳、血壓上升、血球減少及掉髮。1位病友在接受放療及服用高劑量A酸後，出現皮膚敏感、脆弱及脫皮之情形；另1位病友於接受治療後出現骨髓功能受抑制、出血性膀胱炎、腎臟毒害、聽力喪失、電解質不平衡等較嚴重現象。在接受現有治療後，有病友提及可恢復行走功能；但1位病友即使接受上述多項治療後仍然復發。

(二) 本品使用經驗

有本品使用經驗之病友共4位。綜合病友提到使用本品發生的副作用，包含腹瀉、發燒、痠痛/疼痛、血氧不穩、血壓低、紅疹之情形，但輔以止痛及抗組織胺等藥品後狀況有改善。1位病友表示，使用本品可減少癌細胞殘存，在治療中期時，影像檢查已看不到任何癌細胞；1位確診為第四期之病友，曾使用本品5個療程，在接受本品治療後約有一年癌症為完全緩解狀態，雖後有復發，但位置限於中樞神經。

(三) 生活品質

本次蒐集到病友意見之病人皆為兒童，疾病使病友體力不足，無法從事各種活動，較嚴重甚至無法正常行走，需要推車代步或由旁人抱著行動，飲食也無法如正常人一般；也有病友因疼痛無法好好睡眠，連帶影響全家人休息。另1位已轉移至骨髓之病友提到因腫瘤而腹部腫大，骨頭痠痛無法行走、脊椎無法挺立，同時因造血功能異常，造成臉色蒼白及手腳冰冷。長期治療不僅損害身體器官且影響免疫系統，使照顧者深怕病人受到感染而無法出門；此外，需住院也使得病友無法上學，社交、同儕活動及學習都受限。

照顧者方面，為照顧兒童病友需投入全家的資源，多位照顧者也因此中斷工作，不管對日常生活、睡眠、經濟都有很大的影響。此外，照顧者可能因疲勞而無法控制情緒，並面臨高昂的醫療費用，以及對疾病復發之恐懼；同時影響家中其他孩子的照顧。

(四) 對新治療之期待

照顧者共同期望新治療可以減少殘存癌細胞，降低疾病復發率；也提到希望可以改善病人食慾，以保持體力接受後續療程。另外，照顧者表示期待新治療可以讓病人恢復正常校園生活，家庭生活也可以回到軌道。

此外，由於本品治療費用驚人，病友期望本品可以納入健保給付，使更多孩子獲得治療的機會。照顧者亦希望本品可給付於復發病人。

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

吉帝藥品股份有限公司(以下簡稱建議者)於2022年2月建議將dinutuximab beta 成分藥品 Qarziba[®]寬利安濃縮輸注液(以下簡稱本品)納入健保給付,用於治療高危險神經母細胞瘤以及復發或難治性神經母細胞瘤,本案業經2022年7月藥品專家諮詢會議討論,初步建議限縮給付範圍且考量本品治療費用昂貴,請建議者重新檢送財務影響方案。

爰此,建議者依7月藥品專家諮詢會議所建議之給付規定(詳見表一),提出本品新建議給付價,並重新檢送財務方案。健保署於同年9月函請查驗中心就建議者更新之財務方案進行評估,以供後續研議參考。

表一、建議者前次及本次建議本品之給付規定內容對照表

本次建議之給付規定	前次建議之給付定
1. 限用於年齡 12 個月以上的神經母細胞瘤病人之初次 GD2 免疫治療。 2. 經事前審查核准後使用。 3. 用於高危險神經母細胞瘤病人,且在接受自體幹細胞移植前至少達到部分緩解,在自體幹細胞移植後,可以申請以 1 次治療所需的 5 個療程為限。	1. 用於高危險神經母細胞瘤,且在誘導或鞏固治療後至少達到部分緩解,申請時以 1 次治療所需的 5 個療程為限。 2. 用於有殘存或沒有殘存疾病的復發或難治性 (relapsed/refractory) 神經母細胞瘤病人,每次申請 5 個療程。

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

建議者依據 2022 年 7 月藥品專家諮詢會議討論所建議之本品給付範圍，推估未來五年本品使用人數為每年 14 人，及未來五年本品年度藥費為每年 1.04 億元，由於本品臨床地位屬於新增關係，故本品年度藥費即為本品財務影響。建議者財務影響評估說明，如後：

1. 本品使用人數推估

建議者引用查驗中心於 2022 年 5 月完成之醫療科技評估報告，預估未來五年本品使用人數每年 14 人。

2. 本品年度藥費推估

建議者評估每位病人每療程使用本品 5 瓶，共給付 5 個療程，依據新建議之本品支付價，預估未來五年本品年度藥費為每年 1.04 億元。

本報告就本次限縮給付範圍，摘述醫療科技評估報告相關說明，如後：

1. 臨床使用地位設定

目前健保未給付同樣治療地位的藥品，本報告認為本品臨床使用地位屬新增關係。

2. 目標族群人數推估

參考兒童癌症基金會年報、依據諮詢專家意見，據此預估未來五年每年神經母細胞瘤新發個案數 30 人，沿用建議者高危險性比例及接受本品做為維持治療的比例，且本報告此次再次諮詢臨床醫師，確認臨床處置中，若病人接受誘導治療有反應者都能完成鞏固治療，最終推估未來五年符合給付條件之高危險性病人數每年約 14 人。

3. 本品使用人數推估

臨床醫師表示符合健保給付規定的病人可能都會接受本品治療，因此本報告假設市占率 100%，推估未來五年本品使用人數為每年約 14 人。

4. 本品年度藥費推估

本品初步建議的給付規定本品使用至多 5 個療程，仿單建議每個療程總

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

計 100 毫克/平方米，並參考建議者提出台灣使用經驗每療程使用 5 小瓶，因此假設每人使用 25 小瓶，依建議支付價估算未來五年本品年度藥費每年 1.04 億元。

5. 財務影響推估

本品新增的藥費即財務影響，預估未來五年財務影響為每年 1.04 億元。