

# 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：Refixia powder and solvent for solution for injection

學名：nonacog beta pegol

事由：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台灣諾和諾德藥品股份有限公司(以下簡稱建議者)建議將「Refixia (nonacog beta pegol) 500 IU、1000 IU 及 2000 IU」(以下簡稱本品)納入健保給付用於治療「12 歲以上 B 型血友病(先天性第九凝血因子缺乏)病人的出血治療及預防」一案，協助提供財務影響評估，以供研議後續事宜參考。

完成時間：民國 109 年 11 月 17 日

---

### 評估結論

1. 建議者推估本品納入保給付後將會取代一般型基因工程製劑 BeneFIX<sup>®</sup>、Rixubis<sup>®</sup> 以及國血製劑“益康”高純度第九凝血因子注射劑三項藥品之市場<sup>1</sup>，並設定本品於預防性治療有極高之市占率，預估未來五年本品合計使用人數為第一年 30 人至第五年 86 人，本品年度藥費為第一年約 1.67 億元至第五年約 4.86 億元，扣除取代藥費後對健保整體財務影響為第一年約 1,300 萬元至第五年約 4,200 萬元。
2. 本報告考量同為長效型基因工程第九凝血因子製劑 Alprolix<sup>®</sup> 及 Idelvion<sup>®</sup> 於 109 年 6 月藥品共同擬訂會議已通過納入健保給付，因此將本品於預防性治療之主要取代藥品調整為 Alprolix<sup>®</sup> 及 Idelvion<sup>®</sup>，於需求性治療之主要取代藥品為 BeneFIX<sup>®</sup> 及 Rixubis<sup>®</sup>，以此重新預估未來五年本品使用人數為第一年 12 人至第五年 33 人，本品年度藥費為第一年約 6,100 萬元至第五年約 1.78 億元，扣除取代藥費後對健保整體財務影響為第一年約 250 萬元至第五年約 720 萬元。
3. 考量 Alprolix<sup>®</sup> 及 Idelvion<sup>®</sup> 限給付用於嚴重 B 型血友病病人之預防性治療，因此本報告另以本品具相同給付條件進行情境分析，預估整體財務影響第一年約為 230 萬元至第五年約 690 萬元。
4. 本案財務影響結果整理詳如內文表一。建議者與本報告之財務影響結果差異主要在於預防性治療部分，本報告選擇之取代品以及對本品市占率之假設不同，使得用藥人數及被取代品的藥費不同所致。

---

<sup>1</sup>建議者未考慮 109 年 6 月份藥品共擬會議已通過給付兩項基因工程長效型第九凝血因子 Alprolix<sup>®</sup> 及 Idelvion<sup>®</sup>，預期在本品納入給付後，預防性注射市場部分，本品的主要取代對象將是前述兩項長效藥品，而非建議者假設之 BeneFIX<sup>®</sup>、Rixubis<sup>®</sup> 及國血製劑。

# 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之財務影響評估

本報告依據 109 年 10 月份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。預估當本品比照 Alprolix 及 Idelvion 給付用於預防性治療後，未來五年使用人數為第一年 9 人至第五年 27 人，年度藥費為第一年約 5,300 萬元至第五年約 1.57 億元，扣除取代藥費後之財務影響為第一年節省約 380 萬元至第五年節省約 1,130 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

台灣諾和諾德藥品股份有限公司（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）建議將新藥「Refixia (nonacog beta pegol) 500 IU、1000 IU 及 2000 IU」納入健保給付，用於治療「12 歲以上 B 型血友病（先天性第九凝血因子缺乏）病人的出血治療及預防」，因此健保署於 2020 年 7 月函請財團法人醫藥品查驗中心（以下簡稱本中心）協助提供財務影響評估資料，以供後續會議研擬參考。

本案經 2020 年 10 月健保署藥品專家諮詢會議討論後，除建議本品比照 Alprolix 及 Idelvion 限用於預防性治療外，並核予每 IU 41.3 元，因此本報告依據健保署藥品專家諮詢會議決議，重新估算財務影響。

### 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) 其他經濟評估報告

本報告主要參考 CDATH/pCODR、PBAC 及 NICE 之醫療科技評估報告及建議者提供之資料，視需要輔以其他醫療科技評估組織報告或 PubMed/Embase/Cochrane 相關文獻，以瞭解主要醫療科技組織之給付建議及目前成本效益研究結果。

來源	報告日期
CADTH/pCODR (加拿大)	至 2020 年 8 月 12 日止查無資料。
PBAC (澳洲)	至 2020 年 8 月 12 日止查無資料。
NICE (英國)	至 2020 年 8 月 12 日止查無資料。
其他醫療科技評估 組織	SMC (蘇格蘭) 醫療科技評估報告：至 2020 年 8 月 12 日止查無資料。
電子資料庫	PubMed/Embase/Cochrane 的搜尋結果。
建議者提供之資料	建議者未提供其他成本效益研究資料。

#### 1. CADTH/CODR (加拿大)

本報告於 2020 年 8 月 12 日以「Refixia」及「nonacog beta pegol」為關鍵字於加拿大藥品及醫療科技評估機構 (Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health, CADTH) 公開網頁搜尋，未尋得相關紀錄。

#### 2. PBAC (澳洲)

本報告於 2020 年 8 月 12 日以「Refixia」及「nonacog beta pegol」為關鍵字於澳洲藥品給付諮詢委員會 (Pharmaceutical Benefits Advisory Committee, PBAC) 公開網頁搜尋，未尋得相關紀錄。

#### 3. NICE (英國)

本報告於 2020 年 8 月 12 日以「Refixia」及「nonacog beta pegol」為關鍵字於英國國家健康及照護卓越研究院 (National Institute for Health and Care Excellence, NICE) 公開網頁搜尋，未尋得相關紀錄。

# 財團法人醫藥品查驗中心

## 醫療科技評估報告補充資料

### 4. 其他醫療科技評估組織

#### (1) SMC (蘇格蘭)

本報告於 2020 年 8 月 12 日以「Refixia」及「nonacog beta pegol」為關鍵字於蘇格蘭藥物委員會 (Scottish Medicines Consortium, SMC) 公開網頁搜尋，未尋得相關紀錄。

### 5. 電子資料庫相關文獻

#### (1) 搜尋方法

本報告用於搜尋 PubMed/Embase/Cochrane 電子資料庫之方法說明如下：

以下列 PICOS 作為搜尋條件，即搜尋符合本次建議新藥給付條件下之病人群 (population)、治療方法 (intervention)、療效對照品 (comparator)、結果測量指標 (outcome) 及研究設計與方法 (study design)，其搜尋條件整理如下：

<b>Population</b>	納入條件：hemophilia B 排除條件：未設限
<b>Intervention</b>	Refixia、nonacog beta pegol
<b>Comparator</b>	未設限
<b>Outcome</b>	未設限
<b>Study design</b>	Cost-consequence analysis, cost-benefit analysis, cost-effectiveness analysis, cost-utility analysis, cost studies

依照上述之 PICOS 透過 PubMed/Embase/Cochrane 等文獻資料庫，於 2020 年 8 月 12 日止，以 (hemophilia A) 等作為關鍵字進行搜尋，搜尋策略請見附錄一。

#### (2) 搜尋結果

依前述搜尋策略於 PubMed、Embase、Cochrane 等文獻資料庫進行搜尋，並經標題、摘要閱讀後，未查獲與本案相關之經濟評估研究。

### 6. 建議者提供之其他成本效益研究資料。

# 財團法人醫藥品查驗中心

## 醫療科技評估報告補充資料

建議者未提供其他成本效益研究資料。

### (二) 疾病負擔與財務影響

#### 1. 疾病負擔

B 型血友病為第九凝血因子不足 (factor IX, FIX) 的一種先天性出血疾病，為 X 染色體隱性遺傳疾病。依照血中第九凝血因子的活性可將病人區分為重度 (<1 IU/dL 或正常值的 1%)、中度 (1-5 IU/dL 或正常值的 1-5%) 及輕度 (5-40 IU/dL 或正常值的 5-40%)。此疾病於我國屬於重大傷病，依據全民健康保險重大傷病各疾病別有效領證統計表，2020 年 6 月之 B 型血友病 (遺傳性第 IX 凝血因子缺乏症) 的有效領證人數為 185 人[1]。

#### 2. 核價參考品之建議

本案藥品申請納入健保之給付規定同主管機關適應症，為 12 歲以上 B 型血友病病人 (先天性第九凝血因子缺乏) 的出血治療及預防。

本報告首先查詢世界衛生組織藥物統計方法整合中心 (WHO Collaborating Center for Drug Statistics Methodology) 頁面[2]，本案藥品 Refixia 成分之 ATC 分類碼為 B02BD04，屬「B02B：Vitamin K and other hemostatics」的「B02BD：blood coagulation factors」。

此分類下我國健保已給付之藥品包含 (1) 血液製劑：”基立福”乾燥第九凝血因子注射液、伊美耐高純度第九凝血因子注射劑、國血製劑 “益康”高純度第九凝血因子注射劑，(2) 基因工程一般型：賓凝適第九凝血因子凍晶注射劑 (BeneFIX<sup>®</sup>)、立速止基因工程第九因子注射劑 (Rixubis<sup>®</sup>)，以及 (3) 基因工程長效型：艾波利凍晶注射劑 (Alprolix<sup>®</sup>)、愛必凝基因工程第九凝血因子注射劑 (Idelvion<sup>®</sup>) [3, 4]。本報告認為適當核價參考品應為與本案藥品同屬基因工程長效型製劑之 Alprolix<sup>®</sup> 及 Idelvion<sup>®</sup>。

#### 3. 財務影響

於建議者提出的財務影響評估結果中，預估未來第一年使用本品人數約 30 人，第五年約 86 人，財務影響在第一年約 1,300 萬元，第五年約 4,200 萬元。建議者之假設及推算過程如下：

- (1) 臨床地位：取代地位。將取代賓凝適第九凝血因子凍晶注射劑 (BeneFIX<sup>®</sup>)、立速止基因工程第九因子注射劑 (Rixubis<sup>®</sup>) 以及國血製劑 “益康”高純度

## 財團法人醫藥品查驗中心

### 醫療科技評估報告補充資料

第九凝血因子注射劑三項藥品之市場。

- (2) 目標族群人數：參考全民健康保險重大傷病各疾病別有效領證數，以 2006 至 2015 年 B 型血友病有效領證數，推算未來五年有效領證人數。同時參考 2015 年全民健康保險醫療統計年報[5]中 15 歲以上 B 型血友病患者所占比例 (80%)，估算未來五年 15 歲以上 B 型血友病人數，第一年約 150 人，第五年約 154 人。
- (3) 用藥人數：
- A. 重度血友病患者比例：參考台灣健保資料庫研究，假設重度患者占 60%，皆進行預防性治療，輕至中度患者占 40%，皆執行需求性治療[6]。
- B. 本品市占率：假設本品用於預防性治療的市占率在第一年為 30%，逐年增加至第五年為 86%，則第一年預防性治療的用藥人數為 27 人，第五年為 79 人；假設每年有 1 人進行重大手術，且每人執行 2 次手術[7]；排除進行重大手術的人數後，假設本品用於需求性治療的市占率在第一年為 4%，第五年為 9%，則第一年需求性治療的用藥人數為 2 人，第五年為 5 人。故本品合計用藥人數第一年 30 人，第五年 86 人。
- (4) 被取代品年度藥費：
- A. 市占率：參考 IQVIA 公司提供 2015 至 2019 年之市場資料，推算未來五年 BeneFIX<sup>®</sup>、Rixubis<sup>®</sup> 及國血製劑之市占率。
- B. 用法用量：參考全民健保藥品給付條件[8]，假設進行預防性治療的患者每週注射 2 次、每次注射 40 IU/kg；而進行需求性治療的患者，則參考專家意見，假設每人每年出血 3 次，此外，建議者參考文獻中需求性治療患者之出血以關節出血為大宗[9]，故依據全民健保藥品給付條件中關節出血建議注射劑量 (40-60 IU/kg) [10]，假設病人每次出血時注射 50 IU/kg，注射 2 天，每天注射 2 次。進行重大手術的患者，則假設每人每年執行 2 次手術，自手術前至手術結束後，每次使用 1,453 IU/kg 的凝血因子[11]。
- C. 年度藥費：藥品單價參考健保給付價。病人體重參考國民營養狀況變遷調查中之 12 歲以上男性平均體重 63 公斤計算[12]。考慮市占率後，預防性治療的第一年藥費約 1.48 億元，第五年約 4.36 億元；需求性治療的第一年藥費約 186 萬元，第五年約 432 萬元；重大手術每年藥費約 384 萬元。被取代品合計年度藥費第一年約 1.53 億元，第五年約 4.44 億元。
- (5) 本品年度藥費：
- A. 用法用量：參考仿單，假設進行預防性治療的患者(重度)每週注射 1 次，每次注射 40 IU/kg。進行需求性治療的患者(輕至中度)，則參考專家意見，假設每人每年出血 3 次，注射 2 天，每天注射 1 次。進行重大手術的患者，假設每人每年執行 2 次手術，自手術前至手術結束後，每次使用 241.8 IU/kg 的凝血因子[11]。
- B. 年度藥費：藥品單價參考建議價，預防性治療患者的第一年藥費約 1.63 億元，

## 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 4.81 億元；需求性治療患者的第一年藥費約 165 萬元，第五年約 381 萬元；重大手術每年藥費約 141 萬元。本品合計年度藥費在第一年約 1.67 億元，第五年約 4.86 億元。

- (6) 財務影響：第一年約 1,300 萬元，第五年約 4,200 萬元。
- (7) 敏感度分析：
- A. 高推估市占率：調高本品市占率為原假設之 1.05 倍，則第一年用藥人數為 32 人，第五年 90 人，財務影響第一年約 2,100 萬元，第五年約 6,600 萬元。
- B. 低推估市占率：調低本品市占率為原假設之 0.95 倍，則第一年用藥人數 29 人，第五年 82 人，財務影響第一年約 480 萬元，第五年約 1,800 萬元。

本報告針對建議者所提供之財務影響分析評論如下：

- (1) 建議者之財務影響分析架構清楚且說明大致完整。
- (2) 取代品：建議者未考慮 2020 年 6 月份已通過給付兩項基因工程長效型第九凝血因子 Alprolix<sup>®</sup> 及 Idelvion<sup>®</sup>，預期在本品納入給付後，預防性注射市場部分，本品的主要競爭對象將是前述兩項長效藥品，而非建議者假設之 BeneFIX<sup>®</sup>、Rixubis<sup>®</sup> 及國血製劑。
- (3) 本品市占率：預期本品將與其他兩項藥品競爭預防性治療的長效型製劑市場，但建議者假設未來市場上僅本品一項長效型製劑，故建議者之市占率有高估之虞。
- (4) 目標族群人數：建議者僅估算 15 歲以上患者人數，未考慮 12-14 歲患者數，有低估之虞。
- (5) 用藥人數：建議者未排除具抗體的患者，可能高估人數；且假設所有嚴重型患者皆進行預防性治療，可能高估預防性治療人數；對於進行重大手術的患者，建議者未考慮市占率，可能高估此部分用藥人數。
- (6) 年度藥費：建議者未考慮進行預防性治療的患者仍有突發性出血的情形，於常規預防注射外，可能需要額外注射凝血因子；建議者亦未考慮進行重大手術患者該年度除手術外所使用之凝血因子藥費。
- (7) 其他參數：另有部分參數經過驗證後需調整，如 12 歲以上患者比例、體重、嚴重型患者所占比例等參數。

本報告調整預防性治療的被取代品、排除具抗體患者、調整本品市占率及部分參數後，重新估算財務影響，估算方式及參數假設如下：

- (1) 臨床地位：取代地位。本報告認為，本品納入健保後，針對預防性治療患者，將取代 Alprolix<sup>®</sup> 及 Idelvion<sup>®</sup>；針對需求性治療患者，由於國血製劑為血液製劑且市占率低，為便於藥費計算，故僅考慮同為基因工程製劑之 BeneFIX<sup>®</sup>、Rixubis<sup>®</sup> 作為取代品。



## 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：調整為 12 歲以上患者。參考 2015 年度全民健康保險醫療統計年報[5]，假設 10-14 歲 B 型血友病患者年齡平均分布，據此估算 12 歲以上患者所占比例約 83.93%，則未來五年 12 歲以上 B 型血友病人數為第一年約 157 人，第五年約 162 人。
- (3) 用藥人數：
- A. 重度血友病患者比例：驗證建議者參考之文獻後[6]，微調重度血友病人占比為 60.6%，輕至中度血友病人占比為 39.4%。
  - B. 排除具抗體患者：參考一篇台灣健保資料庫研究[13]，假設重度 B 型血友病患者中約 5% 有抗體，並排除此類患者。
  - C. 本品市占率：考慮未來本品將與另兩項長效型製劑競爭預防性治療市場，而非由本品獨佔市場，故調整本品在預防性治療的市占率至建議者假設值之 1/3，第一年約 10%，第五年約 29%，則第一年預防性治療人數約 9 人，第五年約 27 人；重大手術患者人次部分，參考建議者假設，每年 1 人進行重大手術，每人執行次數則參考文獻調整為 1.6 次[7]，並假設進行重大手術的患者皆為重度血友病且會進行預防性治療，在考慮市占率後，第一年約 0.1 人次，第五年約 0.3 人次接受重大手術；需求性治療的市占率仍參考建議者假設，但不預先排除進行重大手術患者人數，則第一年需求性治療人數約 3 人，第五年約 6 人。本品合計用藥人數在第一年約 12 人，第五年約 33 人。
- (4) 被取代品藥費：
- A. 經過驗證，12 歲以上男性平均體重應為 67 公斤。
  - B. 預防性治療：假設 Alprolix<sup>®</sup> 與 Idelvion<sup>®</sup> 未來將均分長效型製劑市場；參考藥品共同擬定會議紀錄[4]，假設 Alprolix<sup>®</sup> 每週注射 1 次，每次 50 IU/kg，且年度出血次數 2.3 次[14]，並假設每次出血施打 50 IU/kg[10]，共施打 1 次[14]。假設 Idelvion 每週注射 1 次，每次 30 IU/kg，且年度出血次數 2 次[15]，並假設每次出血施打 50 IU/kg[10]，共注射 1 次[15]。則接受預防性治療患者第一年藥費約 5,700 萬元，第五年約 1.68 億元。
  - C. 需求性治療：參考建議者假設之市占率，排除國血製劑後重新估算 BeneFIX<sup>®</sup> 及 Rixubis<sup>®</sup> 市占率；參考建議者假設，輕至中度病人年度出血次數 3 次，每次出血施打 50 IU/kg[10]，治療次數則調整為 1.5 次[16]。以此預估接受需求性治療患者第一年藥費約 98 萬元，第五年約 200 萬元。
  - D. 重大手術：考慮市占率後，假設嚴重型患者接受重大手術治療時，平均每人每次使用 800 IU/kg 凝血因子[14]，則第一年藥費約 26 萬元，第五年藥費約 67.5 萬元。
  - E. 年度藥費：第一年約 5,800 萬元，第五年約 1.71 億元。

## 財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

- (5) 本品年度藥費：
- A. 預防性治療：除常規的預防性治療外，另假設患者每年出血 1 次，每次出血施打 40 IU/kg，治療 1 次[17]，體重以 67 公斤計算，則第一年藥費約 5,900 萬元，第五年約 1.76 億元。
  - B. 需求性治療：參考建議者假設，每年出血 3 次，每次出血施打劑量及次數假設與預防性個案出血治療相同，體重以 67 公斤計算，第一年藥費約 110 萬元，第五年約 240 萬元。
  - C. 重大手術：調整體重為 67 公斤，考慮市占率後，第一年藥費約 7.8 萬元，第五年藥費約 21 萬元。
  - D. 年度藥費：第一年約 6,100 萬元，第五年約 1.78 億元。
- (6) 財務影響：第一年約 250 萬元，第五年約 720 萬元。
- (7) 敏感度分析及情境分析：
- A. 敏感度分析：假設嚴重型患者中，執行預防性治療比例為 60% 至 80%，則有部分重度患者將進行需求性治療。使用取代品進行需求性治療之重度病人，假設年度出血次數 30 次(臨床試驗中位數之中間值)，每次出血施打 50 IU/kg，施打 1.5 次[10, 16, 18]；使用本品進行需求性治療之重度病人，假設年度出血次數 15.58 次(臨床試驗中位數)，每次出血施打 40 IU/kg，施打 1 次[17]，則第一年用藥人數 10 人，第五年 30 人，第一年財務影響約節省 70 萬元，第五年約增加 350 萬元。
  - B. 情境分析 1：假設本品比照 Alprolix<sup>®</sup> 及 Idelvion<sup>®</sup> 限制用於預防性治療，則第一年用藥人數 9 人，第五年 27 人，第一年財務影響約 230 萬元，第五年約 690 萬元。
  - C. 情境分析 2：假設本品比照 Alprolix<sup>®</sup> 及 Idelvion<sup>®</sup> 限制用於預防性治療，且嚴重型患者中執行預防性治療比例為 60% 至 80%，則第一年用藥人數 5 人，第五年 21 人，第一年財務影響約 140 萬元，第五年約 560 萬元。

本案財務影響結果整理如表一。建議者與本報告之財務影響結果差異主要在於預防性治療部分，本報告選擇之取代品以及對本品市占率之假設不同，使得用藥人數及被取代品的藥費不同所致。

在真實世界中，使用不同凝血因子進行治療的我國患者，其預防性治療使用的劑量、頻率、遵醫囑性、年度出血次數及治療出血所需劑量是否與臨床試驗的結果相同尚未可知，具不確定性。

# 財團法人醫藥品查驗中心

## 醫療科技評估報告補充資料

表一、財務影響推估結果彙整

單位	分析項目	參數	用藥人數	財務影響	
建議者	基本分析	市占率： 預防性治療：30-86% 需求型治療：4-9% 重大手術率：1%	30~86 人	1,300 萬元至 4,200 萬元	
	敏感度分析	1	市占率： 預防性治療：32-90% 需求型治療：4-9% 重大手術率：1%	32~90 人	2,100 萬元至 6,600 萬元
		2	市占率： 預防性治療：29-83% 需求型治療：4-9% 重大手術率：1%	29~82 人	480 萬元至 1,800 萬元
本報告	基本分析	市占率： 預防性治療：10-29% 需求型治療：5-10%	12~33 人	250 萬元至 720 萬元	
	敏感度分析	嚴重型患者 60~80% 接受預防性治療	10~30 人	節省 70 萬元至增加 350 萬元	
	情境分析	1	僅用於預防性治療	9~27 人	230 萬元至 690 萬元
		2	僅用於預防性治療，且 嚴重型患者 60~80% 接受預防性治療	5~21 人	140 萬元至 560 萬元

### 健保署藥品專家諮詢會議後更新之財務影響評估

本案經 2020 年 10 月的健保署藥品專家諮詢會議討論，建議比照 Alprolix 及 Idelvion，限用於預防性治療，每周注射一次，每次 40IU/kg，同時核予每 IU 41.3 元，因此本報告據此重新進行財務影響評估。

參考建議者假設，嚴重型病人全部使用預防性治療，則用藥人數部分，第一年約 9 人，第五年約 27 人，本品年度藥費部分，第一年約 5,300 萬元，第五年約 1.57 億元，被取代品年度藥費部分，第一年約 5,690 萬元，第五年約 1.68 億元。財務影響部分，第一年約節省 380 萬元，第五年約節省 1,130 萬元。

考慮到本品市占率及嚴重型病人接受預防性治療比例具不確定性，故進行敏感度分析如下：

## 財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

1. 敏感度分析 1：參考建議者假設，本品市占率調高 5%，則用藥人數部分，第一年為 9 人，第五年 28 人；本品年度藥費部分，第一年約 5,570 萬元，第五年約 1.65 億元；被取代品年度藥費部分，第一年約 5,970 萬元，第五年約 1.77 億元；財務影響部分，第一年約節省 400 萬元，第五年約節省 1,190 萬元。
2. 敏感度分析 2：參考建議者假設，本品市占率調低 5%，則用藥人數部分，第一年為 9 人，第五年 25 人；本品年度藥費部分，第一年約 5,040 萬元，第五年約 1.49 億元；被取代品年度藥費部分，第一年約 5,400 萬元，第五年約 1.60 億元；財務影響部分，第一年約節省 360 萬元，第五年約節省 1,080 萬元。
3. 敏感度分析 3：假設嚴重型病人中，接受預防性治療比例在第一年約 60%，至第五年增加為 80%，則用藥人數部分，第一年為 5 人，第五年 21 人；本品年度藥費部分，第一年約 3,180 萬元，第五年約 1.26 億元；被取代品年度藥費部分，第一年約 3,410 萬元，第五年約 1.35 億元；財務影響部分，第一年約節省 230 萬元，第五年約節省 910 萬元。

更新後之財務影響結果彙整如表二。

表二、健保署藥品專家諮詢會議後更新之財務影響推估結果彙整

分析項目	參數	用藥人數 (第一年至第五年)	財務影響 (第一年至第五年)
基本分析	1. 嚴重型病人 100% 接受預防性治療 2. 市占率為 10% 至 29% (第一年至第五年)	9 至 27 人	節省 380 萬元至節省 1,130 萬元
敏感度分析	1 市占率調高 5%	9 至 28 人	節省 400 萬元至節省 1,190 萬元
	2 市占率調低 5%	9 至 25 人	節省 360 萬元至節省 1,080 萬元
	3 嚴重型病人接受預防性治療比例為 60% 至 80% (第一年至第五年)	5 至 21 人	節省 230 萬元至節省 910 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. 衛生福利部中央健康保險署. 全民健康保險重大傷病各疾病別有效領證統計表 (109 年 6 月)(109.7.17 更新). [https://www.nhi.gov.tw/Content\\_List.aspx?n=D529CAC4D8F8E77B&topn=23C660CAACAA159D](https://www.nhi.gov.tw/Content_List.aspx?n=D529CAC4D8F8E77B&topn=23C660CAACAA159D). Published 2020. Accessed Aug. 12th, 2020.
2. Methodology WCCfDS. ATC/DDD Index 2020. [https://www.whocc.no/atc\\_ddd\\_index/](https://www.whocc.no/atc_ddd_index/). Accessed Aug. 12th, 2020.
3. 衛生福利部中央健康保險署. 健保用藥品項查詢. <https://www.nhi.gov.tw/QueryN/Query1.aspx?n=FC660C5B07007373&sms=36A0BB334ECB4011&topn=3185A4DF68749BA9&upn=80567D1327F69CB9>. Accessed Aug. 12th, 2020.
4. 衛生福利部中央健康保險署. 全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬定藥品部分第 44 次(109 年 6 月)會議紀錄(109.7.9 新增). [https://www.nhi.gov.tw/Content\\_List.aspx?n=D1944794982A5A2C&topn=5FE8C9FEAE863B46](https://www.nhi.gov.tw/Content_List.aspx?n=D1944794982A5A2C&topn=5FE8C9FEAE863B46). Accessed Aug. 12th, 2020.
5. 衛生福利部統計處. 104 年度全民健康保險醫療統計年報. <https://dep.mohw.gov.tw/DOS/np-1918-113.html>. Accessed Aug. 10th, 2020.
6. Tu TC, Liou WS, Chou TY, et al. Prevalence, incidence, and factor concentrate usage trends of hemophiliacs in Taiwan. *Yonsei medical journal* 2013; 54(1): 71-80.
7. Lin WY, Wang JD, Tsan YT, et al. Comparison of Total Joint Replacement Rate Between Patients With Hemophilia A and Patients With Hemophilia B: A Population-Based and Retrospective Cohort Study. *Clinical and applied thrombosis/hemostasis : official journal of the International Academy of Clinical and Applied Thrombosis/Hemostasis* 2018; 24(9\_suppl): 163S-170S.
8. 衛生福利部全民健康保險署. 藥品給付規定 第四節 血液治療藥物 (109.07.22 更新). [https://www.nhi.gov.tw/Content\\_List.aspx?n=E70D4F1BD029DC37&topn=5FE8C9FEAE863B46](https://www.nhi.gov.tw/Content_List.aspx?n=E70D4F1BD029DC37&topn=5FE8C9FEAE863B46). Accessed Aug. 10th, 2020.
9. Knobe K, Berntorp E. Haemophilia and joint disease: pathophysiology, evaluation, and management. *Journal of comorbidity* 2011; 1: 51-59.
10. 衛生福利部中央健康保險署. 附表十八之三：全民健康保險一般型製劑及長效型製劑血友病患需要時治療之凝血因子建議劑量. [https://www.nhi.gov.tw/Content\\_List.aspx?n=E70D4F1BD029DC37&topn=5FE8C9FEAE863B46](https://www.nhi.gov.tw/Content_List.aspx?n=E70D4F1BD029DC37&topn=5FE8C9FEAE863B46). Accessed Aug 11th, 2020.

財團法人醫藥品查驗中心  
醫療科技評估報告補充資料

11. Escobar MA, Tehranchi R, Karim FA, et al. Low-factor consumption for major surgery in haemophilia B with long-acting recombinant glycoPEGylated factor IX. *Haemophilia : the official journal of the World Federation of Hemophilia* 2017; 23(1): 67-76.
12. 潘文涵. 國民營養健康狀況變遷調查 2013-2016 年成果報告. <https://www.hpa.gov.tw/Pages/Detail.aspx?nodeid=3999&pid=11145>. Accessed Aug. 12th, 2020.
13. Shih MY, Wang JD, Yin JD, Tsan YT, Chan WC. Differences in Major Bleeding Events Between Patients With Severe Hemophilia A and Hemophilia B: A Nationwide, Population-Based Cohort Study. *Clinical and applied thrombosis/hemostasis : official journal of the International Academy of Clinical and Applied Thrombosis/Hemostasis* 2019; 25: 1076029619888023.
14. Pasi KJ, Fischer K, Ragni M, et al. Long-term safety and efficacy of extended-interval prophylaxis with recombinant factor IX Fc fusion protein (rFIXFc) in subjects with haemophilia B. *Thrombosis and haemostasis* 2017; 117(3): 508-518.
15. Santagostino E, Martinowitz U, Lissitchkov T, et al. Long-acting recombinant coagulation factor IX albumin fusion protein (rIX-FP) in hemophilia B: results of a phase 3 trial. *Blood* 2016; 127(14): 1761-1769.
16. 立速止基因工程第九因子注射劑仿單. <https://info.fda.gov.tw/mlms/H0001D.aspx?Type=Lic&LicId=60000970>. Accessed Aug. 11th, 2020.
17. Collins PW, Young G, Knobe K, et al. Recombinant long-acting glycoPEGylated factor IX in hemophilia B: a multinational randomized phase 3 trial. *Blood* 2014; 124(26): 3880-3886.
18. 賓適凝第九凝血因子凍晶注射劑仿單. <https://info.fda.gov.tw/mlms/H0001D.aspx?Type=Lic&LicId=10000608>. Accessed Aug. 11th, 2020.

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

### 附錄一 經濟評估文獻搜尋紀錄

資料庫	查詢日期	關鍵字	篇數	篩選後篇數
PubMed	2020.08.12	#1. Hemophilia B #2. Refixia #3. nonacog beta pegol #4. (Cost-effectiveness analysis) OR (cost-utility analysis) OR (cost-benefit analysis) OR (cost-minimization analysis)  #1 AND (#2 OR #3) AND #4	0	0
Embase	2020.08.12	#1. Hemophilia B #2. Refixia #3. nonacog beta pegol #4. (Cost-effectiveness analysis) OR (cost-utility analysis) OR (cost-benefit analysis) OR (cost-minimization analysis)  #1 AND (#2 OR #3) AND #4	1	0
Cochrane Library	2020.08.12	#1. Hemophilia B #2. Refixia #3. nonacog beta pegol #4. (Cost-effectiveness analysis) OR (cost-utility analysis) OR (cost-benefit analysis) OR (cost-minimization analysis)  #1 AND (#2 OR #3) AND #4	0	0