

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：Xeljanz Oral Solution

學名：tofacitinib

事由：

1. 有關輝瑞大藥廠股份有限公司(以下簡稱建議者)建議給付 Xeljanz[®](tofacitinib) 1mg/mL 口服液劑(以下簡稱本品)用於治療「2歲以上病人的活動性多關節型兒童特發性關節炎，病人先前需對 methotrexate 或其他疾病緩解型抗風溼藥物(DMARDs)無法產生適當治療反應或無法耐受」一案，前經民國 113 年 2 月份藥品專家諮詢會議討論，會議結論為建議本品納入健保給付，並提出目標支付價格。
2. 建議者於 113 年 3 月提出調降本品建議價格並更新財務影響資料，爰此，衛生福利部中央健康保險署再次委託查驗中心評估財務影響，以供後續研議參考。
3. 本案後經 113 年 6 月藥品專家諮詢會議討論並建議納入給付，爰本報告依據會議結論更新財務影響推估。

完成時間：民國 113 年 8 月 5 日

評估結論

1. 建議者本次所提出之財務影響分析，主要調降本品建議價格，餘除將本品每人每年用量調整為同前次評估報告校正後之設定外，模型架構與參數設定均與先前相同；建議者預估本品納入給付後未來五年(民國 113 年至民國 117 年)本品使用人數為第一年 33 人至第五年 55 人，本品年度藥費約為第一年 987 萬元至第五年 1,645 萬元，財務影響約為第一年 110 萬元至第五年 177 萬元。
2. 對於建議者財務影響推估之評論，於前次評估報告已有詳細說明，本報告同前次推估方式以健保資料庫中已使用生物製劑之 2 至 17 歲 JIA 病人數校正目標族群人數，並更新以 adalimumab 及 etanercept 於民國 113 年 4 月起生效之健保價計算取代藥費，以及更新推估年度。以建議者本次調降之本品建議價格重新試算，推估未來五年(民國 114 年至民國 118 年)本品使用人數為第一年 28 人至第五年 63 人，本品年度藥費約為第一年 837 萬元至第五年 1,884 萬元，財務影響約為第一年 90 萬元至第五年 203 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 113 年 6 月藥品專家諮詢會議討論，會議建議納入健保給付用於治療兩歲以上活動性多關節型兒童特發性關節炎。本報告依據會議建議之支付價更新財務影響推估，預估未來五年本品使用人數為第一年 28 人至第五年 63 人，本品年度藥費約為第一年 751 萬元至第五年 1,689 萬元，扣除取代藥費後，財務影響約為第一年 3.8 萬元至第五年 8.6 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

有關輝瑞大藥廠股份有限公司（以下簡稱建議者）前於 2023 年 10 月向衛生福利部中央健康保險署（以下簡稱健保署）建議將 Xeljanz® (tofacitinib) 1mg/mL 口服液劑（以下簡稱本品）納入健保給付用於「2 歲以上病人的活動性多關節型兒童特發性關節炎（pcJIA），病人先前需對 methotrexate 或其他疾病緩解型抗風溼藥物（DMARDs）無法產生適當治療反應或無法耐受」之建議案，財團法人醫藥品查驗中心（以下簡稱查驗中心）受健保署委託已於同年 12 月完成醫療科技評估報告；案經 2024 年 2 月份藥品專家諮詢會議討論，會議結論為建議納入給付，並提出目標支付價格請健保署與建議者議價。

本案為建議者於 2024 年 3 月提出調降本品建議價格，並更新其財務影響分析資料。因此，健保署函請查驗中心針對建議者提出之資料再次進行財務影響評估，以供後續研議參考。

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

(一) 建議者之推估

建議者本次推估未來五年本品使用人數為第一年 33 人至第五年 55 人，本品年度藥費約為第一年 987 萬元至第五年 1,645 萬元，對健保財務影響約第一年 110 萬元至第五年 177 萬元。因本次建議者僅調降本品建議支付價，除調整本品每人每年用量外，其餘推估邏輯與假設皆與前次相同，故本報告不贅述推估細節，僅簡述推估過程如後：

1. 臨床地位

建議者認為若本品用於治療活動性多關節型 JIA 病人且需符合給付條件中限縮之亞型包含全身性、多發性關節炎及擴散型嚴重少數關節炎，將取代目前健保已給付之 adalimumab、etanercept 及 tocilizumab，對健保而言屬於取代關係。

2. 目標族群人數推估

建議者參考國內研究推估我國 2024 年至 2028 年 JIA 盛行率，結合國發會 2 至 16 歲人口中推估資料估計 JIA 病人數。接續，根據國內研究假設 41.1% 之 JIA 病人符合給付條件限縮之亞型，並參考臨床專家意見假設其中 80% 病人會接受充分標準療法治療，且 80% 將於接受標準療法後治療失敗，全數標準療法治療失敗者皆會接受生物製劑治療，根據上述假設推估未來五年目標族群人數為第一年 548 人至第五年 547 人。

3. 本品使用人數推估

建議者依內部設定之市占率，預估本品未來五年使用人數為第一年 33 人至第五年 55 人。

4. 本品年度藥費推估

本次建議者將本品每人每年用量由前次設定之 13.3 瓶調整為 14 瓶，與前次醫療科技評估報告校正後之本品用量一致；以本次調降的建議支付價格推估本品年度藥費為第一年 987 萬元至第五年 1,645 萬元。

5. 被取代品藥費推估

建議者參考臨床專家意見假設被取代品市占率為 adalimumab 70%、etanercept 20% 及 tocilizumab 10%，並以研發藥為基礎計算被取代品藥費。根據仿單建議用

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

法用量，建議者假設 adalimumab 每次須開立一支、每兩週注射一次，以更新前健保支付價 10,000 元計算每人每年藥費約為 26 萬元。Etanercept 部分建議者以我國 16 歲平均體重 60 公斤計算單次最高使用劑量，假設每週注射兩次每次須開立 25mg 規格一支，依更新前健保支付價 3,246 元計算每人每年藥費約為 34 萬元。Tocilizumab 部分建議者以仿單中多關節性幼年型原發性關節炎的用法用量為基礎，參考國內研究資料 JIA 病人平均發病年齡範圍分布，並對照衛福部統計處公告之我國各年齡平均體重，據此計算 30 公斤（仿單體重切點）以上及以下之病人占比及加權平均體重，假設每四週靜脈輸注一次每次平均約須使用 4 支，依現行健保支付價 3,613 元計算每人每年藥費約為 19 萬元。建議者根據市占率計算每人每年加權平均藥費約為 26.8 萬元，以此推估未來五年被取代品藥費約為第一年 877 萬元至第五年 1,468 萬元。

6. 財務影響

建議者預估本品納入給付後，未來五年對健保的財務影響約為第一年 110 萬元至第五年 177 萬元。

(二) 本報告之評論及校正

針對建議者之財務影響推估，前次醫療科技評估報告已有詳細評論，本次僅依重新提交之建議支付價格及被取代品現行健保支付價更新推估，另更新推估年度為 2025 年至 2029 年。本報告針對建議者之財務影響分析評論如後：

1. 臨床地位

經檢視本品建議給付規定及現行藥品給付規定，本報告認為建議者設定本品將取代 adalimumab、etanercept 及 tocilizumab 之市場，對健保而言屬於取代關係為合理。

2. 目標族群人數推估

考量建議者用以推估我國 JIA 盛行率之數據資料年代較為久遠，又逐層推估目標族群人數可能會增加結果的不確定性，本報告改為直接分析健保資料庫中 JIA 病人之 adalimumab、etanercept 及 tocilizumab 用藥人數，並以複合成長率進行推估。此外，本報告根據現行藥品給付規定之年齡規範將目標族群年齡由建議者設定之 2 至 16 歲調整為 2 至 17 歲，另考量本案審議時間，將起始年調整為 2025 年（第一年）。綜上，本報告推估未來五年符合給付條件亞型之 JIA 病人接受標準療法充分治療後失敗，仍符合活動性多關節炎標準且接受生物製劑治療病人數約為第一年 463 人至第五年 629 人。

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

3. 本品使用人數推估

根據臨床專家意見，現有皮下注射藥物 adalimumab 及 etanercept 快速有效且臨床上未有顯著排斥針劑情形，另考量過去用藥習慣，改用本品之機率應不致太高，故本報告認為建議者設定本品市占率最高 10% 為可接受。考量本品市占率具較大不確定性，本報告另參考專家意見進行敏感度分析。結合前述估計之目標族群人數，推估未來五年本品使用人數為第一年 28 人至第五年 63 人。

4. 本品年度藥費推估

本報告認為建議者本次設定之本品每人每年平均用量同前次醫療科技評估報告校正後之設定為合理。以本次建議支付價格推估每人每年藥費約為 30 萬元，未來五年本品年度藥費約為第一年 837 萬元至第五年 1,884 萬元。

5. 被取代品藥費推估

本報告透過健保資料庫分析驗證建議者被取代品市占率設定應屬合理，且 JIA 病人未有使用生物相似性藥品情形，故亦以研發廠藥為基礎進行推估。本報告認為建議者之 Humira (adalimumab) 用量預估為合理，惟其健保支付價已於 2024 年 4 月起調整為 9,768 元，故本報告據此更新 adalimumab 每人每年藥費約為 25 萬元。Enbrel (etanercept) 部分，本報告以健保資料庫分析 25mg 及 50mg 規格使用比例約為 83.5% 及 16.5%，但建議者僅以每周開立兩支 25mg 情形推估，故本報告另假設每周開立一支 50mg，依使用比例及 2024 年 4 月起生效之健保支付價 25mg 3,174 元及 50mg 6,339 元，推估 etanercept 每人每年藥費約為 33 萬元。Actemra (tocilizumab) 部分，本報告亦透過健保資料庫分析 80mg 及 200mg 規格使用比例約為 58.8% 及 41.2%，另考量建議者引用國內研究資料來源為單一醫院體系之外推性疑慮，故本報告調整為直接分析健保資料庫中 2018 年至 2022 年 JIA 病人資料，依據我國各年齡平均體重數據，以仿單體重切點對應之年齡分析適用不同劑量標準之病人比例並計算加權平均體重，推估每人每次平均約需使用 80mg 5 支或 200mg 2 支，依使用比例及健保支付價 80mg 3,613 元及 200mg 8,567 元計算 tocilizumab 每人每年藥費約 23 萬元。依市占率估計被取代品每人每年加權平均藥費約為 26.7 萬元，被取代品藥費約為第一年 747 萬元至第五年 1,681 萬元。

6. 財務影響

本報告預估於 2025 年至 2029 年，本品納入給付後對健保的財務影響約為第一年 90 萬元至第五年 203 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

7. 敏感度分析

本報告針對較具不確定性之本品市占率進行敏感度分析，結果整理如後表。

本品市占率	分析結果	
基礎分析	本品使用人數	第一年 28 人至第五年 63 人
	本品年度藥費	第一年 837 萬元至第五年 1,884 萬元
	可被取代的年度藥費	第一年 747 萬元至第五年 1,681 萬元
	財務影響	第一年 90 萬元至第五年 203 萬元
高推估 (市占率+5%)	本品使用人數	第一年 51 人至第五年 94 人
	本品年度藥費	第一年 1,525 萬元至第五年 2,811 萬元
	可被取代的年度藥費	第一年 1,361 萬元至第五年 2,508 萬元
	財務影響	第一年 164 萬元至第五年 303 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 2024 年 6 月藥品專家諮詢會議討論，會議建議納入健保給付用於治療兩歲以上活動性多關節型兒童特發性關節炎。本報告依據會議建議之支付價更新財務影響推估，預估未來五年本品使用人數為第一年 28 人至第五年 63 人，本品年度藥費約為第一年 751 萬元至第五年 1,689 萬元，扣除取代藥費後，財務影響約為第一年 3.8 萬元至第五年 8.6 萬元。