

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

學名：Nonacog beta pegol

事由：

1. 有關台灣諾和諾德藥品股份有限公司提出含 nonacog beta pegol 成分藥品（如 Refixia）擴增給付用於「12 歲(含)以下 B 型血友病患」建議案，財團法人醫藥品查驗中心（以下簡稱查驗中心）於民國 113 年 3 月受衛生福利部中央健康保險署委託辦理醫療科技評估，以供後續研擬參考。
2. 本報告依民國 113 年 7 月健保署藥品專家諮詢會議結論，更新財務影響推估結果。

完成時間：民國 113 年 12 月 12 日

評估結論

一、醫療倫理

本案無系統性之相關醫療倫理資訊可供參考。為彌補不足之處，本報告彙整自衛生福利部中央健康保險署《新藥及新材材病友意見分享平台》所收集到之我國病友意見，摘要如下：

1. 截至 113 年 12 月 1 日為止，共收集到 2 筆意見；1 筆未提供意見內文，另 1 筆是由照顧者提供。
2. 在本品使用經驗方面，病童透過臨床試驗取得本案藥品作為預防性治療，至今已超過 3 年。照顧者表示本品為長效藥物，預防性效果好，可有效維持凝血因子濃度，進而減少往返醫院時間、大幅出血機率，病童之外觀不像以往容易有顯見之瘀血狀況，用藥後可提升就學情形且得以穩定維持運動。
3. 在醫療現況方面，病童目前接受本案藥品治療。
4. 生活品質方面，出血時的疼痛影響病童情緒與睡眠，且瘀青常引人關注或質疑原因，導致老師與同儕感到害怕，影響病童自信與社交，造成病人有創傷後壓力反應。其次，症狀亦會影響其他醫療情形與影響生活，例如注射疫苗造成出險，而被迫需休息。照顧者為了增加病童併發症後續預後，而耗費資源、精力提供病童職能等專業治療，甚至辭去工作，嚴重影響生活品質。
5. 對新治療期待方面，照護者表示目前為自費治療，期待健保儘快納入給付。

二、財務影響

6. 建議者本次建議本品擴增給付於 12 歲(含)以下 B 型血友病（先天性第九凝血因子缺乏）病人，預估未來五年(民國 114 年至民國 118 年)本品使用人數為第一年 3 人至第五年 8 人（於預防性治療為第一年 1 人至第五年 3 人；於突發性出血治

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

療用藥人數為第一年 2 人至第五年 5 人)，本品年度藥費為第一年 360 萬元至第五年 950 萬元(於預防性治療年度藥費約為第一年 250 萬元至第五年 740 萬元；於突發性出血治療年度藥費約為第一年 110 萬元至第五年 210 萬元)，在新情境扣除原情境年度藥費後，預估本品擴增給付後對健保藥費財務影響為第一年節省 100 萬元至第五年節省 160 萬元。

7. 本報告認為建議者估算財務影響架構合理且清楚，其引用部分參數之年度距今約有一定時間，可能相關參數無法反應現今臨床治療現況，故本報告改依健保資料庫分析結果及臨床專家意見等進行校正 (1) 治療型態比例 (2) 12 歲(含)以下 B 型血友病族群佔比及 (3) 各藥品之市佔率；除此，在突發性出血治療次數上，本報告考量仿單之臨床試驗數據用藥配合度應比真實世界數據佳，因此 ABR 中位數改採查驗中心相關之評估報告中，以民國 109 年健保資料庫、血友病人在家治療紀錄表登錄資料庫以及重大傷病檔數據分析結果進行調整長效製劑 ABR 中位數為 2.5 次、短效為 3.7 次。
8. 本報告校正上述參數後，預估未來五年(民國 114 年至民國 118 年)本品使用人數為第一年 3 人至第五年 6 人 (於預防性治療為第一年 1 人至第五年 3 人；於突發性出血治療用藥人數為第一年 2 人至第五年 3 人)，本品年度藥費為第一年 370 萬元至第五年 910 萬元 (於預防性治療年度藥費約為第一年 260 萬元至第五年 770 萬元；於突發性出血治療年度藥費約為第一年 110 萬元至第五年 150 萬元)，在新情境扣除原情境年度藥費後，預估本品擴增給付後對健保藥費財務影響約為第一年節省 70 萬元至第五年節省 100 萬元。

健保署藥品專家諮詢會議後更新財務影響推估

本案經民國 113 年 7 月健保署藥品專家諮詢會議討論並建議擴增給付，另請健保署與建議者進行價格協商。本報告依協商後之本品建議支付價更新財務影響結果，預估未來五年本品使用人數為第一年 3 人至第五年 6 人 (於預防性治療為第一年 1 人至第五年 3 人；於突發性出血治療用藥人數為第一年 2 人至第五年 3 人)，本品年度藥費為第一年 360 萬元至第五年 890 萬元 (於預防性治療的年度藥費約為第一年 250 萬元至第五年 750 萬元；於突發性出血治療的年度藥費約為第一年 110 萬元至第五年 140 萬元)，在新情境年度藥費扣除原情境年度藥費後，預估本品擴增給付後，對健保藥費財務影響約為第一年節省 70 萬元至第五年節省 120 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

本案申請藥品諾和第九因子注射劑 (Refixia[®]) 為含 nonacog beta pegol 成分藥品 (以下簡稱本品) 於我國許可適應症為「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」, 已於 2021 年 3 月 1 日起納入健保給付, 適用於「12 歲以上嚴重 B 型且無抗體之血友病病人的預防性治療 (primary prophylaxis)」, 並於 2023 年 5 月 1 日起擴增於「12 歲以上 B 型血友病病人的突發性出血治療 (episodic therapy)」。

衛生福利部食品藥物管理署於 2023 年 8 月核准本品適用於「12 歲(含)以下 B 型血友病患」, 本品之藥品許可證持有廠商為台灣諾和諾德藥品股份有限公司 (以下簡稱建議者) 於 2024 年 2 月向衛生福利部中央健康保險署 (以下簡稱健保署) 建議擴增給付於 12 歲(含)以下 B 型血友病患, 建議修訂之給付規定與現行給付規定比較詳如表一。

財團法人醫藥品查驗中心 (以下簡稱查驗中心) 於 2024 年 3 月針對建議者建議擴增給付範圍進行財務影響評估, 以利後續研擬參考。

表一、Refixia[®] 現行健保給付規定與本次建議修訂之內容比較表

建議修訂給付規定	原給付規定
4.2.3. 第八、第九凝血因子製劑 1.(略) 2. 用於 A 型或 B 型無抗體存在之血友病人： (1) 突發性出血治療 (episodic therapy)：(略) (2) 預防性治療：限嚴重型(VIII:C 小於 1%)血友病病人。 I. 嚴重 A 型血友病病人：(略) II. 嚴重 B 型血友病病人： i. Idelvion：(略) ii. Alprolix：(略) iii. Refixia：每週注射一次，每次 40 IU/kg。 (110/3/1、111/1/1、113/O/O) iv. 其他製劑：(略) III. ~IV.(略) (3) Idelvion 限用於預防性治療。 3.(略)	4.2.3. 第八、第九凝血因子製劑 1.(略) 2. 用於 A 型或 B 型無抗體存在之血友病人： (1) 突發性出血治療 (episodic therapy)：(略) (2) 預防性治療：限嚴重型(VIII:C 小於 1%)血友病病人。 I. 嚴重 A 型血友病病人：(略) II. 嚴重 B 型血友病病人： i. Idelvion：(略) ii. Alprolix：(略) iii. Refixia：用於 12 歲以上之病患，每週注射一次，每次 40 IU/kg。(110/3/1、111/1/1) iv. 其他製劑：(略) III. ~IV.(略) (3) Idelvion 限用於預防性治療。 3.(略)

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) 疾病負擔

血友病為凝血因子缺乏而使出血時間延長的一種疾病，常見的血友病有 A 型及 B 型，B 型血友病是因第九凝血因子蛋白（Factor IX）的缺乏或不正常所導致。根據全民健康保險重大傷病證明有效領證統計表[1]，截至 2023 年 12 月，先天性凝血因子異常（血友病）重大傷病卡有效領證人數為 1,808 人，包含遺傳性第 VIII 凝血因子缺乏症、遺傳性第 IX 凝血因子缺乏症、遺傳性第 XI 凝血因子缺乏症及其他凝血因子缺乏症，其中遺傳性第 IX 凝血因子缺乏症為 193 名，佔先天性凝血因子異常的 11% 左右。

(二) 財務影響

建議者本次建議本品擴增給付於 12 歲(含)以下 B 型血友病（先天性第九凝血因子缺乏）病人，預估未來五年(2025 年至 2029 年)本品於預防性治療用藥人數為第一年 1 人至第五年 3 人，本品預防性治療年度藥費約為第一年 250 萬元至第五年 740 萬元；於突發性出血治療用藥人數為第一年 2 人至第五年 5 人，突發性出血治療年度藥費約為第一年 110 萬元至第五年 210 萬元；本品年度藥費共為第一年 360 萬元至第五年 950 萬元。

建議者採用之主要假設與理由如下：

1. 臨床地位

依據現行健保給付規範[2]，本品擴增於 12 歲(含)以下 B 型血友病病人後，建議者認為本品將取代原長、短效型第九凝血因子製劑，臨床地位為取代關係。

2. 目標族群人數推估

(1) B 型血友病人數

建議者參考 2020 年至 2023 年重大傷病各疾病別有效領證統計表[1]，以年複合成長率推估未來五年(2025 年至 2029 年)B 型血友病有效領證人數為第一年 200 人至第五年 213 人，再以查驗中心 2020 年發布 Alprolix 醫療科技評估報告補充資料[3]中第九凝血因子抗體濃度>5 B.U.比例，假設無產生抗體比例為 94.8% 接續以 Refixia 醫療科技評估報告補充資料[4]引用之醫療統計年報[5]，12 歲以下病人比例為 16.1%，估算未來五年 12 歲以下且無抗體之 B 型血友病人數為第一年 31 人至第五年 33 人。

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

(2) B 型血友病人數依嚴重程度

建議者參考 Refixia 醫療科技評估報告補充資料[4]與文獻[6]，設定 B 型血友病輕至中度比例為 39.4%、重度比例為 60.6%；重度 B 型血友病病人中接受預防性治療比例為 85%、僅接受需要時治療之比例則為 15%[4]，推估人數詳如後表：

B 型血友病嚴重度	12 歲(含)以下病人數	治療型態(治療率)	治療人數
輕至中度	12~13 人	需要時(100%)	12~13 人
重度	19~20 人	預防性(85%)+突破性出血	16~17 人
		需要時(15%)	3~3 人
總計	31~33 人		

3. 本品使用人數推估

建議者推估本品擴增給付至 12 歲(含)以下 B 型血友病族群後，本品在預防性治療重度 B 型血友病患者使用人數為第一年 1 人至第五年 3 人；在突發性出血治療重度患者中為第一年 1 人至第五年 1 人、輕至中度患者為第一年 1 人至第五年 4 人，總計使用人數為第一年 3 人至第五年 8 人，整體市占率為第一年 10% 至第五年 24%。

4. 原情境年度藥費推估

建議者推估原情境未來五年 12 歲以下 B 型血友病族群使用第九凝血因子的合計藥費約為第一年 5,090 萬元至第五年 5,480 萬元，其中預防性治療年度藥費約為第一年 4,160 萬元至第五年 4,560 萬元，突發性出血治療年度藥費則約為第一年 930 萬元至第五年 930 萬元。藥費推估細節如後：

(1) 預防性治療

建議者於治療藥費以各藥品用法用量[7-11]、健保支付價[12]等參數為估算基礎，在第九凝血因子每週注射次數，長效型假設為每週 1 次，短效型則參考 Alprolix 評估報告假設為每週 1.6 次[3]。預防性治療的突破性出血部分，依各藥品仿單試驗數據設定年度出血次數(Annualized bleeding rate, ABR)，分別為 Idelvion 2 次、Aprolix 1.09 次；短效型第九凝血因子為 2 次。

建議者另參考 2017 年至 2020 年衛福部統計處衛生類性別統計指標，設定≤12 歲族群之加權平均體重為 28 公斤[13]，並根據 2022 年健保特約醫療院所申報藥品醫令數情形[14]，推估未來五年長效型第九凝血因子使用人數為第一年 7 人至

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 12 人(第一年 43%至第五年 70%)，短效型第九凝血因子使用人數為第一年 9 人至第五年 5 人(第一年 57%至第五年 30%)。建議者預估未來五年預防性治療(含突破性出血)之年度藥費合計約為第一年 4,160 萬元至第五年 4,560 萬元。

(2) 突發性出血治療

建議者參考仿單假設重度病人使用短效型第九凝血因子之年度出血次數(Annualized bleeding rate, ABR)為 33 次[7]、長效型 ABR 為 15.58 次，另參考 Alprolix 評估報告假設輕至中度病人 ABR 為 6 次[3]。並以各藥品仿單之注射次數、回復率觀察值(Incremental recovery, IR)、設定第九凝血因子預期增加量為 50%，推估第九凝血因子所需劑量(IU/kg)。

長效型第九凝血因子 Idelvion 於目前健保給付規範中限用於預防性治療，因此不納入突發性出血治療之藥費計算，建議者推估未來五年重度病人使用長效型第九凝血因子作為突發性出血治療之使用人數為第一年 2 人至第五年 3 人(第一年 66%至第五年 100%)，短效型第九凝血因子使用人數為第一年 1 人至第五年 0 人(第一年 33%至第五年 0%)。未來五年輕度至中度病人使用長效型第九凝血因子作為突發性出血治療之使用人數為第一年 3 人至第五年 8 人(第一年 25%至第五年 62%)，短效型第九凝血因子使用人數為第一年 9 人至第五年 5 人(第一年 75%至第五年 38%)。考量兒童血友病病患置換關節需求低，因此在計算中忽略大型手術藥費。

建議者預估未來五年重度 B 型血友病病人的突發性出血治療年度藥費約為第一年 450 萬元至第五年 360 萬元，輕至中度 B 型血友病病人年度藥費則約為第一年 480 萬元至第五年 560 萬元；總計突發性出血治療年度藥費約為第一年 930 萬元至第五年 930 萬元。

5. 新情境年度藥費推估

建議者推估本品擴增適應症後未來五年 12 歲以下 B 型血友病族群使用第九凝血因子的總藥費約為第一年 4,990 萬元至第五年 5,320 萬元，其中預防性治療年度藥費約為第一年 4,100 萬元至第五年 4,480 萬元，突發性出血治療年度藥費則約為第一年 880 萬元至第五年 840 萬元。藥費推估細節如後：

(1) 預防性治療

建議者假設相關參數(劑量、年度出血次數、第九凝血因子預期增加量、回復率等)皆與原情境相同，本品突破性出血年度出血次數使用五年 ABR 中位數 0.66。

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

本品擴增給付後，在 12 歲以下 B 型血友病族群使用長效型第九凝血因子比例較原情境增加，使用人數為第一年 7 人至第五年 14 人（其中本品未來五年使用人數為第一年 1 人至第五年 3 人），短效型第九凝血因子使用人數為第一年 9 人至第五年 3 人。建議者預估未來五年本品年度藥費為第一年 250 萬元至第五年 740 萬元；預防性治療(含突破性出血)年度藥費合計約為第一年 4,100 萬元至第五年 4,480 萬元。

(2) 突發性出血治療

同原情境相關參數設定，長效型第九凝血因子使用比例亦較原情境些微增加，未來五年重度病人使用長效型第九凝血因子作為突發性出血治療之使用人數為第一年 2 人至第五年 3 人（其中本品未來五年重度病人使用人數為第一年 1 人至第五年 1 人），短效型第九凝血因子使用人數為第一年 1 人至第五年 0 人。輕度至中度病人使用長效型第九凝血因子作為突發性出血治療之使用人數為第一年 4 人至第五年 10 人（其中本品使用人數為第一年 1 人至第五年 4 人），短效型第九凝血因子使用人數為第一年 8 人至第五年 3 人。

建議者預估在重度 B 型血友病病人的突發性出血治療之本品年度藥費約為每年約 80 萬元；在輕至中度治療之本品年度藥費為第一年 30 萬元至第五年 130 萬元，合計本品年度藥費為第一年 110 萬元至第五年 210 萬元。整體重度 B 型血友病病人的突發性出血治療年度藥費合計約為第一年 410 萬元至第五年 320 萬元，輕至中度 B 型血友病病人年度藥費則約為第一年 470 萬元至第五年 520 萬元；總計突發性出血治療年度藥費約為第一年 880 萬元至第五年 840 萬元。

6. 財務影響推估

建議者將新情境第九凝血因子藥費扣除原情境第九凝血因子藥費，推估本品擴增給付後之藥費財務影響約為第一年節省 100 萬元至第五年節省 160 萬元。

本報告認為建議者估算財務影響架構合理且清楚，針對建議者財務影響假設及估算評論如下：

1. 臨床地位

建議者認為本品擴增給付後在預防性治療預期將取代長效型第九凝血因子：Idelvion、Aprolix，及短效型第九凝血因子：Benefix、Rixubis；在突發性出血治療 (episodic therapy) 部分，則會取代 Aprolix、Benefix、Rixubis 之治療，臨床地位為取代關係，應屬合理。

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

建議者參考 2015 年全民健康保險醫療統計年報中「門診合計（包括急診）就診統計」資料顯示 12 歲以下病人比例[5]推估目標族群人數，本報告考量此參數統計年度距今已有一段時間，因此本報告分析 2021 年至 2023 年健保資料庫顯示 12 歲以下病人比例約 13%，故校正此參數後推估未來五年 12 歲(含)以下 B 型血友病人數為第一年 26 人至第五年 28 人。考量輕至中度與重度 B 型血友病在有抗體比例有所不同，本報告在此拆分計算：依 2020 年健保資料庫、血友病人在家治療紀錄表登錄資料庫以及重大傷病檔分析數據[15]，以申報繞徑藥物比例估算重度未有抗體者為 93.5%；輕、中度未有抗體者為 97.3%。

經諮詢臨床專家後，輕、中度患者比例維持約 40%，其中治療率減少至 80%；重度病患占整體約 60%，其中使用預防性治療比例調整為 80%，其餘 20%為僅使用需求性治療之患者。治療人數呈現如下表：

B 型血友病嚴重度	12 歲(含)以下病人數(無抗體)	治療型態(治療率)	治療人數
輕至中度	10~11 人	需要時(80%)	8~9 人
重度	16~17 人	預防性(80%)+突破性出血	12~13 人
		需要時(20%)	3~3 人
總計	23~25 人		

3. 本品使用人數推估

依照近年健保資料庫長、短效第九凝血因子用量做些微調整。本品擴增給付至 12 歲(含)以下 B 型血友病族群後，使用人數為第一年 3 人至第五年 6 人，整體市占率約為第一年 13%至第五年 24%。

4. 原情境年度藥費推估

年度藥費計算本報告同建議者之推估邏輯，分為預防性治療與突發性出血治療計算：

(1) 預防性治療

在預防性治療藥費部分，本報告同建議者採用相同推估邏輯。惟在突破性出血部分，考量仿單之臨床試驗數據用藥配合度應比真實世界數據佳，因此 ABR 中位數採查驗中心 2020 年健保資料庫、血友病人在家治療紀錄表登錄資料庫以及重大傷病檔數據分析[15]，長效製劑 ABR 中位數為 2.5 次、短效為 3.7 次。其

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

中，Idelvion 突破性出血之藥費使用短效品項 Benefix 藥費計算。

原情境藥品市占率部分，本報告分析 2017 年至 2023 年健保資料庫，在 12 歲(含)以下用藥品項中短效藥品比例逐年下降，因此以 20%作為短效型第九凝血因子使用比例。推估未來五年長效型第九凝血因子使用人數為第一年 10 人至第五年 10 人，短效型第九凝血因子使用人數為第一年 2 人至第五年 3 人。預估預防性治療(含突破性出血)年度藥費為第一年 3,260 萬元至第五年 3,530 萬元。

(2) 突發性出血治療

本報告經諮詢臨床專家，其表示在未接受預防性治療族群，其年度出血次數與個人因素有關，與使用長、短效藥物治療無關，故建議者根據使用長、短效藥物治療而採用不同 ABR 數值進行推估較不合理，因此本報告參考過去醫療科技評估報告及國外真實數據的文獻資料[3, 16]並經諮詢臨床專家後，將重度族群 ABR 中位數統一調整為一年 15.58 次出血；輕至中度族群維持建議者設定為 6 次。考量兒童血友病病患置換關節需求低，因此忽略大型手術藥費經專家諮詢後認定合理。

接續，本報告使用 2017 年至 2023 年健保資料庫數據調降短效第九凝血因子市占率比例，推估未來五年重度病人使用長效型第九凝血因子作為突發性出血治療之使用人數為第一年 2 人至第五年 3 人，短效型第九凝血因子使用人數為第一年 1 人至第五年 0 人。未來五年輕度至中度病人使用長效型第九凝血因子作為突發性出血治療之使用人數為第一年 5 人至第五年 6 人，短效型第九凝血因子使用人數為第一年 3 人至第五年 3 人。預估原情境之重度 B 型血友病病人的突發性出血治療年度藥費約為第一年 340 萬元至第五年 370 萬元，輕至中度 B 型血友病病人年度藥費約為第一年 350 萬元至第五年 400 萬元；總計突發性出血治療年度藥費約為第一年 690 萬元至第五年 760 萬元。原情境預防性治療與突發性出血治療年度藥費約為第一年 3,950 萬元至第五年 4,290 萬元。

5. 新情境年度藥費推估

計算邏輯與參數與原情境相同，本品納入 12 歲(含)以下 B 型血友病族群後，將取代原本長、短效第九凝血因子市場。

(1) 預防性治療

預防性治療部分，本品納入 12 歲(含)以下 B 型血友病族群後，長效型第九凝血因子使用人數為第一年 10 人至第五年 11 人，短效型第九凝血因子使用人數為第一年 2 人至第五年 2 人。其中，本品使用人數為第一年 1 人至第五年 3 人，

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

本品年度藥費為第一年 260 萬元至第五年 770 萬元。預估整體預防性治療(含突破性出血)年度藥費第一年 3,240 萬元至第五年 3,490 萬元。

(2) 突發性出血治療

新情境突發性出血治療中，重度患者突發性出血治療使用長效型第九凝血因子人數為第一年 2 人至第五年 3 人(其中本品使用人數約為每年 1 人)；短效型第九凝血因子使用人數為第一年 1 人至第五年 0 人。輕度至中度病人使用長效型第九凝血因子作為突發性出血治療之使用人數為第一年 6 人至第五年 7 人(其中使用本品人數為第一年 1 人至第五年 2 人)；短效型第九凝血因子使用人數為每年 2 人。

預估未來五年本品在重度 B 型血友病病人的突發性出血治療年度藥費約為每年 80 萬元，本品在輕至中度 B 型血友病病人的突發性出血治療年度藥費約為第一年 30 萬元至第五年 60 萬元，合計本品於突發性出血治療的年度藥費為第一年 110 萬元至第五年 150 萬元。

綜上，本報告推估整體重度患者於突發性出血治療年度藥費估計為第一年 300 萬元至第五年 330 萬元，輕至中度患者突發性出血治療年度藥費估計為第一年 340 萬元至第五年 370 萬元，總計突發性出血治療年度藥費約為第一年 640 萬元至第五年 700 萬元。

合併新情境預防性治療與突發性出血治療年度藥費約為第一年 3,880 萬元至第五年 4,190 萬元。其中，本品總使用人數為第一年 3 人至第五年 6 人，本品年度藥費為第一年 370 萬元至第五年 910 萬元。

6. 財務影響推估

本報告將新情境年度藥費扣除原情境年度藥費後，預估本品擴增給付範圍後之財務影響約為第一年節省 70 萬元至第五年節省 100 萬元。

健保署藥品專家諮詢會議後更新之財務影響推估

本案經 2024 年 7 月藥品專家諮詢會議討論，結論為建議擴增給付，另請健保署與建議者進行價格協商。爰此，本報告依協商後之本品建議支付價更新財務影響結果，預估未來五年本品使用人數為第一年 3 人至第五年 6 人(於預防性治療為第一年 1 人至第五年 3 人；於突發性出血治療用藥人數為第一年 2 人至第五年 3 人)，本品年度藥費為第一年 360 萬元至第五年 890 萬元(於預防性治療年度藥費約為第一年 250 萬元至第五年 890 萬元；於突發性出血治療年度藥費約為

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

第一年 110 萬元至第五年 140 萬元); 在新情境年度藥費扣除原情境年度藥費後，
預估本品擴增給付後對健保藥費財務影響約為第一年節省 70 萬元至第五年節省
120 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. 重大傷病各疾病別有效領證統計表.
https://www3.nhi.gov.tw/Content_List.aspx?n=D529CAC4D8F8E77B&topn=23C660CAACAA159D. Published 2023. Accessed March 25, 2024.
2. 衛生福利部中央健康保險署. 藥品給付規定內容.
<https://www.nhi.gov.tw/ch/cp-7593-ad2a9-3397-1.html>. Published 2024.
Accessed March 20, 2024.
3. 財團法人醫藥品查驗中心. Alprolix 醫療科技評估報告補充資料.
<https://www.cde.org.tw/HTA/documents>. Published 2020. Accessed March 22, 2024.
4. 財團法人醫藥品查驗中心. Refixia 醫療科技評估報告補充資料.
<https://www.cde.org.tw/HTA/documents>. Published 2022. Accessed March 20, 2024.
5. 衛生福利部統計處. 全民健康保險醫療統計年報.
<https://dep.mohw.gov.tw/DOS/lp-5103-113.html>. Published 2015. Accessed March 29, 2024.
6. Tu TC, Liou WS, Chou TY, et al. Prevalence, incidence, and factor concentrate usage trends of hemophiliacs in Taiwan. *Yonsei Med J* 2013; 54(1): 71-80.
7. 賓凝適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>.
Published 2020. Accessed March 29, 2024.
8. 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>.
Published 2022. Accessed March 28, 2024.
9. 艾波利凍晶注射劑仿單.
<https://info.fda.gov.tw/MLMS/H0001D.aspx?Type=Lic&LicId=60001017>.
Published 2022. Accessed April 1, 2024.
10. 諾和第九因子注射劑仿單.
<https://info.fda.gov.tw/MLMS/H0001D.aspx?Type=Lic&LicId=60001131>.
Published 2023. Accessed March 29, 2024.
11. 愛必凝基因工程第九凝血因子注射劑仿單.
<https://info.fda.gov.tw/MLMS/H0001D.aspx?Type=Lic&LicId=60001060>.
Published 2023. Accessed April 1, 2024.
12. 衛生福利部中央健康保險署. 健保用藥品項網路查詢服務.
<https://info.nhi.gov.tw/INAE3000/INAE3000S01?type=1>. Published 2024.

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

- Accessed April 1, 2024.
13. 衛生福利部國民健康署. 國民營養健康狀況變遷調查成果報告 2017-2020 年. <https://www.hpa.gov.tw/EngPages/Detail.aspx?nodeid=3999&pid=15562>. Published 2022. Accessed April 1, 2024.
 14. 衛生福利部中央健康保險署. 111 年健保特約醫療院所申報藥品醫令數情形. <https://www.nhi.gov.tw/ch/dl-48926-386bcef15b814a0b9cbeac3648a19ed1-1.pdf>. Published 2023. Accessed April 1, 2024.
 15. 財團法人醫藥品查驗中心. 血友病各類治療型態之治療效益分析. <https://www.cde.org.tw/HTA/achievements>. Published 2021. Accessed March 29, 2024.
 16. Berntorp E, Dolan G, Hay C, et al. European retrospective study of real-life haemophilia treatment. *Haemophilia* 2017; 23(1): 105-114.