

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：Venclexta

學名：venetoclax

事由：

1. 有關瑞士商艾伯維藥品有限公司台灣分公司（以下簡稱建議者）建議給付 Venclexta[®]（venetoclax）於併用 azacitidine 使用於無法接受高強度化學治療之初診斷急性骨髓性白血病（AML）病人一案，經民國 113 年 6 月及民國 113 年 8 月藥品專家諮詢會議討論。
2. 本次建議者就藥品專家諮詢會議之建議，重新提出建議健保給付規定及新財務方案，並更新財務影響推估。爰此，衛生福利部中央健康保險署於民國 113 年 10 月再次委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。
3. 本案後經民國 114 年 2 月藥品專家諮詢會議討論，本報告依據會議結論更新財務影響推估。

完成時間：民國 114 年 6 月 16 日

評估結論

- 一、建議者推估擴增 VEN, AZA 合併治療後，未來五年 VEN, AZA 合併治療使用到 6 個療程數之使用人數為第一年 125 人至第五年 153 人，由於本品於擴增給付後使用量無增加，故推估本品無新增年度藥費；合併 azacitidine 新增年度藥費為第一年 0.18 億元至第五年 0.22 億元，對健保總額影響為第一年 0.18 億元至第五年 0.22 億元。
- 二、本報告考量臨床地位設定，認為建議者在目標人數設定及推估 VEN, AZA 合併治療使用人數使用參數有誤，經考量現行給付治療後調整目標人數及使用人數推估；在計算合併 azacitidine 藥費及被取代藥費中，建議者設定之用法用量與其設定臨床地位不符，故可能低估 azacitidine 藥費。
- 三、本報告考量臨床地位設定，調整目標人數推估及 VEN, AZA 合併治療使用人數及藥費推估等參數後，推估擴增給付後本品新增年度藥費為第一年 150 萬元至第五年 190 萬元、合併 azacitidine 年度藥費為第一年 1.74 億元至第五年 2.10 億元，扣除被取代藥費為第一年 340 萬元至第五年 410 萬元後，對財務影響為第一年 1.72 億元至第五年 2.08 億元。

健保署藥品專家諮詢會議後更新之財務影響評估

本案經民國 114 年 2 月藥品專家諮詢會議討論，本報告依據會議結論更新財務影響，預估擴增給付規定後本品治療組合使用人數為第一年 189 人至第五年 230 人，本品年度藥費為第一年 150 萬元至第五年 190 萬元，合併 azacitidine 年度藥費為第一年 0.66 億元至第五年 0.80 億元，扣除被取代藥費為第一年 340 萬元至第五年 410 萬元後，對財務影響為第一年 0.64 億元至第五年 0.78 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

一、背景

瑞士商艾伯維藥品有限公司台灣分公司（以下簡稱建議者）前於 2024 年 3 月建議擴增給付 Venclexta[®]（成分為 venetoclax，以下簡稱本品）用法，建議併用 azacitidine 於無法接受高強度化學治療之初診斷急性骨髓性白血病（AML）病人。該案後經財團法人醫藥品查驗中心（以下簡稱查驗中心）於同年 4 月完成醫療科技評估報告，於同年 6 月及 8 月藥品專家諮詢會議提案討論。

建議者於 2024 年 10 月函文衛生福利部中央健康保險署（以下簡稱健保署）提出申覆，依 2024 年 6 月及 8 月藥品專家諮詢會議建議內容，修訂本品之健保給付規定內容（詳如表一），更新財務影響評估並提出新協議方案。對此，健保署於 2024 年 10 月函請查驗中心就更新之財務影響提供相關評估意見，以供後續研議參考。

表一、建議者提出之建議健保給付規定

本次更新之建議健保給付規定	原給付規定
9.71.Venetoclax (如 Venclexta)： 1. (略) 2.併用低劑量 cytarabine 或 azacitidine(限使用 Andason)，使用於無法接受高強度化學治療之初診斷急性骨髓性白血病(AML)病人： (1)需具有下列 I.或 II.的條件之一： I.75 歲以上。 II.18 歲以上但未滿 75 歲時，需 ECOG performance status 為 2 或 3，且符合下列任一條件者： A.具有心臟衰竭治療病史，且 left ventricle ejection fraction (LVEF)<50%。 B.具慢性肺部疾病史，且 DLCO <65%。 C.具肝功能異常：Bilirubin level 在 1.5-3.0 倍正常值間。 (2)需未曾因骨髓化生不良症候群 (myelodysplastic syndrome, MDS)接	9.71.Venetoclax (如 Venclexta)： 1. (略) 2.併用低劑量 cytarabine，使用於無法接受高強度化學治療之初診斷急性骨髓性白血病(AML)病人： (1)需具有下列 I.或 II.的條件之一： I.75 歲以上。 II.18 歲以上但未滿 75 歲時，需 ECOG performance status 為 2 或 3，且符合下列任一條件者： A.具有心臟衰竭治療病史，且 left ventricle ejection fraction (LVEF)<50%。 B.具慢性肺部疾病史，且 DLCO <65%。 C.具肝功能異常：Bilirubin level 在 1.5-3.0 倍正常值間。 (2)需未曾因骨髓化生不良症候群 (myelodysplastic syndrome, MDS)接受過 azacitidine 治療者。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

受過 azacitidine 治療者。 (3)需經事前審查核准後使用，每 2 個療程需再次申請；再次申請時需檢附療效評估資料，若病情惡化應即停止使用。 (4)<u>若併用低劑量 cytarabine</u>，每日至多處方 6 粒，最多給付 4 個療程。<u>若併用 azacitidine 治療，每日至多處方 4 粒，最多給付 6 個療程。(○/○/1)</u>	(3)需經事前審查核准後使用，每 2 個療程需再次申請；再次申請時需檢附療效評估資料，若病情惡化應即停止使用。 (4)每日至多處方 6 粒，最多給付 4 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

(一) 建議者推估

建議者建議 venetoclax, azacitidine 合併治療(以下簡稱 VEN, AZA 合併治療) 於無法接受高強度化學治療之初診斷急性骨髓性白血病 (AML) 成人病人, 且最多給付 6 個療程數。根據建議者本次送件資料, 建議者推估未來五年 (2025 年至 2029 年) 擴增給付後 VEN, AZA 合併治療使用人數為第一年 125 人至第五年 153 人。建議者考量 venetoclax (以下簡稱本品) 由現行併用低劑量 cytarabine 之最多給付 4 個療程、每日處方 6 粒, 擴增給付後併用 azacitidine 為最多給付 6 個療程、每日處方 4 粒, 本品在擴增給付後不會增加額外使用量, 另外, 推估合併使用 azacitidine 由 4 個療程數擴增至 6 個療程數之財務影響, 估計 azacitidine 新增年度藥費為第一年 0.18 億元至第五年 0.22 億元, 對健保總額影響為第一年 0.18 億元至第五年 0.22 億元。建議者之推估內容分述如後:

1. 臨床地位設定

由於本次建議者未檢附臨床地位說明, 故本報告參考建議者本次檢附資料及 Excel 檔案內容說明, 推估建議者設定為 VEN, AZA 合併治療取代現行 venetoclax, 低劑量 cytarabine 合併治療 (以下簡稱 VEN, LDAC 合併治療)。

2. 目標族群人數推估

由於本次建議者未檢附目標族群人數說明, 故本報告參考建議者檢附 excel 資料推估可能設定為使用 VEN, AZA 合併治療人數。建議者參考過去已評估之 Venclexta® 醫療科技評估報告, 以健保資料庫中診斷 AML 且使用 venetoclax, 低劑量 cytarabine 合併治療 (以下簡稱 VEN, LDAC 合併治療) 病人數及對數模型推估未來五年無法接受高強度化學治療 AML 人數; 接續, 建議者同樣參考過去已評估之 Venclexta® 醫療科技評估報告之市占率設定其中 75% 病人數會接受 VEN, AZA 合併治療, 故推估未來五年使用 VEN, AZA 合併治療人數為第一年 189 人至第五年 230 人。

3. VEN, AZA 合併治療使用人數推估

建議者考量給付規定中若疾病惡化應停止使用之條件, 故根據第三期臨床試驗結果中完全緩解比例或完全緩解伴隨血球數尚未完全恢復正常 (complete remission/ complete remission with incomplete hematologic recovery, CR/CRi) 比例為 66.4%, 估計每年約有 66.4% 病人會使用到第五及第六個療程, 進一步推估擴增給付後使用到 6 個療程數使用人數為第一年 125 人至第五年 153 人。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

4. VEN, AZA 合併治療新增藥費推估

建議者考量本品給付規定，認為本品由現行 VEN, LDAC 合併治療之最多給付 4 個療程、每日處方 6 粒，擴增給付後 VEN, AZA 合併治療之最多給付 6 個療程、每日處方 4 粒，推估在擴增給付後本品使用量不變，故本品無新增年度藥費。

建議者設定 azacitidine 用法用量在每療程第一到第七天注射給予 75 mg/m²，估計每療程使用 14 瓶，並以現行多數 azacitidine 之學名藥健保支付價 5,306 元計算。此外，根據建議者本次提供資料說明，建議者設定 azacitidine 為原情境給付 4 個療程、新情境給付 6 個療程，故建議者計算擴增 2 個療程數 azacitidine 新增年度藥費為第一年 0.18 億元至第五年 0.22 億元。綜上，VEN, AZA 合併治療新增年度藥費為第一年 0.18 億元至第五年 0.22 億元。

5. 被取代藥費推估

根據建議者本次送件資料，建議者未計算被取代年度藥費。

6. 財務影響推估

建議者推估擴增給付後對財務影響為第一年 0.18 億元至第五年 0.22 億元。

(二) 查驗中心評論與推估

本報告考量臨床地位設定，認為建議者在目標人數設定及推估 VEN, AZA 合併治療使用人數之設定參數有誤，經考量現行給付治療後調整目標人數及使用人數推估；在計算合併 azacitidine 藥費及被取代藥費中，建議者設定之用法用量與其設定臨床地位不符，故可能低估 azacitidine 藥費。本報告經調整目標人數、VEN, AZA 合併治療使用人數及藥費推估邏輯後，對建議者的推估評論如下：

1. 臨床地位設定

本報告經檢視給付規定，在無法接受高強度化學治療之 AML 中，現行給付治療選擇為 VEN, LDAC 合併治療，故擴增給付 VEN, AZA 合併治療後會取代 VEN, LDAC 合併治療，臨床地位為取代關係。

2. 目標族群人數推估

本報告考量臨床地位設定，調整目標族群設定為無法接受高強度化學治療 AML 人數。本報告以分析健保資料庫中診斷 AML 且使用 VEN, LDAC 合併治療病人數及對數模型，推估未來五年（2025 年至 2029 年）目標族群人數為第一年

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

252 人至第五年 306 人。

3. VEN, AZA 合併治療使用人數推估

建議者參考文獻中 CR/CRi 比例推估使用 6 個療程數之 VEN, AZA 合併治療使用人數。本報告考量此參數定義為整體病人療效指標，無法反映病人使用的療程數，故本報告延續前述目標族群設定且經諮詢專家意見後，設定擴增給付後目標族群中 VEN, AZA 合併治療及 VEN, LDAC 合併治療之占率分別為 75% 及 25%，故推估未來五年使用 VEN, AZA 合併治療人數為第一年 189 人至第五年 230 人。

4. VEN, AZA 合併治療藥費推估

建議者考量臨床使用，設定 VEN, AZA 合併治療療程數上限為 6 個，本報告經參考臨床試驗資料治療中位數及考量建議者提出建議給付上限，延用建議者設定為 6 個療程。在 azacitidine 藥費計算中，建議者擴增給付前用法用量設定為 4 個療程，與建議者設定的臨床地位不符，故本報告考量臨床地位後調整 azacitidine 藥費計算。此外，建議者在 azacitidine 中採以現行多數學名藥支付價計算藥費，本報告經分析健保資料庫 azacitidine 成分中各品項占率，調整為使用量最多 Vidaza® 現行支付價計算藥費。

綜上，本報告在本品用法用量上參考仿單建議用法用量，由原先 VEN, LDAC 合併治療中第一個療程第一日 100 mg、第二日 200 mg、第三日 400 mg、第四日及後續每日 600 mg，每療程 28 日、健保給付上限 4 個療程、共 661 粒，擴增至 VEN, AZA 合併治療中第一個療程第一日 100 mg、第二日 200 mg、第三日及後續每日 400 mg，每療程 28 日、建議者設定最多 6 個療程、共 667 粒，並以本品現行支付價推估，估計本品新增年度藥費為第一年 150 萬元至第五年 190 萬元。

在合併 azacitidine 中，本報告參考本品仿單建議，在每 28 天療程中第一日到第七日每日一次給予 75 mg/m²、建議者設定最多 6 個療程、共使用 84 支，並調整以使用量最高之 Vidaza® 的現行支付價推估，故估計 azacitidine 新增年度藥費為第一年 1.74 億元至第五年 2.10 億元。綜上，VEN, AZA 合併治療新增年度藥費為第一年 1.75 億元至第五年 2.12 億元。

5. 被取代藥費推估

在低劑量 cytarabine 用法用量中，本報告參考本品仿單建議，在每 28 天療程中第一日到第十日每日一次給予 20 mg/m²、健保給付上限 4 個療程、共 40 支，並以現行支付價推估，故估計被取代年度藥費為第一年 340 萬元至第五年 410 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

6. 財務影響推估

以 VEN, AZA 合併治療年度藥費扣除被取代年度藥費後，本報告推估擴增給付後未來五年財務影響為第一年 1.72 億元至第五年 2.08 億元。

7. 敏感度分析

本報告考量目標族群病人疾病進展及 VEN, AZA 合併治療之使用療程數恐有不確定性，故另以臨床試驗中整體存活期（overall survival）資料進行敏感度分析，以第六個月存活人數推估會使用 VEN, AZA 合併治療至六個療程之比例為 84.6%，故估計未來五年本品年度藥費為第一年 130 萬元至第五年 160 萬元，合併 azacitidine 年度藥費為第一年 1.47 億元至第五年 1.78 億元，扣除被取代藥費第一年 340 萬元至第五年 410 萬元，財務影響為第一年 1.45 億元至第五年 1.76 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

四、經濟評估結論

(一) 財務影響

1. 建議者推估擴增 VEN, AZA 合併治療後，未來五年（2025 年至 2029 年）VEN, AZA 合併治療使用到 6 個療程數之使用人數為第一年 125 人至第五年 153 人，由於本品於擴增給付後使用量無增加，故推估本品無新增年度藥費；合併 azacitidine 新增年度藥費為第一年 0.18 億元至第五年 0.22 億元，對健保總額影響為第一年 0.18 億元至第五年 0.22 億元。
2. 本報告考量臨床地位設定，調整目標人數推估及 VEN, AZA 合併治療使用人數及藥費推估等參數後，推估擴增給付後本品新增年度藥費為第一年 150 萬元至第五年 190 萬元、合併 azacitidine 年度藥費為第一年 1.74 億元至第五年 2.10 億元，扣除被取代年度藥費為第一年 340 萬元至第五年 410 萬元，對財務影響為第一年 1.72 億元至第五年 2.08 億元。

健保署藥品專家諮詢會議後更新之財務影響評估

本案經 2025 年 2 月藥品專家諮詢會議討論，調整以健保資料庫分析合併 azacitidine 成分各品項市占率與最新健保支付價後加權計算合併 azacitidine 年度藥費，並更新財務影響，預估擴增給付規定後本品治療組合使用人數為第一年 189 人至第五年 230 人，本品年度藥費為第一年 150 萬元至第五年 190 萬元，合併 azacitidine 年度藥費為第一年 0.66 億元至第五年 0.80 億元，扣除被取代藥費為第一年 340 萬元至第五年 410 萬元後，對財務影響為第一年 0.64 億元至第五年 0.78 億元。