

暫時性支付藥品再評估計畫書 審查重點



癌症新藥暫時性支付專款

癌症新藥暫時性支付專款作業原則

適用藥品

- ✓ 領有許可證，臨床療效**證據明確**但受**總額預算限制**尚未收載之癌症新藥或新適應症者。
- ✓ 其他經健保署認定有必要者。

財務控管

超支部分，由廠商按個別藥品超過當年度協議額度金額除以所有藥品超過當年度協議額度之金額加總之占率，攤還超出專款之金額。

效益評估

原則2至3年(最多不超過5年)，收載資料進行暫時性支付再評估

資訊公開

專款運用情形，依政府資訊公開法辦理。

預算來源、監督與管理、作業進度

▶ 預算來源

- (一) 行政院以**公務預算**挹注全民健康保險基金，指定用於「癌症新藥暫時性支付專款」。
- (二) **2025年**編列預算**50億元**

▶ 監督與管理

- (一) **年度剩餘款**繼續留存於全民健康保險基金**該項專款支用**
- (二) 訂定「**癌症新藥暫時性支付專款作業原則**」。

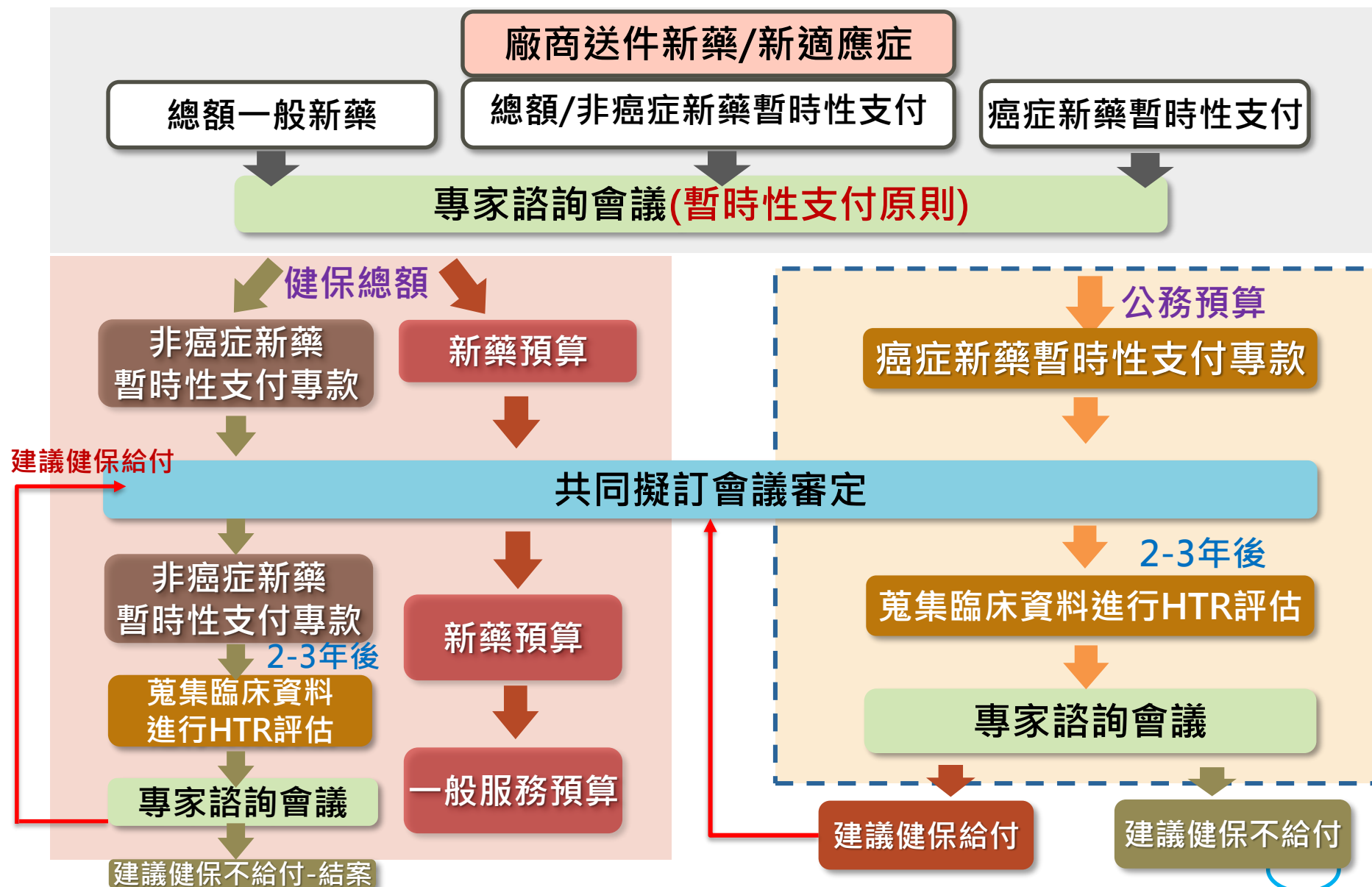
癌症新藥暫時性支付專款

適用藥品

1. 臨床療效證據明確但受**總額預算限制**尚未收載之癌症新藥或新適應症者。
2. 其他經健保署認定有必要者。

財務規劃

以**公務預算**挹注全民健康保險基金，指定用於「癌症新藥暫時性支付專款」。超支部分，由廠商依預算超支占率分攤回繳。
2025年編列預算50億元



癌症新藥暫時性支付專款作業原則

收件

- 廠商可於收載建議書**勾選或不勾選**建議納入暫時性支付專款。

資料審視

- 資料齊全者，通知廠商檢送完整資料，不齊全者得予退件。

專家諮詢會議審查

- **勾選者**：廠商於接獲建議不納入癌症新藥暫時性支付專款初核通知，可提出應納入之申復意見。
- **無勾選者**：廠商於接獲納入癌症新藥暫時性支付專款**初核通知後1個月內**回復是否同意；同意者應於**2個月內**提交計畫書，**或**提出不納入之**申復意見**。

暫時性支付計畫書審查

- **計畫書無修訂意見**：初核通知發出後**2個月內**完成計畫書審查並將審查結果通知廠商，廠商應於**1個月內**回復是否同意。
- **計畫書建議修訂**：廠商於接獲通知後**1個月內**提交修訂後之計畫書，健保署於收到廠商修訂之計畫書後，**2個月內**完成審查。

暫予生效

- 經藥物共同擬訂會議擬訂後暫予收載。

專款財務管理與支付規定

- 簽訂藥品給付協議，由廠商按個別藥品超過當年度協議額度金額除以所有藥品超過當年度協議額度之金額加總之占率，攤還超出專款之金額。

公開徵求病友意見

- 健保署召開專家諮詢會議前及計畫書審查時，應公開徵求病友意見，為提升病友參與執行，健保署應宣導推廣病友參與專業培力。

背景說明

- 11/18召開癌症新藥暫時性支付專款作業流程溝通說明會
- 12/3召開「全民健康保險辦理藥品醫療科技評估作業要點(草案)」溝通會議
- 本次會議旨在說明暫時性支付再評估計畫書之文件填寫及審查重點

暫時性支付藥品再評估計畫書

廠商填寫文件

針對相對療效或臨床成本效益不確定性之案件

暫時性支付藥品再評估計畫書

- 包含暫時性支付藥品基本資料表，及實證資料收集說明。
- 廠商可提供**正在執行**或**即將完成**之臨床試驗，或**觀察性研究**等作為主要實證資料來源；惟須留意**病人群體及治療方式須與欲申請之給付內容一致**。
- 廠商提出「**暫時性支付藥品再評估計畫書**」應檢附**完整的試驗計畫書(protocol)或研究計畫書**作為附件，並依其內容填於廠商說明欄位，包含於試驗/研究計畫書之章節或頁碼，以利受託單位進行資料確認。
- 須分別說明**主要**與**次要**資料來源（多項研究請自行調整表格格式或增列表格）。
- 其他資料來源（如其他相關臨床試驗或研究、暫時性支付期間收集之本土資料）可作為輔助資料。

暫時性支付藥品基本資料表 (1)

註：廠商說明藍字為填寫說明，實務上請刪除自行填入。

項目	廠商說明
藥品名稱	
成分	
含量規格劑型	
主管機關許可適應症	
建議健保給付之適應症	說明本案建議給付的目標群體之適應症。
建議健保給付條件	說明本案建議給付目標群體之健保給付條件。

暫時性支付藥品基本資料表 (2)

暫時性
支付適
用條件

1. 醫療迫切需求，經食藥署審查認定：
 - ☐ 優先審查
 - ☐ 加速核准
 - ☐ 小兒或少數嚴重疾病藥品
 - ☐ 藥品突破性治療
2. 臨床不確定性
 - ☐ 以藥品加速核准機制取得藥證或適應症且必須執行確認性試驗之藥品
 - ☐ 廠商送件建議以暫時性支付方式收載
 - ☐ 藥品專家諮詢會議（__年__月）建議以暫時性支付方式收載
 - ☐ 非屬以藥品加速核准機制取得藥證或適應症之藥品，惟目前的臨床不確定性建議須進行本土或長期療效確認，經專家諮詢會議（__年__月）建議以暫時性支付收載

簡述目前的臨床不確定性及解決該不確定性所建議收集之臨床指標

1. 臨床不確定性：*廠商自行說明目前的實證依據及臨床不確定性，或是填入專家會議提出的不確定性因素，以及建議或專家會議提出之應考量指標。例如OS；或是本土適用性之不確定性，如不定腫瘤可能遇到各腫瘤型態之盛行率、診斷流程等影響臨床試驗外推性等議題。*
2. 建議收集之臨床指標：_____

- ✓ 廠商送件建議暫時性支付之案件，以廠商意見進行說明
- ✓ 經專家諮詢會議建議暫時性支付之案件，由廠商以初核結果修正或新提出

暫時性支付藥品實證資料收集說明(1)

項目	廠商自評 / 評估意見	查驗中心審核結果 建議者請勿自行填寫
實證資料收集類型(請自行勾選)		
主要 / 次要資料 收集來源	☐ 主要 _____ ☐ 次要 _____ <i>如正在執行或即將完成之臨床試驗、真實世界數據(如健保資料庫、病歷資料)</i>	☐ _____
☐ 臨床試驗資料 (多項臨床試驗可自行增加表格)		
試驗名稱		☐ _____
試驗目的	<i>如評估A相較於C用於做為晚期乳癌輔助療法之相對療效及安全性。</i>	☐ _____
臨床試驗登記	<i>若有，請附上連結(如clinicaltrials.gov)</i>	☐ _____
是否為確認性試驗	☐ 是 ☐ 否	☐ _____
試驗設計	<i>包括但不限於： 第三期、多國多中心、隨機、開放式、活性對照試驗。</i>	☐ _____

暫時性支付藥品實證資料收集說明(2)

項目	廠商自評 / 評估意見	查驗中心審核結果 建議者請勿自行填寫
試驗群體條件	說明臨床試驗之主要納入及排除條件。	☐ _____
介入治療	說明介入治療，包括背景治療、劑量、給藥頻率。	☐ _____
對照治療	說明對照治療，包括背景治療、劑量、給藥頻率（若適用）。	☐ _____
預估病人數		☐ _____
估計可能的群體覆蓋率	臨床試驗中約有多少比例的受試者其條件符合健保給付範圍群體。	☐ _____
試驗起訖日期		☐ _____
試驗追蹤期間		☐ _____
主要療效指標	說明此研究可提供欲解決臨床不確定性之療效指標（應說明結果指標的定義及測量方式）。	☐ _____
主要療效指標預計完成收集日期		☐ _____

暫時性支付藥品實證資料收集說明(3)

項目	廠商自評 / 評估意見	查驗中心審核結果 建議者請勿自行填寫
其它要求指標	說明此研究可提供欲解決臨床不確定性之療效指標 (應說明結果指標的定義及測量方式) 。	☐ _____
其它要求指標預計完成收集日期		☐ _____
預計遞交研究時，數據截止日期 (data cut presented to committee)	若預計於完成資料收集前進行期中分析並呈現期中分析結果，則可填入預計進行時間點。	☐ _____
預計提交分析結果報告日期		☐ _____
資料分析計畫	說明以何群體 (如full analysis set)，用何方式 (如存活分析或log rank test) 分析何指標 (如主要療效指標) ；另須說明是否針對符合健保給付範圍之次群體進行分析。	☐ _____
完整試驗預計完成日期		☐ _____
已發表數據之參考文獻	(若有，應檢附此文獻)	☐ _____

若是為暫時性支付而啟動本土資料收集，建議說明資料收集時程相關之時間點，如IRB、資料庫申請時程等

案例

暫時性支付藥品基本資料表(1)

項目	廠商說明
藥品名稱	ABC
成分	123456
含量規格劑型	膜衣錠；999 毫克
主管機關許可適應症	何杰金氏淋巴瘤
建議健保給付之適應症	曾接受過2種以上化學治療仍發生疾病惡化者。
建議健保給付條件	1. 不適合接受造血幹細胞移植之75歲以上的病人。 2. ECOG 3分以上

暫時性支付藥品基本資料表(2)

案例

暫時性支付藥品實證資料收集(1)

項目	廠商自評 / 評估意見	查驗中心審核意見結果 建議者請勿自行填寫
實證資料收集類型(請自行勾選)		
主要 / 次要資料收集來源	☒ 主要 <u>觀察性研究 (病歷資料)</u> ☐ 次要 <u>無</u>	☐ _____
☒ 真實世界數據		
研究名稱	<u>ROOO study</u>	☐ _____
資料來源	<u>登錄系統</u>	☐ _____
研究目的	<u>探討台灣本土健保給付族群接受ABC治療之相對療效及安全性。</u>	☐ _____
臨床研究登記	<u>https://clinicaltrials.gov/study/NCT12345678</u>	☐ _____
研究設計	1. 多國多中心 2. 前瞻性、單組追蹤研究 3. 收集組織型態學類別、轉移位置、先前接受過與併用治療。 4. 未定期進行腫瘤反應評估，但所有評估結果皆會收集。 (詳如計畫書P10)	☐ _____

案例

暫時性支付藥品實證資料收集(2)

項目	廠商自評 / 評估意見	查驗中心審核結果 建議者請勿自行填寫
研究群體條件	1. 18歲以上； 2. ECOG 3分以上； 3. 於2028年/7/1至2029年/7/1間，開始接受健保給付xxx藥品者。 4. 簽訂知情同意書。(詳如計畫書P12至15)	☐ _____
治療藥品	每日一次xxx 999 mg，治療至惡化為止。(詳如計畫書P16)	☐ _____
對照治療	無	☐ _____
預估病人數	100人 (詳如計畫書P 19)	☐ _____
估計可能的群體覆蓋率	100人(詳如計畫書P 19)	☐ _____
研究起訖日期	本研究預計自2028/11起，收集資料至2030/11期間內之台灣使用病人資料。(詳如計畫書P 20)	☐ _____
研究追蹤期間	自2028/7開始收納病人至2029/11為止；最長追蹤至2030年/7/1。(詳如計畫書P21)	☐ _____
主要療效指標	OS。(詳如計畫書P20)	☐ _____
主要療效指標預計完成收集日期	2030/2	☐ _____

案例

暫時性支付藥品實證資料收集(3)

項目	廠商自評 / 評估意見	查驗中心審核結果 建議者請勿自行填寫
其它要求指標	ORR、DOR、TTR、PFS	☐ _____
其它要求指標預計完成收集日期	未定。	☐ _____
預計遞交研究時，數據截止日期	預計於協議屆期 (2030/7) 前6個月時 (2029/12) 提供期中分析報告	☐ _____
預計提交分析結果報告日期	2029/12	☐ _____
資料分析計畫	8.6.3 Patient Characteristics - 病人基礎特徵會以描述性方式摘要 (數量、平均、標準差、中位數、範圍)，並依連續性或類別變項呈現。 8.6.4.5 整體存活 - 整體存活定義為自新開始使用xxx治療至死亡。 - 失去追蹤或在資料截止日時尚未死亡病人，會以最終可確認存活日期設限 (censoring)。 - 詳如計畫書P25。	☐ _____
完整試驗預計完成日期	2030/10	☐ _____
已發表數據之參考文獻	無	☐ _____ 17

「暫時性支付藥品再評估計畫書」審查會

(簡稱審查會)

審查重點

審查重點

1. 病人納入條件與後續研究追蹤流程圖

- 應詳述病人納入條件或排除條件，呈現病人研究追蹤流程圖、預期病人納入人數與所需時間，以及病人預計追蹤時間、研究預計進行時間。
- 應詳述研究對象病人是否符合健保給付條件範圍，是否為台灣健保給付對象；以及在研究中符合給付條件範圍者占比、台灣病人占比。

2. 收集病人特徵，包含過去藥物治療情形

- 應詳述預計收集的病人特徵，特別是研究納入新使用者與既有使用者時，應包含病人過去藥物治療情形，例如於恩慈或試驗中使用之藥品情形，以區分新使用者與既有使用者。

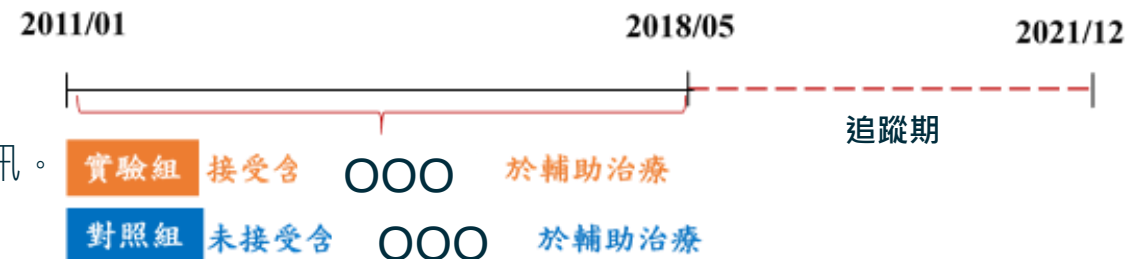
3. 研究數據來源與蒐集方式

- 建議進一步說明描述欲納入之病人資料蒐集、保存方式。

研究追蹤流程圖範例

4. 療效指標

- 指標是否合適，足以符合審查會議要求；
- 應提供明確指標定義；例如提供發作部位和時間間隔等資訊。



5. 數據統計分析計畫

- 應清楚說明研究設計與數據統計分析計畫。

案例彙整

	案例1	案例2	案例3	案例4
不確定性	本案藥品目前實證為第二期單臂試驗	本藥品樞紐試驗來自第Ib/II期臨床試驗，以加速核准取得許可適應症	適應症證據來源為單臂、第二期臨床試驗缺乏比較性研究	本案藥品的臨床效益具有不確定性
審查重點	1. 評估指標選取，且應清楚說明指標定義 2. 分析時間點說明	病人群體及介入治療與健保給付情形不符	病人群體不符	1. 認同以確認性試驗作為後續評估證據來源 2. 針對台灣族群進行次族群分析