

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：PIASKY for injection

學名：crovalimab

事由：

1. 有關台灣中外製藥股份有限公司（以下簡稱建議者）建議將「培安適注射液劑，每毫升 170 毫克/PIASKY for injection，170mg/ml（主成分為 crovalimab，以下簡稱本品）」納入健保給付，作為十三歲以上且體重四十公斤以上的陣發性夜間血紅素尿症（Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria, PNH）病人治療用藥一案，前經民國 114 年 4 月藥品專家諮詢會議討論，建議納入給付，並以 Soliris（eculizumab）及 Ultomiris（ravulizumab）為核價參考品。
2. 建議者於 114 年 6 月提出申覆，更新建議支付價及財務影響推估資料。爰財團法人醫藥品查驗中心（以下簡稱查驗中心）再次進行評估，以供後續研議參考。
3. 本案經 114 年 4 月藥品專家諮詢會議討論並建議納入給付，爰本報告據以更新財務影響推估。

完成時間：民國 114 年 8 月 18 日

評估結論

一、國際醫療科技評估組織之給付建議

本報告更新加拿大（CDA-AMC）之給付建議，其於 2025 年 6 月 12 日發布一份關於 crovalimab 的建議草案，建議給付 crovalimab 用於治療十三歲以上且體重四十公斤以上的陣發性夜間血紅素尿症（Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria, PNH）病人；至於澳洲（PBAC）則仍查無相關資料。

主要組織	給付建議
CDA-AMC (加拿大)	114 年 06 月的建議草案中，在設有起始治療、停用、處方及定價前提條件下，建議收載 crovalimab 作為第一線藥物用於治療十三歲以上且體重四十公斤以上的陣發性夜間血紅素尿症（Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria, PNH）病人。相關條件包含： <ul style="list-style-type: none"> • 已使用符合加拿大衛生部（Health Canada）建議劑量之 eculizumab 或 ravulizumab 而治療效果不佳或失敗之病人，將不符合 crovalimab 給付資格。 • crovalimab 應僅能依照 Health Canada 建議之劑量進行使用。 • crovalimab 的藥品計畫成本不應超過目前用於治療 PNH 且已給付的 C5 抑制劑的最低藥品計畫成本。
PBAC (澳洲)	至 114 年 06 月 25 日止，查無相關資料。

二、醫療倫理

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

本案藥品無系統性蒐集之相關資料可供參考。本報告摘錄中央健康保險署《新藥及新材病友意見分享平台》所收集到之我國病友意見所收集到之我國病友意見以供參考。截至民國 114 年 8 月 7 日為止，收到 1 筆來自罕見疾病基金會提供之意見。該筆意見彙整自 16 份問卷；問卷收集來自 16 位病友作答，平均年齡為 51.8 歲（範圍：25 至 75 歲）；出現症狀的平均年齡為 34.9 歲（範圍：8 至 62 歲），確診平均花費時間約 2 年。

在本品使用經驗方面，4 位病友有本品使用經驗，2 人在提供意見當時正在使用、2 位曾經使用過 Soliris[®]（舒立瑞[®]，eculizumab）；2 位目前改用 Fabhalta[®]（服易達[®]，iptacopan），但皆無說明具體換藥原因和本品使用經驗。2 位病友目前仍持續使用本品；1 人原先使用 Soliris[®]，因仍有溶血和需輸血情形，且不易申請健保給付，因此醫師建議換藥；另 1 人因 Soliris[®] 的注射頻率高且耗時長，造成工作及生活不便，因此醫師建議換藥。此 2 位病友的經驗說明如下：

- **病友 1**：使用本品共 3 年 8 個月。使用本品後有改善溶血，無副作用，且大幅改善生活品質，可外出遊玩和減少因治療請假的次數。
- **病友 2**：使用本品共 4 年 6 個月。使用本品後有改善倦怠感，可有力氣整理家裡，無副作用；另因降低就醫及抽血檢查頻率，減少路途顛簸，而改善心情和心理壓力，並減少請假次數，能較花心力於工作上和有長時間的旅遊。

在醫療現況方面，疾病本身造成溶血、血尿、貧血，容易疲倦、頭暈、甚至昏倒；有的會引發喘、食慾不振、嗜睡、吞嚥困難等狀況。16 位病友中有 1 人僅定期追蹤，尚未使用藥物；其餘 15 人皆曾使用過 Soliris[®]。15 人目前治療方式如下：8 人使用 Soliris[®]；2 人使用本品；1 人使用 Empaveli[®]（pegcetacoplan）；4 人使用 Fabhalta[®]。

- **Empaveli[®]**：1 位病友因使用 Soliris[®] 未改善病情，仍需定期輸血，因此換藥，目前使用 Empaveli[®] 約半年，仍有溶血、疲倦、各血球低下等症狀，但較無副作用，且回診頻率降低。
- **Fabhalta[®]**：4 位病友都曾使用過 Soliris[®]，其中 2 人也使用過本品，但有 3 人因療效不佳換藥；1 人因受直腸癌化療影響須經常輸血，不易申請續用 Soliris[®]，因此醫師建議換成 Fabhalta[®]。4 人使用 Fabhalta[®] 的時間從 45 天至 4 年，皆表示有改善症狀，如維持或提高血紅素、改善體力、改善疲勞、走路不喘等，且無副作用或如小便有泡泡，進而能運動、日常生活自理和獨立外出，包含自行回診和接受化學治療，且能減少回診次數，使照顧者的負擔減輕，也能讓照顧者有自己的社交活動。
- **Soliris[®]**：8 人平均用藥時間為 8.4 年（範圍：2 至 15 年），認為治療算穩定，大都有增加體力，可外出、上班，並減少瘀青、出血和輸血次數等，病友可照顧自己，能降低照顧者的請假次數。副作用包含免疫力較低、腹瀉、

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

腹痛、影響睡眠，有 1-2 次注射後會感覺背或腰部有酸或涼感。但是，有 1 位病友表示血紅素維持在 7 至 8 點多，日常生活仍有易喘和疲累情形，且無法從事長時間運動，僅能走路。

在生活品質方面，大多數（90%以上）病友有溶血、血尿、貧血等症狀，且體力差、易倦、易喘、頭暈，甚至昏倒，導致病友無法出門、工作或從事社交活動，需照顧者陪伴，造成病友憂鬱和焦慮。病友也有食慾不振、嗜睡、吞嚥困難等症狀，影響生活品質。另外，病友提到每半年申請一次罕藥會覺得心理壓力很大，希望能拉長申請時間。在照顧者方面，病友因身體狀況（如貧血、易倦、易喘、體力差等），導致無法出門、需有旁人照顧和頻繁就醫，連帶造成照顧者無法工作和社交，陪同外出時也需小心謹慎，且照顧者與病友的情緒易互相影響，一起憂鬱和焦慮。

病友對新藥的期待包含改善症狀，包含體力和減少輸血頻率；提升用藥便利性（改為非注射方式）。

三、財務影響評估

1. 建議者本次提交之財務影響分析，預期本品納入給付後可取代 Soliris(eculizumab) 及 Ultomiris (ravulizumab)，其參考衛生福利部罕見疾病通報統計資料的 PNH 病人數，並依據國發會人口中推估資料，推估 13 歲以上 PNH 病人數，再以 Soliris 申報量推估 PNH 用藥人數比例。後續參考 Ultomiris 評估報告中 114 年至 118 年的 Ultomiris 和 Soliris 市占率，以及自行評估之本品市占率，進一步推估新診斷使用本品病人數，以及既有已用藥病人轉而接受本品治療之人數，再依仿單建議用法推估本品藥費及財務影響。
2. 本報告同前次報告推估方式，透過健保資料庫直接分析 13 歲以上 PNH 且使用 Soliris 治療之病人數，並考量審議時程調整評估年度，另外亦調整取代品 Ultomiris 之年度藥費計算方式，本報告將部分病人的 Ultomiris 首年藥費納入計算，建議者則所有病人皆以次年之維持劑量藥費計算，故本報告推估的取代藥費略高於建議者之推估，以致財務影響為節省。
3. 建議者與本報告之未來五年推估結果彙整如後表。

推估項目	建議者推估（114 至 118 年）	查驗中心推估（115 至 119 年）
本品使用人數	第一年 35 人至第五年 51 人	第一年 40 人至第五年 64 人
本品年度藥費	第一年 3.34 億元至第五年 4.18 億元	第一年 3.77 億元至第五年 5.25 億元
財務影響	第一年增加 0.13 億元， 第二年起節省 0.24 億元至第五年節省 0.23 億元	第一年節省 0.06 億元至第五年節省 0.35 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

健保署藥品專家諮詢會議後更新之財務影響評估

本案經 114 年 4 月藥品專家諮詢會議討論並建議給付，爰本報告據以更新財務影響推估。本報告推估未來五年本品使用人數為第一年 40 人至第五年 64 人，本品年度藥費為第一年 3.34 億元至第五年約 4.64 億元，對健保的藥費財務影響為第一年節省 0.49 億元至第五年節省 0.96 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

本案藥品「培安適注射液劑，每毫升 170 毫克/PIASKY for injection, 170mg/ml (主成分為 crovalimab，以下簡稱本品)」，經主管機關許可之適應症為「適用於治療 13 歲以上且體重 40 公斤以上的陣發性夜間血紅素尿症 (PNH) 病人」。

台灣中外製藥股份有限公司 (以下簡稱建議者) 前於 2024 年 12 月建議將本品納入健保給付，用於治療十三歲以上且體重四十公斤以上的陣發性夜間血紅素尿症 (PNH) 病人。而案經財團法人醫藥品查驗中心 (以下簡稱查驗中心) 於 2025 年 1 月完成醫療科技評估報告後，於同年 4 月藥品專家諮詢會議提案討論，會議主要結論為建議納入給付，並參考臨床治療地位相近之藥品 Soliris (eculizumab) 及 Ultomiris (ravulizumab) 為核價參考品，建議給付規定如下表所示。

針對 2025 年 4 月藥品專家諮詢會議結論所做之初核意見，建議者於 2025 年 6 月提出申覆，更新建議支付價及財務影響推估資料，爰查驗中心再次進行評估，以供後續研議參考。

建議修訂後給付規定	其他相關藥品現行給付規定
<p>8. 2. 10. Eculizumab (如 Soliris)、ravulizumab (如 Ultomiris)、<u>crovalimab (如 Piasky)</u>： (101/4/1、102/10/1、108/6/1、108/9/1、114/2/1、○/○/1)</p> <p>1. 用於經衛生福利部國民健康署認定之陣發性夜間血紅素尿症患者 <u>(crovalimab 限用於 13 歲以上且體重 40 公斤以上之陣發性夜間血紅素尿症患者)</u>：(108/6/1、114/2/1、○/○/1)</p> <p>(1)陣發性夜間血紅素尿症患者且 PNH granulocyte clone size 經兩種抗體確認大於 50%，並符合下列條件之一者使用：</p> <p>I. 有溶血性貧血，血紅素濃度至少有兩次檢測數值低於 7g/dL 或有心肺功能不全症狀 (New York Heart Association Class III 或 IV) 且血紅素濃度低於 9g/dL，並須長期</p>	<p>8. 2. 10. Eculizumab (如 Soliris)、ravulizumab (如 Ultomiris)： (101/4/1、102/10/1、108/6/1、108/9/1、114/2/1)</p> <p>1. 用於經衛生福利部國民健康署認定之陣發性夜間血紅素尿症患者： (108/6/1、114/2/1)</p> <p>(1)陣發性夜間血紅素尿症患者且 PNH granulocyte clone size 經兩種抗體確認大於 50%，並符合下列條件之一者使用：</p> <p>I. 有溶血性貧血，血紅素濃度至少有兩次檢測數值低於 7g/dL 或有心肺功能不全症狀 (New York Heart Association Class III 或 IV) 且血紅素濃度低於 9g/dL，並須長期</p>

財團法人醫藥品查驗中心
醫療科技評估報告補充資料

建議修訂後給付規定	其他相關藥品現行給付規定
<p>大量輸血 3 個月內至少輸血 6 個單位以上)。須排除其他原因引起之貧血，包括缺鐵性貧血或出血等。</p> <p>II. 有發生危及生命之虞之血栓並導致明顯器官功能受損者，但須排除其他已知原因引起之血栓。</p> <p>i. 任何位置之動脈血栓。</p> <p>ii. 重要部位之靜脈性血栓，包括腦部靜脈、靜脈竇、上下腔靜脈、近端深部靜脈、肝靜脈或肝門靜脈血栓等。</p> <p>iii. 發生因血管內溶血導致的進行性腎功能衰竭 (serum creatinine 大於 2.0mg/dL) 且無法以其他原因解釋者。</p> <p>(2) 排除有高危險之骨髓化生不良症候群 (RAEB1 或 RAEB2) 的病患。</p> <p>(3) 新個案需經專家小組特殊專案審核核准後使用，每次申請期限為 6 個月。</p> <p>(4) 每 6 個月須重新評估治療結果。若符合下列條件之一，則不予同意使用。</p> <p>I. 接受治療的患者用藥後病情沒有改善者 (LDH 超過正常值上限的 1.5 倍或最近 3 個月內輸血多於 2 個單位)</p> <p>II. PNH granulocyte clone size $\leq 50\%$。</p> <p>III. 發生嚴重再生不良性貧血者，其檢查結果符合下列兩項或兩項以上者：(102/10/1、114/2/1)</p> <p>i. 中性白血球數目(neutrophil count) $< 0.5 \times 10^9/L$。</p> <p>ii. 血小板數目(platelet count) $< 20 \times 10^9/L$。</p>	<p>大量輸血 3 個月內至少輸血 6 個單位以上)。須排除其他原因引起之貧血，包括缺鐵性貧血或出血等。</p> <p>II. 有發生危及生命之虞之血栓並導致明顯器官功能受損者，但須排除其他已知原因引起之血栓。</p> <p>i. 任何位置之動脈血栓。</p> <p>ii. 重要部位之靜脈性血栓，包括腦部靜脈、靜脈竇、上下腔靜脈、近端深部靜脈、肝靜脈或肝門靜脈血栓等。</p> <p>iii. 發生因血管內溶血導致的進行性腎功能衰竭 (serum creatinine 大於 2.0mg/dL) 且無法以其他原因解釋者。</p> <p>(2) 排除有高危險之骨髓化生不良症候群 (RAEB1 或 RAEB2) 的病患。</p> <p>(3) 新個案需經專家小組特殊專案審核核准後使用，每次申請期限為 6 個月。</p> <p>(4) 每 6 個月須重新評估治療結果。若符合下列條件之一，則不予同意使用。</p> <p>I. 接受治療的患者用藥後病情沒有改善者 (LDH 超過正常值上限的 1.5 倍或最近 3 個月內輸血多於 2 個單位)</p> <p>II. PNH granulocyte clone size $\leq 50\%$。</p> <p>III. 發生嚴重再生不良性貧血者，其檢查結果符合下列兩項或兩項以上者：(102/10/1、114/2/1)</p> <p>i. 中性白血球數目(neutrophil count) $< 0.5 \times 10^9/L$。</p> <p>ii. 血小板數目(platelet count) $< 20 \times 10^9/L$。</p>

財團法人醫藥品查驗中心
醫療科技評估報告補充資料

建議修訂後給付規定	其他相關藥品現行給付規定
<p>iii.網狀細胞(reticulocytes) < 25x10⁹/L。</p> <p>iv.骨髓內造血細胞密度<30%。</p> <p>◎附表三十之一：全民健康保險使用陣發性夜間血紅素尿症治療藥品 <u>eculizumab、ravulizumab、crovalimab</u> 特殊專案審查申請表</p> <p>◎附表三十之二：陣發性夜間血紅素尿症患者特殊專案審查申請 <u>Soliris (eculizumab)、Ultomiris (ravulizumab)、Piasky (crovalimab)</u> 用藥檢附資料查檢表</p> <p>2. 用於經衛生福利部國民健康署認定之非典型性尿毒溶血症候群 (Atypical Hemolytic Uremic Syndrome, aHUS)病人：(108/6/1、108/9/1) (1)~(7)略。</p> <p>3. 另於 114/2/1 前已使用 <u>eculizumab</u> 之病人，符合續用申請條件者，得轉換至 <u>ravulizumab 或 crovalimab</u>，惟使用 <u>ravulizumab 或 crovalimab</u> 無效後，不得再申請 <u>eculizumab</u>。(114/2/1、<u>○/○/1</u>)</p> <p>4. <u>Ravulizumab 或 crovalimab 限擇一使用</u>，惟在有耐受不良時方可轉換使用，且限轉換一次。<u>(○/○/1)</u></p>	<p>iii.網狀細胞(reticulocytes) <25x10⁹/L。</p> <p>iv.骨髓內造血細胞密度 <30%。</p> <p>◎附表三十之一：全民健康保險使用陣發性夜間血紅素尿症治療藥品 <u>eculizumab、ravulizumab</u> 特殊專案審查申請表</p> <p>◎附表三十之二：陣發性夜間血紅素尿症患者特殊專案審查申請 <u>Soliris (eculizumab)、Ultomiris (ravulizumab)</u> 用藥檢附資料查檢表</p> <p>2. 用於經衛生福利部國民健康署認定之非典型性尿毒溶血症候群 (Atypical Hemolytic Uremic Syndrome, aHUS)病人：(108/6/1、108/9/1) (1)~(7)略。</p> <p>3. 另於 114/2/1 前已使用 <u>eculizumab</u> 之病人，符合續用申請條件者，得轉換至 <u>ravulizumab</u>，惟使用 <u>ravulizumab</u> 無效後，不得再申請 <u>eculizumab</u>。(114/2/1)</p>

備註：劃線部分為新修訂規定

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) 主要醫療科技評估組織報告

本報告主要參考 CDA-AMC、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 CRD/INAHTA/Cochrane/PubMed/Embase 相關文獻，以瞭解主要醫療科技評估組織之給付建議及目前成本效益研究結果。

來源	報告日期
CDA-AMC (加拿大)	於 2025 年 6 月 12 日，有公告一份建議草案。
PBAC (澳洲)	至 2025 年 06 月 25 日止，查無醫療科技評估報告。
NICE (英國)	於 2024 年 11 月 20 日公告。
其他醫療科技評估 組織	SMC (蘇格蘭) 於 2025 年 1 月 13 日公告。
電子資料庫	CRD/INAHTA/Cochrane/PubMed/Embase 的搜尋結果。
建議者提供之資料	無

本報告於前份報告已摘述英國 NICE 及蘇格蘭 SMC 醫療科技評估報告內容，故在此僅更新加拿大 CDA-AMC 之醫療科技評估報告之給付建議及成本效益研究結果。

1. CDA-AMC (加拿大) [1]

加拿大藥品及醫療科技評估機構 (Canada's Drug Agency, CDA-AMC) 於 2025 年 6 月 12 日發布一份關於 crovalimab 的建議草案。加拿大藥物專家委員會 (Canadian Drug Expert Committee, CDEC) 在設有起始治療、停用、處方及定價前提條件下，建議收載 crovalimab 作為第一線藥物用於治療十三歲以上且體重四十公斤以上的陣發性夜間血紅素尿症 (Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria, PNH) 病人，相關條件如下：

- 起始治療標準：已使用符合加拿大衛生部 (Health Canada) 建議劑量之 eculizumab 或 ravulizumab 而治療效果不佳或失敗之病人，將不符合 crovalimab 的給付資格。
- 處方條件：crovalimab 應僅能依照 Health Canada 建議之劑量進行使用。
- 定價條件：crovalimab 的藥品計畫成本不應超過目前用於治療 PNH 且已給

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

付的 C5 抑制劑的最低藥品計畫成本。

CDA-AMC 建議給付的理由是，在 crovalimab 第三期臨床試驗 (COMMODORE 2) 中，對未使用過 C5 抑制劑的 PNH 病人而言，crovalimab 在主要療效指標 (減少輸血需求與溶血控制) 與次要療效指標 (突破性溶血與血紅素穩定性) 皆已顯示其不劣於 eculizumab。病人自述的疲憊感與健康相關生活品質 (HRQoL) 方面，根據 FACIT-Fatigue 與 EORTC QLQ-C30 工具評估，兩組間差異甚微，但受限於試驗採開放式設計與樣本數較小，結果仍具不確定性。

COMMODORE 2 試驗結果亦獲得 COMMODORE 1 與延伸試驗 COMPOSER 支持，顯示從 eculizumab 轉換至 crovalimab 治療的病人中，於治療 24 週後在「減少輸血需求」、「溶血控制」、「突破性溶血」與 FACIT-Fatigue 評分等方面皆維持穩定，顯示 crovalimab 治療可持續提供效益。

一項由廠商提交的網絡統合分析 (network meta-analysis, NMA) 顯示，crovalimab 與 ravulizumab 間可能無明顯差異。然而，由於該分析方法論上有局限性，CDEC 無法據此得出明確結論。而臨床專家認為該分析結果應為合理，因為 ravulizumab 與 eculizumab 屬於同類藥物，且在直接比較隨機臨床試驗 (head-to-head RCT) 中顯示出相似的療效與安全性。

病人之治療需求包括：能有效控制血管內溶血 (intravascular hemolysis, IVH)、改善貧血與疲憊、減少輸血需求，以及提供更便利的給藥方式。CDEC 基於目前證據認為，crovalimab 與現行治療相較，尚無法完全滿足病人所指出的未被滿足之需求；然其以皮下注射方式給藥，並可於居家自行施打，可作為額外治療選項。CDEC 亦指出，目前沒有證據評估皮下注射方式對病人 HRQoL 的影響。

根據廠商提供之 crovalimab 價格及 eculizumab 與 ravulizumab 的牌價，crovalimab 總藥費成本低於 eculizumab 與 ravulizumab。然而，鑑於現有證據不足以支持 crovalimab 優於 eculizumab 或 ravulizumab，因此 crovalimab 的總藥品成本不應高於目前價格最低的 C5 抑制劑。

經濟評估相關意見摘述如下：

廠商提交一份最低成本分析，評估觀點為加拿大公共經費健康照護付費者 (Canadian publicly funded healthcare payer) 觀點，評估時間終生 (60 年)，crovalimab 340mg/瓶價格為 15,980 加幣，比較策略包含 eculizumab 及 ravulizumab，成本考量包含藥品取得、給藥、輸血及醫療資源使用成本，如住院、透析治療與門診次數。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

CDA-AMC 指出廠商提交的藥物經濟學分析報告有以下幾點限制：

- 臨床審查結果指出，在未曾使用過 C5 抑制劑的病人族群中，有高度至中度的確定性顯示 crovalimab 與 eculizumab 具有相似的療效。在曾接受 C5 抑制劑治療的病人中，研究結果亦顯示 crovalimab 與 eculizumab 間的療效差異極小或無明顯差異。此外，儘管廠商所提供之間接證據（NMA）顯示 crovalimab 在療效與安全性上可能與 ravulizumab 相當，但由於該 NMA 在方法學上具有一定限制（如納入研究數量有限、各試驗中病人特徵異質性高、信賴區間跨越虛無值等），故無法得出明確結論。因此，目前對於 crovalimab 是否與 eculizumab 及 ravulizumab 具有相似療效仍存在不確定性。
- 廠商假設有 20% 接受 eculizumab 治療的病人需持續增加劑量（up-dosing）。然而，臨床專家指出該比例可能有所變動，此假設具不確定性。此外，在 COMMODORE 1 和 COMMODORE 2 試驗中 eculizumab 的劑量為固定劑量，並無相關證據可用以評估實際需要增加劑量的病人比例。由於增加劑量會提升 eculizumab 的藥品成本，若實際需要增加劑量的病人比例低於廠商假設，則 crovalimab 相較於 eculizumab 所帶來的成本節省將會減少。
- 模型中所使用的 eculizumab 與 ravulizumab 價格為公開可得的牌價（list prices），未考量實際協商後的機密折扣。若實際比較品的價格低於牌價，則 crovalimab 可能需進一步降價，才能達到成本效益。

CDA-AMC 並未針對基礎情境進行再分析。若根據公開的牌價，crovalimab 相較於 ravulizumab 與 eculizumab 可節省成本。然而，crovalimab 是否具有成本節省的效果，取決於比較品的機密價格。若實際支付的 eculizumab 與 ravulizumab 價格分別比牌價低 23% 與 16%，則以廠商提出的價格給付 crovalimab 將無節省成本的效果（cost neutral）。

(二) 財務影響

1. 建議者之財務影響分析

建議者預估本品納入健保給付後，將取代 Soliris（eculizumab）及 Ultomiris（ravulizumab），故本品臨床使用地位為取代關係。推估未來五年（2025 年至 2029 年）本品使用人數約為第一年 35 人至第五年 51 人，本品年度藥費約為第一年 3.34 億元至第五年 4.18 億元。藥費財務影響約為第一年增加 0.13 億元，第二年起節省 0.24 億元至第五年節省 0.23 億元。建議者推估過程與理由說明如後：

(1) 臨床使用地位

建議者建議本品給付規定比照現行 Soliris 及 Ultomiris 治療之給付規定，故

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

預期本品將取代 Soliris 及 Ultomiris，臨床地位屬取代關係。

(2) 目標族群人數推估

建議者參考 2020 年至 2023 年衛生福利部罕見疾病通報統計資料[2]，將陣發性夜間血紅素尿症通報個案數扣除死亡數之存活個案數，以複合成長率推估未來五年(2025 年至 2029 年)PNH 病人數。另以 2023 國發會人口中推估資料[3]，假設 13 歲以上的 PNH 病人數約佔 90%。

建議者考量 Soliris 申報量已趨穩定，並以 2020 年至 2022 年平均申報量[4]及其仿單，推估每年使用 Soliris 病人數。再依當年度衛福部罕病通報 PNH 存活病人數回推各年度符合 Soliris 健保給付規定之用藥人數比例約佔 52%。

另以 2021 年至 2023 年衛福部罕病通報 PNH 病人數計算 2022 年度及 2023 年度之新診斷病人，並推估每年平均新診斷病人數比例約為 9%。

綜合上述，推估未來五年每年新診斷病人約為第一年 5 人至第五年 6 人；每年既有病人約為第一年 54 人至第五年 58 人。合併計算，未來五年目標族群約為第一年 59 人至第五年 64 人。

(3) 本品使用人數

建議者考量本品雖較晚納入健保給付，然本品後續維持劑量為皮下注射，可提供用藥方便性，及維持劑量的藥費低於現行 Soliris 及 Ultomiris 藥費，故預估本品市佔率能快速取代 Soliris 及 Ultomiris 市場，假設本品未來五年市佔率約 60% 至 80%。推估未來五年使用本品之新診斷病人約為第一年 3 人至第五年 5 人，使用本品之既有病人約為第一年 32 人至第五年 46 人。合併計算，未來五年本品使用人數約為第一年 35 人至第五年 51 人。

(4) 本品年度藥費

建議者參考國民健康署平均體重及諮詢臨床醫師，依本品仿單體重 40 公斤以上及 100 公斤以下之用法用量，以及本次建議之本品支付價，推估本品首年年度藥費及後續維持劑量年度藥費。本品規格為每瓶 340 mg，首年使用本品之起始劑量須使用 7 瓶、每 4 週一次之維持劑量須使用 24 瓶，共計本品 31 瓶，推估每人首年年度藥費約 944 萬元；後續每年每 4 週一次之維持劑量須使用本品 26 瓶，推估每人維持劑量年度藥費約 791 萬元。

綜合上述，推估未來五年新診斷 PNH 病人年度總藥費約為第一年 0.28 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

至第五年 0.45 億元；未來五年既有病人年度總藥費約為第一年 3.06 億元至第五年 3.73 億元。合計未來五年本品年度藥費約為第一年 3.34 億元至第五年 4.18 億元。

(5) 被取代品年度藥費

建議者依 Soliris 仿單用法用量[5]，以 Soliris 規格為每瓶 300 mg 及其現行健保支付價，初次使用首 4 週每週給予劑量 600 mg、第 5 週劑量 900 mg，後續每 2 週給予劑量 900 mg，推估首年須使用 80 瓶，每人首年年度藥費約 977 萬元；後續每年每 2 週一次之維持劑量須使用 78 瓶，推估每人維持劑量年度藥費約 953 萬元。

建議者依 Ultomiris 仿單[6]，並以體重 60 公斤以上及 100 公斤以下之用法用量，推估其首年年度藥費及後續維持劑量年度藥費。依起始劑量 2,700 mg，於初次給藥 2 週後開始以每 8 週給予維持劑量 3,300 mg，計算首年須使用 Ultomiris 每瓶 300 mg 規格共 9 瓶及每瓶 1100mg 規格共 18 瓶，推估每人首年年度藥費約 911 萬元；後續每年每 8 週一次之維持劑量須使用每瓶 1100 mg 規格共 19.5 瓶，推估每人維持劑量年度藥費約 857 萬元。

建議者考量新上市 Ultomiris 之用藥方便性，假設新診斷病人皆使用 Ultomiris。針對既有病人族群，建議者另參考 2024 年 Ultomiris 醫療科技評估報告[7]，假設 Ultomiris 將逐步取代現行使用之 Soliris，設定 2025 年及 2026 年轉換率分別為 50%、80%，並於 2027 年起為 100%。據此，推估未來五年被取代品年度藥費約為第一年 3.21 億元至第五年 4.42 億元。

(6) 其他醫療費用

建議者考量正式核定仿單中，本品限由醫療人員施打，故不另行計算病人自行皮下注射之其他醫療費用節省。

(7) 財務影響

建議者推估本品納入健保給付後，推估未來五年藥費財務影響約為第一年增加 0.13 億元，第二年起節省 0.24 億元至第五年節省 0.23 億元。

(8) 敏感度分析

建議者針對市佔率以 $\pm 10\%$ 進行敏感度分析，相關結果如後表。

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

項目	基礎分析	低推估	高推估
本品市佔率	60%至 80%	50%至 70%	70%至 90%
財務影響	第一年增加 0.13 億元，第二年起節省 0.24 億元至第五年節省 0.23 億元	第一年增加 0.11 億元，第二年起節省 0.20 億元至第五年節省 0.20 億元	第一年增加 0.16 億元，第二年起節省 0.28 億元至第五年節省 0.27 億元

2. 查驗中心評論與校正

由於建議者之財務影響分析架構與前次申請大致相同，本報告已於前次評估報告中詳述，故本次僅針對調整之處進行評論，如後：

(1) 臨床使用地位

本報告認為建議者設定本品取代 Soliris 及 Ultomiris，臨床地位屬取代關係應為合理。

(2) 目標族群人數推估

本報告同前次報告之推估架構，經分析 2020 年至 2024 年健保資料庫中，13 歲以上且使用 Soliris 治療的 PNH 病人數，以複合成長率推估未來五年（2026 年至 2030 年）目標族群人數。同時計算 2022 至 2024 年期間，13 歲以上新診斷且有用藥病人之比例約為 9%。

綜合上述，推估未來五年每年新診斷病人約為第一年 6 至第五年 7 人；每年既有病人約為第一年 61 至第五年 73 人。合併計算，未來五年目標族群約為第一年 67 人至第五年 80 人。

(3) 本品使用人數

本報告基於建議者有詳細說明市占率設定理由，故採用建議者設定之市佔率為第一年 60%至第五年 80%，推估未來五年使用本品之新診斷病人約為第一年 4 人至第五年 6 人，使用本品之既有病人約為第一年 36 人至第五年 58 人。合併計算，未來五年本品使用人數約為第一年 40 人至第五年 64 人。

(4) 本品年度藥費

本報告依本品仿單體重 40 公斤以上及 100 公斤以下之用法用量及本品規格為每瓶 340mg，以及建議者本次提出的建議價格，計算首年使用本品 31 瓶，推

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

估每人首年年度藥費約 944 萬元；後續每年每 4 週一次之維持劑量須使用本品 26 瓶，推估每人維持劑量年度藥費約 791 萬元。

推估未來五年新診斷 PNH 病人年度總藥費約為第一年 0.38 億元至第五年 0.57 億元；未來五年既有病人年度總藥費約為第一年 3.40 億元至第五年 4.68 億元。合計未來五年本品年度藥費約為第一年 3.77 億元至第五年 5.25 億元。

(5) 被取代品年度藥費

本報告沿用建議者 Soliris 藥費之推估方式，依 Soliris 規格每瓶 300mg 及其仿單用法用量，推估首年使用 Soliris 須使用 80 瓶，每人首年年度藥費約 977 萬元；後續維持劑量每年須使用 Soliris 78 瓶，推估每人維持劑量年度藥費約 953 萬元。

本報告經參考 Ultomiris 仿單及 Ultomiris 醫療科技評估報告，並以不同規格量計算年度藥費，認為建議者計算藥費結果仍在合理範圍內，本報告予以沿用，僅微調 Ultomiris 首年藥費之維持劑量使用次數為 7 次。依仿單體重介於 60 公斤以上至 100 公斤以下的病人，起始劑量 2,700 mg，於初次給藥 2 週後開始以每 8 週給予維持劑量 3,300 mg，計算首年須使用 Ultomiris 每瓶 300 mg 規格共 9 瓶及每瓶 1100 mg 規格共 21 瓶，推估每人首年年度藥費約 1,043 萬元；後續每年每 8 週一次之維持劑量須使用每瓶 1100 mg 規格共 19.5 瓶，推估每人維持劑量年度藥費約 857 萬元。

建議者基於 Ultomiris 具用藥便利性，假設新診斷病人皆使用 Ultomiris。在既有病人部分，參照 2024 年醫療科技評估報告所設定的 Ultomiris 取代 Soliris 之市場轉換率（2025 年 50%、2026 年 80%、2027 年起 100%），本報告認為此假設應為合理。惟考量本報告係自 2026 年始推估未來五年之財務影響，故新增 2030 年 Ultomiris 市佔率為 100%。此外，針對原情境既有病人轉換使用 Ultomiris，建議者原僅估算維持劑量之年度藥費，未納入首年藥費進行推估。本報告進一步考量，2026 年至 2027 年間部分既有病人屬首次使用 Ultomiris，故以各年度既有病人人數扣除前一年度之新診斷及既有病人人數後，推估當年度首次使用 Ultomiris 之既有病人人數，並據以計算其首年藥費。

綜上所述，推估未來五年被取代品年度藥費約為第一年 3.83 億元至第五年 5.60 億元。

(6) 其他醫療費用

建議者考量正式核定仿單中，本品限由醫療人員施打，故不另行計算病人自

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

行皮下注射之其他醫療費用節省，本報告考量可節省之其他醫療費用甚小，故認為可接受。

(7) 財務影響

本品納入健保給付後，推估未來五年藥費財務影響約為第一年節省 0.06 億元第五年節省 0.35 億元。

(8) 敏感度分析

本報告考量本品市佔率具不確定性，故以±10%進行敏感度分析，結果如後表：

項目	基礎分析	低推估	高推估
本品市佔率	60%至 80%	50%至 70%	70%至 90%
本品使用人數	第一年 40 人至第五年 64 人	第一年 34 人至第五年 56 人	第一年 47 人至第五年 72 人
本品年度藥費	第一年 3.77 億元至第五年 5.25 億元	第一年 3.21 億元至第五年 4.61 億元	第一年 4.43 億元至第五年 5.90 億元
財務影響	第一年節省 0.06 億元第五年節省 0.35 億元	第一年節省 0.08 億元第五年節省 0.28 億元	第一年節省 54 萬元第五年節省 0.39 億元

四、經濟評估結論

(一) 主要醫療科技評估組織報告

- 加拿大 CDA-AMC 於建議草案中，在設有起始治療、停用、處方及定價前提條件下，建議收載 crovalimab 作為第一線藥物用於治療十三歲以上且體重四十公斤以上的陣發性夜間血紅素尿症（Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria, PNH）病人。相關條件包含：已使用 Health Canada 建議劑量之 eculizumab 或 ravulizumab 而治療效果不佳或失敗之病人，將不符合 crovalimab 的給付資格、crovalimab 應僅能依照 Health Canada 建議之劑量使用，以及 crovalimab 的藥品計畫成本不應超過已給付的 C5 抑制劑的最低藥品計畫成本。

(二) 財務影響

- 建議者推估本品納入健保給付後，將取代 Soliris 及 Ultomiris。推估未來五年（2025 年至 2029 年）本品使用人數約為第一年 35 人至第五年 51 人，本

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

- 品年度藥費約為第一年 3.34 億元至第五年 4.18 億元。藥費財務影響約為第一年增加 0.13 億元，第二年起節省 0.24 億元至第五年節省 0.23 億元。
2. 本報告主要以健保資料庫分析調整 13 歲以上且使用 Soliris 治療的 PNH 病人數，並調整 Ultomiris 藥費計算方式，推估未來五年（2026 年至 2030 年）本品使用人數約為第一年 40 人至第五年 64 人，本品年度藥費約為第一年 3.77 億元至第五年 5.25 億元。藥費財務影響約為第一年節省 0.06 億元第五年節省 0.35 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 4 月藥品專家諮詢會議討論，建議給付並以 Ultomiris 100mg/mL, 11mL（成分 ravulizumab）為核價參考品，爰本報告更新財務影響推估。本報告推估未來五年本品使用人數為第一年 40 人至第五年 64 人，本品年度藥費為第一年 3.34 億元至第五年約 4.64 億元，對健保的藥費財務影響為第一年節省 0.49 億元至第五年節省 0.96 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

參考資料

1. Reimbursement Review-crovalimab (Piasky) Canada's Drugs Agency. <https://www.cda-amc.ca/crovalimab>. Published 2025. Accessed Jun. 25, 2025.
2. 衛生福利部國民健康署. 罕見疾病通報個案統計表. <https://www.hpa.gov.tw/Pages/List.aspx?nodeid=1558>. Published 2024. Accessed January 13, 2025.
3. 國家發展委員會. 人口推估查詢系統. https://pop-proj.ndc.gov.tw/Custom_Detail_Search.aspx?n=39&t=1. Published 2023. Accessed Jun. 19, 2025.
4. 衛生福利部中央健康保險署. 藥品申報量. <https://www.nhi.gov.tw/ch/cp-2297-94173-2514-1.html>. Published 2023. Accessed January 13, 2025.
5. 衛生福利部食品藥物管理署藥品仿單查詢平台. 舒立瑞 濃縮靜脈輸注液 300 毫克. https://mcp.fda.gov.tw/im_detail_1/%E8%A1%9B%E9%83%A8%E7%BD%95%E8%8F%8C%E7%96%AB%E8%BC%B8%E5%AD%97%E7%AC%AC000016%E8%99%9F. Accessed Jun. 19, 2025.
6. 衛生福利部食品藥物管理署藥品仿單查詢平台. 妥立瑞輸注液 300 毫克. https://mcp.fda.gov.tw/im_detail_1/%E8%A1%9B%E9%83%A8%E7%BD%95%E8%8F%8C%E7%96%AB%E8%BC%B8%E5%AD%97%E7%AC%AC000036%E8%99%9F. Accessed Jun. 19, 2025.
7. 財團法人醫藥品查驗中心. 妥立瑞輸注液 100 毫克/毫升 (Ultomiris concentrate for solution for infusion 100 mg/mL) 醫療科技評估報告. <https://www.nhi.gov.tw/ch/cp-17559-70e73-3614-1.html>. Published 2024. Accessed Jun. 19, 2025.