

暫時性支付藥品計畫書撰寫原則

醫藥科技評估組

報告人：蔡欣宜小組長

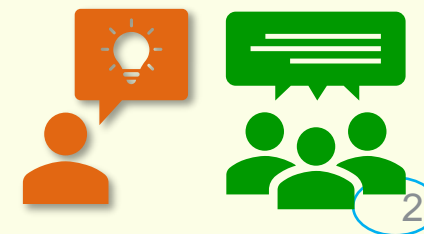
報告日期：114年11月12日

促進Good Submission Practice： 暫時性支付藥品計畫書撰寫原則與分享



本內容為針對廠商未來準備「暫時性支付藥品計畫書」之撰寫建議，係根據以往審查案例經驗彙整，旨在促進Good Submission Practice，以提升送件品質並加速審查時程。

實際審查結果仍將依「暫時性支付藥品再評估計畫書」審查會議專家建議為主



暫時性支付繳交之資料準備原則與案例分享

1 提交後續相關臨床試驗資訊

2 本土 / 國際 真實世界證據

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II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II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	<ol style="list-style-type: none"> 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	<ol style="list-style-type: none"> 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

1

納入暫時性支付後，提交後續相關臨床試驗資訊 – 請留意之要點

試驗名稱	健保給付情境	ABC臨床試驗	DEF 臨床試驗
ClinicalTrials.gov編號		NC1234567890	NC0987654321
病人族群 (P)	至少接受過 2線 全身治療	至少接受過 1線 全身治療	至少接受過 1線 全身治療
介入措施 (I)	單用ABC	合併 ABC, taxane	單用ABC
比較對象 (C)	-	研究人員挑選的化學治療	研究人員挑選的化學治療
專家諮詢會議建議結果 指標 (O)	ORR、第1及第2年PFS、 OS	OS	ORR、第1及第2年PFS、 OS
試驗執行時程	暫支付屆期 2027/6	2027/6	2030/12
「暫時性支付藥品再評 估計畫書」審查會議建 議	-	<ul style="list-style-type: none"> 病人族群、介入措施和結果指 標均不符 次族群進行分析雖可提供3線族 群之佐證資料，但無法外推至 健保給付2線單用治療之給付情 境 	<ul style="list-style-type: none"> 建議對於符合健保給付條件下之 次族群進行分析 (2線治療) <ul style="list-style-type: none"> – 包含亞裔次族群，台灣次族群 (樣本數較少，可採用描述性統 計) – 建議於屆期時提供期中分析

2

本土 / 國際 真實世界證據 – 審查會議請廠商補件的常見原因

項目	案例	審查會議請廠商補件原因
研究設計	研究設計預計於第12個月時採用回溯性方式進行資料收集外，將 無法提供更長期的數據	應注意研究設計方式是否足以提供暫支付屆期所需的數據
研究族群	較健保給付族群更為廣泛，且無說明預計針對健保給付族群進行次族群分析	研究族群與健保給付族群不相符
研究資料來源	<ol style="list-style-type: none"> 1. 回溯性研究 2. 5家醫學中心、台灣數家醫學中心 3. 多國多中心、回溯性觀察性研究 	<ol style="list-style-type: none"> 1. 無針對資料來源進行說明 2. 對於本土觀察性研究無清楚說明預計收案之醫療院所挑選依據 3. 對於國際觀察性研究無說明預計進行收案之國家
樣本數	無說明	未說明預計納入之樣本數
治療藥品及對照治療	至少接受0001劑治療之病人	無清楚說明單用或併用
結果指標	ORR、PFS	結果指標應具體說明

「暫時性支付藥品再評估計畫書」審查會議

審查重點及目前執行方式和規劃

「暫時性支付藥品再評估計畫書」 目前執行方式及規劃



現「暫時性支付藥品再評估計畫書」審查會議會
請該案廠商參加會議進行說明



建議廠商提交計畫書時，同時提交「欄位申請」

「暫時性支付藥品再評估計畫書」 審查會議專家共識

專家共識 (1)

再評估計畫書

- » 廠商應於再評估計畫書中盡可能檢附完整資料（包含研究問題及設計、數據來源、研究族群、研究人數、治療方式、研究時程、基期特性、結果指標、統計方法及研究限制等）或說明資料來源，而非僅有摘要
- » 再評估計畫書應提供可回應共同擬訂會議或專家諮詢會議結論中提及暫時性支付相關療效或安全性不確定性之實證研究，包含符合健保給付情境之研究族群、介入措施、比較對象，及會議建議追蹤收集之結果指標

真實世界研究之適用情境

- » 若**確認性試驗不符合健保給付情境**下之病人族群、介入措施、比較對象，及專家會議建議追蹤收集之結果指標時，廠商則**應提供真實世界研究證據**作為暫支付屆期時的佐證資料

本土觀察性研究

- » 需提供並蒐集病人基期特徵
- » 適度考量地域分布平衡，例如：人數與北、中、南區域，以確保蒐集資料具全國代表性
- » 若研究非僅收集由健保給付治療的病人，廠商**應預估由健保給付病人比例，並提供由健保給付病人之次族群分析。**

專家共識 (2)

資料來源

- » 如暫時性支付涉及藥品安全性議題，則建議廠商可提供藥品上市後監測、藥害救濟、恩慈療法等治療經驗與結果。若藥品無顯著種族差異疑慮，亦可提供國外資料佐證。

其他計畫書撰寫建議

- » 若無法於暫時性支付屆期時提供最終數據，建議應至少說明可**提供期中分析結果**，作為決策之依據
- » 建議在樣本數有限的情況下，可考慮**納入恩慈計畫接受治療之符合健保給付條件的病人**，以提高樣本數
- » 輔助性資料
 - **亞裔次族群的分析結果**，作為亞裔族群之支持性證據
 - 若納入給付時之樞紐試驗後續有**長期更新數據**
 - **食藥署上市後監測或要求**

Thank You For Your Attention



View our website: ...
<http://www.cde.org.tw/>