

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：Gablofen solution for intrathecal injection

學名：baclofen

事由：有關美達特有限公司建議將治療嚴重痙攣病人之新給藥途徑新藥 Gablofen 1000 mcg/mL (以下稱本品) 納入健保給付用於「治療 4 歲以上患者的腦源性和脊髓源性嚴重痙攣，僅用於對口服 baclofen 治療無反應或在有效劑量下出現無法耐受的中樞神經系統副作用者」一案，衛生福利部中央健康保險署於民國 114 年 3 月 21 日函請財團法人醫藥品查驗中心(以下稱查驗中心)進行評估，以供後續研議參考。

完成時間：民國 114 年 4 月 24 日

評估結論

一、主要醫療科技評估組織之給付建議

來源	最新給付建議				
CDA-AMC (加拿大)	至民國 114 年 4 月 24 日止，查無資料。				
PBAC (澳洲)	<p>於民國 106 年 7 月公告，建議給付 baclofen 脊髓鞘內注射 (intrathecal injection) 用於治療多發性硬化症、脊髓損傷或脊髓疾病導致的嚴重慢性腦源性痙攣 (severe chronic spasticity of cerebral origin)。PBAC 給付條件如下：</p> <table border="1" style="margin-left: auto; margin-right: auto;"> <thead> <tr> <th style="text-align: center;">適應症</th> <th style="text-align: center;">嚴重慢性痙攣 (severe chronic spasticity)</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td style="text-align: center;">臨床條件</td> <td> <p>必須有由腦部病變引起的慢性痙攣 (spasticity)</p> <p>對口服抗痙攣藥物 (oral antispastic agents) 治療無效，或因口服抗痙攣藥物治療產生不可接受的副作用</p> </td> </tr> </tbody> </table>	適應症	嚴重慢性痙攣 (severe chronic spasticity)	臨床條件	<p>必須有由腦部病變引起的慢性痙攣 (spasticity)</p> <p>對口服抗痙攣藥物 (oral antispastic agents) 治療無效，或因口服抗痙攣藥物治療產生不可接受的副作用</p>
適應症	嚴重慢性痙攣 (severe chronic spasticity)				
臨床條件	<p>必須有由腦部病變引起的慢性痙攣 (spasticity)</p> <p>對口服抗痙攣藥物 (oral antispastic agents) 治療無效，或因口服抗痙攣藥物治療產生不可接受的副作用</p>				
NICE (英國)	至民國 114 年 4 月 24 日止，查無資料。				

二、財務影響評估

- 建議者預期本品納入給付後臨床地位為新增關係，其表示由於缺乏痙攣發生機率的系統性研究，且本品須經由植入式幫浦注射到脊椎腔內，而幫浦及植入手術目前須由病人自費，故認為病人族群難以估計。建議者考量本品專案進口多年且進口量已趨平穩，故以近 3 年進口量為基礎，以複合成長率推估未來用量。
- 本報告考量本品納入給付後，用藥人數應會較病人須自費藥品時為多，故建議者以專案進口量來推估可能有低估疑慮。本報告透過健保資料庫分析 4 歲以上

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

符合肌肉痙攣診斷碼且使用口服 baclofen 的人數，再參考臨床專家意見設定其中 10% 為器質性問題（如腦部腫瘤、脊髓損傷、腦部出血中風等）產生的痙攣且符合本品給付條件（嚴重痙攣、對口服 baclofen 無反應）；再考量病人自費手術及幫浦進行治療的意願應不高，故假設治療比例為 10%。本品使用量則參考美國 FDA 仿單用法並以範圍中位數（腦源性痙攣為每日 395 mcg、脊髓源性痙攣為每日 550mcg）進行推估。

3. 本報告另考量植入手術及幫浦目前健保尚未給付，病人需自費進行故接受本品治療比例不高；倘未來健保將植入手術及幫浦納入給付，願意治療比例應會增加，故本報告對此進行敏感度分析。

項目	建議者推估 (114 至 118 年)	查驗中心推估(115 至 119 年)	
		基礎分析 (植入手術及幫浦尚未給付，需自費)	敏感度分析 (假設植入手術及幫浦納入給付)
病人願意治療比例	-	10%	50%
本品使用人數	-	107 人至 144 人	533 人至 720 人
本品使用量	174 瓶至 198 瓶	964 瓶至 1,304 瓶	4,819 瓶至 6,518 瓶
本品年度藥費 (藥費財務影響)	286 萬元至 325 萬元	1,582 萬元至 2,140 萬元	7,909 萬元至 10,698 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

美達特有限公司（以下簡稱建議者）於 2025 年 1 月向衛生福利部中央健康保險署（以下簡稱健保署）建議將新給藥途徑新藥 Gablofen 1000 mcg/mL（baclofen，以下簡稱本品）納入健保給付；而與本品相同成分之一般錠劑已有眾多品項納入健保給付，用於「脊髓和大腦疾病或損傷引起的肌肉痙攣病人」，其許可適應症及建議者提出之本品建議給付條件彙整如後表。

藥品	許可適應症	健保給付條件
Baclofen 錠劑	限於脊髓和大腦疾病或損傷引起的肌肉痙攣。	(未訂定給付條件)
Baclofen 注射劑 (本品)	(為專案進口藥品，尚無藥品許可證)	適用於治療 4 歲及以上成人和兒童患者的腦源性和脊髓源性嚴重痙攣。應僅用於對口服 baclofen 治療無反應的患者，或在有效劑量下出現無法耐受的中樞神經系統副作用的患者。(申請中)

健保署於 2025 年 3 月函請財團法人醫藥品查驗中心（以下簡稱查驗中心）進行評估，以供後續研議參考。查驗中心考量現已有同成分口服劑型納入健保給付，故整理主要醫療科技評估組織之給付建議，並就財務影響進行評估。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

二、主要醫療科技評估組織之給付建議

來源	報告日期
CDA-AMC (加拿大)	至 2025 年 4 月 24 日止，查無資料。
PBAC (澳洲)	於 2017 年 7 月公告。
NICE (英國)	至 2025 年 4 月 24 日止，查無資料。
SMC (蘇格蘭)	至 2025 年 4 月 24 日止，查無資料。

1. CDA-AMC (加拿大)

至 2025 年 4 月 24 日止，查無 baclofen 相關評估報告。

2. PBAC (澳洲) [1]

澳洲藥品給付諮詢委員會 (Pharmaceutical Benefits Advisory Committee, PBAC) 於 2017 年 7 月公告一份公開摘要文件 (Public Summary Document)，建議給付 baclofen 脊髓鞘內注射 (intrathecal injection) 用於治療多發性硬化症、脊髓損傷或脊髓疾病導致的嚴重慢性腦源性痙攣 (severe chronic spasticity of cerebral origin)。

● PBAC 同意的理由

- (1) 現已有給付 baclofen 10 mg/5 mL 規格品項，本次澳洲廠商所申請的為 40 mg/20 mL 新規格。考量新規格的每毫克價格與現有規格相同，不會增加額外的財務負擔，符合經濟合理性。
- (2) 現有規格 baclofen 10 mg/5 mL 的最高給付劑量為 100 mg，而新規格的申請為每次處方最多 80 mg。PBAC 認為此最大給付量足以滿足病人需求，不會影響治療效果，且符合臨床使用標準。
- (3) Baclofen 屬於澳洲藥品給付健保藥品補助系統 (Pharmaceutical Benefits Scheme, PBS) 下的「高度特殊藥品 (Highly Specialised Drugs, HSD)」，已受到特殊管理，確保其用藥安全與合理給付機制。

● PBAC 的給付條件

適應症	嚴重慢性痙攣(severe chronic spasticity)
臨床條件	必須有由腦部病變引起的慢性痙攣(spasticity)
	對口服抗痙攣藥物 (oral antispastic agents) 治療無效，或因口服抗痙攣藥物治療產生不可接受的副作用。

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

3. NICE (英國)

至 2025 年 4 月 24 日止，查無 baclofen 相關評估報告。

4. SMC (蘇格蘭)

至 2025 年 4 月 24 日止，查無 baclofen 相關評估報告。

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) 建議者之推估

建議者本次申請含 baclofen 成分藥品 Gablofen 注射劑（以下簡稱本品）納入健保給付，用於治療嚴重痙攣病人，並預期給付後之臨床地位為新增關係，並預估未來五年（2025 年至 2029 年）本品使用量為第一年 174 瓶至第五年 198 瓶，本品年度藥費等同財務影響約為第一年 286 萬元至第五年 325 萬元。有關建議者之推估方式摘要如後：

1. 臨床地位

建議者建議本品用於對口服 baclofen 治療無反應或在有效劑量下出現無法耐受的中樞神經系統副作用的病人，認為本品臨床地位為新增關係。

2. 本品使用量

建議者表示由於病人腦或脊髓性損傷或病變引發之痙攣發生機率缺乏系統性研究，且考量幫浦及植入手術費用須由病人自費，病人亦須能夠與幫浦共存才能持續使用，故認為病人族群難以估計。此外，建議者表示由於每位病人的有效劑量相差甚大，難以提出一個系統性且有參數的人數-用量預估模型。

因此，建議者表示其針對本品進行專案進口已有 7 年，且最近 3 年（2022 年至 2024 年）的進口量已達平穩緩步增長的狀態，故以此 3 年平均進口量 165 瓶為基礎，假設未來五年複合成長率約為 3%，推估未來五年（2025 年至 2029 年）的本品使用量為第一年 174 瓶至第五年 198 瓶。

3. 本品年度藥費

建議者依據本品建議給付價格，以及前述所推估之本品使用量，估算本品年度藥費為第一年 286 萬元至第五年 325 萬元。

4. 財務影響

建議者預估本品納入健保給付於嚴重痙攣病人之治療，未來五年（2025 年至 2029 年）年度藥費等同對健保之藥費財務影響，約為第一年 286 萬元至第五年 325 萬元。

(二) 本報告之評論與修正

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

建議者將評估年度設定為 2025 年至 2029 年，本報告考量案件審議時程，調整為 2026 年至 2030 年進行推估。本報告之評論與估算如後：

1. 臨床地位

參考本品建議給付條件，本品僅能使用於對口服 baclofen 治療無反應或在有效劑量下出現無法耐受的中樞神經系統副作用的病人，而此群病人目前在健保下並無其他治療選擇，故本報告認為本品納入健保給付後，臨床地位為新增關係。

2. 本品使用人數及使用量

建議者以其過去專案進口量推估未來使用量，本報告考量若本品納入健保給付後，使用人數應會較病人須自費時為多，故認為建議者的估算方式可能低估本品在納入給付後的使用量。

本報告首先透過健保資料庫分析 2018 年至 2023 年 4 歲以上符合肌肉痙攣診斷碼 (ICD-10-CM=M62.83) 且使用口服 baclofen 的病人數，再以線性回歸方式推估未來五年 (2026 年至 2030 年) 人數為第一年 10,651 人至第五年 14,408 人。接續，本報告諮詢臨床專家表示在目前臨床上因為肌肉痙攣而使用口服 baclofen 的病人中，為器質性問題 (如腦部腫瘤、脊髓損傷、腦部出血中風等) 產生的痙攣¹，且符合本品「嚴重痙攣」、「對口服 baclofen 治療無反應，或在有效劑量下出現無法耐受的中樞神經系統副作用」的比例約為 10%。

另外，考量使用本品前須先進行手術植入幫浦，而目前此術式及幫浦皆尚未納入健保給付，病人須自費進行，且費用較高，故專家認為會願意自費進行此治療的病人比例不高，約 10%。據此，本報告推估未來五年本品使用人數 (符合本品建議給付條件且願意自費手術及幫浦進行此治療者) 為第一年 107 人至第五年 144 人。其中，本報告依據臨床專家意見，腦源性痙攣占比 35%、脊髓源性痙攣占比 65%，將目標族群分為腦源性痙攣者 37 人至 50 人、脊髓源性痙攣者 69 人至 94 人。

在本品使用量部分，由於每位病人的劑量皆須獨立做劑量調整，故無固定的使用劑量，本報告參考本品於美國 FDA 的仿單用法用量²，腦源性痙攣者的使用劑量範圍為每日 90 mcg 至 700 mcg、脊髓源性痙攣者則為每日 300 mcg 至 800 mcg。本報告諮詢臨床專家表示年齡對於使用劑量的影響較小，可不區分年齡假設使用劑量，並建議可以範圍中位數腦源性痙攣者 395 mcg、脊髓源性痙攣者 550

¹ 專家表示有實質上器質性問題 (如腦部腫瘤、脊髓損傷、腦部出血中風等) 所產生的痙攣症狀，才可嚴格定義為痙攣，且符合本品適用條件。

² 由於本品為專案進口藥品，未取得藥品許可證，故無中文仿單。

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

mcg 進行計算。據此，本報告推估未來五年本品使用量為第一年 964 瓶至第五年 1,304 瓶。

3. 本品年度藥費

本報告依據本品建議給付價格，以及前述所推估之本品使用量，估算本品年度藥費為第一年 1,582 萬元至第五年 2,140 萬元。

4. 財務影響

本報告預估本品納入健保給付於嚴重痙攣病人之治療，未來五年（2026 年至 2030 年）年度藥費等同對健保之藥費財務影響，約為第一年 1,582 萬元至第五年 2,140 萬元。

5. 敏感度分析

考量目前幫浦及植入手術費用皆尚未納入健保給付，病人須自費進行，因此願意自費負擔幫浦及手術費用進行此治療的病人比例具有較高不確定性，本報告另以 50% 做為高推估進行敏感度分析，結果如後表所示：

項目	基礎分析	高推估
願意進行此治療的病人比例	10%	50%
本品使用人數	107 人至 144 人	533 人至 720 人
本品使用量	964 瓶至 1,304 瓶	4,819 瓶至 6,518 瓶
本品年度藥費 (等同財務影響)	1,582 萬元至 2,140 萬元	7,909 萬元至 10,698 萬元

四、經濟評估結論

- 建議者預估本品納入健保給付後臨床地位為新增關係，並推估未來五年（2025 年至 2029 年）本品使用量為第一年 174 瓶至第五年 198 瓶，本品年度藥費等同財務影響約為第一年 286 萬元至第五年 325 萬元。
- 本報告調整評估年度為 2026 年至 2030 年，並改以健保資料庫分析及臨床專家意見推估未來五年本品使用人數為第一年 107 人至第五年 144 人，本品使用量為第一年 964 瓶至第五年 1,304 瓶，本品年度藥費等同財務影響約為第一年 1,582 萬元至第五年 2,140 萬元。

參考資料

1. Public Summary Document - BACLOFEN (Sintetica Baclofen Intrathecal®) - July 2017 PBAC Meeting. Australian Government Department of Health and Aged Care — The Pharmaceutical Benefits Scheme (PBS). <https://www.pbs.gov.au/industry/listing/elements/pbac-meetings/psd/2017-07/files/baclofen-psd-july-2017.pdf>. Published 2017. Accessed April 24, 2025.
2. GABLOFEN (baclofen injection), for intrathecal use. Piramal Critical Care, Inc. https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2021/022462s0131bl.pdf. Published 2021. Accessed April 22, 2025.