

## 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：Spevigo (給付後療效評估)

學名：Spesolimab

事由：

- Spevigo® (spesolimab, 以下簡稱本案藥品) 自民國 113 年 7 月起納入我國全民健康保險給付，作為「經確診為具有 IL36RN 突變之全身型急性膿疱性乾癬」用藥。根據民國 113 年 4 月全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂會議（以下簡稱共擬會議）藥品部分第 67 次會議決議，決議以暫時性支付納入給付 2 年，並要求建議者於協議屆期前半年提出台灣或其他國家病人使用資料，以評估「關鍵績效指標 (KPI)」，包含「急性發作次數」及「住院頻率」等。
- 財團法人醫藥品查驗中心受衛生福利部中央健康保險署委託，就台灣百靈佳般格翰公司（以下簡稱建議者）提交之 Spevigo® 暫時性支付療效評估報告進行審查與評估，供後續審議會議參考。

完成時間：民國 114 年 11 月 16 日

### 評估結論

- 截至民國 114 年 10 月止，不論是加拿大 CDA-AMC 或是英國 NICE 皆建議有條件給付 spesolimab 作為全身性膿疱性乾癬之治療選擇，澳洲 PBAC 則尚無相關評估報告可供參考。其中，加拿大 CDA-AMC 建議用於急性發作外，也建議作為預防發作之治療用藥；英國 NICE 除建議用於急性發作外，亦可用於後續發作的治療。重點摘錄與健保給付相關之**急性發作膿疱性乾癬**給付條件如下表。

	加拿大 CDA-AMC	英國 NICE	澳洲 PBAC
報告日期	民國 114 年 1 月公告	民國 114 年 6 月公告	無相關評估報告公告
給付條件	符合以下所有條件之中至重度 GPP 急性發作： 1.GPPGA 總分≥3 分 2.新發或惡化的膿疱 3.GPPGA 膿疱次項目分數>2 分 4.皮膚紅斑和膿疱侵犯體表皮膚面積>5%		-
GPP 為 generalized pustular psoriasis 全身性膿疱性乾癬的縮寫；CDA-AMC 為 Canada's Drug Agency 加拿大藥品及醫療科技評估機構的縮寫；PBAC 為 Pharmaceutical Benefits Advisory Committee 藥品給付諮詢委員會的縮寫；NICE 為 National Institute for Health and Care Excellence 國家健康暨照護卓越研究院的縮寫；GPPGA 為 Generalized Pustular Psoriasis Physician Global Assessment 的縮寫。			

- 建議者提供 2 份暫時性支付屆期的佐證資料，分別為 Effisayi-REP 上市後試驗期中分析，及台灣皮膚科醫學會執行的本土觀察性研究（以下簡稱本土觀察性研究）期中分析結果。值得注意的是，這 2 份研究資料皆尚未公開發表，且未經同儕審查。整體而言，Effisayi-REP 試驗因試驗納入族群與健保給付族群不同，且評估指標設定的限制，無法穩健回應健保給付族群之關鍵績效指標「急性發作次數」

## 財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

及「住院頻率」。然而，本土觀察性研究顯示，接受 spesolimab 治療最長追蹤至 40 週，僅有 2 位病人再次急性發作，且無住院事件發生。重點摘述如後表。

	Effisayi-REP 上市後試驗 (期中分析)	本土觀察性研究 (期中分析)
試驗目的	評估 spesolimab 治療 GPP 急性發作病人，若又出現急性發作，再次使用 spesolimab 治療的效果	探討台灣 GPP 病人的人口學特徵、臨床特性、治療模式，及臨床結果。
試驗設計	開放式、多國多中心、單臂、上市後第 4 期臨床試驗	研究者主導、前瞻性、多中心的觀察性研究。
病人條件	無論是否為 IL-36RN 突變之 GPP 急性發作者 <sup>†</sup> 。詳如報告內文表一。	年滿 18 歲之確認為 GPP 的台灣病人。自 2024 年 7 月 1 日至研究結束期間接受健保給付 spesolimab 治療者。
評估指標	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. 主要指標：治療第 1 週後 GPPGA 膿疱項目分數達到 0 分的病人比例</li> <li>2. 次要指標：治療第 1 週後 GPPGA 中膿疱項目分數達到 0 或 1 分，且與基期相比降低<math>\geq 2</math> 分</li> <li>3. 其他指標：用藥後至第 1 次急性發作復發之時間</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. 治療後每 3 個月評估 GPP 嚴重度評分，包含 GPPGA 評分等</li> <li>2. 不良反應</li> </ol>
基期特徵	IL36RN 突變者約佔 3 成、所有病人 GPPGA 膿疱項目分數均 $\geq 2$ 、GPPGA 總分 $\geq 3$ 分者約佔 8 成。	所有病人皆為 IL36RN 突變。
療效結果	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. 在主要療效指標「GPPGA 中膿疱項目分數達 0 分」部分，整體族群 (n=36) 中約有 4 成病人達成該指標；於 GPPGA<math>\geq 3</math> (n=16) 及 IL36RN 突變 (n=8) 次族群中，則分別有約 5 成及 6 成病人達成。</li> <li>2. 在再次急性發作部分，自第 4 週起即有少數病人出現發作事件，且隨著追蹤時間延長，再次發作的病人數呈持續上升趨勢。</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. 12 位病人在接受 spesolimab 治療後，GPPGA 總分皆呈下降，且 GPPGA 中膿疱項目分數皆可達 0 分。</li> <li>2. 40 週追蹤期間，有 2 位病人在第 26 至 30 週再次急性發作；皆無住院事件或不良事件通報。</li> </ol>
試驗(研究)限制	Effisayi-REP 試驗之病人族群與健保給付族群存有差異，且評估指標並非暫支付屆期應提供之關鍵績效指標。	該登錄研究預計最終收案 15 至 25 位使用 spesolimab 之病人，目前僅有 12 位病人，最長追蹤至 40 週的研究結果。
<sup>†</sup> GPP 急性發作定義為 GPPGA 膿疱項目分數 $\geq 2$ 分、新出現膿疱或膿疱惡化，及紅斑和膿疱侵犯體表面積 $\geq 5\%$ 。		

# 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

本案為針對台灣百靈佳殷格翰有限公司（以下簡稱建議者）於 2025 年 10 月 1 日提交之 Spevigo<sup>®</sup>（spesolimab，以下簡稱本案藥品）暫時性支付療效評估報告進行審查與評估，相關背景說明如後。

本案藥品於 2024 年 4 月 18 日全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂會議藥品部分第 67 次會議（以下簡稱共擬會議）提會討論，會議結論略以，因考量臨床針對 IL-36 基因突變之全身性膿疱性乾癬（generalized pustular psoriasis, GPP）尚無標靶治療藥物，加拿大 CDA-AMC、澳洲 PBAC 及英國 NICE<sup>a</sup> 皆尚未納入給付，且臨床試驗具有不確定性，決議以暫時性支付納入給付 2 年。建議者應於協議屆期前半年提出台灣或其他國家病人使用資料，評估「關鍵績效指標（KPI）」為急性發作次數及住院頻率等[1]。本案藥品自 2024 年 7 月納入全民健康保險給付，給付條件如表一[2, 3]。

表一、Spesolimab 健保給付條件

<p>用於全身型急性發作膿疱性乾癬治療部分</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>限皮膚科專科醫師及風濕免疫科專科醫師使用。</li> <li>經確診為具有 IL36RN 突變之全身型急性膿疱性乾癬，且符合以下所有條件者： <ol style="list-style-type: none"> <li>中重度之 GPP（GPPGA 總分<math>\geq 3</math> 且 GPPGA 膿疱項目分數<math>\geq 2</math>）。</li> <li>伴有膿疱之紅腫部位侵犯體表面積<math>&gt;10\%</math>。</li> </ol> </li> <li>需經事前審查核准後使用，申請時需檢附所有病灶照片及 IL36RN 檢測報告，每次申請參考仿單建議劑量，以一次給予 900 毫克為原則。</li> <li>若於給予初始劑量的 1 週後急性發作症狀持續（GPPGA 總分<math>\geq 2</math> 且 GPPGA 單項膿疱評分<math>\geq 2</math>），可再給予額外一劑 900 毫克。</li> <li>需檢附 IL36RN 突變檢測報告，且需符合全民健康保險藥品給付規定之通則十二。</li> </ol>
--

基於財團法人醫藥品查驗中心先前已針對本案藥品完成多份醫療科技評估報告，本報告此次將以補充報告格式更新國際醫療科技評估組織之給付建議，並呈現建議者提交之 Effisayi-REP 臨床試驗及台灣皮膚科醫學會執行之觀察性研究期中分析結果，以供後續會議研議參考。

### 二、療效評估

#### （一）主要醫療科技評估組織給付建議

<sup>a</sup> CDA-AMC 為 Canada's Drug Agency 加拿大藥品及醫療科技評估機構的縮寫；PBAC 為 Pharmaceutical Benefits Advisory Committee 藥品給付諮詢委員會的縮寫；NICE 為 National Institute for Health and Care Excellence 國家健康暨照護卓越研究院的縮寫。

# 財團法人醫藥品查驗中心

## 醫療科技評估報告補充資料

### 1. 加拿大 CDA-AMC[4]

加拿大 CDA-AMC 於 2025 年 1 月公告之評估報告，建議有條件給付 spesolimab 用於成人和 12 歲以上且體重 40 公斤以上的 GPP 病人。

#### (1) 起始條件：

適用於根據歐洲罕見和嚴重乾癬專家網絡 (European Rare and Severe Psoriasis Expert Network, ERASPEN) 診斷標準為患有 GPP 之成人，及 $\geq 12$  歲且體重 $\geq 40$  公斤的兒童，包含急性發作及預防 GPP 發作，條件如後。

#### A. 急性發作 (Acute Flare Treatment)：

- 用於治療中度至重度 GPP 急性發作。包括以下所有條件：GPPGA (Generalized Pustular Psoriasis Physician Global Assessment total score) 總分 $\geq 3$  分、新發或惡化的膿疱、GPPGA 膿疱次項目分數 $> 2$  分<sup>b</sup>，及皮膚紅斑和膿疱侵犯體表皮膚面積 $> 5\%$ 。

#### B. 預防發作 (Prevention of Flares)：

- 用於預防有復發史的病人發作。包括以下所有條件：需有至少 2 次 GPP 發作病史，GPPGA 總分需為 0 或 1 分，且無可辨識、可修正的發作誘因。

#### C. 起始期限：用於預防 GPP 發作之起始核准給付期間為 6 個月。

#### (2) 預防發作之續用給付：

- 起始續用申請條件：治療後 6 個月評估，且必須證明維持起始治療時的 GPPGA 總分 (未惡化)，及發作次數相較於基期有減少。
- 後續續用申請條件：每年需進行評估，且須證明與治療前 1 年相比，發作次數持續減少。若病人年度絕對發作次數減少者，則應證明中至重度發作次數少於 2 次，則可考慮續用給付。

#### (3) 預防發作之中止條件：若因預防發作而需要附加標準治療藥物，或 GPP 疾病惡化，則應中止給付。

<sup>b</sup> Generalized Pustular Psoriasis Physician Global Assessment (GPPGA)：GPP 常見三大症狀，分別為膿疱 (Pustules)、紅斑 (Erythema)、脫屑 (Scaling)，以 0 至 4 分評估各症狀，例如：0 分表示代表沒有可視的膿疱，4 分嚴重膿疱狀態。GPPGA 為前述 3 項症狀平均分數範圍內對應之總分，用以判斷疾病嚴重程度[平均 0 分則為 0 分，0 to  $< 1.5$  為 1 分，1.5 to  $< 2.5$  為 2 分，2.5 to  $< 3$  為 3 分，3.5 分以上為 4 分；範圍由 0 分 (潔淨皮膚狀態) 至 4 分 (嚴重疾病)]。

## 財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

- (4) 處方權限：必須由具備 GPP 和其他類型乾癬管理專業知識的臨床醫師（皮膚科醫師或風濕科醫師）處方。
- (5) 價格要求：須至少降價 79%，spesolimab 相較於無治療的遞增成本效果比值（Incremental cost-effectiveness ratio, ICER）方可達到 50,000 加幣/QALY gained。

此外，委員會也討論了現有實證缺口，包含以下幾點：

- (1) 住院及死亡率證據不足：對於可能伴隨危及生命之發作型疾病而言，發作期間的症狀緩解、降低住院率及死亡率，均為重要指標。然而，目前尚缺乏足夠證據可評估 spesolimab 是否能有效降低住院或死亡風險。
- (2) 疼痛評估具不確定性：spesolimab 相較於安慰劑，於第 4 週是否可減緩疼痛，實證仍存在不確定性。
- (3) 缺乏長期實證：目前證據僅限於 48 週，仍缺乏長期療效的數據，尤其是預防疾病發作。
- (4) 基於 GPP 發作為不可預測，因此委員會強調持續監測病人，並權衡持續治療的風險和益處是非常重要的。

### 2. 澳洲 PBAC[5]

截至 2025 年 11 月 11 日止，於 PBAC 網站，使用“spesolimab”為關鍵字查詢，查無與本案藥品相關之評估報告。

### 3. 英國 NICE[6]

英國 NICE 於 2025 年 6 月 18 日公告之評估報告，建議給付 spesolimab 作為成人 GPP 發作的一個治療選項，但必須滿足以下特定條件：

#### (1) 針對初次中度至重度發作

Spesolimab 用於治療初次中度至重度發作，需滿足以下所有條件：

- GPPGA 總分 $\geq$ 3 分（至少為中度）。
- 新發或惡化的膿疱。
- GPPGA 膿疱次項目分數 $>$ 2 分（至少為輕度）。
- 皮膚紅斑和膿疱侵犯體表面積至少 5%。

#### (2) 針對後續發作

## 財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

Spesolimab 可用於治療後續發作，需滿足以下條件：

- 上次發作是以 spesolimab 治療，且 GPPGA 膿疱項目分數已改善至 0 或 1 分（皮膚清晰或幾乎清晰），則後續若再次發生 GPPGA 膿疱次項目分數 > 2 分（至少為輕度）。

### (3) 其他治療和實施考量

- 如果發作在 8 天後仍未緩解至 GPPGA 膿疱次項目分數 0 或 1 分，可以考慮使用第 2 劑 spesolimab。
- 應考慮膚色可能對 GPPGA 評分造成的影響，並進行任何必要的調整。
- Spesolimab 僅在藥廠根據商業協議（simple discount patient access scheme）提供的情況下，方可給付。

### 4. 蘇格蘭 SMC[7]

SMC 於 2025 年 3 月公告，根據孤兒等效藥物流程完成評估後，不建議 spesolimab（Spevigo®）在 NHSScotland 內使用。

#### (1) 不建議的理由

儘管根據 1 項雙盲第 II 期臨床試驗結果指出，spesolimab 相較於安慰劑，可顯著提高中至重度 GPP 急性發作病人達到膿疱完全清除的比例。但蘇格蘭廠商並未能提供足夠完整且具說服力的臨床及經濟分析，因此 SMC 不建議給付 spesolimab。整體來說，委員會經綜合考量現有可得證據，及病友和臨床專家參與所提供之建議後，仍無法接受 spesolimab 在 NHSScotland 中使用。

#### (二) 建議者提供之資料摘要

關於建議者提供的 Effisayil-REP 試驗期中分析，及台灣皮膚科醫學會執行之觀察性研究期中分析皆為尚未公開發表，因此本報告後續僅就研究中所提供之資料與方法進行描述與評論，不於報告中揭露詳細數據。

#### 1. 全球性 Effisayil-REP 試驗之期中分析結果

由於廠商提交之 Effisayil-REP 試驗期中分析結果，尚未公開發表，因此本報告進一步綜合參考 ClinicalTrials.gov 中關於該試驗之相關資訊。Effisayil-REP 試驗於 2023 年 10 月啟動，為一項多國多中心之上市後臨床試驗。該試驗旨在評估 spesolimab 治療 GPP 急性發作的病人，若又出現急性發作，其再次使用 spesolimab

## 財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

治療的效果。實際收案人數為 42 人。彙整該試驗設計如表二。

表二、Effisayil-REP 臨床試驗簡介[8]

試驗名稱	Effisayil-REP；NCT06013969
試驗目的	評估 spesolimab 是否有助於治療 GPP 反覆發作
試驗期別	開放式、多國多中心、單臂、上市後第 4 期臨床試驗
試驗執行者	Boehringer-Ingelheim
收案條件	<p>符合下列條件之<math>\geq 18</math>歲病人：</p> <p><b>條件一、符合以下 A 或 B：</b></p> <p>A. 過去曾有 GPP 疾病史（符合 ERASPEN 診斷條件），且無論是否為 IL-36RN 突變，GPPGA 膿疱項目分數為 0 或 1</p> <p>B. 已知有 GPP 疾病史（符合 ERASPEN 診斷條件），且正經歷 GPP 發作，無論是否為 IL-36RN 突變</p> <p><b>條件二、具有 GPP 反覆發作病史：</b></p> <p>A. 篩選時未合併使用 GPP 治療之病人須於過去 1 年內至少 2 次發作</p> <p>B. 篩選時正合併使用 GPP 治療之病人須於給予 spesolimab 當天停止用藥，並存在過往因減藥或停藥而造成 GPP 發作之病史</p> <p>符合上述收案條件之病人，若急性發作並符合下列條件將接受 spesolimab 治療：</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>● GPP 急性發作： <ul style="list-style-type: none"> <li>■ GPPGA 膿疱項目分數<math>\geq 2</math>分</li> <li>■ 存在新生的膿疱（新出現膿疱或膿疱惡化）</li> <li>■ 紅斑和膿疱侵犯體表面積至少 5%</li> </ul> </li> </ul>
試驗用藥	Spesolimab 900 mg IV
試驗設計與追蹤時長	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 每位病人將歷經至多 6 個月之篩選期，每次急性發作用藥後進入 8 天治療期、12 週之療效觀察期，及後續追蹤期</li> <li>● 每位病人無論其急性復發狀況，用藥後整體臨床試驗追蹤期間為 108 週</li> </ul>
期中分析療效指標	<p>(1) 主要療效指標（評估第 1 次急性復發用藥後）： =&gt; 用藥後第 1 週 GPPGA 中膿疱項目分數達到 0 分</p> <p>(2) 次要療效指標（評估第 1 次急性復發用藥後）： =&gt; 用藥後第 1 週 GPPGA 中膿疱項目分數達到 0 或 1 分，且與基期相比降低<math>\geq 2</math>分</p> <p>(3) 其他療效指標（試驗期間每 1 次急性發作用藥情形皆納入評估）： =&gt; 用藥後至第 1 次急性發作復發之時間（新生膿疱或膿疱惡化，且 GPPGA 膿疱分數<math>\geq 2</math>分）</p>
期中數據截取	2025 年 5 月 16 日

## 財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

預估主要指標完成時間	2026 年 7 月 23 日		
預估試驗完成時間	2026 年 8 月 14 日		
期中分析族群定義及病人數	Effisayil-REP 試驗之收案來源包含以下三種：		
	(1) 加入 Effisayil-REP 試驗前未曾使用過 spesolimab 之病人		
	(2) 過去曾於第 I 期試驗 (1368-0011) 或 Effisayil-1 樞紐試驗 (1368-0013) 使用過 spesolimab 進行治療之病人		
	(3) 加入 Effisayil-REP 試驗前已使用過 spesolimab 但未參與 1368-0011 或 Effisayil-1 試驗者		
	分析族群	定義	人數
安全性分析族群	包含所有在 Effisayil-REP 試驗中，至少接受 1 次 spesolimab 靜脈注射的受試者	42 人	
完整分析族群	包含在本試驗中首次接受 spesolimab 靜脈注射的所有受試者，以及曾在試驗 1368-0011 或 1368-0013 中因 GPP 急性發作接受過 spesolimab 靜脈注射的受試者	36 人	
安全性分析族群-反覆急性發作 (Recurrent Flare)	(1) 包含曾出現急性發作的受試者 (即在本試驗中出現 2 次急性發作，或在本試驗中出現 1 次急性發作且曾於 1368-0011 或 1368-0013 中接受 spesolimab 靜脈注射治療者)，且在本試驗中至少接受過 1 次 spesolimab 靜脈注射以治療其急性復發者。 (2) 完整分析族群之次族群，排除缺乏前次 GPP 急性發作相關 spesolimab 靜脈注射既往治療資訊的受試者，即曾於試驗 1368-0001 或 1369-0013 之外接受 spesolimab 治療者。	25 人	
統計分析方法	描述性分析。		

### (1) Effisayil-REP 試驗病人基期特徵

Effisayil-REP 截至 2025 年 5 月 16 日的期中資料，Effisayil-REP 試驗共納入 42 名至少接受 1 次 spesolimab 治療的受試者。受試者以女性病人及亞洲族群居

## 財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

多，分別各約佔 6 成及 7 成（包含 5 名台灣病人）。平均年齡為 45.1 歲，約 8 成病人年齡小於 65 歲。基因與病史特徵方面，IL36RN 突變者約佔 3 成，另約有 4 成病人合併乾癬病史。所有受試者在急性發作時 GPPGA 膿疱單項評分均 $\geq 2$ 分，其中約 6 成受試者達 3 分以上；GPPGA 總分 $\geq 3$ 分者約佔 8 成，顯示受試者以中至重度發作為主。平均疾病病程約 9 年，最長約達 32 年。無病人於基期時合併使用其他生物製劑，僅 1 人併用其他全身性用藥。

### (2) Effisayil-REP 試驗期中分析結果

#### A. 整體試驗族群

##### (a) 主要及次要療效指標

Effisayil-REP 試驗共有 25 名受試者在第 1 次急性復發時接受 spesolimab 治療後 1 週，約有 4 成可達到主要療效指標「GPPGA 中膿疱項目分數達 0 分」，約有 5 成可於第 4 週達到前述指標。此外，約 6 成受試者在治療後第 1 週可達到次要療效指標「GPPGA 中膿疱項目分數 0 或 1 分，且相較於基期降低 $\geq 2$ 分」，約有 5 成可於第 4 週達到前述指標。

##### (b) 其他療效指（用藥後至第 1 次急性發作復發之時間）

Effisayil-REP 試驗共 36 名首次接受過 spesolimab 治療。第 4 週僅有 2 位受試者（約 6%）出現再次急性發作；隨著追蹤時間延長，至第 40 週、52 週及 64 週，分別有約 4 成、6 成及 6 成受試者出現再次急性發作。

#### B. 次族群分析

- 依基期 GPPGA 總分分層：16 名中重度發作（GPPGA  $\geq 3$ ）受試者中，約 5 成可達到主要療效指標「治療 1 週後，GPPGA 中膿疱項目分數達 0 分」，約有 7 成可於第 4 週達到前述指標。此外，有約 8 成受試者可達到次要療效指標。
- IL36RN 突變族群：8 名 IL36RN 突變受試者中，約有 6 成可達到主要療效指標「治療 1 週後，GPPGA 中膿疱項目分數達 0 分」；約 9 成受試者可達到次要療效指標。
- 台灣受試者：2 名台灣病人至少接受一次 spesolimab 治療，僅有 1 名達到主要療效指標；另 1 名則於第 4 週方可達到膿疱完全清除，且均可維持至第 12 週未復發。

#### 2. 台灣皮膚科醫學會執行之觀察性研究—台灣全身型膿疱性乾癬本土登錄計

# 財團法人醫藥品查驗中心

## 醫療科技評估報告補充資料

### 畫之期中分析

台灣皮膚科醫學會執行之觀察性研究，旨在探討台灣 GPP 病人的治療模式與臨床結果，為 1 項非介入性的觀察性研究。研究設計詳如表三。

表三、台灣全身型膿疱性乾癬本土登錄計畫研究設計

研究名稱	台灣全身型膿疱性乾癬病人之治療模式與臨床結果：非介入性觀察研究
研究目的	目的為彙整登錄資料中之 GPP 病人的人口學特徵、臨床特性、治療模式，及臨床結果。
研究設計	研究者主導、前瞻性、多中心的觀察性研究。
主要收案條件	年滿 18 歲之確認為 GPP 的台灣病人。
資料收集方式	透過病歷回顧方式進行數據收集。
預計收案人數與追蹤期間	預計收案約 50 位受試者，包含 15 至 25 名為自 2024 年 7 月 1 日至研究結束期間接受或曾接受 spesolimab 治療者。所有受試者將追蹤觀察 1 年。
期中分析療效指標	(1) 基期：人口學特徵、醫療史、GPP 嚴重度評分，及不良反應。 (2) 追蹤：治療後每 3 個月評估 GPP 嚴重度評分，及不良反應。 ※ GPP 嚴重度評估項目包含 GPPGA、GPPASI*、PSS <sup>†</sup> 、搔癢視覺類比量表 (itch VAS)、疼痛視覺類比量表 (pain VAS) 及皮膚病生活品質指數 (DLQI) 等評估。
期中數據截取日期	2025 年 6 月 30 日
期中分析受試者人數	截至期中數據截止日，共收案 12 位接受 spesolimab 治療之病人。
統計分析方法	描述性統計方式進行分析。
*GPPASI (Psoriasis Area and Severity Index [PASI] for Generalized Pustular Psoriasis 評分為從 PASI 評分工具採用而來，將 PASI 工具中的硬結組成 (induration component) 取代為膿疱組成 (pustule component)；分數範圍：0 分 (最不嚴重) 到 72 分 (最嚴重)。 † PSS (Psoriasis Symptom Scale) 為乾癬病人自我評量自身疼痛、紅腫、搔癢，以及燒灼的工具；分數範圍從 0 到 16，越高分代表疾病症狀嚴重度越高。	

#### (1) 台灣觀察性研究病人收案概況

截至 2025 年 6 月 30 日止，共收案 28 名全身型膿疱性乾癬病人，其中僅 12 名接受健保給付的 spesolimab 治療，其餘 16 名接受其他治療方案。收案醫療院所涵蓋多個醫學中心，包括台大醫院、長庚醫院林口與高雄院區、中國醫藥大學附設醫院、成功大學醫院、高雄醫學大學附設醫院，及榮民總醫院等。

#### (2) 台灣觀察性研究病人基期特徵

## 財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

在接受 spesolimab 治療的 12 名病人中，平均年齡為 45.7 歲，女性約佔 6 成。所有病人皆檢測為 IL36RN 突變，其中約 8 成為同型合子突變。在疾病發作頻率方面，約有一半的病人於過去 12 個月內，發作次數介於 0 至 3 次，另約 4 成病人發作次數>3 次。在皮膚臨床表現方面，約有 4 成病人有脫屑、紅斑、及疼痛症狀發生，約 7 成 5 有膿疱症狀。在過去治療經驗中，約有 6 成病人曾使用過生物製劑，包括 brodalumab、adalimumab 及 ustekinumab 等。

### (3) 台灣觀察性研究結果

在健保給付條件下，12 名病人使用 spesolimab，最長追蹤至治療後 40 週。所有病人的 GPPGA 總分皆呈下降，其中 3 名病人於第 12、14 及 27 週降至 0 分；所有病人 GPPGA 中膿疱項目分數均降至 0 分。期間有 2 名病人在第 26 至 30 週再次急性發作，但未再次接受 spesolimab 治療。截至期中資料截取日，12 名病人皆無住院事件或不良事件通報。

### (4) 台灣觀察性研究限制

基於臨床實務環境，每位病人追蹤訪診時間間隔存有差異，且因基因檢測及事前審查時間各異，可能使得病人給藥及資料登錄時間存在差異。

## (三) 查驗中心評論

### 1. Effisayil-REP 上市後試驗

- (1) 病人族群差異：Effisayil-REP 試驗所納入之 GPP 反覆急性發作病人條件與健保給付族群並不完全相同。例如，健保給付 spesolimab 用於「具 IL36RN 突變之中重度<sup>o</sup>GPP 急性發作，且膿疱之紅腫部位侵犯體表面積>10%之病人」。然而，Effisayil-REP 試驗可能涵蓋給付條件以外之 GPP 病人，且試驗並未限制須為 IL36RN 突變者。
- (2) 評估指標差異：試驗評估指標為「GPPGA 中膿疱項目分數改善情形」及「用藥後至第一次發作的時間」，並未收集共擬會議建議的關鍵績效指標「急性發作次數」及「住院頻率」。
- (3) 試驗結果限制：由於 Effisayil-REP 試驗族群與健保給付族群並不相符，建議者雖於主要療效指標另進行「GPPGA 總分 $\geq 3$ 」及「IL36RN 突變」次族群分析，以貼近給付條件，但此類次族群的樣本數更為有限，且與實際健保族群仍在差異。整體而言，該試驗不論在病人族群選取或評估指標設計上，皆無法充分回應暫時性支付屆期所需檢視的重點問題。

<sup>o</sup> GPPGA 總分 $\geq 3$  且 GPPGA 膿疱項目分數 $\geq 2$ 。

# 財團法人醫藥品查驗中心

## 醫療科技評估報告補充資料

### 2. 台灣皮膚科醫學會執行之觀察性研究

- (1) 病人族群部份：台灣觀察性研究納入分析之 12 位病人皆為台灣健保給付接受 spesolimab 治療者，藉此呈現台灣真實世界情境下之治療成效。
- (2) 評估指標部份：研究結果顯示，接受 spesolimab 治療者在 GPPGA 總分及膿疱項目分數皆呈下降趨勢。此外，截至分析時間點，僅有少數病人再次急性發作，且未有病人發生住院事件。
- (3) 研究結果限制：截至期中分析僅收案 12 位病人，追蹤時間最長為 40 週。該研究預計最終收案 15 至 25 位使用 spesolimab 之病人，未來可望更完整呈現健保給付條件下台灣病人的實際使用情形。

# 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. 全民健康保險藥物共同擬訂會議藥品部分第 67 次會議紀錄(2024.5.13 新增)。衛生福利部中央健康保險署。  
<https://www.nhi.gov.tw/ch/cp-15082-1afc2-3623-1.html>. Accessed October 20, 2025.
2. 最新版藥品給付規定內容(整份)-114.09.24 更新。衛生福利部中央健康保險署。  
<https://www.nhi.gov.tw/ch/cp-13108-67ddf-2508-1.html>. Accessed October 20, 2025.
3. 健保給付規定 8.2.4.6.2. : Spesolimab (如 Spevigo)。衛生福利部中央健康保險署。  
[https://info.nhi.gov.tw/api/INAE3000/INAE3000S01/getPDF?DurgFileName=8.2.4.6.2.\\_20240701.pdf](https://info.nhi.gov.tw/api/INAE3000/INAE3000S01/getPDF?DurgFileName=8.2.4.6.2._20240701.pdf). Accessed October 20, 2025.
4. Reimbursement Recommendation - spesolimab. Canada's Drug Agency.  
<https://www.cda-amc.ca/spesolimab>. Accessed October 20, 2025.
5. Pharmaceutical Benefits Advisory Committee. Australian Government Department of Health.  
<https://www.pbs.gov.au/info/industry/listing/elements/pbac-meetings>. Accessed November 11, 2025.
6. Spesolimab for treating generalised pustular psoriasis flares [TA1070]. National Institute for Health and Care Excellence.  
<https://www.nice.org.uk/guidance/ta1070>. Accessed October 20, 2025.
7. Medicine advice - spesolimab (Spevigo). Scottish Medicines Consortium.  
<https://scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/spesolimab-spevigo-full-smc2729/>. Accessed October 20, 2025.
8. ClinicalTrials.gov. A Study to Test Whether Spesolimab Helps People With Generalized Pustular Psoriasis (GPP) Who Need Treatment for Repeated Flares [NCT06013969]. National Center for Biotechnology Information, National Library of Medicine. <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06013969>. Accessed November 11, 2025.