

芮寶興 凍晶注射劑 (Reblozyl powder for solution for injection)

醫療科技評估報告

「藥物納入全民健康保險給付建議書-藥品專用」資料摘要

藥品名稱	Reblozyl powder for solution for injection	成分	Luspatercept
建議者	台灣必治妥施貴寶股份有限公司		
藥品許可證持有商	台灣必治妥施貴寶股份有限公司		
含量規格劑型	凍晶注射劑；每玻璃藥瓶 25mg 及 75mg，每毫升 50mg。		
主管機關許可適應症	1. 用於治療 IPSS-R 分級為非常低度至中度風險 (very low to intermediate risk) 之骨髓增生不良症候群 (myelodysplastic syndrome) 所導致的輸血依賴型貧血成人病人。 2. 用於治療與 β 型海洋性貧血相關的非輸血依賴性貧血(起始治療時血紅素濃度 < 10 g/dL) 的成人病人。		
建議健保給付之適應症內容	用於治療 IPSS-R 分級為非常低度至中度風險 (very low to intermediate risk) 之骨髓增生不良症候群 (myelodysplastic syndrome) 所導致的輸血依賴型貧血成人病人。		
建議健保給付條件	<input checked="" type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> 有，_____		
仿單建議療程	Reblozyl 的建議起始劑量為 1.0 mg/kg，每 3 週一次；並依據病人治療反應狀況調整劑量。建議理想的 Hb 濃度範圍為 10 g/dL 至 12 g/dL。		
建議者自評是否屬突破創新新藥	<input type="checkbox"/> 非突破創新新藥 <input checked="" type="checkbox"/> 突破創新新藥		
健保是否還有給付其他同成分藥品	<input checked="" type="checkbox"/> 無同成分 (複方) 健保給付藥品 <input type="checkbox"/> 有，藥品名為_____。		

醫療科技評估報告摘要

摘要說明：

- 一、參考品：本案建議者以突破創新新藥提出申請，不需核價參考品。但若審議認定不屬於突破創新新藥，則本報告在綜合考量 WHO ATC 分類、臨床治療指引建議、我國許可適應症、健保收載情形及相對療效實證資料後，認為本案藥品無合

適參考品。

二、主要醫療科技評估組織之給付建議：(詳如表二)

截至民國 114 年 9 月 9 日，不論是加拿大 CDA-AMC、澳洲 PBAC，或是英國 NICE，皆查無與本案相關之評估報告可供參考。

三、相對療效與安全性 (人體健康)：

關於本案目標族群之相對療效及安全性，本報告主要是參考一項多國多中心、開放式標籤的第 III 期隨機對照試驗 COMMANDS。該試驗旨在探討 luspatercept 與 epoetin alfa 用於未曾接受 ESA (ESA-naive) 治療之非常低、低或中度風險之骨髓增生不良症候群 (myelodysplastic syndrome, MDS) 所導致的輸血依賴型貧血成人病人之相對療效與安全性。主要療效指標為「第 1 到 24 週至少持續 12 週以上達到不依賴紅血球輸注，且血紅素濃度平均至少增加 $\geq 1.5\text{g/dL}$ 」。

基期特徵 (如報告內文表六)	2 組基期特徵大致相似，年齡中位數約 74 歲，亞裔的病人比例約占 12%。		
相對療效 (如報告內文表七)	Luspatercept 相較於 epoetin alfa，統計上有顯著更多的病人可達到主要療效指標「第 1 到 24 週至少持續 12 週以上達到不依賴紅血球輸注，且血紅素濃度平均至少增加 $\geq 1.5\text{g/dL}$ 」及關鍵次要療效指標。試驗結果彙整如後表。		
		Luspatercept (n = 182)	Epoetin alfa (n = 181)
	主要療效指標		
	第 1 至 24 週，持續 12 週不依賴紅血球輸注，且平均 Hb 增加 $\geq 1.5\text{ g/dL}$ 的病人比例	110 人 (60%)	63 人 (35%)
	常見風險反應率差異 (95%CI)	25.4% (15.8 至 35.0 ; p < 0.0001)	
	OR (95%CI)	3.1 (2.0 至 4.8)	
	第 1 關鍵次要療效指標		
	第 1 至 24 週，血液學改善反應持續 ≥ 8 週的病人比例	135 (74%)	96 (53%)
	常見風險反應率差異 (95%CI)	21.5% (12.2 至 30.7 ; p < 0.0001)	
OR (95%CI)	2.8 (1.8 至 4.5)		
生活品質	建議者提供的研討會海報結果指出，luspatercept 相較於 epoetin alfa，可改善病人的生活品質。		
相對安全性	Luspatercept 相較於 epoetin alfa，有較高的不良事件發生率；最常見的不良事件為疲倦、腹瀉、高血壓等。		

四、醫療倫理：

本報告雖無相關系統性收集之資訊可供參考，但參考 CDA-AMC 之評估報告中納入 MDS 病友之意見指出：(一) MDS 所導致的貧血症狀，特別是疲倦感，以及需

常接受輸血治療，已對其生活品質造成嚴重影響；(二) 現行治療方式，包括輸血、化學治療、造血幹細胞或骨髓移植、血球生長因子治療等，往往伴隨明顯副作用，使病人承受負面感受。

五、成本效益：

(一) 國內藥物經濟學研究

1. 建議者提交一份國內藥物經濟學研究，針對非常低度至中度風險之 MDS 所導致的輸血依賴型貧血成人病人，比較使用本品相較於 epoetin alfa 之成本效益。研究採用馬可夫模型，健康狀態包含：治療有反應/非輸血依賴、治療無反應/輸血依賴、疾病惡化、死亡等。療效參數主要來自 COMMANDS 試驗資料及外推結果，成本及效用值數據亦參考 COMMANDS 試驗和其他國內外文獻。基礎分析結果顯示，本品相較於 epoetin alfa 的 ICER 約為 336 萬元/QALY gained。單因子敏感度分析結果顯示，影響分析結果最大的參數為非輸血依賴狀態的效用值、本品治療反應率、epoetin alfa 治療反應率。機率性敏感度分析結果顯示，當願付閾值為 3 倍人均 GDP (約 303 萬元) 時，本品符合成本效益的機率為 23%。

2. 本報告對此份研究的主要評論如後：

- (1) 本報告認為其研究設計及模型架構為適當，但在比較策略的選定上，建議者直接以臨床試驗之對照組 epoetin alfa 做為比較對象，然而 epoetin alfa 於我國並未給付於 MDS 病人，故本報告認為此比較策略未能符合健保給付情境。
- (2) 參數收集部份，因主要來自臨床試驗故參數品質多為良好，但建議者未就其能否反映國情提供相關說明。本報告經檢視後認為 COMMANDS 試驗受試者包含亞裔族群，且其療效結果方向與整體族群尚屬一致，故認為相關數據應可部分反映我國國情。
- (3) 部份數據建議者表示為引用 COMMANDS 試驗，但建議者未檢附資料來源，且經本報告比對，認為部份數據與公開的試驗結果略有不一致之情形；另建議者未提供可操作之模型檔供細部驗證，故在數據引用及結果計算之正確性上存有部份疑慮。

經綜合評估後，本報告認為整體執行品質為尚可，可提供之資訊較為有限。

(二) 主要醫療科技評估組織報告：查無與本案相關之成本效益資訊可供參考。

六、財務衝擊：

(一) 建議者預期本品給付於 MDS 所導致的輸血依賴型貧血病人後，可減少紅血球輸注及排鐵劑的使用，其根據癌登年報及國外文獻推估 MDS 累積人數，並參考國內文獻與健保資料庫分析結果，推估輸血依賴型 MDS 人數。進一步設定病人體重 61 公斤，參考臨床試驗之給藥劑量 (每 3.2 週注射一次) 及治療期間存活曲線推估本品藥費。另外建議者假設使用本品可減少 89% 的紅血球輸注及排鐵劑，

並參考本品用於其他適應症的先前評估報告推估相關費用。

(二) 本報告認為建議者之推估架構大致合宜，然考量以國外文獻的存活率推估我國 MDS 累積人數較有不確定性，故本報告分析健保資料庫中 MDS 實際診斷人數且有申報紅血球輸注的比例，據以調整目標族群人數推估。本品藥費估算部份，本報告參考仿單建議用法，改以每 3 週注射一次進行計算，亦根據 MDS 病人的健保資料庫分析結果調整紅血球輸注及排鐵劑的費用。另外，由於輸血依賴型較難進行明確定義，相關比例的設定較有不確定性，故本報告進行敏感度分析。

(三) 建議者與本報告之推估結果（115 年至 119 年）彙整如後表。

推估項目	建議者推估	查驗中心推估	
		基礎分析	敏感度分析 (調整輸血依賴型比例)
本品使用人數	370 人至 665 人	306 人至 463 人	629 人至 952 人
本品年度藥費	5.90 億元至 10.59 億元	5.22 億元至 7.90 億元	10.73 億元至 16.24 億元
減少紅血球輸注 及排鐵劑之費用	0.52 億元至 0.93 億元	0.54 億元至 0.81 億元	1.1 億元至 1.67 億元
整體財務影響	5.38 億元至 9.66 億元	4.68 億元至 7.09 億元	9.63 億元至 14.57 億元

表一 本次提案藥品與目前健保已收載藥品（參考品）之比較資料

	本案藥品	參考品 1
商品名	Reblozyl	無合適參考品
主成分/含量	Luspatercept / 每毫升 50 mg	-
劑型/包裝	凍晶注射劑 / 每玻璃藥瓶	-
WHO/ATC 碼	B03XA06	-
主管機關許可適應症	1. 用於治療 IPSS-R 分級為非常低度至中度風險 (very low to intermediate risk) 之骨髓增生不良症候群 (myelodysplastic syndrome) 所導致的輸血依賴型貧血成人病人。 2. 用於治療與 β 型海洋性貧血相關	-

	的非輸血依賴性貧血(起始治療時血紅素濃度<10 g/dL)的成人病人。	
健保給付條件	擬訂中	-
健保給付價	擬訂中	-
仿單建議劑量與用法	Reblozyl 的建議起始劑量為 1.0 mg/kg，每 3 週一次。依據治療反應調整劑量 ^a 。	-
療程	持續治療	-
每療程花費	擬訂中	-
參考品建議理由（請打勾“✓”）		
具直接比較試驗 （head-to-head comparison）		-
具間接比較 （indirect comparison）		-
近年來，最多病人使用或使用量最多的藥品		-
目前臨床治療指引建議的首選		-
其他考量因素，請說明：		-
註：若經審議認定本品屬於突破創新新藥，則表列之參考品僅供療效比較，而不做為核價之依據；若審議認定本品尚不屬於突破創新新藥，則表列之參考品可做為療效比較及核價之依據。		

^a 本案藥品仿單說明：每次使用 Reblozyl 之前，應評估病人的血紅素濃度。如果在給藥前輸注紅血球，則必須根據輸注前的 Hb 濃度來進行給藥。

劑量為 1 mg/kg	劑量調升
在以 1.0 mg/kg 的劑量連續治療至少 2 劑後，若病人： 仍需輸注紅血球，或 Hb 濃度仍未 ≥ 10 g/dL 且 Hb 增加 < 1 g/dL	劑量應調升至 1.33 mg/kg
劑量為 1.33 mg/kg	劑量調升
在以 1.33 mg/kg 的劑量連續治療至少 2 劑後，若病人： 仍需輸注紅血球，或 Hb 濃度仍未 ≥ 10 g/dL 且 Hb 增加 < 1 g/dL	劑量應調升至 1.75 mg/kg

表二 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)	截至民國 114 年 09 月 09 日止，查無與本案相關之評估報告。 目前加拿大 CDA-AMC 於 110 年 12 月公告的評估報告，建議給付 luspatercept 用於治療伴隨環狀含鐵顆粒之有核紅血球 (ring sideroblast) 之非常低至中度風險 MDS 所導致需接受紅血球輸注，且須先使用紅血球生成因子 (erythropoietin, EPO) 為基礎治療失敗或不適合接受 EPO 為基礎治療的成年病人，與本案目標族群不完全相同。
PBAC (澳洲)	截至民國 114 年 09 月 09 日止，查無與本案相關之評估報告。
NICE (英國)	截至民國 114 年 09 月 09 日止，查無與本案相關之評估報告。

註：CDA-AMC 為 Canada's Drug Agency 加拿大藥品及醫療科技評估機構的縮寫；CADTH (Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health)/pCODR (pan-Canadian Oncology Drug Review) 自民國 113 年 5 月 1 日起更名為 CDA-AMC；

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。

【芮寶興 凍晶注射劑】醫療科技評估報告

報告撰寫人：財團法人醫藥品查驗中心醫藥科技評估組

報告完成日期：民國 114 年 9 月 16 日

前言：

近年來世界各國積極推動醫療科技評估制度，做為新藥、新醫材給付決策參考，以促使有限的醫療資源能發揮最大功效，提升民眾的健康福祉。醫療科技評估乃運用系統性回顧科學實證證據的方式，對新穎醫療科技進行療效與經濟評估。為建立一專業、透明、且符合科學性的醫療科技評估機制，財團法人醫藥品查驗中心（以下簡稱查驗中心）受衛生福利部委託，對於建議者向衛生福利部中央健康保險署（以下簡稱健保署）所提出之新醫療科技給付建議案件，自收到健保署來函後，在 42 個日曆天內完成療效與經濟評估報告（以下稱本報告），做為全民健康保險審議藥品給付時之參考，並於健保署網站公開。惟報告結論並不代表主管機關對本案藥品之給付與核價決議。

本報告彙整國外主要醫療科技評估組織對本案藥品所作之評估結果與給付建議，提醒讀者各國流行病學數據、臨床治療型態、資源使用量及單價成本或健康狀態效用值可能與我國不同。另本報告之臨床療效分析僅針對本建議案論述，讀者不宜自行引申為其醫療決策之依據，病人仍應與臨床醫師討論合適的治療方案。

一、疾病治療現況

骨髓增生不良症候群（Myelodysplastic syndrome, MDS）是一種多樣性的克隆性血液惡性疾病。MDS 在男性中較為常見，其臨床表現通常為一種以上血球減少症（如嗜中性白血球減少，及/或血小板減少），常伴隨骨髓與血液細胞的形態學異常，且可能演變為急性骨髓性白血病（acute myeloid leukemia, AML）。貧血是血球減少症最常見的症狀，可能會有疲勞、虛弱、運動不耐、食慾不振、心絞痛、頭暈、認知障礙，或整體健康感受的改變。MDS 確診年齡中位數約為 70 歲，且隨年齡上升發生率逐漸增加[1]；其已知的危險因子包括年齡（老年）、男性、曾接受的治療或暴露（如化學治療、有毒化學物質、感染、自身免疫疾病等）[1, 2]。

MDS 診斷需要綜合臨床評估、實驗室檢查和骨髓檢查結果。對於發生不明原因的細胞減少，或伴隨貧血、感染、出血／瘀青等臨床症狀，以及血液或骨髓形態學異常，或存在不明原因的骨髓衰竭，都應考慮是 MDS。MDS 的診斷應包含持續性血球減少症（persistent cytopenia），且骨髓或周邊血液中的芽細胞（blasts）

比例必須低於 20%，同時伴有特定細胞遺傳學或分子具有異常特徵^a，或細胞型態學異常^b[1]。

目前 MDS 的疾病分類主要採用 2 種系統[1]：國際共識分類（International Consensus Classification, ICC）和世界衛生組織第 5 版分類（WHO 5th edition, WHO5）。2 種分類方式都同時整合了 MDS 的細胞遺傳學和分子特徵；且皆考量了骨髓芽細胞計數、型態異常程度，以及細胞遺傳學和分子異常。

MDS 的風險分層對於病人預後和治療管理至關重要[2]。目前主要有 2 種風險評估系統：國際分子預後評分系統（International Prognostic Scoring System – Molecular, IPSS-M）和修訂版國際預後評分系統（International Prognostic Scoring System - Revised, IPSS-R）。整體來說，MDS 大致可分為低風險和高風險，主要會考量細胞遺傳學、骨髓芽細胞計數、血色素濃度、血小板計數，及絕對嗜中性白血球計數等。以 IPSS-R 為例，低風險 MDS：分數 ≤ 1.5 屬極低風險、 > 1.5 至 3.0 屬低風險，分數 > 3.0 至 4.5 屬中度風險；高風險 MDS：分數 ≥ 4.5 至 6 屬高風險，分數 > 6 屬極高風險。

MDS 治療策略會依據疾病風險類別而有所不同，且治療方式需因人而異[2]。治療目標主要著重於控制症狀、減少或消除輸血需求、延長存活時間、改善生活品質，同時將治療相關的副作用降至最低。對低風險者，若為無症狀者（asymptomatic patients），通常會採取觀察性監測，而非立即治療；若為有症狀者（symptomatic patients），治療會依據血球減少症的嚴重程度和相關症狀來決定，治療方式大致可分為低強度治療（lower-intensity treatments）及高強度治療，簡要說明如下：

1. 低強度治療是主要選擇，並視需要搭配支持性療法。低強度治療選擇大致可包含生長因子（如促紅血球生成素[erythropoiesis-stimulating agents, ESA]、血小板生成素受體致效藥[thrombopoietin receptor agonist]）、去甲基化藥物（hypomethylating agents, HMAs；如 azacitidine、decitabine）、luspatercept、lenalidomide、imetelstat、免疫抑制療法（immunosuppressive therapy, IST），及標靶治療等。
2. 高強度治療主要適用於少數年輕且體能良好之低風險 MDS（若病人發生惡化或具有不良病理特徵）。高強度治療選擇大致可包含誘導性化學療法及/或異體造血幹細胞移植（allogeneic hematopoietic cell transplantation）。

無論何種風險類別，病人在治療過程中都需要定期評估治療反應、監測疾病

^a 如 SF3B1 基因突變，或 5q 缺失（del(5q)）且合併 1 個其他的細胞遺傳學異常，但不得是 7/del(7q)。

^b 如其中一種造血細胞（如紅血球前驅細胞、顆粒球、巨核細胞）有 $\geq 10\%$ 的細胞出現顯著異常形態。

進展以及評估治療或疾病相關的併發症。對於低強度治療，反應通常較慢，可能需要數個月才能看到顯著改善。

美國國家綜合癌症網絡 (National Comprehensive Cancer Network, NCCN) 於 2025 年公告之第二版 MDS 治療指引[3]，對應本案適應症「IPSS-R 分級為非常低度至中度風險 MDS 所導致的輸血依賴型貧血成人病人」，NCCN 指引針對症狀性貧血 (symptomatic anemia) 的治療建議以及路徑 (詳請參考附錄一)，會依據是否具有 del (5q) 染色體異常而有所不同，重點說明如後：

1. 具有 del (5q) 染色體異常 (低芽細胞；low blasts)，及/或其他染色體異常 (除 7 號染色體異常)：
 - (1) 血中紅血球生成因子 (erythropoietin, EPO) \leq 500 mU/mL
 - ◆ 首選治療建議 (Preferred)：Lenalidomide
 - ◆ 其他治療建議：ESA (epoetin alfa 或 darbepoetin alfa)
 - (2) 血中 EPO $>$ 500 mU/mL
 - ◆ 首選治療建議：Lenalidomide (category 1)
2. 具有 SF3B1 突變 (低芽細胞) 但不具 del (5q) 染色體異常，及/或其他染色體異常伴隨環狀含鐵顆粒之有核紅血球 (ring sideroblast, RS) \geq 15% (或 RS \geq 5% 且伴隨 SF3B1 突變)：
 - (1) 首選治療建議：本案藥品 **luspatercept-aamt** (category 1)
 - (2) 其他治療建議：Imetelstat (如果血中 EPO $>$ 500 mU/mL [不適合接受 ESAs 者])
3. 不具 del (5q) 染色體異常，及/或其他染色體異常 RS $<$ 15% (或 RS $<$ 5% 伴隨 SF3B1 突變)：
 - (1) 血中 EPO \leq 500 mU/mL
 - ◆ 首選治療建議：Epoetin alfa、darbepoetin alfa，或 **luspatercept-aamt**
 - (2) 血中 EPO $>$ 500 mU/mL
 - ◆ 對 IST 可能具有良好反應：antithymocyte globulin (ATG) 合併 cyclosporin A \pm etrombopag
 - ◆ 對 IST 可能不具有良好反應：
 - 臨床試驗
 - 首選治療建議：Azacitidine
 - 其他治療建議：Decitabine、imetelstat (如果之前尚未使用過)、口服 decitabine 或 cedazuridine
 - 特殊情況下之治療建議：考慮使用 lenalidomide

綜整 NCCN 指引有關非常低度至中度風險之具有貧血症狀的 MDS，治療選擇會視基因染色體變異狀態，以及血中 EPO 濃度為先決條件後，本案藥品 luspatercept 建議作為「具有 SF3B1 突變 (低芽細胞) 但不具有 del (5q)，及/或

其他染色體異常伴隨 RS \geq 15% (或 RS \geq 5% 且伴隨 SF3B1 突變) (category 1) , 及「不具有 del (5q) , 及/或其他染色體異常伴隨 RS $<$ 15% (或 RS $<$ 5% 且伴有 SF3B1 突變) , 且血中 EPO \leq 500 mU/mL」之首選治療。

參考歐洲腫瘤醫學會 (European Society for Medical Oncology, ESMO) 於 2020 年針對 MDS 公告的指引[4] , 對於非常低度至中度風險之 MDS 治療的建議與路徑 , 請見附錄二。對於具有症狀性貧血 (通常為 Hb $<$ 10 g /dl) 之 MDS 的建議摘述如後 :

1. 輸血需求 \geq 2 單位/月 , 且血中 EPO \geq 500 U/l (I, A)
 - (1) 具有 del (5q) 染色體異常 : 第一線治療建議使用 lenalidomide (I, A)
 - (2) 不具有 del (5q) 染色體異常 : 第一線治療建議使用 EPO \pm G-CSF^c (低成功率) , 或第二線治療 , 包含 :
 - ◆ ATG \pm cyclosporine (II, B) ; 年齡 $<$ 65 到 70 歲 , 且對 ATG 具治療反應特性者 ;
 - ◆ 其他 : Azacitidine (如獲核准) (II, B) 、臨床試驗使用 azacitidine 、 lenalidomide \pm EPO (II, B) , 或本案藥品 luspatercept (如果 MDS-RS) (I, A) , 或試驗性用藥
2. 輸血需求 $<$ 2 單位/月 , 且血中 EPO $<$ 500 U/l (I, A)
 - (1) 第一線建議使用 : EPO \pm G-GCF
 - (2) 若一線治療失敗或復發 :
 - 具有 del (5q) 染色體異常 : 建議使用 lenalidomide (I, A) ;
 - 不具有 del (5q) 染色體異常 : 依據前述第二線治療建議。

二、疾病治療藥品於我國之收載現況

本案藥品芮寶興凍晶注射劑[5] (Reblozyl powder for solution for injection) 的主成分為 luspatercept^d , 參考仿單其作用機轉為一種類紅血球成熟劑 , 是一種重組融合蛋白 , 可與特定轉化生長因子- β (TGF- β) 超家族配體結合。藉由與特定的內源性配體 (例如 GDF-11 , 活化素 B) 結合 , luspatercept 抑制 Smad2/3 訊號傳導 , 讓骨髓中晚期紅血球前驅物 (紅血球母細胞) 增生及分化而導致紅血球

^c G-CSF 全文為 granulocyte colony-stimulating factor 。

^d 國內具有同成分藥物 luspatercept 之另外一張不同的藥證[6] , 為「芮寶~~興~~凍晶注射劑 (Reblozyl powder for solution for injection) , 其許可適應症為「用於治療與 β 型海洋性貧血相關的輸血依賴性貧血的成年病人。」 ; 目前健保已給付於經衛生福利部國民健康署認定之重型海洋性貧血 , 且用於治療與 β 型「重型」海洋性貧血相關的輸血依賴性貧血的成年病人。

成熟，進而恢復有效的紅血球生成[7]。

本案藥品目前許可用於治療 IPSS-R 分級為非常低度至中度風險 (very low to intermediate risk) 之骨髓增生不良症候群 (myelodysplastic syndrome) 所導致的輸血依賴型貧血成人病人，建議者建議納入給付範圍同許可適應症^o。

首先，於世界衛生組織藥物統計方法整合中心 (World Health Organization Collaborating Centre for Drug Statistics Methodology) 制定的 ATC 編碼 (anatomical therapeutica chemical, ATC code) 頁面[8]，與本案藥品 ATC code 前五碼 (B03XA：代表其他的抗貧血製劑) 相同之藥品成分，除本案藥品外，尚有 9 種成分藥品，包含 erythropoietin、darbepoetin alfa、methoxy polyethylene glycol-epoetin beta、peginesatide、roxadustat、daprodustat、vadadustat、molidustat 及 efepoetin alfa；其中僅有 3 種藥品成分已於我國取得許可證，包含 darbepoetin alfa、methoxy polyethylene glycol-epoetin beta 及 vadadustat，但皆僅許可用於腎病或化學治療引起的貧血，並未取得與本案相關 MDS 之適應症。

其次，於衛生福利部食品藥物管理署藥物許可證查詢系統[9]，於適應症 (藥品) 欄位以關鍵字「骨髓增生不良症候群」或「骨髓化生不良症候群」查詢，並設定條件為「未註銷」進行查詢，除本案藥品外，另查獲 3 種藥品成分，包含 lenalidomide、azacitidine 及 decitabine。其中 lenalidomide 許可用於接受其他治療方式不佳的情況下，可單獨用於治療 IPSS 分級為低或中度風險且單獨伴隨染色體 5q 缺失之 MDS 所導致的輸血依賴型貧血的成人病人；azacitidine 許可用於骨髓增生不良症候群高危險性者；decitabine 適用先前曾接受治療及未曾接受治療之 MDS 且為中度與高危險者。

最後，於健保用藥品項查詢服務頁面以及最新版健保藥品給付規定進行查詢 [10, 11]，上述成分藥品「lenalidomide」、「azacitidine」及「decitabine」皆已收載為健保給付品項，但給付範圍依序為多發性骨髓瘤、骨髓增生不良症候群高危險性與急性骨髓性白血病，以及骨髓增生不良症候群高危險性，皆與本案目標族群不相同。

本報告綜合考量我國核發之藥品許可證、健保給付規定，及於「疾病治療現況」章節所摘述之國際最新治療建議，認為目前並無與本案具相近治療地位之藥品。經諮詢臨床專家指出，本案目標族群，目前輸血為主要的治療選項，其他常見的治療選擇還可能包含 danazol 及 cyclosporine，但治療效果普遍不佳，且前述

^o 本案藥品於 2023 年 7 月之許可適應症為用於治療 IPSS-R 分級為非常低度至中度風險 (very low to intermediate risk) 具有 ring sideroblasts 之骨髓增生不良症候群 (myelodysplastic syndrome) 所導致的輸血依賴型貧血成人病人，病人需對紅血球生成 (erythropoietin based therapy) 基礎療法治療效果不佳或是不適用紅血球生成素基礎療法，方能使用本案藥品。

2 項藥品皆為仿單外使用 (off-label use)。

三、療效評估報告 (含文獻回顧摘要)

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 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相關臨床研究結果。

來源	報告日期
CDA-AMC (加拿大)	截至 2025 年 09 月 09 日為止,查無與本案相關之評估報告。
PBAC (澳洲)	截至 2025 年 09 月 09 日為止,查無與本案相關之評估報告。
NICE (英國)	截至 2025 年 09 月 09 日為止,查無與本案相關之評估報告。
其他實證資料	Cochrane/PubMed/Embase 的搜尋結果。
建議者提供之資料	於 2025 年 8 月 4 日收訖發文。

(一) CDA-AMC (加拿大) [12]

截至 2025 年 09 月 09 日為止,以「luspatercept」關鍵字進行搜索,並查無 luspatercept 用於本案目標族群之評估報告。惟加拿大 CDA-AMC 於 2021 年 12 月公告的評估報告[13],目前加拿大藥物專家委員會 (Canadian Drug Expert Committee, CDEC) 建議給付 luspatercept 用於治療伴隨 RS 之非常低至中度風險 MDS 所導致需接受紅血球輸注的成年病人,但須先使用 EPO 為基礎治療失敗或不適合接受 EPO 為基礎治療者,與本案適應症不同。重點摘錄給付條件以及導入實施指引如下表三以及表四。

表 三、CDA-AMC 給付條件

給付條件	原因
起始治療條件 (initiation)	
1. Luspatercept 的給付應限用於對 EPO 為基礎治療反應不佳,或不適合接受此類治療之病人。	在 MEDALIST 臨床試驗中,luspatercept 治療對於 RBC 輸血依賴型之伴隨 RS 的非常低至中度風險 MDS,且對 EPO 為基礎療法反應不佳或不適合接受此類治療的成年病人,可達到顯著臨床效益。此外,建議給付之適應症與加拿大衛生

給付條件	原因
	部 (Health Canada) 核准的適應症相同 ^f 。
續用條件 (renewal)	
2. 病人在治療開始後的前 24 週內，至少須有連續 16 週達到不需輸血的狀態。其後病人應持續維持非輸血依賴，並每 6 個月進行一次評估。	依據臨床專家之建議，根據 IWG 2018 血液學反應評估標準，於治療開始後 24 週內，能達到至少連續 16 週的不依賴輸血，被視為具有臨床意義的治療反應。
處方 (prescribing)	
3. 治療應由具備 MDS 診治專業經驗的專科醫師給予處方。	對 MDS 病人的正確診斷相當重要，以確保 luspatercept 能開立於合適的病人。
定價 (pricing)	
4. 價格下調。	Luspatercept 與最佳支持治療相比 (best supportive care, 以下簡稱 BSC)，其遞增成本效果比值 (incremental cost-effectiveness ratio, ICER) 為 623,219 加幣/ QALY。若要使 luspatercept 與 BSC 相比的 ICER 達到 50,000 加幣/ QALY，則需降價 85%。

表 四、CDEC 導入實施指引

狀況	導入實施考量以及指引
1	不適合接受 EPO 基礎治療的病人，可定義為預期不太可能對 EPO 有反應者 (例如：未曾接受 ESA，且內生性紅血球生成素濃度 >200 U/L)，或因不良反應或耐受性不佳而中止 ESA 治療者。
2	若因併發疾病而需意外接受輸血，仍可視為維持非輸血依賴型。
3	部分病人可能無法定期由血液科醫師提供 luspatercept 治療。Luspatercept 具有在其他醫療場域 (例如社區藥局) 由醫療專業人員施打的可行性。

(二) PBAC (澳洲)

截至 2025 年 09 月 09 日為止，以「luspatercept」關鍵字進行搜索[14]，並未查獲與本案相關之評估報告。

(三) NICE (英國)

截至 2025 年 09 月 09 日為止，以「luspatercept」關鍵字進行搜索[15]，並未查獲與本案相關之評估報告。

^f 加拿大衛生部核 luspatercept 用於治療成年病人之非常低至中度風險 MDS 合併 RS，且需依賴輸血的貧血，並且對 EPO 為基礎治療反應不佳或不適合接受該治療者。

(四) 其他實證資料

1. 其他醫療科技評估組織 - SMC (蘇格蘭)

截至 2025 年 09 月 09 日為止，以「luspatercept」關鍵字進行搜索[16]，並未查獲與本案相關之評估報告。

2. 電子資料庫相關文獻

(1) 搜尋方法

本報告用於搜尋 Cochrane/PubMed/Embase 電子資料庫之方法說明如下：

以下列 PICOS 做為搜尋條件，即搜尋符合本次建議新藥給付條件下之病人群 (population)、治療方法 (intervention)、療效對照品 (comparator)、療效測量指標 (outcome) 及研究設計與方法 (study design)，其搜尋條件整理如下：

Population	納入條件：非常低度至中度風險之骨髓增生不良症候群所導致的輸血依賴型貧血成人病人 排除條件：非第一線治療
Intervention	luspatercept
Comparator	無設限
Outcome	無設限
Study design	隨機對照試驗、系統性文獻回顧暨統合分析

依照上述之 PICOS，透過 Cochrane/PubMed/Embase 等文獻資料庫，於 2025 年 08 月 13 日，以「myelodysplastic syndrome」和「luspatercept」做為關鍵字進行搜尋，搜尋策略請見附錄三。

(2) 搜尋結果

搜尋 PubMed、Embase 及 Cochrane Library 電子資料平台，經逐筆標題摘要篩選後，排除重複、不符合 PICOS、登錄於臨床試驗相關平台之資訊，及研討會摘要後，針對本案目標族群之相對療效及安全性，本報告最終僅納入 1 項隨機對照的第三期臨床試驗「COMMANDS」，納入評估之文獻包含該試驗的期中 (interim) 和主要分析 (primary) [17, 18]。

A. 隨機對照試驗 – COMMANDS 試驗[17, 18]

COMMANDS 臨床試驗為一項多國多中心、第 III 期、開放式標籤、隨機對照試驗，共於 26 個國家（142 間醫療院所）進行。該試驗旨在比較 luspatercept 與 epoetin alfa 用於未曾接受 ESA（ESA-naive）治療之低風險 MDS 所導致的輸血依賴型貧血成人病人之相對療效與安全性。本報告主要摘述該試驗之主要分析結果，並一併彙整期中分析結果供參考。

(a) COMMANDS 試驗設計

COMMANDS 試驗主要納入病人需年滿 18 歲，診斷為經由 IPSS-R 分類為非常低、低或中度風險之未曾使用 ESA 治療的 MDS 成人病人，且於隨機分派前至少連續 8 週內，每 8 週須輸注 2 至 6 單位濃縮紅血球。病人依基期輸血需求量、血中 EPO 濃度與 RS 狀態分層，隨機分派至 luspatercept 組或 epoetin alfa 組。主要療效指標為「第 1 到 24 週至少持續 12 週以上達到不依賴紅血球輸注，且血紅素濃度平均至少增加 $\geq 1.5\text{g/dL}$ 」。該試驗已註冊於 ClinicalTrials.gov（NCT03682536）。主要療效指標於期中分析共納入 301 位完成至少 24 週治療或提早中止用藥的病人（資料截止日期為 2022 年 8 月 31 日）；而於主要分析共納入 363 位病人（資料截止日期為 2023 年 3 月 31 日）。COMMANDS 試驗設計如表五。

表 五、COMMANDS 試驗簡介摘錄

試驗設計	<ol style="list-style-type: none"> 1. 多國多中心、第 III 期、開放式標籤的隨機對照試驗 2. 依據以下三項基期特徵進行隨機分層： <ul style="list-style-type: none"> • 紅血球輸血需求：隨機分派前 8 週內輸血 < 4 單位 vs. ≥ 4 單位； • 血中紅血球生成素濃度：≤ 200 U/L vs. > 200 到 < 500 U/L； • RS 狀態：陽性 vs. 陰性（陽性定義為：骨髓中 RS 比例 ≥ 15%，或具有 SF3B1 突變且骨髓中 RS 比例 ≥ 5%）。
納入條件	<ul style="list-style-type: none"> • 年滿 18 歲以上 • 未曾接受 ESA 治療之需符合 2016 年 WHO 診斷條件之 MDS • 中央病理檢驗確認 IPSS-R 分類為非常低、低或中度風險，骨髓中芽細胞比例 < 5%。 • 病人在隨機分派前至少 8 週內需有規律輸血需求（每 8 週紅血球濃厚液輸血 2 到 6 單位），且血中 EPO 濃度需低於 500 U/L。
排除條件	<ul style="list-style-type: none"> • 既往接受過 ESA、疾病修飾治療（如 lenalidomide）、去甲基化藥物、sotatercept，或 luspatercept 治療者； • 具有 del (5q) 的 MDS，或屬於不可分類型的 MDS。
試驗組	Luspatercept 皮下注射，每 3 週給藥一次，起始劑量為 1.0 mg/kg，依病人反應與耐受性可逐步調整至最高 1.75 mg/kg。
對照組	Epoetin alfa 皮下注射，每週給藥一次，起始劑量為 450 IU/kg，依反應最高調整至 1050 IU/kg（總劑量上限為 80,000 IU）。
主要療效指標	在治療第 1 至第 24 週期間，連續至少 12 週達到不依賴紅血球輸注，且平均血紅素濃度增加至少 1.5 g/dL 的病人比例。
關鍵次要療效指標	<p>在治療第 1 至 24 週期間，依序為包括：</p> <ul style="list-style-type: none"> • 依 2006 年 IWG 標準評估，血液學改善（hematology improvement-erythroid, HI-E）反應持續 ≥ 8 週的病人比例； • 達到不依賴紅血球輸注 24 週的病人比例； • 至少連續 12 週達到不依賴紅血球輸注的病人比例。
統計分析	<ul style="list-style-type: none"> • 療效指標以治療意向族群（intention-to-treat, ITT）進行分析，涵蓋所有隨機分派且完成 24 週治療或於 24 週前中止治療的病人。 • 關鍵次要療效指標的多重檢定，採用 gatekeeping 方法依序控制第一類型錯誤率，順序為：HI-E 反應率、達到 24 週不依賴輸血的病人比例，及至少 12 週達到不依賴輸血的病人比例。其他次要指標則未進行多重檢定校正。 • 依據分層因子與基期特徵進行的預先規劃次族群分析，屬於探索性分析。 • 雙尾 p 值 < 0.05 視為具統計顯著性。

(a) COMMANDS 試驗基期特性（如表六）

主要分析結果，共有 363 位病人隨機分派至治療組別，其中 182 位接受 luspatercept，181 位接受 epoetin alfa。不論是期中分析或主要分析，2 組病人於基期特徵分布大致均衡。主要分析之病人年齡中位數為 74 歲（IQR 為 69 到 80 歲），男性病人佔多數（55%）；隨機分派前 8 週內的紅血球輸血負擔（transfusion burden），大多數病人屬於低輸血負擔（< 4 單位/8 週：佔 63%）及低血中 EPO 濃度（≤ 200 U/L：佔 80%），SF3B1 突變佔 59%，RS 陽性者佔 73%。

(b) COMMANDS 試驗之療效結果 (如表七)

截至主要分析資料截止日期 (資料截止日期為 2023 年 3 月 31 日), luspatercept 組有 162 人 (89%) 與 epoetin alfa 組有 142 人 (79%) 完成 24 週治療; luspatercept 組與 epoetin alfa 組分別有 78 人 (43%) 以及 53 人 (30%) 持續接受本試驗用藥治療。追蹤時間中位數於 luspatercept 組為 17.2 個月, 於 epoetin alfa 組為 16.9 個月。

整體病人族群之試驗結果顯示, luspatercept 組相較於 epoetin alfa 組 (60% vs. 35%), 統計上有顯著更多的病人在第 24 週達到主要療效指標「連續至少 12 週達到不依賴紅血球輸注, 且平均血紅素濃度增加至少 1.5 g/dL 的病人比例」, OR 為 3.1% (95% CI 2.0 至 4.8)。此外, luspatercept 組相較於 epoetin alfa 組, 統計上亦有顯著更多的病人可達到關鍵次要療效指標, 包含血液學改善反應持續 ≥ 8 週、不依賴紅血球輸注 24 週, 及至少連續 12 週達到不依賴紅血球輸注。

探索性的次族群分析結果同樣指出, 在多數次族群中, luspatercept 組達成主要療效指標的病人比例均較高, 包含依基期輸血負擔嚴重程度、血中 EPO 濃度, 以及 SF3B1 突變狀態所分層的族群。僅在基期為 RS 陰性的次族群中, 2 組主要療效指標的療效相近。次族群分析結果如表八。

(c) COMMANDS 安全性結果 (如表九)

直至 2023 年 9 月 22 日, luspatercept 組中位數追蹤時間為 21.4 個月 (IQR 為 14.2 至 32.4 個月), 而 epoetin alfa 組則為 20.3 個月 (IQR 為 12.7 至 30.9 個月)。中位數治療暴露時間, luspatercept 組長於 epoetin alfa 組 (61.9 週 [95%CI 為 33.0 至 110.3 週] vs. 44.7 週 [95%CI 為 24.1 至 76.0 週])。

治療期間發生的不良事件 (treatment emergent adverse event, TEAE), luspatercept 組以及於 epoetin alfa 組分別為 98% 及 93%; 分別有 35% 及 21% 的 TEAE 被疑似與治療相關。噁心為最常見疑似與治療相關的 TEAE, luspatercept 組共有 9%。最常見的 TEAE (發生於 ≥ 10% 之病人), 大致與期中分析結果呈現一致 (包含疲倦、腹瀉、高血壓), 且 luspatercept 組皆有較高的發生率。

第 3 到第 4 級的 TEAE, luspatercept 組以及 epoetin alfa 組分別為 64% 及 52%; 其中分別有 9% 及 3% 病人發生疑似為與治療相關。最常見之第 3 到第 4 級嚴重程度等級之不良事件於 luspatercept 組 (發生 ≥ 3% 病人) 也大致與期中分析結果一致, 包含高血壓、貧血、肺炎、暈厥、嗜中性白血球低下症、血小板低下症、呼吸困難, 及 MDS (包含 MDS 惡化及骨髓性增生疾病) 等; luspatercept 組以及 epoetin alfa 組分別有 49% 及 43% 的病人發生嚴重不良事件。

表六、COMMANDS 試驗一期中分析與主要分析之病人基期特徵

	期中分析			主要分析	
	Luspatercepty (n = 178)	Epoetin alfa (n = 178)	整體族群 (n = 356)	Luspatercept (n = 182)	Epoetin alfa (n = 181)
年齡中位數, 歲 (IQR)	74(68,80)	75(69,80)	74(69,80)	74(68,80)	74(69,80)
性別(男), n	107(60%)	91(51%)	198 (56%)	109 (60%)	92 (51%)
亞裔, n	19 (11%)	24 (13%)	43 (12%)	19 (10%)	25 (14%)
MDS 確診中位 數, 月 (IQR)	8.0 (2.0, 28.8)	5.2 (1.6, 18.5)	6.2 (1.8, 23.6)	8.0 (2.0, 28.8)	5.1 (1.6, 16.8)
ECOG 體能狀態					
0, n	-	-	-	74 (41%)	69 (38%)
1, n	-	-	-	104 (57%)	94 (52%)
2, n	-	-	-	4 (2%)	18 (10%)
WHO 2016 MDS 分類					
MDS-MLD, n	49 (28%)	46 (26%)	95 (27%)	50 (27%)	47 (26%)
MDS-MLD-RS, n	125 (70%)	117 (66%)	242 (68%)	127(70%)	118 (65%)
IPSS-R 風險程度					
非常低, n	16 (9%)	17 (10%)	33 (9%)	16 (9%)	17 (9%)
低度, n	126 (71%)	131 (74%)	257 (72%)	130 (71%)	133 (73%)
中度, n	34 (19%)	28 (16%)	62 (17%)	34 (19%)	29 (16%)
血中 EPO 濃度中 位數, U/L (IQR)	78.7 (41.7, 185.3)	85.9 (40.5, 177.8)	84.5 (40.9, 79.1)	77.2 (41.0, 184.8)	85.4 (40.6, 177.3)
RS 陽性, n	130/178 (73%)	128 /177 (72%)	258 /355 (73%)	133 (73%)	130 (72%)
SF3B1 突變者, n	111/176 (63%)	99/171 (58%)	210/347 (61%)	114 (63%)	101 (56%)
輸血負擔中位數, 單位/8 週(IQR)	3 (2,4)	3 (2,4)	3 (2,4)	3 (2,4)	3 (2,4)
輸血負擔					
< 4 單位/8 週, n	114 (64%)	109(61%)	223(63%)	118(65%)	111(61%)
2 單位/8 週, n	80 (45%)	79(44%)	159(45%)	-	-
≥ 4 單位/8 週, n	64 (36%)	69(39%)	133(37%)	64(35%)	70(39%)
輸血前 Hb 濃度中 位數, g/dL (IQR)	7.8 (7,8)	7.8(7,8)	7.8(7,8)	7.8(7.1,8.2)	7.8(7.1,8.3)
< 8 g/dL, n	107 (60%)	106(60%)	213(60%)	100(60%)	108(60%)
≥ 8 g/dL, n	71(40%)	72(40%)	143(40%)	72(40%)	73(40%)
血小板計數中位 數, 10 ⁹ /L (IQR)	230 (155,304)	235 (140,324)	230 (144,310)	230 (155,305)	236 (143,324)
IQR, interquartile range ; MDS-MLD, myelodysplastic syndromes with multiple lineage dysplasia ; MDS-MLD-RS, myelodysplastic syndromes with multiple lineage dysplasia and ring sideroblasts ; ECOG, Eastern Cooperative Oncology Group ; IPSS-R, Revised International Prognostic Scoring System ; EPO, erythropoietin ; RS, ring sideroblasts ; SF3B1, splicing factor 3b subunit 1 ; Hb, hemoglobin .					

表 七、COMMANDS 試驗一期中分析與主要分析之療效指標彙整

	期中分析		主要分析	
	Luspatercept 組 (n = 147)*	Epoetin alfa 組 (n = 154)*	Luspatercept 組 (n = 182)	Epoetin alfa 組 (n = 181)
分析資料截止日期	2022 年 8 月 31 日		2023 年 3 月 31 日	
追蹤時間中位(暴露時間)	- (42 週)	- (27 週)	17.2 個月	16.9 個月
主要療效指標：「在治療第 1 至第 24 週期間，連續至少 12 週達到不依賴紅血球輸注，且平均血紅素濃度增加至少 1.5 g/dL 的病人比例」				
n	86 (59%)	48 (31%)	110 (60%)	63 (35%)
常見風險反應率差異	26.6% (95% CI 為 15.8 至 37.4 ; p<0.0001)		25.4% (95%CI 為 15.8 至 35.0 ; p<0.0001)	
OR	3.1 (95% CI 為 1.9 至 5.0)		3.1 (95%CI 為 2.0 至 4.8)	
關鍵次要療效指標				
第 1 到 24 週，血液學改善反應 (HI-E) 持續 ≥ 8 週的病人比例, n (%)				
n	109 (74%)	79 (51%)	135 (74%)	96 (53%)
常見風險反應率差異	22.3% (95% CI 為 11.8 至 32.8 ; nominal p < 0.0001)		21.5% (95% CI 為 12.2 至 30.7 ; p<0.0001)	
OR	2.8 (95% CI 為 1.7 至 4.6)		2.8 (95% CI 為 1.8 到 4.5)	
第 1 到 24 週，達到不依賴紅血球輸注 24 週的病人比例, n (%)				
n	70 (48%)	45 (29%)	87 (48%)	56 (31%)
常見風險反應率差異	17.0 % (95% CI 為 6.7 至 27.2 ; nominal p=0.0006)		16.3 % (95% CI 為 7.1 至 25.4 ; p=0.0003)	
OR	2.3 (95% CI 為 1.4 至 3.8)		2.3 (95% CI 為 1.4 至 3.7)	
第 1 到 24 週，至少連續 12 週達到不依賴紅血球輸注的病人比例, n (%)				
n	98 (67%)	71 (46%)	124 (68%)	88 (49%)
常見風險反應率差異	19.1% (95% CI 為 8.6 至 29.6 ; nominal p=0.0002)		18.8% (95% CI 為 9.5 至 28.0 ; p < 0.0001)	
OR	2.4 (95% CI 為 1.5 至 4.0)		2.5 (95% CI 為 1.6 至 4.0)	
其他次要療效指標				
第 1 到 48 週，至少連續 24 週達到不依賴紅血球輸注的病人比例, n (%)				
分析資料截止日期	2022 年 8 月 31 日		2023 年 9 月 22 日	
追蹤時間中位(暴露時間)	- (42 週)	- (27 週)	21.4 個月 (61.9 週)	20.3 個月 (44.7 週)
n/N	74/128 (58%)	47/136 (35%)	116 (64%)	76 (42%)
常見風險反應率差異	21.8% (95%CI 為 10.9 至 32.8 ; nominal p < 0.0001)		20.9% (95%CI 為 11.6 至 30.2 ; p < 0.0001)	
OR	-		2.7 (95% CI 為 1.7 至 4.4)	
備註				
*ITT 族群中共有 55 位病人在期中分析階段仍持續接受治療(尚未完成 24 週治療)，因此未納入期中分析；				

表 八、COMMANDS 試驗－主要分析之次族群療效指標結果彙整

	Luspatercept 組 (n = 182)	Epoetin Alfa 組 (n = 181)
主要療效指標：「在治療第 1 至第 24 週期間，連續至少 12 週達到不依賴輸血，且平均血紅素濃度增加至少 1.5 g/dL 的病人比例」, n/N (%)		
基期輸血負擔 < 4 單位/8 週	79/118 (67%)	48/111 (43%)
基期輸血負擔 ≥ 4 單位/8 週	31/64 (48%)	15/70 (21%)
血中 EPO ≤ 200 U/L	96/145 (66%)	59/144 (41%)
血中 EPO > 200 U/L 至 < 500 U/L	14/37 (38%)	4/37 (11%)
SF3B1 突變	80/114 (70%)	33/101 (33%)
SF3B1 無突變	29/65 (45%)	26/72 (36%)
RS 陽性	87/133 (65%)	38/130 (29%)
RS 陰性	23/49 (47%)	25/50 (50%)
其他次要療效指標：第 1 到 48 週，至少連續 24 週達到不依賴輸血的病人比例, n/N (%)		
基期輸血負擔 < 4 單位/8 週	86/118 (73%)	62/111 (56%)
基期輸血負擔 ≥ 4 單位/8 週	30/64 (47%)	14/70 (20%)
血中 EPO ≤ 200 U/L	103/145 (71%)	73/144 (51%)
血中 EPO > 200 U/L 至 < 500 U/L	13/37 (35%)	3/37 (8%)
SF3B1 突變	83/114 (73%)	42/101 (42%)
SF3B1 無突變	32/65 (49%)	29/72 (40%)
RS 陽性	90/133 (68%)	51/130 (39%)
RS 陰性	26/49 (53%)	25/50 (50%)

表九、COMMANDS 試驗—主要分析之 TEAEs 結果彙整

	Luspatercept 組 (n = 182)			Epoetin alfa 組 (n = 179)		
	任何等級	暴露校正發 生率/百人 年	等級 3 到 4	任何等級	暴露校正 發生率/百 人年	等級 3 到 4
至少發生過 1 次 TEAE, n						
全部	178 (98%)	599.5	117 (64%)	166 (93%)	409.9	93 (52%)
腹瀉	36 (20%)	16.0	5 (3%)	25 (14%)	14.3	1 (1%)
疲倦	35 (19%)	15.2	1 (1%)	15 (8%)	8.1	1 (1%)
高血壓	29 (16%)	12.6	19 (10%)	16 (9%)	8.8	8 (4%)
呼吸困難	28 (15%)	11.8	8 (4%)	15 (8%)	8.0	2 (1%)
無力	27 (15%)	11.5	1 (1%)	29 (16%)	17.2	1 (1%)
周邊水腫	27 (15%)	11.5	0	19 (11%)	10.3	0
噁心	27 (15%)	11.4	0	16 (9%)	8.8	0
背痛	25 (14%)	10.6	2 (1%)	18 (10%)	10.2	3 (2%)
頭暈	25 (14%)	10.6	1 (1%)	17 (9%)	9.9	0
貧血	24 (14%)	9.8	18 (10%)	19 (11%)	10.8	14 (8%)
頭痛	21 (12%)	8.8	1 (1%)	16 (9%)	9.1	1 (1%)
泌尿道感 染	19 (10%)	7.9	3 (2%)	11 (6%)	5.8	2 (1%)
至少發生過 1 次關注的 TEAE 類型, n						
全部	111 (61%)	73.4	45 (25%)	87 (49%)	67.6	33 (18%)
虛弱無力 ⁱ	59 (32%)	28.9	2 (1%)	46 (26%)	29.6	3 (2%)
高血壓 ^j	31 (17%)	13.7	21 (12%)	17 (9%)	9.4	9 (5%)
腎毒性 ^k	18 (10%)	7.3	4 (2%)	13 (7%)	7.0	3 (2%)
惡性腫瘤	18 (10%)	7.1	14 (8%)	14 (8%)	7.5	8 (4%)
癌前病變 ^l	12 (7%)	4.6	6 (3%)	14 (9%)	7.2	10 (6%)
備註：TEAE, treatment-emergent adverse event。						

(五) 建議者提供之資料

建議者所提交的資料與療效相關者，包含 COMMANDS 樞紐試驗之期中分析及主要分析結果的發表文獻[17, 18]；以及 COMMANDS 試驗相關學術研討會投稿摘要，包含 1 份長期療效的研討會摘要[19]，及 1 份臨床效益的研討會海報[20]、1 份病人自主回報結果的研討會海報[21]，和 1 篇美國健保申請資料庫真實

ⁱ 包括虛弱、疲勞、嗜睡和不適。

^j 包括高血壓、原發性高血壓、高血壓腎病變、高血壓急症、不穩定性高血壓。

^k 包括急性腎損傷、血中肌酸酐升高、腎功能損害、腎衰竭、腎絲球濾過率降低、肌酸酐腎清除率降低、氮血症、蛋白尿、腎小管間質性腎炎。

^l 包括骨髓增生異常綜合症（發展為高風險骨髓增生異常綜合症和骨髓增生）、結直腸腺瘤、胃息肉、直腸息肉、大型間質息肉和光化性角化病。

世界研究文獻[21]。其中，COMMANDS 試驗之期中及主要分析結果已於前段落說明，另 1 項美國健保申請資料庫之真實世界研究與本案設定之評估主題不相關，不多做說明。另補充 COMMANDS 試驗之長期主要療效及生活品質結果於後。

長期追蹤至 2023 年 9 月 22 日之分析結果指出，luspatercept 組及 epoetin alfa 組，連續 12 週以上的達到不依賴輸血的病人比例分別為 76.4%及 55.8% ($p < 0.0001$)，連續 1 年以上的病人比例分別 44.5%及 27.6% ($p = 0.0003$)，連續 1.5 年以上的病人比例則分別 30.2%及 13.8% ($p < 0.0001$) [19]；此外，luspatercept 組相較於 epoetin alfa 組，可改善病人生活品質，且耐受性良好[21]。

四、療效評估結論

(一) 療效參考品

本案藥品芮寶興凍晶注射劑 (Reblozyl powder for solution for injection，主要成分為 luspatercept) 現於我國許可用於治療 IPSS-R 分級為非常低度至中度風險之骨髓增生不良症候群所導致的輸血依賴型貧血成人病人。此次建議者建議將 luspatercept 納入健保給付範圍同許可適應症。

針對本案目標族群，經查詢我國藥品許可適應症核准現況，雖有 lenalidomide、azacitidine 及 decitabine 取得 MDS 適應症，但皆未納入健保給付；且經諮詢臨床專家表示，目前健保並無給付紅血球生成素 (如 epoetin alfa、darbepoetin alfa) 用於 MDS 所導致的貧血，現行治療仍以輸血支持為主，故目前我國尚無具相近治療地位之藥品。

(二) 國際主要醫療科技組織之給付建議

截至 2025 年 09 月 09 日，英國 NICE 及澳洲 PBAC 皆無與本案相關之評估報告可供參考。加拿大 CDA-AMC 雖已於 2021 年 12 月公告，但建議將 luspatercept 給付用於伴隨 RS 之非常低至中度風險 MDS 所導致需接受紅血球輸注的成年病人，且須先使用 EPO 為基礎治療失敗或不適合接受 EPO 為基礎治療者，較本案目標族群更為限縮。

(三) 相對臨床療效及安全性

針對本案目標族群，本報告主要是參考一項第 III 期隨機對照之 COMMANDS 試驗。該試驗結果指出，luspatercept 相較於 epoetin alfa，統計上顯著有更多的病人可達到主要療效指標「在治療第 1 至第 24 週期間，連續至少 12

週達到不依賴紅血球輸注，且平均血紅素濃度增加至少 1.5 g/dL 的病人比例」；且關鍵次要療效指標亦支持主要療效指標結果，包含血液學改善反應持續 ≥ 8 週、不依賴紅血球輸注 24 週，及至少連續 12 週達到不依賴紅血球輸注。Luspatercept 相較於 epoetin alfa 有較高的不良事件發生率。

（四）醫療倫理

本報告雖無相關系統性收集之資訊可供參考，但參考 CDA-AMC 於 ESA 治療失敗後二線使用本案藥品之低風險 MDS 評估案件中[13]，收到 2 個病人團體（Leukemia & Lymphoma Society of Canada, LLSC 與 Aplastic Anemia & Myelodysplasia Association of Canada, AAMAC）提交之關於 MDS 的意見指出：

1. 病人普遍認為 MDS 的症狀（尤其是疲倦）及頻繁輸血的需求，已嚴重影響其生活品質。
2. 病人對於現有的治療方式（如輸血、化學治療、藥物治療、造血幹細胞或骨髓移植、血球生長因子治療、觀察等待、抗胸腺球蛋白治療及免疫球蛋白治療）經驗不一，常因副作用與頻繁輸血而有負面感受。
3. 在評估新療法時，病人最重視的是治療對疾病的成效，其次是醫師建議、生活品質，及治療方便性。

五、成本效益評估

(一) 建議者提出之國內藥物經濟學研究

1. 建議者提出之報告內容摘要

建議者提出一份國內藥物經濟學研究報告，採用成本效用分析（cost-utility analysis），比較 Reblozyl[®]（luspatercept，以下簡稱本品）相較於 epoetin alfa 用於非常低度至中度風險之骨髓增生不良症候群所導致的輸血依賴型貧血成人病人之成本效益。相關模型設定如下表：

模型設定	內容
目標族群	非常低度至中度風險之骨髓增生不良症候群所導致的輸血依賴型貧血成人病人
介入策略	luspatercept
比較策略	epoetin alfa
模型架構	馬可夫模型（Markov model） 健康狀態包含：第一線治療反應者/非輸血依賴（transfusion independence）、第一線治療無反應者/輸血依賴（transfusion dependence）、後續治療、疾病惡化（分為高風險骨髓增生不良症候群、急性骨髓性白血病）、及死亡
評估觀點	衛生福利部中央健康保險署
評估期間	終生
週期	12 週
折現率	成本及效益皆設定 3%
評估指標	(1) 生命年（life year, LY） (2) 生活品質校正生命年（quality-adjusted life year, QALY） (3) 遞增成本效益比值（incremental cost-effectiveness ratio, ICER）
敏感度分析	單因子敏感度分析、機率性敏感度分析及情境分析

各項參數之設定及資料來源說明如後：

- (1) **療效參數**：來自 COMMANDS 試驗資料以及文獻，並依照 NICE 相關文件的模型挑選原則，選擇治療時間（DoT）、疾病惡化及死亡參數的外推模型。
- (2) **安全性參數**：來自 COMMANDS 試驗資料，納入試驗中任一組別發生率 $\geq 5\%$ 的三級以上治療期間出現的不良反應。

- (3) **流行病學資料**：模型中關於目標族群年齡、性別、體重等基本特性之設定，參考自 Ko 等人於 2019 年發表的國內文獻，並使用我國國民生命表校正死亡率。
- (4) **成本參數**：模型將藥品治療及紅血球輸注費用、門診診察費、疾病監測管理費用、ICT 監測費用、併發症費用及不良反應處理費用納入考量。藥品價格及各項醫療處置之單位成本參考自現行健保支付價格及文獻；給藥劑量及頻率根據仿單及建議者內部資料做設定；醫療資源使用量參考自臨床專家意見、健保資料庫分析及文獻；治療時間設定根據 COMMANDS 試驗及相關假設；疾病惡化之治療方案占比則參考 MEDALIST 試驗、文獻、專家意見及健保藥品申報量。
- (5) **效用參數**：來自 COMMANDS 試驗及文獻。

基礎分析結果顯示，本品的成本約 439 萬元，可獲得 5.29 個生命年，約 4.3 個 QALY；epoetin alfa 組的成本約 113 萬元，可獲得 4.19 個生命年，約 3.33 個 QALY。因此，相較於 epoetin alfa 組，本品的 ICER 值約為 336 萬元/QALY。機率性敏感度分析結果顯示，在願付價格閾值約為 303 萬/QALY 的情況下，與 epoetin alfa 組相比，本品有 23% 的機率符合成本效益。

2. 查驗中心評論

對於建議者提出的國內藥物經濟學研究報告，本報告認為研究主題設定合適，與本次申請之擴增給付範圍相符；研究架構設計亦大致合宜且完整。參數來源的品質皆屬良好，然而在反應國情的部分，本報告針對比較策略設定及相關參數設定是否能充分反應國情存有疑慮，相關說明如後：

- (1) 建議者設定比較策略為 epoetin alfa，本報告經檢視健保給付規定，目前 epoetin alfa 僅給付用於末期腎臟病接受透析病人或第五期 CKD 病人或患有固態腫瘤接受化學藥物治療而引起之症狀性貧血病人，並未給付 epoetin alfa 用於本案目標族群；另經諮詢臨床專家，目前目標族群於我國主要的治療仍是以輸血為主。本報告認為建議者直接以臨床試驗之對照組 epoetin alfa 做為比較策略並不符合我國健保給付情境。
- (2) 模型中許多參數如治療反應率、安全性、效用值等設定為參考 COMMANDS 臨床試驗數據，相關參數品質為良好，但建議者未說明其是否能反映國情。本報告經檢視該試驗後，考量有納入亞洲人群且療效結果方向與整體族群尚屬一致，故認為相關數據應可部分反映我國國情。
- (3) 本報告認為建議者引用之部份數據（如：一線治療失敗後發生疾病惡化的參數、疾病惡化導致死亡）並未公開，亦未檢附文獻來源供驗證；在藥品安全性及劑量分布的設定上，建議者表示引用 COMMANDS 試驗，但本報告經比對認為其與公開的 COMMANDS 試驗結果略有不一致的情形，又建議者

未檢附文獻來源供驗證，故本報告對於相關數據引用之正確性存有疑慮。

(4) 建議者未檢附可操作之模型檔供檢視分析結果計算之正確性。

整體而言，本報告認為建議者本次提交之藥物經濟學研究，在模型架構及參數來源品質良好，但在比較策略的設定上可能無法充分反映於我國健保情境下的實際治療情況，故整體執行品質屬尚可。

(二) 其他經濟評估報告

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 PubMed 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)	至 2025 年 9 月 10 日止，查無符合本案評估範圍的評估報告。
PBAC (澳洲)	至 2025 年 9 月 10 日止，查無相關評估報告。
NICE (英國)	至 2025 年 9 月 10 日止，查無相關評估報告。
其他醫療科技評估組織	至 2025 年 9 月 10 日止，SMC (蘇格蘭) 查無相關評估報告。
電子資料庫	PubMed 的搜尋結果。
建議者提供之資料	無

1. CDA-AMC (加拿大)

加拿大 CDA-AMC 於 2021 年 12 月公告一份醫療科技評估報告[13]，建議有條件地收載 luspatercept 用於治療具有環狀鐵粒幼紅血球 (ring sideroblasts) 之非常低至中度風險骨髓增生不良症候群 (myelodysplastic syndromes, MDS) 導致貧血且需接受紅血球輸注的成年病人，並且設定相關給付條件，包含：(1) 起始治療條件：限制於曾接受過紅血球生成素 (erythropoietin-based therapy) 治療失敗，或不適合接受紅血球生成素治療的病人。(2) 續用條件：在開始治療後的 24 週內，應至少有連續 16 週不需接受紅血球輸注，且每 6 個月評估一次。(3) 處方條件：需由具治療 MDS 經驗之醫師進行照護。(5) 定價：luspatercept 需降價。

由於前述之評估報告係建議給付 luspatercept 於曾接受過或不適合接受紅血球生成素治療的 MDS 病人，與本品建議給付用於未曾接受過治療之 MDS 病人的臨床地位不同。因此，截至 2025 年 9 月 10 日止，查無 luspatercept 用於本案

相同臨床地位之相關評估報告。

2. PBAC (澳洲)

至 2025 年 9 月 10 日止，查無 luspatercept 相關評估報告。

3. NICE (英國)

至 2025 年 9 月 10 日止，查無 luspatercept 相關評估報告。

4. 電子資料庫相關文獻

(1) 搜尋方法

本報告用於搜尋 PubMed 電子資料庫之方法說明如下：

以下列 PICOS 做為搜尋條件，即搜尋符合本次建議新藥給付條件下之病人群 (population)、治療方法 (intervention)、療效對照品 (comparator)、結果測量指標 (outcome) 及研究設計與方法 (study design)，其搜尋條件整理如下：

Population	納入條件：非常低度至中度風險之骨髓增生不良症候群所導致的輸血依賴型貧血 排除條件：未設限
Intervention	Reblozyl (luspatercept)
Comparator	未設限
Outcome	未設限
Study design	Cost-effectiveness analysis, cost-utility analysis, cost-benefit analysis, cost-minimization analysis, cost-consequence analysis, cost study, economic evaluation

依照上述之 PICOS，透過 PubMed 等文獻資料庫，於 2025 年 8 月 13 日，以「Reblozyl」、「luspatercept」、「cost-effectiveness」做為關鍵字進行搜尋，搜尋策略請見附錄。

(2) 搜尋結果

依前述搜尋策略於 PubMed 資料庫進行搜尋，並經標題及摘要閱讀後，查無與本案相關之經濟研究。

5. 建議者提供之其他成本效益研究資料

建議者並未針對本次給付建議提出其他相關之成本效益研究資料。

六、疾病負擔與財務影響

(一) 疾病負擔

骨髓增生不良症候群 (MDS) 是一種骨髓病變，由於有不正常之血液細胞的分化與成熟，造成各種程度之血液功能不足，並且有演變成急性骨髓性白血病之可能性[22]。依據 2022 年癌症登記報告[23]，MDS 新發病人數為 440 人，粗發生率為每 10 萬人 1.89 人，年齡標準化發生率為每 10 萬人 0.86 人。MDS 嚴重程度可根據常用的修訂版國際預後評估系統 (Revised International Prognostic Scoring System, IPSS-R) 分為非常低度、低度、中度、高度、極高度風險；根據國內研究統計[24-34]，MDS 病人之非常低度至中度的占比為 48%至 71.8%。

(二) 核價參考品之建議

本報告參考全民健康保險藥物給付項目及支付標準，建議核價參考品選擇之考量如下：

經查本品在 WHO ATC/DDD Index 2025 編碼為 B03XA06，屬「B03X:OTHER ANTIANEMIC PREPARATIONS」的「B03XA: Other antianemic preparations」類，同屬此分類共有 10 種成分，erythropoietin、darbepoetin alfa、methoxy polyethylene glycol-epoetin beta、peginesatide、roxadustat、daprodustat、vadadustat、molidustat 及 efepoetin alfa[8]。再查詢衛生福利部食品藥物管理署之「西藥許可證查詢」網頁[9]，前述成分中除了本品之外，已獲得許可證的成分有 darbepoetin alfa、methoxy polyethylene glycol-epoetin beta 及 vadadustat，其中所核准之適應症與本案相近之成分僅有 darbepoetin alfa，然 darbepoetin alfa 尚未取得我國健保給付用於因骨髓增生不良症候群導致的貧血病人。

本報告另於衛生福利部食品藥物管理署之「西藥許可證查詢」網頁[9]，以「骨髓增生不良症候群」或「骨髓化生不良症候群」為適應症關鍵字進行查詢，查獲 lenalidomide、azacitidine、decitabine 與本品具有相似適應症。然 lenalidomide 尚未取得我國健保給付用於因骨髓增生不良症候群導致的貧血病人，另健保給付 azacitidine 與 decitabine 用於骨髓增生不良症候群的高危險性病人，與本品建議給付用於非常低度至中度風險的 MDS 病人不同。

綜上，基於 ATC 篩選基礎、同藥理作用或同治療類別、臨床試驗 head-to-head comparison 之選取原則，本報告認為本案並無合適之核價參考品。

(三) 財務影響

建議者財務影響推估

建議者提供的財務影響評估，係設定本品給付用於「IPSS-R 分級為非常低度至中度風險之骨髓增生不良症候群所導致的輸血依賴型貧血成人病人」，預估未來五年（2026 年至 2030 年）本品使用人數為第一年 370 人至第五年 665 人，本品年度藥費約為第一年 5.90 億元至第五年 10.59 億元，對健保整體財務影響約為第一年增加 5.38 億元至第五年增加 9.66 億元，建議者分析之相關假設及推估過程如後。

1. 臨床地位

建議者認為本品預期將部份取代標準治療(紅血球輸注合併排鐵劑)的使用，故建議者在計算時設定本品之臨床地位為「取代關係」。

2. 目標族群推估

(1) MDS 成人病人數

建議者依據 2018 年至 2022 年癌症登記年報之新診斷 MDS 病人數，並將所有病人視為成人，以複合成長率 5.29%，推估未來五年新診斷 MDS 成人病人數為 540 人至 664 人。再參考 Tefferi A 等人於 2018 發表的文獻[35]中的低風險病人十年整體存活率設定第二至第十年之整體存活率依序為 95%、87%、80%、73%、63%、48%、45%、35%及 30%，以此計算每年累積存活人數，據此推估未來五年符合 MDS 成人病人數為第一年 2,954 人至第五年 3,669 人。

(2) 各年度 MDS 病人且符合非常低度至中度風險、無 5 號染色體長臂缺失 (del5q)、輸血依賴型之成人病人數

建議者以 Lee 等人於 2023 年發表的國內文獻[27]設定非常低度至中度風險的比例為 56.3%；再參考本品之 COMMANDS 臨床試驗排除具有 5 號染色體長臂缺失(del5q)的病人，依據 Lee 等人於 2024 年發表的國內文獻[36]設定無 del5q 的比例為 99%；最後，建議者參考國外文獻[37]定義之輸血依賴型為紅血球輸注每 8 週輸注 2 單位以上，依台灣血袋容量換算台灣的定義為每 8 週輸注 4 單位以上，再以 2022 年癌登檔串聯健保資料庫分析 MDS 病人每 8 週輸注 4 單位以上的比例約為 50%。依照前述三個參數之設定，建議者推估未來五年目標族群人

數為第一年 823 人至第五年 1,023 人。

3. 本品使用人數

建議者考量接受本品治療後可以有效的減少 RBC 的輸注負擔，故假設本品市占率為第一年 45% 成長至第五年 65%，據此推估未來五年本品使用人數為第一年 370 人至第五年 665 人。

4. 本品年度藥費

建議者參考 COMMANDS 臨床試驗結果之總治療期間共 66.2 週、給藥劑量 20.6 週，計算給藥間隔為每 3.2 週打一次；再參考 COMMANDS 臨床試驗的治療期間 (duration of treatment) 存活曲線，以前 50 週接受治療的面積 (Area Under Curve, AUC) 計算每年平均接受 13 次治療 (=52 週/3.2 週*81%)。

給藥劑量參照仿單建議用法用量，劑量占比則參考 COMMANDS 臨床試驗結果設定如下表；體重以 Ko 等人於 2019 年發表的國內文獻[38]設定為 61 公斤。最後，依照前述之設定及現行健保支付價格，計算每人年藥費約為 159 萬元。據此推估未來五年本品年度藥費約為第一年 5.90 億元至第五年 10.59 億元。

劑量	占比
1.00/公斤	36.5%
1.33/公斤	21.5%
1.75/公斤	42.0%
加權後劑量為 1.39/公斤	

5. 被取代品年度費用

建議者設定被取代品為紅血球輸注合併排鐵劑，建議者推估在本品給付後，未來五年將取代紅血球輸注費用約 0.18 億元至 0.32 億元；將取代排鐵劑治療費用約 0.34 億元至 0.61 億元；兩者合計將取代約 0.52 億元至 0.93 億元，相關推估細節說明如後：

(1) 紅血球輸注費用

紅血球輸注的費用參考 Reblozyl[®]用於 β 型重型海洋性貧血的建議者申請資料，設定每單位輸注費用為 3,358 元，在本品進行介入之前，以 Ko 等人於 2019 年發表的國內文獻[38]設定每年平均輸注 16.1 單位，計算每人年輸注費約為 5.4 萬元；而在本品介入之後，根據 COMMANDS 臨床試驗數據[17, 20]，建議者設定將會降低 89% 的紅血球輸注 (= (9-1) / 9)，介入之後為每年輸注約 2 單位，

紅血球輸注費用也隨之降低至每年約 0.6 萬元。估計在本品進行介入後，將可節省紅血球輸注費用約 0.18 億元至 0.32 億元。

(2) 排鐵劑費用

排鐵劑費用亦參考 Reblozyl® 用於 β 型重型海洋性貧血的 HTA 設定，計算每單位紅血球輸注會合併排鐵劑的費用為 6,364 元，在本品進行介入之前，排鐵劑之每人年費用約為 10.2 萬元；而在本品介入之後，根據 COMMANDS 臨床試驗數據[17, 20]，建議者設定亦會降低 89% 的排鐵劑使用，排鐵劑費用也隨之降低至每年約 1.1 萬元。估計在本品進行介入後，將可節省排鐵劑費用約 0.34 億元至 0.61 億元。

6. 財務影響

綜上所述，建議者以本品年度藥費扣除被取代費用後，推估本品納入給付後，未來五年對健保的整體財務影響第一年約增加 5.38 億元至第五年 9.66 億元。

7. 敏感度分析

建議者考量輸血依賴型的比例具不確定性，故建議者將輸血依賴型的比例分別減少 5% 及增加 5% 進行敏感度分析，分析之結果詳見下表。

推估項目	未來五年推估值 (2026 年至 2030 年)		
	基礎分析	低推估	高推估
輸血依賴型的比例	50%	45%	55%
本品使用人數	370 人至 665 人	333 人至 598 人	408 人至 731 人
本品年度藥費	5.90 億元至 10.59 億元	5.31 億元至 9.52 億元	6.49 億元至 11.64 億元
整體財務影響	5.38 億元至 9.66 億元	4.85 億元至 8.69 億元	5.92 億元至 10.63 億元

查驗中心評論與校正

1. 臨床地位

經查詢現行健保給付規定[11]及諮詢國內臨床專家意見，目前尚無給付用於非常低度至中度之 MDS 所導致的輸血依賴型貧血病人之治療藥品。另本報告考量紅血球輸注為醫療服務項目，而非治療的藥品，且合併排鐵劑使用是為了處理紅血球輸注的不良反應，而非治療 MDS 所引起之貧血症狀。因此，本報告認為本品並無可直接取代之藥品治療，故臨床地位較類似新增關係，但應可減少紅血

球輸注合併排鐵劑之使用。

2. 目標族群推估

針對 MDS 成人病人數，本報告經諮詢國內臨床專家，其表示臨床上若 MDS 病人分級為極低風險或低風險且無輸血依賴者，醫師傾向不通報為 MDS，故若直接引用癌症登記年報新發之 MDS 人數可能有低估之疑慮；另針對十年存活率之參數，考量其為美國研究，故此參數是否反應我國情形較有不確定性。

其他參數設定上，本報告經檢視建議者提供之資料後，認為建議者設定之無 5 號染色體長臂缺失 (del5q) 比例應屬合理；針對非常低度至中度風險比例，本報告經搜尋相關國內的文獻[24-34]，認為建議者以中間值 56.3% 作為非常低度至中度風險比例尚可接受，故沿用建議者設定之 56.3%，惟考量此參數的範圍較寬 (48% 至 71.8%)，故後續對此進行敏感度分析。針對輸血依賴型比例，本報告經諮詢臨床專家，其表示由於突發狀況 (如手術、大出血) 可能導致短期輸血量增加，故本報告認為以健保資料庫來定義輸血依賴型會有較大的不確定性。

綜上，為了使目標族群更貼近台灣實際接受輸血的 MDS 人數，本報告以 2020 年至 2024 年健保資料庫分析 18 歲以上且診斷為 MDS 的病人數，並以算術平均成長率 1.20% 推估未來人數；再分析其中於當年度有申報紅血球輸注 (醫療服務代碼為 93001C、93002C、93003C、93013C、93015C 或 93019C) 的比例，據此進行保守估計；進一步沿用前述建議者設定之非常低度至中度風險比例、無 del5q 比例後，本報告推估之未來五年目標族群人數為第一年 680 人至第五年 713 人。

3. 本品使用人數

本報告認為建議者預估之本品市占率尚在可接受範圍內，惟考量本品市占率可能具不確定性，故後續對此參數進行敏感度分析，推估未來五年本品使用人數為第一年 306 人至第五年 463 人。

4. 本品年度藥費

本報告經檢視建議者提供之資料後，認為建議者設定之病人體重、每年平均接受治療次數應屬合理；然針對給藥頻率，本報告參考仿單建議調整為每 3 週打一次進行保守估計；給藥劑量占比則參考 COMMANDS 臨床試驗最新結果[18]調整如下表。依照前述之設定及建議支付價格，計算每人年藥費約為 171 萬元，據此推估未來五年本品年度藥費約為第一年 5.22 億元至第五年 7.90 億元。

劑量	占比
1.00/公斤	14%

劑量	占比
1.33/公斤	24%
1.75/公斤	62%
加權後劑量為 1.51/公斤	

5. 被取代品年度費用

基於本報告認為本品臨床地位應為新增關係，故本報告認為應無被取代藥品費用。

6. 其他醫療費用

本報告經檢視 COMMANDS 臨床試驗，認為建議者設定本品擴增給付後，會減少紅血球輸注合併排鐵劑使用應屬合理。在本品給付後，本報告調整未來五年將節省之紅血球輸注費用約 0.11 億元至 0.17 億元；將節省之排鐵劑治療費用約 0.43 億元至 0.64 億元；兩者合計將節省約 0.54 億元至 0.81 億元，相關推估細節說明如後：

(1) 紅血球輸注費用

本報告考量建議者引用的是 β 型重型海洋性貧血病人之紅血球輸注費用，與本報告之 MDS 病人族群不同，故直接以健保資料庫分析 2024 年診斷為 MDS 且當年度有申報紅血球輸注的成人病人，其每單位輸注費用為 1,845 元進行調整；在每年平均輸注量，考量文獻納入的病人其診斷年代較久遠，故本報告直接分析 2024 年診斷為 MDS 且當年度平均輸注 22 個單位進行調整。調整後，在本品進行介入之前，每人年輸注費約為 4.1 萬元；而在本品介入之後，本報告沿用建議者設定之將會降低 89% 的紅血球輸注，計算紅血球輸注費用也隨之降低至每年約 0.5 萬元。在結合本品使用人數進行推估後，估計在本品進行介入後，將可節省紅血球輸注費用約 0.11 億元至 0.17 億元。

(2) 排鐵劑費用

如同前段之紅血球輸注費用所述，考量建議者引用之病人族群與本報告不同，故直接以健保資料庫分析 2024 年診斷為 MDS 病人每年排鐵劑費用為 15.6 萬元，依此設定在本品進行介入之前排鐵劑費用；而在本品介入之後，本報告同建議者設定將會降低 89% 的排鐵劑使用，排鐵劑費用也隨之降低至每年約 1.7 萬元。在結合本品使用人數進行推估後，估計在本品進行介入後，將可節省排鐵劑費用約 0.43 億元至 0.64 億元。

7. 財務影響

基於本品臨床地位為新增關係，故本品藥費等同對健保藥費的財務影響，約為第一年增加 5.22 億元至第五年增加 7.90 億元；若再納入其他醫療費用節省，未來五年之整體財務影響第一年約增加 4.68 億元至第五年約增加 7.09 億元。

8. 敏感度分析

本報告考量非常低度至中度比例、輸血依賴型比例與本品市占率較具不確定性，故進行敏感度分析。經檢視文獻[26]，本報告於非常低度至中度比例以最高值 71.8% 進行敏感度分析；輸血依賴型比例亦較具不確定性，故參考建議者假設，以 50% 進行敏感度分析；另將本品市占率增加 10% 進行敏感度分析。結果整理如下表：

推估項目	未來五年推估值（2026 年至 2030 年）			
	基礎分析	調整非常低度至中度比例為 71.8%	調整輸血依賴型比例為 50%	調整本品市占率為第一年 55% 至第五年 75%
本品使用人數	306 人至 463 人	390 人至 591 人	629 人至 952 人	374 人至 535 人
本品年度藥費 (藥費財務影響)	5.22 億元至 7.90 億元	6.65 億元至 10.08 億元	10.73 億元至 16.24 億元	6.38 億元至 9.13 億元
整體財務影響	4.68 億元至 7.09 億元	5.97 億元至 9.05 億元	9.63 億元至 14.57 億元	5.72 億元至 8.19 億元

七、經濟評估結論

(一) 建議者提出之國內藥物經濟學研究

建議者提供一份國內藥物經濟學研究，針對本品給付用於「非常低度至中度風險之 MDS 所導致的輸血依賴型貧血成人病人」，評估本品相較於 epoetin alfa 組的成本效益。基礎分析結果顯示，相較於 epoetin alfa 組，本品的 ICER 值約為 336 萬元/QALY。機率性敏感度分析結果顯示，在願付價格閾值約為 303 萬/QALY 的情況下，與 epoetin alfa 組相比，本品有 23% 的機率符合成本效益。

有關建議者提出之本土藥物經濟學研究，本報告認為其研究主題與設計大致合宜，然本報告考量比較策略設定較不符合我國健保給付情境，又部分參數引用之正確性存有疑慮，故綜合評判建議者所提出之本土藥物經濟學研究之執行品質為尚可。

(二) 主要醫療科技評估組織報告

加拿大 CDA-AMC、澳洲 PBAC 及英國 NICE 截至 2025 年 9 月 10 日止，未公告 luspatercept 相關評估報告。

(三) 財務影響

1. 建議者申請本品用於治療「IPSS-R 分級為非常低度至中度風險之骨髓增生不良症候群所導致的輸血依賴型貧血成人病人」，預估未來五年（2026 年至 2030 年）本品使用人數為第一年 370 人至第五年 665 人，本品年度藥費約為第一年 5.90 億元至第五年 10.59 億元，對健保整體財務影響約為第一年增加 5.38 億元至第五年增加 9.66 億元。
2. 本報告認為建議者的財務影響分析架構清楚，本報告針對以下幾點推估過程進行評論與調整：第一，在推估 MDS 成人病人數上，本報告經諮詢臨床專家，考量直接引用癌登年報之新發 MDS 病人數可能有低估之疑慮，及十年存活率之參數可能具有不確定性，故為了使目標族群更貼近台灣實際治療人數，直接以健保資料庫分析我國診斷為 MDS 的成人病人數進行調整；第二，在計算本品年度藥費上，本報告依照仿單建議用法用量微調給藥頻率，及依照最新臨床試驗數據調整給藥劑量占比；第三，考量建議者引用紅血球輸注與排鐵劑費用之目標族群與本案不同，本報告直接以健保資料庫分析結果調整。本報告經調整後，預估未來五年本品使用人數為 306 人至 463 人，本品年度藥費約為 5.22 億元至 7.90 億元，整體財務影響約為 4.68 億元至 7.09 億元。

參考資料

1. Clinical manifestations, diagnosis, and classification of myelodysplastic syndromes (MDS). UpToDate®. https://www.uptodate.com/contents/clinical-manifestations-diagnosis-and-classification-of-myelodysplastic-syndromes-mds?search=myelodysplastic%20syndromes&source=search_result&selectedTitle=1~150&usage_type=default&display_rank=1. Published 2025. Accessed August 21, 2025.
2. Myelodysplastic syndromes/neoplasms (MDS): Overview of diagnosis and management. UpToDate®. https://www.uptodate.com/contents/myelodysplastic-syndromes-neoplasms-mds-overview-of-diagnosis-and-management?search=myelodysplastic%20syndromes&source=search_result&selectedTitle=2~150&usage_type=default&display_rank=2. Published 2025. Accessed August 21, 2025.
3. NCCN Guidelines: Myelodysplastic Syndromes (Version 2.2025). National Comprehensive Cancer Network (NCCN). <https://www.nccn.org/guidelines/guidelines-detail?category=1&id=1446>. Published 2025. Accessed August 21, 2025.
4. Fenaux P, Haase D, Santini V, Sanz GF, Platzbecker U, Mey U. Myelodysplastic syndromes: ESMO Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up. *Ann Oncol* 2021; 32(2): 142-156.
5. 衛部菌疫輸字第 001201 號：芮寶興凍晶注射劑（Reblozyl powder for solution for injection）。衛生福利部食品藥物管理局（西藥許可證查詢）。
<https://lmspiq.fda.gov.tw/web/DRPIQ/DRPIQ1000Result?licBaseId=57D7F7D7-1999-4361-8D3D-490934303E85>. Accessed August 13, 2025.
6. 衛部罕菌疫輸字第 000041 號：芮寶喜凍晶注射劑（Reblozyl powder for solution for injection）。
<https://lmspiq.fda.gov.tw/web/DRPIQ/DRPIQ1000Result?licBaseId=3CBC0066-4916-4FDE-B26B-F64AD6DE67CE>. Accessed August 13, 2025.
7. 藥品仿單：芮寶興凍晶注射劑（Reblozyl powder for solution for injection）。衛生福利部食品藥物管理署。
https://mcp.fda.gov.tw/im_detail_1/%E8%A1%9B%E9%83%A8%E8%8F%8C%E7%96%AB%E8%BC%B8%E5%AD%97%E7%AC%AC001201%E8%99%9F. Accessed August 13, 2025.
8. ATC/DDD Index 2025. WHO Collaborating Centre for Drug Statistics Methodology. https://atcddd.fhi.no/atc_ddd_index/. Accessed August 13, 2025.
9. 西藥許可證查詢。衛生福利部食品藥物管理局。Accessed August 13, 2025.
10. 健保用藥品項網路查詢服務。衛生福利部中央健康保險署。

- <https://info.nhi.gov.tw/INAE3000/INAE3000S01>. Accessed August 13, 2025.
11. 最新版藥品給付規定內容(整份帶走)-114.08.22 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 September 02, 2025.
 12. CDA-AMC. Canada's Drug Agency (CDA-AMC). <https://www.cda-amc.ca/>. Accessed September 09, 2025.
 13. Canadian Drug Expert Committee Recommendation - luspatercept. 2025. <https://www.cda-amc.ca/luspatercept-0>. Published 2021. Accessed, September 09.
 14. Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC). Australian Government Department of Health. Accessed September 09, 2025.
 15. NICE. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). <https://www.nice.org.uk/>. Accessed September 09, 2025.
 16. Scottish Medicines Consortium (SMC). Scottish Medicines Consortium (SMC). <https://scottishmedicines.org.uk/>. Accessed August 13, 2025.
 17. Platzbecker U, Della Porta MG, Santini V, et al. Efficacy and safety of luspatercept versus epoetin alfa in erythropoiesis-stimulating agent-naive, transfusion-dependent, lower-risk myelodysplastic syndromes (COMMANDS): interim analysis of a phase 3, open-label, randomised controlled trial. *Lancet* 2023; 402(10399): 373-385.
 18. Della Porta MG, Garcia-Manero G, Santini V, et al. Luspatercept versus epoetin alfa in erythropoiesis-stimulating agent-naive, transfusion-dependent, lower-risk myelodysplastic syndromes (COMMANDS): primary analysis of a phase 3, open-label, randomised, controlled trial. *Lancet Haematol* 2024; 11(9): e646-e658.
 19. Garcia-Manero G, Santini V, Zeidan AM, et al. Long-Term Transfusion Independence with Luspatercept Versus Epoetin Alfa in Erythropoiesis-Stimulating Agent-Naive, Lower-Risk Myelodysplastic Syndromes in the COMMANDS Trial. *Adv Ther* 2025; 42(7): 3576-3589.
 20. Zeidan AM, Platzbecker U, Della Porta MG, et al. Clinical benefit of luspatercept treatment (tx) in transfusion-dependent (TD), erythropoiesis-stimulating agent (ESA)-naive patients (pts) with very low-, low- or intermediate-risk myelodysplastic syndromes (MDS) in the COMMANDS trial. *Journal of Clinical Oncology* 2024; 42(16_suppl): 6565-6565.
 21. Oliva EN, Platzbecker U, Della Porta MG, et al. Patient-Reported Outcomes (PRO) of Luspatercept Versus Epoetin Alfa in Erythropoiesis-Stimulating Agent (ESA)-Naïve, Transfusion-Dependent (TD), Lower-Risk

- Myelodysplastic Syndromes (LR-MDS): Results from the Phase 3 COMMANDS Study. *Blood* 2023; 142(Supplement 1): 4596-4596.
22. 骨髓性血液惡性腫瘤－骨髓化生不良症候群. 財團法人台灣癌症基金會. <https://www.canceraway.org.tw/page.php?IDno=543>. Accessed September 11, 2025.
 23. 111 年癌症登記報告 . 衛生福利部國民健康署 . <https://www.hpa.gov.tw/Pages/List.aspx?nodeid=119>. Accessed September 11, 2025.
 24. Gill H, Yim R, Lee P, et al. A clinico-genomic prognostic model for primary myelodysplastic neoplasm in Asia. *Blood Cancer J* 2025; 15(1): 128.
 25. Hou HA, Tsai CH, Lin CC, et al. Incorporation of mutations in five genes in the revised International Prognostic Scoring System can improve risk stratification in the patients with myelodysplastic syndrome. *Blood Cancer J* 2018; 8(4): 39.
 26. Lee WH, Lin CC, Tsai CH, et al. Effect of mutation allele frequency on the risk stratification of myelodysplastic syndrome patients. *Am J Hematol* 2022; 97(12): 1589-1598.
 27. Lee WH, Tsai MT, Tsai CH, et al. Validation of the molecular international prognostic scoring system in patients with myelodysplastic syndromes defined by international consensus classification. *Blood Cancer J* 2023; 13(1): 120.
 28. Lin C-C, Hou H-A, Chou W-C, et al. IDH mutations are closely associated with mutations of DNMT3A, ASXL1 and SRSF2 in patients with myelodysplastic syndromes and are stable during disease evolution. *American Journal of Hematology* 2014; 89(2): 137-144.
 29. Wang Y-H, Hou H-A, Lin C-C, et al. A CIBERSORTx-based immune cell scoring system could independently predict the prognosis of patients with myelodysplastic syndromes. *Blood Advances* 2021; 5(22): 4535-4548.
 30. Yang YT, Chiu YC, Kao CJ, et al. The prognostic significance of global aberrant alternative splicing in patients with myelodysplastic syndrome. *Blood Cancer J* 2018; 8(8): 78.
 31. Yang YT, Hou HA, Liu CY, et al. IPSS-R in 555 Taiwanese patients with primary MDS: Integration of monosomal karyotype can better risk-stratify the patients. *Am J Hematol* 2014; 89(9): E142-149.
 32. Yao C-Y, Chen C-H, Huang H-H, et al. A 4-lncRNA scoring system for prognostication of adult myelodysplastic syndromes. *Blood Advances* 2017; 1(19): 1505-1516.
 33. Yao C-Y, Lin C-C, Wang Y-H, et al. Kinome expression profiling improves risk stratification and therapeutic targeting in myelodysplastic syndromes.

- Blood Advances* 2024; 8(10): 2442-2454.
34. Yao CY, Hou HA, Lin TY, et al. Distinct mutation profile and prognostic relevance in patients with hypoplastic myelodysplastic syndromes (h-MDS). *Oncotarget* 2016; 7(39): 63177-63188.
 35. Tefferi A, Gangat N, Mudireddy M, et al. Mayo Alliance Prognostic Model for Myelodysplastic Syndromes: Integration of Genetic and Clinical Information. *Mayo Clin Proc* 2018; 93(10): 1363-1374.
 36. Lee WH, Lin CC, Tsai CH, et al. Comparison of the 2022 world health organization classification and international consensus classification in myelodysplastic syndromes/neoplasms. *Blood Cancer J* 2024; 14(1): 57.
 37. Diez-Campelo M, Yucel A, Goyal RK, et al. Treatment characteristics and outcomes in lower-risk, non-del(5q) myelodysplastic syndromes: findings from a medical record review in the USA, Canada and Europe. *Future Oncol* 2024; 20(27): 1993-2004.
 38. Ko BS, Chang MC, Chiou TJ, et al. Long-term safety and efficacy of deferasirox in patients with myelodysplastic syndrome, aplastic anemia and other rare anemia in Taiwan. *Hematology* 2019; 24(1): 247-254.

附錄

附錄一 NCCN 指引中對低風險 MDS (IPSS-R 之極低度、低度，與中度風險疾病) 之症狀性貧血的評估與治療



NCCN Guidelines Version 2.2025
Myelodysplastic Syndromes

[NCCN Guidelines Index](#)
[Table of Contents](#)
[Discussion](#)

MANAGEMENT OF LOWER-RISK DISEASE
(IPSS-R VERY-LOW-, LOW-, INTERMEDIATE-RISK DISEASE)^{w,x,y}

EVALUATION OF RELATED ANEMIA

- H&P
- CBC, platelets, differential, reticulocyte count
- Examination of peripheral blood smear
- Bone marrow aspiration with iron stain + biopsy + cytogenetics
- Serum EPO level
- Rule out coexisting causes

- Treat coexisting causes
- Replace iron, folate, B12 if needed
- RBC transfusions (CMV-safe)
- Supportive care^z

MDS-SF3B1 (low blasts)
No del(5q) ± other cytogenetic abnormalities with ring sideroblasts (RS) ≥15% (or RS ≥5% with an SF3B1 mutation)

MDS-5q (low blasts)
del(5q) ± one other cytogenetic abnormality (except those involving chromosome 7)

Preferred
Luspatercept-aamt^{ll,mm} (category 1)

Other Recommended
Imetelstatⁿⁿ (if serum EPO >500 mU/mL [ineligible for ESAs])

No response^{oo} or relapse^{ee}

No response^{oo} or relapse^{ee}

TREATMENT OF SYMPTOMATIC ANEMIA^{hh,ii}

Serum EPO ≤500 mU/mL

Serum EPO >500 mU/mL

Preferred
Lenalidomide^{jj}

Other Recommended
Erythropoiesis-stimulating agent (ESA) (epoetin alfa^{kk} or darbepoetin alfa^{kk})

Preferred
Lenalidomide (category 1)^{jj}

Preferred
Imetelstat (category 1)ⁿⁿ

Other Recommended
Epoetin alfa^{kk} ± granulocyte colony-stimulating factor (G-CSF)^{qq} or Darbepoetin alfa^{kk} ± G-CSF^{qq}

Preferred
Imetelstat^{rr} (if not previously used) or Luspatercept-aamt (category 1) (if not previously used)

Other Recommended
Consider lenalidomide^{jj}

No response^{oo} or relapse^{ee}

No response^{oo} or relapse^{ee}

Response

No Response to lenalidomide^{oo} or ESA^{pp} or relapse^{ee}

No response to imetelstat^{oo}, or ESAs ± G-CSF^{pp} or relapse^{ee}

No response^{oo} or relapse^{ee}

FOLLOW-UP

Continue lenalidomide or ESA, decrease dose to tolerance

See Serum EPO >500 mU/mL (**MDS-6**)

See Serum EPO >500 mU/mL (**MDS-6**)

Other Recommended
Ivosidenib (if *MIDH1*) or Olutasidenib (if *MIDH1*) (category 2B)

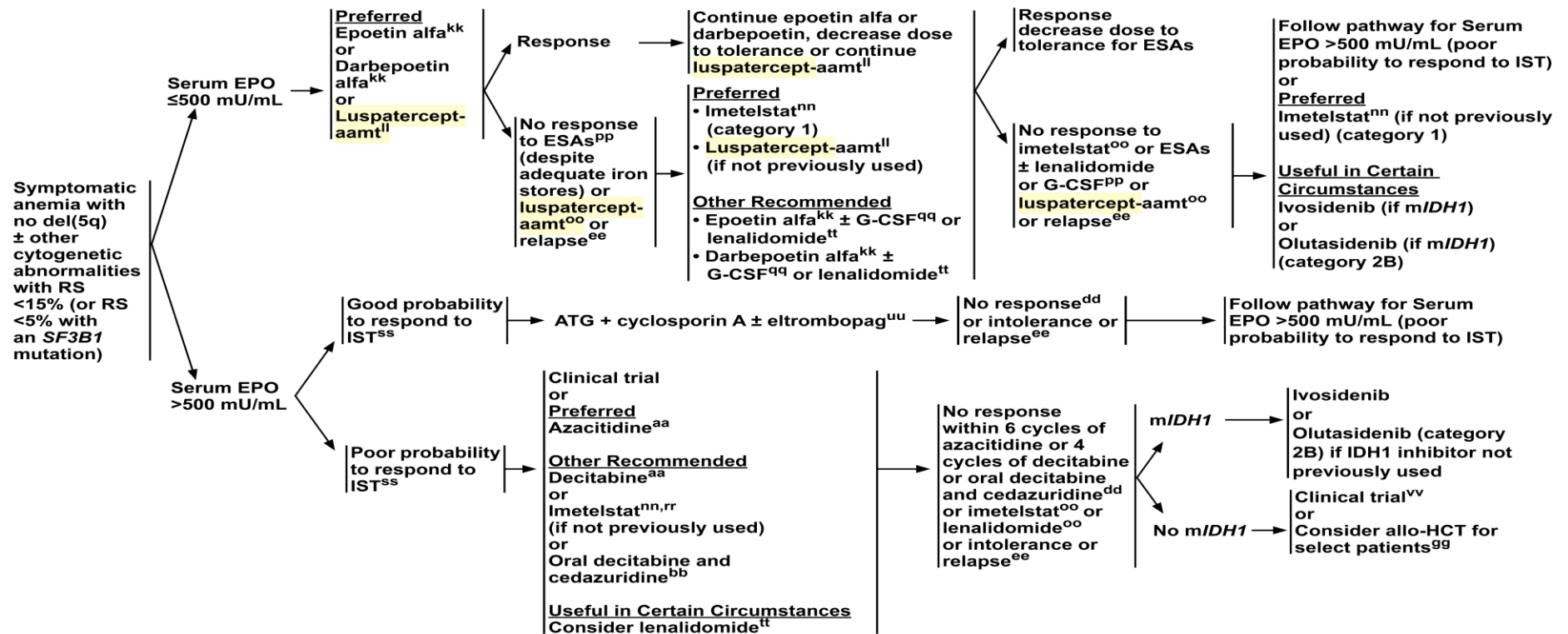
Note: All recommendations are category 2A unless otherwise indicated.

[Footnotes on MDS-6A](#)
MDS-5

Version 2.2025, 01/17/2025 © 2025 National Comprehensive Cancer Network® (NCCN®). All rights reserved. NCCN Guidelines® and this illustration may not be reproduced in any form without the express written permission of NCCN.

MANAGEMENT OF LOWER-RISK DISEASE
(IPSS-R VERY-LOW-, LOW-, INTERMEDIATE-RISK DISEASE)^{w,x,y}

TREATMENT OF SYMPTOMATIC ANEMIA^{hh,ii}



Note: All recommendations are category 2A unless otherwise indicated.

[Footnotes on MDS-6A](#)

MDS-6

附錄二 ESMO 指引對低風險 MDS (IPSS-R 之極低度、低度，與中度風險疾病)
之治療路徑與建議

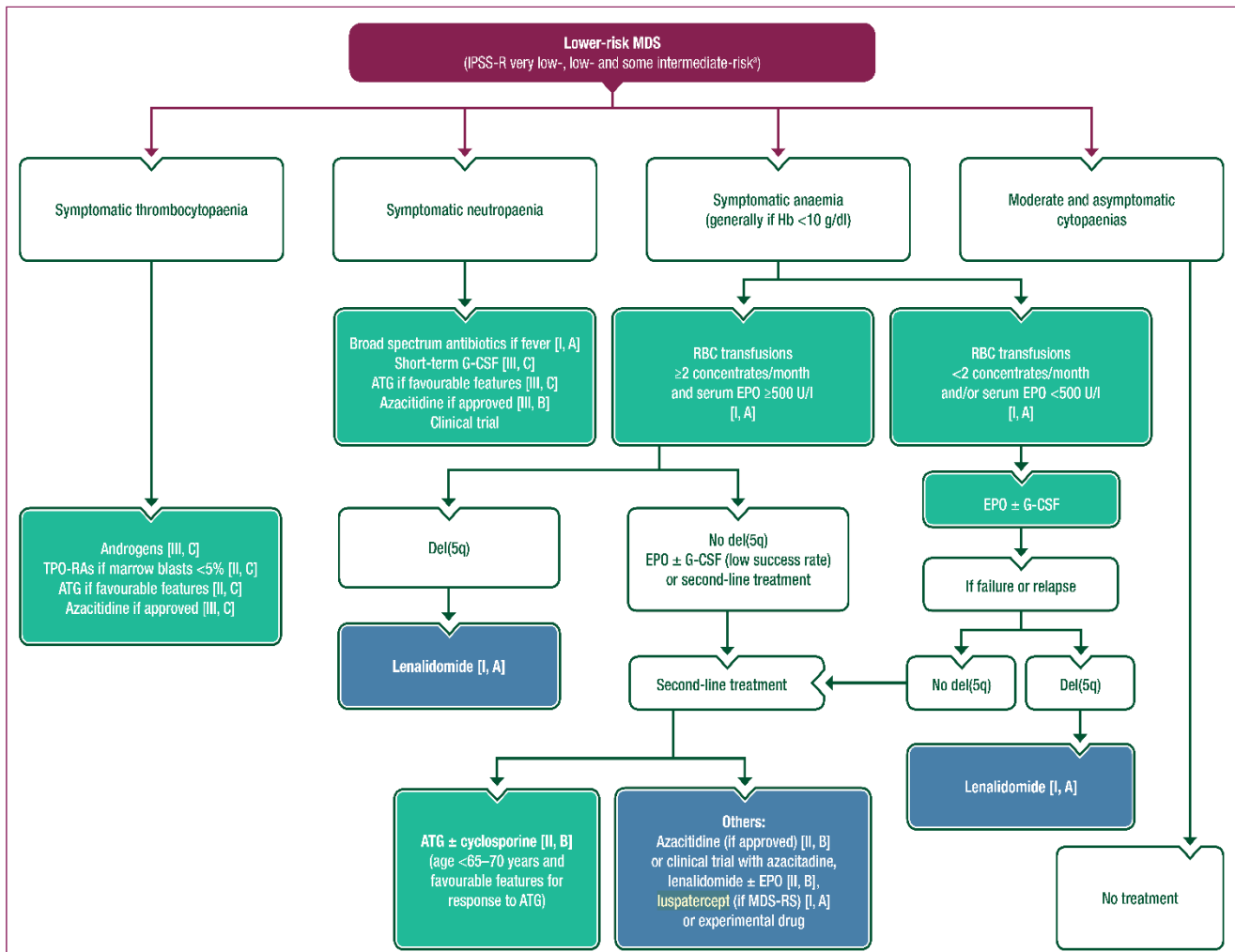


Figure 3. Treatment algorithm for lower-risk MDS.

ATG, antithymocyte globulin; EPO, erythropoietin; G-CSF, granulocyte colony-stimulating factor; Hb, haemoglobin; IPSS-R, revised international prognostic scoring system; MDS, myelodysplastic syndromes; MDS-RS, myelodysplastic syndrome with ring sideroblasts; RBC, red blood cell; TPO-RA, thrombopoietin receptor agonist.

^a For IPSS-R intermediate-risk MDS patients, whether they should initially receive treatment for lower-risk MDS or higher-risk MDS is also based on other factors including age, comorbidities, importance of cytopaenias, somatic mutations, effect of first-line treatment, etc.

附錄三 療效系統性文獻搜尋策略

#	關鍵字	筆數
PubMed (搜尋日期：2025 年 08 月 13 日止)		
1	luspatercept	290
2	myelodysplastic syndrome	32,668
3	(luspatercept) AND (myelodysplastic syndrome)	161
4	(luspatercept) AND (myelodysplastic syndrome) Filters: Randomized Controlled Trial	4
5	(luspatercept) AND (myelodysplastic syndrome) Filters: Systematic Review	0
6	(luspatercept) AND (myelodysplastic syndrome) Filters: Meta-Analysis	0
Embase (搜尋日期：2025 年 08 月 13 日止)		
1	'luspatercept'/exp OR luspatercept	1,046
2	myelodysplastic AND syndrome	65,420
3	#1 AND #2	592
4	#3 AND 'randomized controlled trial'/de	77
5	#3 AND 'systematic review'/de	13
6	#3 AND 'meta analysis'/de	8
Cochrane library (搜尋日期：2025 年 08 月 13 日止)		
1	luspatercept in Title Abstract Keyword AND myelodysplastic syndrome in Title Abstract Keyword - (Word variations have been searched)	Cochrane Reviews:0 Trials: 115

附錄四 經濟評估文獻搜尋紀錄

PubMed (搜尋日期：2025 年 8 月 13 日)		
#1	((MDS) OR (Myelodysplastic Syndrome) OR (anemia))	309,901
#2	(Reblozyl) OR (luspatercept)	290
#3	#1 AND #2	252
#4	#3 AND ((cost-effectiveness) OR (cost) OR (cost-utility) OR (cost-benefit) OR (cost-minimization analysis) OR (cost-consequence analysis) OR (cost study) OR (economic evaluation))	2
篩選後篇數：0		