

出國報告（出國類別：開會類）

（裝
釘
線）

參加「2016 HTAi 亞洲政策論壇」 (HTAi Asia Policy Forum 2016)

服務機關：衛生福利部中央健康保險署

姓名職稱：杜安琇 視察

派赴國家：馬來西亞

出國期間：105.11.16-105.11.18

報告日期：106.2.16

壹、會議目的

HTAi 亞洲政策論壇(HTAi Asia Policy Forum)每年由國際醫療科技評估學會(Health Technology Assessment International, HTAi)及英國醫療經濟學辦公室(Office of Health Economics, OHE)籌辦召開，成立該論壇的主要目的是就醫療科技評估相關議題，提供亞洲決策者之間進行開放、深入和建設性的討論和意見交流平台，以提高亞洲醫療體系的醫療保障、品質和效率，並促進維持創新產業的市場。會議與會者由主辦單位邀請，與會者背景包括 HTA 機構、政府機關/付費者(payer)、產業界人士以及受邀專家。本年度會議於 105 年 11 月 17 日至 18 日在馬來西亞吉隆坡舉行，計有來自澳洲、中國、日本、韓國、馬來西亞、菲律賓、新加坡、泰國及台灣共約 48 位人員參加。

貳、會議過程：

一、會議主題及會議進行方式

- (一) 本次會議主題為「評估價值、預算衝擊和可負擔能力，以決定使用及給付：特別是對於高價醫療科技之原理與實踐 Assessing Value, Budget Impact and Affordability to Inform Decisions on Access and Reimbursement: Principles and Practice, with Special Reference to High Cost Technologies」，主要討論子題包括「定義及評估價值，並將評估因子納入決策(Defining and assessing value, and factoring those assessments into decisions)」、「定義，評估和做出關於預算衝擊和可負擔能力的決策(Defining, assessing and making decisions on budget impact and affordability)」及「高預算衝擊醫療科技之原則與方法(Principles and approaches for technologies with very high budget impact)」。為利會議討論，主辦單位就上述討論議題撰擬背景文件，於會議之前提供與會者先行參考。此外，主辦單位於會前另就「價值評估」與「財務衝擊/可負擔能力」等議題做成問卷調查表，請 7 個國家與會代表就該國情形填報相關資訊，再由主辦單位彙整供會上討論。

(二) 本次會議進行方式係由主辦單位就各項子題之背景及討論重點先行簡報，再由 HTA 機構、付費者及業界代表各自提出議題觀點，最後由全體與會者共同討論。主辦單位並於 1 天半的會議中，安排二次(各 1.5 小時)之分組討論時間，各分組皆有 HTA 機構、付費者及產業界背景之與會者，就主辦單位設定之討論議題進行經驗交流與分享，分組討論後再由各組代表做綜整報告。

二、定義與測量「價值(value)」，並結合各項價值評估指標做為決策考量基礎

「價值」可能與其交換物的對等回報、貨幣價值、相對價值有關，但目前在健康照護領域中，對於價值之定義尚未有一致的共識。有些人認為價值之考量應包括成本(cost)因素(意即，某醫療科技的價值為效益減去成本)，但有些人認為不需考慮成本，僅須就其效益加以測量。本次論壇對於價值的定義屬後者，但其並非表示決策時不需考量成本，而是認為價值的評估與成本的評估應分開。

價值評估指標可分為核心指標及廣義指標—在醫療科技評估方法學用以定義價值之核心指標主要針對病人健康情形之改善(例如：改善預後、存活期、症狀緩解、降低副作用、改善生活品質等)，這也是我們花錢在醫療照護的主要動機，且期望可以在醫療照護體系的其他地方節約成本，並獲得更廣泛的利益。而廣義的價值評估指標則包括對於病人非醫療部分之益處(如：減少自付費用、提前返回工作崗位)、對照顧者的益處(如：減少照顧上的負擔)、對醫療/社會照護體系的益處(如：提高效率，改變機會成本，改善公眾健康)，以及對整體社會的益處(如：支持弱勢群體或提高生產力)。

現行醫療科技評估作業常用的評估指標主要對新科技使用後可獲得多少存活年(life years gained)、改善生活品質的程度(improvement in quality of life)及對醫療照護體系是否可達費用節省(cost savings within health system)等納入考量，但對於其他許多具重要意義之評估指標，例如：科學外溢效應(scientific spillovers，意指知

識的產生不僅對執行該研究的人有利，更對其他利益相關者有所助益，使未來進行進一步研究的成本或風險更低)，保險價值(insurance value，指的是將醫療科技納入給付，可使個人與家庭免於因疾病造成之財務風險，此項對於實施全民健保的國家尤其重要)，實質選擇權價值(real option value，意指創新科技可能對其他潛在的治療方式開啟後續發展契機)，希望的價值(value of hope，主要與生命臨終情形有關)，減少患者的不確定性(reduction in uncertainty)，以及醫療照護體系之外的費用節省(cost savings outside health system)等，仍未廣泛納入 HTA。這可能是因為醫療科技之臨床效益及成本效益評估可藉由臨床試驗結果及相關經濟評估執行準則予以明確定義，具有高度標準化且一致的原則，而其他評估指標(如提高生產力、提早返回工作等)則受限於評估方法學尚未建立，任意使用易招致批評，當決策者於做決定時缺乏可信度高的證據支持，將使決策者難以將這些因素納入考量。而即使是評估方法學較具明確定義之臨床效益，仍存在有評估方法適切性的爭議(例如：隨機分配控制研究、觀察性研究、真實世界證據之運用)。此外，價值的定義與測量亦會隨不同地區的文化背景而有不同，例如：在西方國家病患的主要照顧者可能為照護機構或專業人士，而亞洲國家可能多為病患家屬，因此在醫療機構外衍生的費用不相同，在互相引用評估數據時亦須加以調整考量。從主辦單位彙整 7 國問卷調查結果亦顯示，所有國家在執行 HTA 時，均會整體考量使用醫療科技所產生之臨床效益以及對醫療照護體系之影響，僅部分國家亦同時考量對於照顧者或/和社會的影響。

至於各個價值評估指標之權重，則依各國科技評估和決策單位之權責分工有所不同，似無一定的標準。近來亦有部分研究單位試圖將各項價值評估指標彙整成價值評估架構(value frameworks)以供決策者運用，Westrich 於 2016 年發表一篇綜論文章，綜整 5 個研究單位建立的價值評估架構，發現僅有醫療效益(臨床效果及安全性)是所有研究一致納入之價值評估指標，其他評估指標之選擇則各不相

同。由此可見，「價值」是個難以捉摸的目標，做決策時應該納入哪些評估指標尚未形成共識。整體而言，價值的定義與我們在價值評估架構中所選擇的價值評估指標密切相關，雖有各種方法組合和測量價值指標，但我們須先釐清「什麼是值得付出的」，才能決定「如何定義價值」。決定價值的定義後，接下來則是考量如何測量這些指標，以及決策者如何善加運用這些測量證據。

三、預算衝擊、可負擔能力與相關的挑戰

在歐美國家(如：英國的 NICE、加拿大的 CADTH)執行醫療科技評估的流程中，對於醫療科技之評估重點主要在於其臨床效益及成本效益，預算衝擊及可負擔能力在過去並非一般執行醫藥科技價值評估的必要考量因素。但近期一些「治癒性」藥品上市，改變了遊戲規則，若以傳統的評估方式，這些藥品具有非常高的「價值」(療效改善程度高、成本效益佳)，但若將可受益患者全數納入給付，整個醫療體系不得不面對財務衝擊及可負擔能力的問題。然而，預算衝擊與療程費用及使用人口數有關，而非代表該項醫療科技的成本效益，是否適合做為給付決策之條件，亦引起許多爭論。

因高預算衝擊的醫療科技產生可負擔能力的議題，決策者之因應措施包括：先給付最具效益之病患族群、與廠商協議折扣或利潤上限、論質給付 (pay-for-performance)、價量協議/風險分攤、分年給付/分期付款、舉債等。

主辦單位安排來自 HTA 機構、政府機關/付費者及產業界的與會代表，分別就財務衝擊及可負擔能力的議題提出各自觀點。

1. 對於 HTA 機構來說，部分亞洲國家的健康照護體系其財務流通系統較為複雜，不同的醫療科技可能牽涉不同的財務流通方式，或病患可能在公部門及私人醫療照護體系間轉換，使 HTA 機構要以公部門角度提供財務評估報告產生困難。此外，許多亞洲國家的疾病盛行率和流行病學研究資料相對缺乏，也使財

務預估產生不確定性。雖有上述限制，政府機關在考量可負擔議題時仍非常需要財務衝擊分析資料，並可據以跟廠商議價。

2. 對於政府機關/付費者來說，在執行面需考量可負擔能力、設定優先使用對象、與廠商議價，而新上市的藥品並不一定代表創新，政府機關會同時考量既有治療方式是否已足供醫療需求以及新藥可額外帶來的好處，若有更多面向的價值評估證據與財務衝擊分析資料，將有助於給付決策。
3. 對於產業界來說，亞洲國家人民可使用到新藥的時間比歐美國家晚，藥品上市後至納入給付的時間也較長，政府機關的確需要財務衝擊分析資料協助做決策，但有時財務衝擊分析的模型是基於假設，通常假設價格是固定的、且為短期之預測，在現實情境經時變化的情形下，其分析結果是否能反映未來真實情形仍待商榷。而風險分攤、論質給付雖為解決方式之一，但仍涉及實際執行可行性的問題，例如：治療結果的追蹤常為一大挑戰。產業界認為，若政府機關無法獎勵創新，未來將無法獲得創新藥品；但相對的，產業界也需要瞭解每個政府皆面臨可負擔能力的問題。

四、分組討論

本次會議共有二次分組討論時間，主辦單位將與會者分為三組，其中二組聚焦於藥品議題，另一組則針對醫療器材議題。每組組員均包含來自 HTA 機構、政府機關及產業界等不同背景的與會者，個人被分派至藥品組。每次分組有 90 分鐘的討論時間，由各組綜整討論結果後，再回到大會會場與所有與會者分享。討論主題及結果分述如下：

- (一) 第一次分組討論重點為亞洲國家對於價值的定義，以及對於財務衝擊大的醫療科技，如何處理可負擔能力的問題。

由於新興科技費用占所有醫療費用之比例快速成長，決策者亟需財務衝擊分

析資料，但常面臨假設參數資料不足的問題(包括臨床比較資料、流行病學資料等)，繼而使評估結果產生很大的差異，因此基礎資訊及評估方法學的建立成為首要議題。這不僅是亞洲國家遇到的問題，也是世界各國皆面臨的議題。

此外，由於醫療科技與時俱進，除了考量新藥新科技的引進，同時亦須留意醫療科技(包括新科技及既有治療方式)之合理使用，對於不合宜之治療方式，在必要時可停止給付。

(二) 第二次分組討論為案例分析，藥品組的案例為 C 型肝炎新藥 Sovaldi，醫療器材組的案例則為達文西手術機器人、植入型心臟去顫器、深部腦刺激器用於失智症(此為假設性議題)。主要就這些財務衝擊高的新藥新科技，在各國引發什麼樣的議題以及各國的因應方式進行分享與討論。

個人在分組討論時亦分享我國給付 C 型肝炎新藥之發展情形與現況，在會議當時，亞洲國家僅日本、韓國及台灣已/即將給付 C 型肝炎新藥，但也同時面臨財源議題並須與廠商議價，其他國家則因其財務衝擊高，仍在進行各種努力。各國在面對財務衝擊高的新藥新科技，最常用的方式為議價、設立專款、檢討其他不具效益之醫療科技以挪出部分財源。

五、未來展望

主辦單位在議程最後再次安排來自 HTA 機構、政府機關及產業界的與會代表，就相關議題的未來展望提出各自觀點。

1. 對於 HTA 機構來說，期望執行醫療科技評估時可盡量擴展價值評估指標供決策者參考，但也體認到質性指標之證據收集並不容易，既有資源常不足以支持這類的評估。即使是歐美國家常用的決策基礎—成本效益閾值，在亞洲國家仍未建立相關標準。在處理可負擔能力議題上，對於高價醫療科技採取差別化訂

價(differential pricing)及以特別預算處理或許為解決方式之一，而當今對於高價藥物之決策常受到政治壓力影響，而非經由完整的專業分析與討論來決定。期望未來 HTA 機構在相關議題能更主動積極，並提供產業界相關評估準則供遵循。

2. 對於政府機關/付費者來說，需在用藥可近性及有限的預算之間取得平衡，並盡可能將有價值的新藥納入給付，其通常會伴隨與廠商的給付協議，然而風險分攤、論質計酬等給付協議方式在亞洲地區尚未廣泛運用，仍需更多的經驗累積。
3. 產業界與會代表則認為，完整全面的價值評估架構應包括病人意見以及對整體社會的效益評估，但由於資料有限，一方面在決策時要完成全面性的價值評估報告非常費時且難度很高，另一方面亦想加速民眾用藥可近性，二者之間必須有所取捨。價值評估與財務衝擊評估資料為核價決策之重要參考資料，為能適當呈現相關資料，建議所有利害關係團體皆參與價值評估過程及證據產出，並加速資訊分享。

六、總結

從本次會議之會前問卷調查結果及會中討論發現，不同的國家有不同的價值評估指標，且對於價值評估指標之優先順序與權重亦有所不同。部分國家試著將評估指標擴展至對照顧者的益處、獎勵創新等廣義評估指標，但仍面臨知易行難的困境。相關資料如何收集、量化、評估、運用並分享，亟需未來持續努力。

因應高預算衝擊之醫療科技陸續上市，財務衝擊分析資料益顯重要，各個國家面臨高預算衝擊之醫療科技，有不同的因應策略，例如：將高價藥品與一般品項分別處理、使市場動力發揮作用(如：Gilead、AbbVie 與 BMS 在 C 型肝炎藥品市場的競爭)、限制治療處所、透過慈善機構籌措財源、病人用藥可近性方案(patient access schemes)、由醫師認證治療病患族群。

可負擔能力在亞洲地區是個重要議題，在可預期的未來幾年，許多高價醫療科技將陸續進入市場。然而高價並不代表創新或可治癒疾病，因此價值的評估仍為核心。政府機關/付費者亦可運用多種策略處理可負擔能力的問題，雖然有些策略之執行方式仍未成熟，仍待累積更多經驗。HTA 機構、政府機關及產業界需共同合作尋求共識，產業界須體認政府機關/付費者所面臨嚴峻的財源限制，HTA 機構及政府機關亦須體認，若要吸引及獎勵創新，必須有經濟上的獎勵措施。各利害關係團體需相互溝通，尋求共同接受且可行之解決方案，以確保病人能夠公平地接受有效的治療。

參、心得與建議：

- 一、近年來，由於新藥新科技的發展，許多療效顯著但價格高昂的藥品陸續上市，例如 C 型肝炎全口服新藥及癌症免疫療法，打破既有的核價給付原則—療效顯著且具成本效益的藥品理應納入給付，但付費者短期間卻無經費給付—對於各國政府皆是極大的挑戰。以英國為例，NICE 對 C 型肝炎新藥雖已做成納入收載之建議，但因財務衝擊高及可負擔能力的考量，特別額外給予各地方執行單位/付費者 NHS 籌措財源之準備期。因此，價值評估架構及其內含之評估指標近來逐漸受到各國重視，除了既有的臨床效益、經濟效益指標，在給付決策過程中需再考量可負擔能力及相關執行面因素。
- 二、值得注意的是，除了現階段已面臨的癌症免疫療法及 C 型肝炎口服藥品等案例，未來將還有基因治療、再生醫療等新興治療方式將遇到類似問題。此外，罕見疾病用藥之用藥人數少、個別藥物之療效不確定性相對較高、每人療程藥費相對高昂，相較於 C 型肝炎之盛行率高、治癒率高、療程費用相對較低，二者同樣產生高度的財務衝擊。許多國家對於罕見疾病藥物有不同於一般藥品的決策考量標準和給付財源，其他具高度財務衝擊的治療領域是否需建立不同的給付機制，亦需社會各界共同思考。

- 三、新藥的創新價值需被重視，增進創新新藥使用可近性也是政府機關、民眾、醫師和產業界共同的想法，但一般民眾、病患、臨床醫療人員、醫院管理者、醫療政策專家學者、政府機關、付費者及產業界等不同背景人員，對於不同價值指標的重要性或優先順序都有不同的想法，如何質化或量化的測量創新價值，並做成可供決策參考的資訊，都是未來需逐步建構和討論的議題。
- 四、我國因實施總額制度，因此新藥新科技納入健保給付所產生之財務衝擊相較於成本效益，相對受到各界重視。在本次會議中，對於財務衝擊大的新藥新科技所提及之各項因應策略，包括：優先給付最具效益之病患族群、與廠商議價、價量協議/風險分攤、設立專款、分階段給付等方式，在我國 C 型肝炎新藥收載及給付亦加以運用。雖然 C 肝藥品給付已邁出一小步，但未來仍有更多高價藥品，且不同疾病領域的治療藥品有不同的特性，除需建立處理通則，亦需考量個案差異。
- 五、高價藥物及可負擔能力議題是各國近來共同面臨的難題，參加本次會議瞭解到目前亞洲國家對於類似議題的處理思維。雖然各國法規制度、醫療體系與文化背景不同，採取的策略亦可能不同，仍可藉由經驗分享與討論，理解 HTA 機構、政府機關、產業界的立場，並思考可能的處理方式。建議可積極參與國際會議或國際組織，與各國相關領域專家共同集思廣益，吸收各國經驗並分享我國做法。