

出國報告(出國類別：開會)

參加第 14 屆藥物經濟暨結果研究學會年會 報告書

服務機關：國防醫學院三軍總醫院

姓名職稱：李權芳 資深藥師

派赴國家：美國

報告日期：97 年 6 月 5 日

出國時間：97 年 5 月 14 日至 5 月 23 日

摘 要

ISPOR (International Society of Pharmacoeconomic and Outcome Research) 是國際上針對藥物經濟及結果測量進行研究的一個專業組織，其一年一度在美東地區舉行會議，探討主題將涵蓋健康經濟分析（例如成本效果/成本效用/成本結果分析）、藥價擬定、疾病流行病學、就醫資料庫分析、PRO 量表信校度檢定、藥物療效證據電子資料庫、市場分析等多研究領域，並已形成各國法規單位、學界、製藥界（含臨床試驗相關的產業）的一個重要溝通平台，職參 ISPOR 之年會，已了解各先進國家在藥物結果研究上的趨勢；學習及分享各國於藥物流行病學的相關經驗；觀摩各國執行藥物療效與經濟評估的模式、面臨的問題與相對應的解決策略；獲得相關研究資源（例如認識專家學者與學習相關資源網站檢索等）；及帶回年會資料供單位同仁參考。

目 次

一、目的	4
二、過程	4
三、心得	4
四、建議事項	10

本 文

一、目的

- (一) 學習本次會議主題「comparative effectiveness」的最新進展；
- (二) 學習 Patient Reported Outcome 最新進展；
- (三) 了解各先進國家在藥物結果研究上的趨勢；
- (四) 學習及分享各國於藥物流行病學的相關經驗；
- (五) 觀摩各國執行藥物療效與經濟評估的模式、面臨的問題與相對應的解決策略；
- (六) 獲得相關研究資源，例如認識專家學者與學習相關資源網站檢索。

二、過程

- (一) 5 月 14 日 搭機離開台灣（台灣-洛杉磯-奧蘭多）
- (二) 5 月 15 日 全天參加年會專題討論會
- (三) 5 月 18 日 全天參加年會議程
- (四) 5 月 19 ~ 20 日 全天參加年會議程及海報展示
- (五) 5 月 23 日 返抵台灣（奧蘭多-洛杉磯、台灣）

三、心得

5 月 15 日

首先在 5 月 15 日參加 ISPOR 年會第一場專題討論會-「Apples And Oranges? Comparative Effectiveness in The US And Other Countries」。早上分別由英國、加拿大、瑞典及美國學者專家分享其國家執行相對療效比較 (Comparative Effectiveness, CE) 的經驗及介紹相關的網

站；下午的討論重點則在於統合分析 (Meta-analysis, MA) 在 CE 研究上的應用，及 CE 如何與給付制度產生連結，及一場「美國在考量 Comparative value 時是否僅關心淨臨床效益 (net clinical benefit)、而排除成本效果結果？」的辯論，由各界專家分扮正反兩方提出意見。

基本上，各國皆一致認為 CE 或 HTA 並不在於減少醫療支出，而是在合理化及提昇醫療照顧的品質。英國、加拿大、瑞典等國都因為建立了完整的 Health Technology Assessment (HTA) 中心，已經有很上軌道的 CE 研究及醫療經濟分析經驗，也有相當豐碩的成果提供病人、醫療人員與政策決策者參考。美國在 CE 研究上雖不如上述國家，但因歐巴馬新政府預算及政策規劃 (以下詳述)，可以預期將有非常快的進展；然而醫療經濟評估方面，與會專家仍較保守的表示：「醫療經濟」應可提供醫療資源合理分配的參考，但不應成為發展醫療照顧的阻礙。

5 月 18 ~ 20 日

全程參加年會議程，但根據自己的興趣及業務需要前往特定的座談主題，並將學習心得依主題紀要如下：

一、Health Technology Assessment

相關議程：

1. 「The effects of NICE HTA on drug prescribing and expenditures in the US」
2. 「Update on comparative effectiveness and health information technology legislation and policy developments, and their impact on pharmacoeconomics」
3. 「HTA in the age of Obama」
4. 「Reimbursement policy decision making process in the US : public versus private」
5. 「Analysis of factors associated with reimbursement decision making health technology assessment」
6. 「A framework for deriving a minimally acceptable target clinical profile and a maximum value-based price for drugs in development to meet health technology assessment requirements」

由於 ISPOR 每年主要年會在美東舉行，許多討論的議題常以美國為背景，例如今年便討

論很多 HTA 在美國快速發展的情形。其三大主要力量是 (1) 醫療費用大幅提高；(2) 醫療照顧型態的改變；(3) 可用醫療資源有限。據統計，美國每年約花 2.7 兆美金在醫療照顧上，但根據 Rand 研究機構的研究：有三分之一的花費卻造成無用或甚至有害的結果，因此美國的 stakeholders 一致認同 HTA 是在有限資源下提升醫療照顧的唯一解藥。而實際上，英國 The National Institute for Clinical Excellence (NICE) 的 HTA 報告也一直影響美國，例如美國各大報紙會報導 NICE 的 HTA 結果，美國保險給付者 (payers) 會看 NICE 的 HTA 報告，美國的處方藥用量及平均零售價格，及人民自付費用 (out of pocket) 會因 NICE 的 HTA 結果發生有趣的趨勢 (例如 NICE 對某藥的 positive recommendation，會使得該藥在次一年同一季的處方量及平均零售價格顯著上升)。所以可預期的，美國在新國會領導下，HTA 必會成爲主流，尤其是歐巴馬的醫療幕僚中有相當多人對科技評估中的相對比較試驗與系統性回顧有極高的興趣，他們也相信合理的效益分配應基於成本效果、最節省的給付及參考給付等考量。然而專家們也不諱言：美國是多保險給付制度，HTA 結果並不能像單一保險制度國家 (如許多歐盟國家或加拿大) 一樣具有影響力，許多較大的保險單位如 Medicare 也還未具有法規彈性 (statutory flexibility) 來執行”合理且必要”的給付政策，因爲縱有可用的證據，保險單位仍無法將”昂貴”或”不具成本效果”與所謂的”不合理”畫上等號，更無法要求相關單位執行成本效果研究；美國同時也還未發展出一套「根據價值來給付 (paying based on “value”)」的機轉。

二、Comparative Effectiveness 的相關議題

相關議程：

1. 「A roadmap for knowing what works in health care: will a US national clinical effectiveness center of the ARRA’s comparative effectiveness research program show the way?」
 - (1) 「Comparative effectiveness research on a clinical effectiveness research center: showing the way to better health care」
 - (2) 「Comparative effectiveness research to practice guidelines: the challenges」
 - (3) 「Comparative effectiveness research & “fixing”the US health care system: a reality check」

2. 「Transferability of Economic Evaluations from Setting to Setting within the United States」
3. 「Decision making process by payers in Europe: a multiple criteria process」

今年年會的主題定位為「Health Care Reform Revisited」，主要因為美國今年通過了 American Recovery and Reinvestment Act 2009 (ARRA)，其中明列 11 億要執行相對療效研究 (comparative effectiveness research, CER) - 分別委託 National Institutes of Health (NIH, 4 億)，Agency for Healthcare Research and Quality (AHRQ, 3 億) 及 Secretary, The Department of Health and Human Services (DHHS, 4 億)；相關經費必須在 2010 年底完成分配；及建立一個「Federal Coordinating Council」統籌 CER 研究。至於 CER 的研究主題則委由 The Institute of Medicine (IOM) 根據以下條件訂出優先次序，將於 2009 年 6 月 30 日提出報告：

- (1) Morbidity and mortality
- (2) Variability in care
- (3) Cost
- (4) Information gap
- (5) Funding gap
- (6) Public interest
- (7) Controversy
- (8) Disproportionate impact on small subpopulation
- (9) Potential to act on the information once generated
- (10) Utility of the answer for decision-making
- (11) Disease burden

而不同於療效驗證試驗 (安慰劑對照)，CER 著重在現有可用醫療的相互比較，CER 必須具有下列所有特點：

- (1) Direct, head-to-head comparisons；
- (2) Broad range of topics：涵蓋檢驗，治療，預防策略，照顧及監測等健康議題；
- (3) Patient-Centered (specific characteristics)；
- (4) A broad range of beneficiaries：涵蓋病人，臨床專家，醫療購買者及醫療決策者；

(5) Study populations representative of clinical practice。

由於美國對 CER 有非常明確的政策方向及執行規劃，因此專家們預測：美國將會經歷一股“Evidence Wave”。

三、其它較新觀念與資訊

1. Global Health Care Systems Road Map

相關議程：「Health care decision makers around the world: a global road map and country-specific decision making and reimbursement processes」

主要由ISPOR 的Global Health Care Reimbursement Systems and Decision Processes Working Group 介紹他們已經完成的各國藥品收載給付與流程，其目的在於 (1) To develop a comprehensive, validated decision model that defines Decision Makers and the decision-making process for coverage and payment of new and emerging pharmaceutical products for countries around the world ; (2) To develop a country-specific roadmap of reimbursement systems and requirements that can be used by health care professionals to bring new and emerging products to global market。可詳見網址：<http://www.ispor.org/HTARoadMaps/Default.asp>。

2. Ontario Health Technology Assessment Committee Decision-Making Process

相關議程：「Health technology assessment- a comprehensive framework for evidence-based recommendations in Ontario」

Ontario Health Technology Assessment Committee 以實證醫學為主要的科學證據，以成本結果分析結果來明智分配資源使用，並依序參考下列四項標準：

- (1) Criteria 1 - overall clinical benefit，包括 Effectiveness, safety, burden of illness, need；
- (2) Criteria 2 - consistency with expected societal and ethical values；
- (3) Criteria 3 - value for money，強調 efficiency；
- (4) Criteria 4 - feasibility of adoption into health system，例如 Economic feasibility, organizational feasibility。

該委員會認為：雖然每個案件都有其獨特性，但整個過程都應公平及合理。網站 (http://www.health.gov.on.ca/english/providers/program/ohtac/ohtac_mn.html) 內詳載整個評估

的過程，及有正進行中與已完成的相關報告可供參考。

3. Indirect Comparison (IC) Using Primary and Published Clinical Trial Data

由 Analysys Group, Inc. 新提出的間接比較研究方法，主要解決兩藥無現有對決試驗 (head-to-head trial) 時的比較，步驟如下：

- (1) Trial selection and sample selection：對照組不限於安慰劑獲有效成分，但比較的兩試驗組必須有相同的對照組；且試驗品質良好；
- (2) Re-weighting patients with IPD to match those without IPD：就兩試驗組病人的 recruiting criteria, average baseline characteristics, 及 reference arm (placebo) outcomes 加權處理；
- (3) Comparison of outcomes between matched trials；
- (4) Statistical inference。

然而該團隊並未詳細介紹加權的方法，該方法仍受評估中(尚未發表)，及執行時必需有任一試驗組的每位個案資料，因此可行性受到與會者的質疑。

4. Value Messages

相關議程：「Value messages：developing, incorporating, and making use of a core strategic tool」

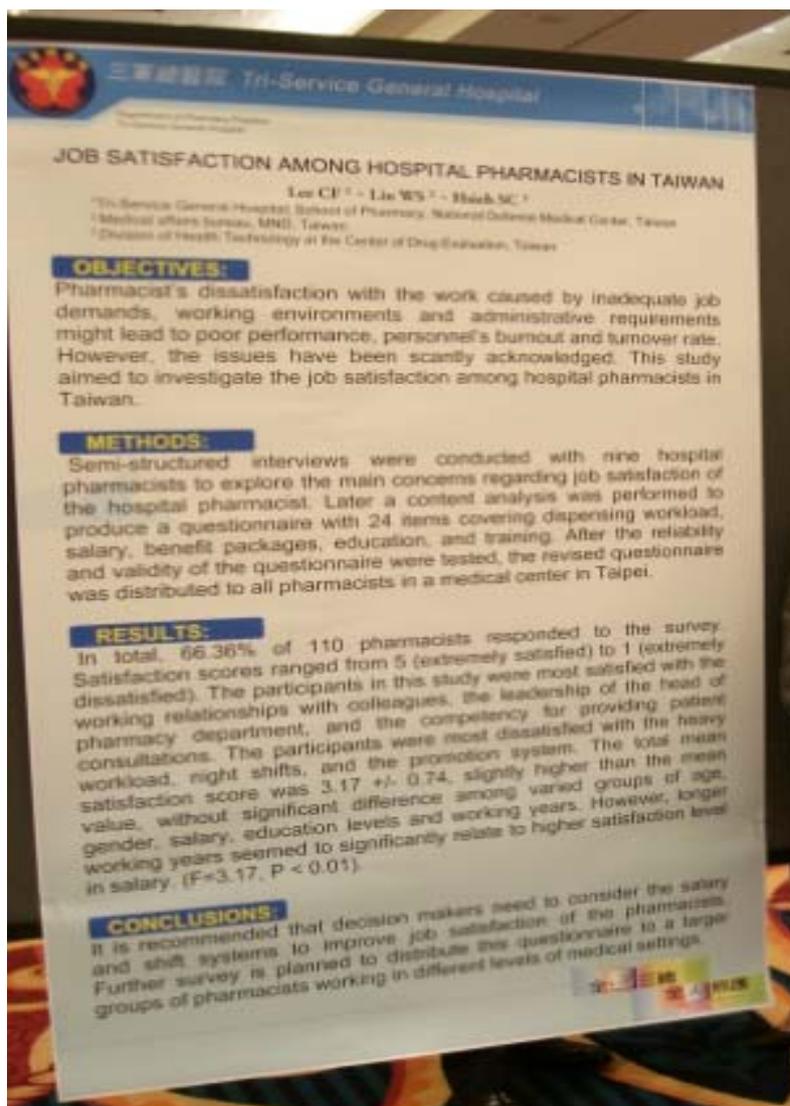
因應全球推崇證據醫學的趨勢，RTI Health Solution 提出 Global Value Dossier (GVD) 的觀念，即在藥品研發初期便開始架購該藥品的價值資訊，之後再不斷更新。藥品的價值資訊應由專門團隊收集，成員包括 medical, marketing, commercial 等專家；來源則包括 literature review, product label review, product web site review, 及相關的 promotion materials 的收集。有了 GVD, 便可在不同的時間依不同的國家、訴求對象而客製化藥品的價值資訊，下表摘錄 GVD 中 Value message evidence table 所應呈現的內容：

Country:

Value Statement	Target Audiences	Evidences	Sources of Evidence	Strength of Evidence	Probability of Success	Comments
Drug improve	Physicians Patients	Phase 3 Trial 001	PRO gathered with validated	Medium	Medium	Medium

patient functioning		Trial 002	questionnaire			
---------------------	--	-----------	---------------	--	--	--

除了參與上述各議程外，職亦代表三軍總醫院發表二篇論文，分別是「PIN24：Economic analysis of pneumococcal vaccination for the elderly in Taiwan」，及「PMH57：Job Satisfaction Among Hospital Pharmacist in Taiwan」，於5月19～20日全天負責海報展示（請參見下列圖片）。



四、建議事項

- (一) 對於醫院端來說，應該緊跟著國際對於療效及效果新研究證據出現的腳步來調整醫院對於治療上的指引。

- (二) 藥委會的運作也一樣，新藥審查及評估時也應該參考療效依據。
- (三) **Global Health Care Systems Road Map** 是一個很好參考資源。有心瞭解各國療效審查制度的研究學者可以在網站比較各國制度的不同。
- (四) 雖然與美國國情不同，但台灣仍可持續關注美國 **CER** 研究主題的確認，尤其美國 **IOM** 將於 2009 年 6 月 30 日提出報告，有新的研究學者不要錯過該報告。至於 **CER** 研究主題的優先次序，也可做為我國在發展時的參考。只是台灣人力有限，應該訂出預計目標的優先順序。(這部分美國是希望全部包含進去，因為他們的預算實在是豐富，總計 1.1 億美金，相當於 36.3 億台幣。)
- (五) 建議 **HTA** 應該由政府協調各相關組織，例如衛生署、藥品查驗中心、健保局、國衛院，各醫學中心負責審藥的藥委會，甚至研究單位(中研院)等多單位的整合，擬出有效率的審查程序及研究優先順序。。
- (六) **ISPOR** 議題範圍涵蓋很廣，除了臨床前研究外，幾乎臨床試驗，藥物上市後監測與風險利益評估，及藥物經濟研究等涉及的問題都會進行討論，經由其年會中安排的議題內容，我們多可展望未來的趨勢；**ISPOR** 尤其是成功整合國際上相關於藥物發展的產、官、學、研及臨床界的學會，該年會及網站可提供各界經驗互相分享的平台。因此建議固定應安排人員前往參加。
- (七) 雖然 **ISPOR** 年會每每有重要訊息及研究進展公布，但今年因為時機尚未成熟，似乎著重在政策及共識的宣示上大於實質的研究進展，未來倒是可以樂觀預期其發展成果。第一個可以預期的在 6/30 日的草案報告。