

藥華醫藥持之不懈地致力於新藥研發，並透過藥物近用策略，持續推動世界各地 MPN 患者對於新藥的取得，以提升「可近用性」、確保「可負擔性」以及增進「可取得性」，作為我們的核心理念與承諾，並依循 [2024 Access to Medicine Index](#) 的框架擬定集團策略指導方針，只為解決不被滿足的醫療需求。



6.1 藥物近用管理

重大主題

藥華醫藥依循 2024 Access to Medicine Index (ATMI) 的框架，在良好的藥物近用治理下，提供科學創新 (scientific innovation) 的產品研發，透過增加藥物可及性，加速推廣藥證取得及市場布局，協助更多 MPN 患者取得較佳的治療用藥 Besremi，改善患者的生活品質。

重大主題

藥物近用

衝擊評估

生技醫藥業的使命即是為了促進人類的健康福祉，藥華醫藥從患者需求出發，透過研發與創新，達成未被滿足的患者需求。未上市之前，提供恩慈療法以及臨床試驗參與機會；上市後，藉由海外子公司及策略合作夥伴加速不同市場的藥證取得，提高藥物的可及性與公平近用性。

管理政策與承諾

我們致力於提供高品質的藥品給更多目前醫療未被滿足的患者，透過研發創新的努力，與市場供應鏈合作夥伴加速取得藥證，以滿足更多需要解方的患者需求。並透過成本分析證明 Besremi 的成本效益，做為負責任定價的基礎。

治理組織

- 臺灣總部與各子公司行銷部門與醫療事務團隊
- 永續重大主題：由永續發展中心 - 藥物近用小組成員負責統整管理

管理行動

研發	臨床試驗參與	恩慈療法	上市許可
MPN 之外，藥華醫藥也投入 PEG-IL-2 技術用於發炎及免疫疾病治療；及透過外部合作，共同開發 TCR-T 細胞療法	2023 年全球臨床試驗 (多國、多種族) 新增 453 人，累計共 1,332 人。	2023 年累計共 43 病患	>40+ 國取得藥證許可

1,332 名
全球累計臨床試驗病患使用

指標與目標

- 依照藥物近用指引的精神，我們以 (1) 研發產品數 / 臨床試驗人數，(2) 使用 Besremi 的患者人數以及 (3) 各國藥證取得時間為指標，來說明公司如何服務更多未被滿足的醫療需求

確保行動有效之作法

- 持續推動各項計畫的里程碑，包括藥證取得、藥物公平近用策略與成果
- 改善新藥可負擔性：公平合理訂價、價格政策、藥品交付、藥物捐贈等

2023 年執行成效

- 科學創新的產品研發：2023 年度全球研發費用高達新台幣 22.2 億元較去年成長 55.5% 及行銷費用約達新台幣 21.3 億元較去年成長達 38.2%。藥華醫藥近年來加速發展 BESREMI[®] 相關適應症，與合作夥伴發展新藥及拓展治療領域，尚有 4 個新適應症在開發試驗中；另有 6 種新藥與新藥組合也正加速發展。
- 使用藥物患者人數：2023 年累計超過 6,200 名病患因 Besremi 受惠
- 恩慈療法受惠人數：43 名
- 藥證取得：超過 40 個國家

1. 致力於提供高品質的藥品給更多目前醫療需求尚未被滿足的患者

恩慈療法

對於尚未獲准上市的區域以及不符合臨床試驗資格，但情況屬於嚴重或立即危及生命的 MPN 患者，藥華醫藥經過法規和倫理委員會審查，針對符合條件的患者提供恩慈療法。

恩慈療法的運作機制和進展

運作機制

藥華醫藥已經建立了一個標準作業流程 (PEC-MA-SOP-001)，以管理在恩慈療法使用下藥物的提供與執行。截至 2023 年底為止，已經有 43 位患者受惠。

年份	捐贈藥物類型	適應症	受惠病患累積人數
2020	P1101	• MPN (PV, ET, MF)	38人
2021	P1101	• 台灣：MPN (PV, ET, MF) • 南韓：ECD	40人
2022	P1101	• 台灣：MPN (PV, ET, MF) • 南韓：ECD	40人
2023	P1101	• 台灣：MPN (PV, ET, MF), EHE • 新加坡和馬來西亞：PV	43人

註：臨床試驗相關內容請參 3.1 新藥研發與創新管理



43名

2023 年恩慈療法受惠病患

加速藥證取得

BESREMI®/ 百斯瑞明® 自 2018 年取得第一張藥證以來，目前已在全球超過 40 個國家獲得上市許可，包括歐洲多國以及美國、日本、韓國、以色列、台灣等已經上市；中國、新加坡與馬來西亞的藥證 (申請中)。藉由設立子公司及與策略夥伴合作，藥華醫藥持續擴大全球市佔率，提供新藥選擇，降低罕病治療負擔。

Besremi 藥證取得年份與國家



年度	適應症	國家
2019	PV	歐盟 (與 AOP 合作)
2020	PV	台灣
2021	PV	美國、韓國、以色列
2022	PV	澳門
2023	PV	日本、阿拉伯聯合大公國、巴林王國

藥品交付

在藥物近用的前提下，藥品交付也相當重要；鑑於各國針對藥品包裝與標示之規劃各有不同，藥華醫藥與在地利害關係人合作，於美國、德國及日本等國家之當地符合 GMP 規範之優良藥品製造商簽訂委外製造合約，促進藥品交付的流暢度。另外針對防偽部分，也進行相關措施。(詳參 [3.4 永續供應鏈管理](#))

關注患者需求，提供全方位支援

- **病友支援 SOURCE 計畫**：適用於正在使用 BESREMI® 處方藥的患者，提供全方位的支援項目，從保險資訊、自費優惠方案、用藥相關指引至持續訂藥的流程，協助提供包含以支應因為保險支付延遲或是保險覆蓋不足而無法使用藥物的患者更多便利性，也針對沒有保險或保險覆蓋不足的患者提供免費用藥，以期提供患者穩定的藥華醫藥藥物供應，減少財務負擔
- 日本於 2024 年開始建立病患支持計劃 (patient support program)，包含網站、專業醫護教育及客服中心等，同樣從保險及自費優惠方案至用藥相關指引等，協助病患減少自費財務負擔



藥物捐贈

由於 Besremi(P1101) 可應用於多種疾病領域，我們也廣泛與政府及學術界合作，發揮影響力。藥華醫藥在新冠疫情嚴峻之際，考量病患需要，捐贈藥物供衛生福利部雙和醫院將 P1101 供臨床端申請用於治療輕度至中度新冠肺炎患者，22 位患者中已有 21 位患者成功陽轉陰出院。依此成功經驗，藥華醫藥邀請台大醫院主持應用 P1101 治療新冠肺炎之第三期多中心臨床試驗案，目的為輕至中度新冠疫情影响患者提供治療選項，雖因疫情趨緩，試驗未及完成，藥華醫藥今後仍將持續以病患為中心的理念和精神，投入研究並與醫護專業人員合作依臨床需要提供藥物捐贈給予自主臨床研究，加速擴展藥物潛在利益幫助更多需要的病患。



2. 負責任的訂價策略，創造醫療價值與成本效益

藥物公平近用策略與成果：提升產品醫療效率 GRI 416-1 SASB HC-BP-240a.1

提供具有醫療貢獻的創新藥物以減輕醫療保險體系負擔、滿足醫療需求，是藥華醫藥亟欲實踐的目標。醫療價值的歐洲白血病研究網 (European LeukemiaNet, ELN) 指引^{註1} 已於 2021 年納入 BESREMI®。全球權威的癌症臨床治療標準國家綜合癌症網絡 (National Comprehensive Cancer Network, NCCN) 指引^{註2} 也已納入 BESREMI®，無論病人先前接受的治療方式為何、是否為高風險族群，皆能使用 BESREMI® 作為治療成人真性紅血球增多症 (PV) 的首選用藥。另外我們已於 BESREMI® 在歐洲上市之際完成全面的健康經濟



NCCN 首選

BESREMI® 獲美國 NCCN 治療指南升格為 PV2A 類病患首選藥物

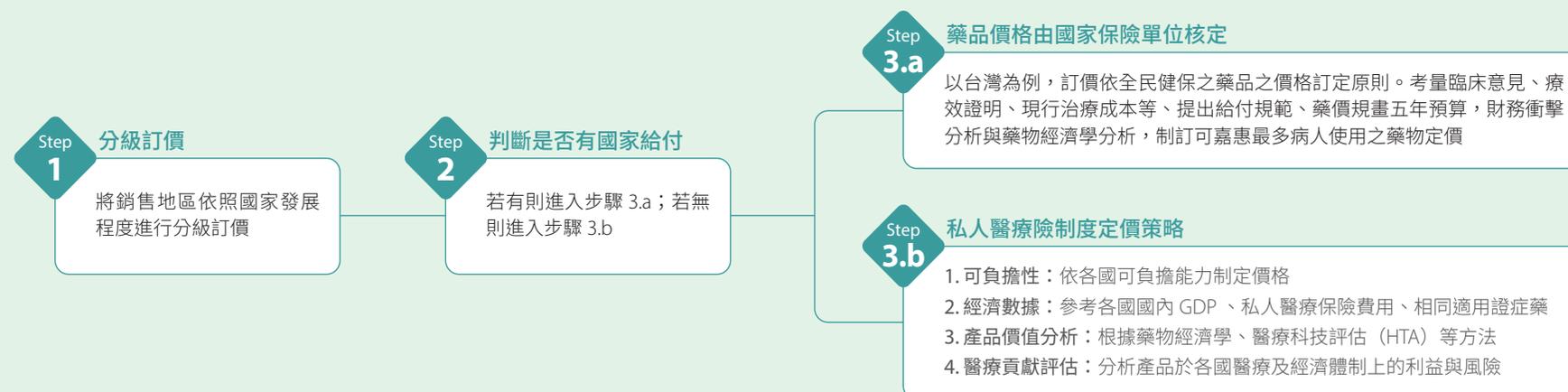
評估 (包含成本效益、成本效用、成本效益分析) 解析產品對醫療成本的影響，我們也正積極蒐集相關數據，作為後續執行醫療科技評估的基礎，以此認證 BESREMI® 的醫療價值。

註 1：ELN 成員包括 44 個國家、220 家機構，超過 1000 名研究人員及臨床醫療人員的平台。其目標是整合歐洲地區 120 個先驅性的白血病臨床試驗團體以及相關的服務合作機構、產業界與企業等資源，共同提倡治療白血病的重要性。

註 2：NCCN 為美國的非營利組織，是由該國 31 個癌症中心組成的聯盟，這些癌症中心大部分被國家癌症研究所指定為綜合癌症中心。

改善新藥可負擔性：公平合理訂價 SASB HC-BP-240b.2, b.3

BESREMI® 為第一個獲得美國 FDA 核准，且為第一個核准用於真性紅血球增多症 (PV) 的干擾素，具有孤兒藥證資格，且被納入美國 NCCN 指引首選用藥。研發孤兒藥需要投入大量研發資源與財務成本，基於實踐藥物近用的理念，我們投入大量資源來幫助患者在新藥一上市時即能取得所需用藥。



價格政策

藥華醫藥於藥品訂價時以病患權益為首要考量，同時將研發成本投入、專利權期間欲治療之病患數、競爭產品標價、預期利潤，以及第三方保險公司理賠及各國主管機關健康保險給付等綜合因素作為定價依據，再依各國醫療費用可負擔能力、經濟發展程度、製藥成本等因素，並參考世界衛生組織發布之《[WHO Guideline on Country Pharmaceutical Pricing Policies](#)》以制訂合理公平的藥品價格。

以實證支持合理訂價

藥華醫藥評估其產品對醫療成本的影響，採用健康經濟學評估方法（例如成本效益、成本效用、成本效益分析），評估使用 Besremi 與標準療法以及其他競爭性創新產品的成本，也獲得了主要使用市場的肯定。



BESREMi 已經通過愛爾蘭 HTA 審查，分析藥物安全性、有效性及生活品質數據，確認與標準治療選項相比，更具成本效益。



在美國市場部分，美國子公司也從美國醫療保健支付方的角度進行成本效益分析，確認與標準治療選項相比，更具成本效益。



日本子公司正在對 BESREMi 的成本效益進行分析，以提交給日本厚生勞動省（MHLW）作為 HTA 的證據。強化使用 Besremi 治療，相較於傳統療法與競爭產品相比，更具合理成本效益。

