

6.1 藥物近用管理



重大主題



藥物近用



衝擊說明

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，提供病患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



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Ropeg的成本效益，做為負責任定價的基礎



權責單位

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



因應措施與管理行動

- 研發：除了骨髓增生性腫瘤(MPN)，藥華醫藥也運用公司專利的PEGylation技術，研發出新藥PEG-GCSF用於治療白血球減少症、PEG-IL-2用於發炎及免疫疾病治療與Anti PD-1用於治療實體腫瘤及透過外部合作，共同開發TCR-T細胞療法
- 持續推動全球臨床試驗參與
- 持續於全球推動恩慈療法
- 持續推動藥證上市許可
- 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



評核機制

(如何追蹤因應措施與管理行動是否有效之追蹤管道、系統)

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



2024年目標與達成情形

- 全球臨床試驗參與人數：共1,448人
 - P1101：根據藥品研發安全性更新報告(DSUR)年度臨床試驗數據，於2023年7月15日至2024年7月14日區間^{註1}，全球臨床試驗人數共1,430人
 - 長效型顆粒性白血球生成素(P2203)：根據藥品研發安全性更新報告(DSUR)年度臨床試驗數據，於2024年5月2日至2025年5月1日區間^{註2}，臺灣臨床試驗人數共18人
- 使用藥物患者人數：2024年累計超過一萬名病患因Ropeg受惠

- 恩慈療法受惠人數：54名
- 藥證取得：超過40個國家
- 科學創新的產品研發：
 - (1) 2024年度全球研發費用高達新臺幣25.9億元，較去年成長16.3%；行銷費用約達新臺幣24.2億元較去年成長13.6%
 - (2) 藥華醫藥近年來加速發展Ropeg相關適應症，與合作夥伴發展新藥及拓展治療領域，有4個新適應症在開發試驗中；6種新藥與新藥組合加速發展中



目標

短期目標(1~2年)：

Ropeg應用於真性紅血球增多症(PV)適應症，通過加拿大與拉丁美洲國家(如巴西)藥證核准

中期目標(3~5年)：

Ropeg應用於原發性血小板過多症(ET)適應症，通過已開發國家如阿曼王國、新加坡，以及馬來西亞、中國等國藥證核准，並擴大病患及醫師對藥品的瞭解

長期目標(5年以上)：

持續進行Ropeg新適應症的臨床試驗，並取得各國藥證

註1：本次永續報告書揭露P1101臨床人數的時間區間，採最新版DSUR的數據(2023年7月15日至2024年7月14日)，與2023年永續報告書計算區間不同

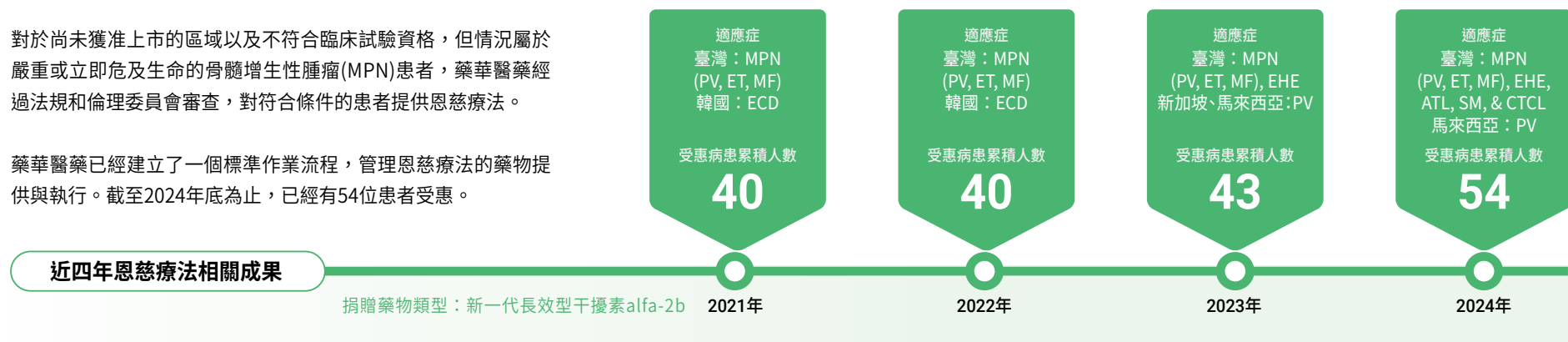
註2：本次永續報告書揭露P2203臨床人數的時間區間，採最新版DSUR的數據(2024年5月2日至2025年5月1日)

► 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骨髓增生性腫瘤(MPN)患者，藥華醫藥經過法規和倫理委員會審查，對符合條件的患者提供恩慈療法。

藥華醫藥已經建立了一個標準作業流程，管理恩慈療法的藥物提供與執行。截至2024年底為止，已經有54位患者受惠。

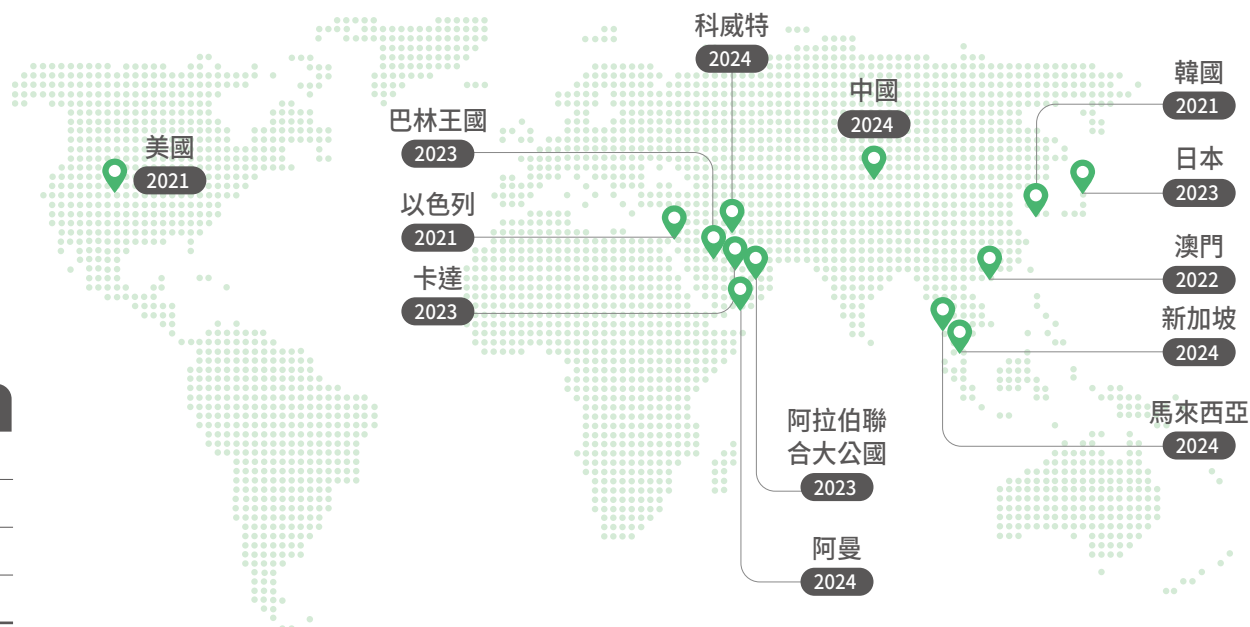


► 加速藥證取得

Ropeg自2019年取得第一張藥證以來，目前已在全球超過40多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、中國、新加坡、馬來西亞等，並正在申請巴西、阿根廷、哥倫比亞、墨西哥及香港的藥證許可。藥華醫藥藉由設立子公司、與策略夥伴合作，持續擴大Ropeg全球市佔率，提供更多病患新藥選擇，以及降低罕病治療負擔，嘉惠更多病患。

近四年取得Ropeg藥證許可的國家與年份

年度	國家	適應症
2021	以色列、韓國、美國	PV
2022	澳門	PV
2023	日本、阿拉伯聯合大公國、巴林王國、卡達	PV
2024	中國、新加坡、馬來西亞、阿曼、科威特	PV



► 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，包含於美國、韓國、日本、新加坡、馬來西亞等國家，與當地符合GMP規範之優良藥品製造商合作，簽訂委外製造合約，以及與當地符合GDP規範之優良藥品運輸商，簽訂委託運輸合約，確保藥品標示合乎當地要求，並提升藥品交付的流暢度。另外針對防偽部分，也進行相關措施。(詳參2.6永續供應鏈管理章節與3.2藥物品質與產品安全)



► 關注患者需求，提供全方位支援

美國子公司：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。



臺灣與日本子公司：病友支持計劃(Patient Support Program)

藥華醫藥於臺灣及日本子公司推動「病友支持計畫」，提供患者有關MPN相關衛教資訊、用藥指引與相關諮詢資源。



臺灣TMPNA「隨遇而安~MPN衛教講座高雄場」

1.臺灣：藥華醫藥2024年與「[臺灣骨髓增生性腫瘤關懷協會\(Taiwan Myeloproliferative Neoplasms Association, TMPNA\)](#)」合作，包含5月、11月分別於臺中、高雄辦理「MPN衛教講座」，邀請醫師、營養師、大學教師等，分享MPN病程與注意事項、病友飲食建議，並且透過座談形式，與在場病友與家屬進行交流。此外，9月於臺北辦理「2024髓心所欲：世界MPN日暨TMPNA第二屆會員大會」，透過專題演講、專家面對面等議程，支持病友瞭解與取得MPN相關資源。TMPNA自2021年發起，至2024年的會員人數已增加至70人，期待透過相關合作及推動，擴大MPN病友及親屬的社群連結。



日本子公司「迎向明天計畫」網站

2.日本：2024年持續進行，包含「[真性紅血球增多症指南\(MPN Navigator\)](#)」網站，提供衛教指引、診斷資源、專科醫師就診諮詢、客服中心，以及醫療保險、自費優惠方案、用藥相關指引等，協助病患減少自費財務負擔。此外，2024年新成立「[迎向明天計畫](#)」網站，開放Ropeg用藥病友註冊會員，會員可透過網站，免費取得相關醫療費用諮詢、用藥諮詢、衛教資訊E-mail電子報等。該網站的支援中心由專業護理師組成，提供病友專業諮詢，並提升病友面對治療的安心。

► 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

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 Leukemia Net, 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)^{註2}指引也已納入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45個國家、220家機構，超過1,000名研究人員及臨床醫療人員的平臺。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33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

► 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。

► 改善新藥可負擔性： 公平合理訂價

SASB HC-BP-240b.2, b.3

Ropeg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。

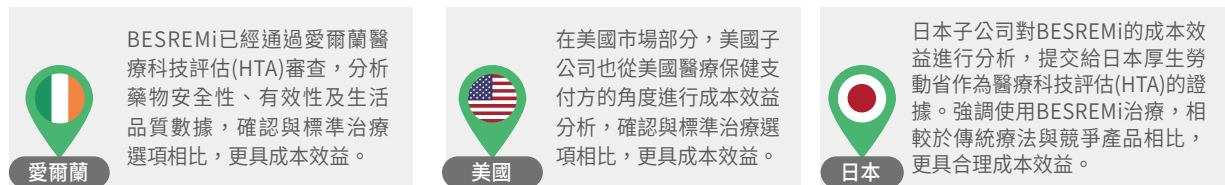
公平合理訂價流程



► 以實證支持合理定價

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。

合理定價實證成果



藥華醫藥積極參與價值鏈上各階段的培力計畫與關鍵活動，如成立運用人工智慧的新藥創新研究中心，協助美國MPN研究基金會建立臨床試驗搜尋工具，在臺、美、日建置病友支援計畫，針對需要財務協助的病友增進藥物近用並逐步擴增至其他國家，對已經在使用BESREMi的病友則規劃一系列的健康促進活動，延長其用藥時間以完善整體療程。