

藥物經濟學影響新藥研發趨勢/ Pharmacoeconomics Making

Calls for Development of New Drug

The health expenditure in the developed countries is ever increasing, and the governments are making stringent look at the reimbursement policy and control strategy, and this is having an important impact to the development of new drug, whereby the government is not only looking at risk and benefits it brings to the patient, but also the cost and benefit of the new treatment brings in comparison with existing or no treatment.

The industry is also adopting the thinking and including pharmaceoeconomis analysis into product development.

在各國家醫療花費不斷上升，如何節制醫療花費，已成為醫療費用的給付者刻不容緩的訴求，這種情形甚至影響到新藥研發的趨勢，尤其，新抗癌藥的價格甚高，而病患相對獲益不大的情形愈來愈常發生，因此醫療服務經濟成本的角色開始受到重視。藥物經濟學(Pharmacoeconomics)的分析就是在幫助決策者更有效分配利用有限的社會資源，以期將所獲利益最大化。雖然各國的藥物經濟評估系統不同，但藥物的開發除考量其安全與功效性外，已逐步納入藥物經濟學的數據，等於間接鼓勵醫師和病人多使用學名藥或成本效益佳的藥物。

Avastin 是第一個受到矚目的案例，美國食品藥物管理局(Food and Drug Administration·FDA)於 2008 年通過簡易程序批准 Avastin 用於治療乳腺癌，但要求 Roche 公司進行兩期後續研究以確認其效果，在後續的臨床研究顯示，Avastin 並不能有效延長乳腺癌患者的生存期，其副作用也非常明顯，如血壓高、疲勞、白血球異常等。因此，2010 年 7 月和 12 月，歐洲和美國紛紛撤消 Avastin 治療乳腺癌的使用範圍。從近年核准的抗癌新藥案，更是不難發現醫療費用節節升高；例如，2010 年美國 FDA 批准 Dendreon Corporation 所開發的癌症免疫治療藥物 Provenge (Sipuleucel-T)，在 512 名男性的臨床試驗中，以 Provenge 治療的病人，平均存活時間為 25.8 個月，而對照組的病人為 21.7 個月；三年後，Provenge 治療的病人中，32% 仍然存活，而對照組只有 23% 存活。平均 Provenge 一個療程花費 9.3 萬美元，但平均只延長四個月的生命。

因成本效益受挫的抗癌藥物案例還有；2011 年 3 月，FDA 批准了 Bristol-Myers Squibb 公司治療黑色素瘤的藥物 Yervoy (ipilimumab)，Yervoy 治療三個半月花費 12 萬美元，同年 10 月，英國的 NICE(National Institute for Health and Clinical Excellence) 向 National Health Service(NHS) 提出拒絕給付的建議，其中該藥物缺乏有反應的生物標誌，也成為決定因素之一。2010 年 11 月 15 日，FDA 批准了 Halaven(eribulin mesylate)，該藥物用於治療至少接受過兩次化療的晚期轉移性乳腺癌患者，在 Halaven 的安全性及有效性臨床研究中，針對 762 名已經接受化療的晚期轉移性乳腺癌患者，其中使用 Halaven 的存活期為 13.1

個月，而使用其他單一藥物治療的患者存活期為 10.6 個月，開發藥廠雖極力在英國爭取給付機會，但 NICE 最終還是在 2011 年 7 月提出了拒絕給付的建議。

花費巨大而療效甚微或卑微的延續生命力，在抗癌新藥已是屢見不鮮的例子，也因此帶動了發展與特定疾病相關的新生物標誌或基因診斷測試等，朝向個人化醫療已成為研發之新趨勢；個人化醫療可依據病患的基因型、蛋白質表現型診斷結果，來發展更安全、更具效能的藥物。例如，Pfizer 公司的 Xalkori (crizotinib)，可攻擊 ALK 蛋白質，約 5% 的非小細胞肺癌患者中發現這種蛋白質存在。Roche 公司的 Zelboraf (vemurafenib)，則是藉由阻斷突變的基因 B-RAF，以治療晚期黑色素瘤。這些藥物開發公司，同時開發可幫助醫生鑑別與藥物相匹配患者的搭配診斷方法 (companion diagnostic)，也形成一種新的標靶藥物開發趨勢，同時反映了美國醫療業近年來強調 evidence-based medicine 的態度，以及將經濟評估納入醫療考量的潮流。

藥物經濟學的數據直接影響著產品的上市和銷售，愈來愈多臨床試驗必須同時達成評估療效及成本效益的目的。甚至大藥廠已不再將藥物經濟的數據，僅視為一項市場行銷的工具，而是將其視為產品的性質之一，如同產品的安全性與功效性同等重要。藥物經濟學是否能成為協助社會醫療決策，使我們的醫療環境能更為健全發展，兼顧病人與社會兩方的權利，仍可繼續觀察。

出處或延伸閱讀:

1. <http://www.reuters.com/article/2010/07/08/us-roche-avastin-idUSTRE6676AP20100708>
2. <http://www.fda.gov/newsevents/newsroom/pressannouncements/ucm237172.htm>
3. <http://www.ecancermedicalscience.com/news-insider-news.asp?itemId=1886>
4. <http://www.oncologyreport.com/single-view/nice-rejects-ipilimumab/66c931ddc4.html>
5. <http://robertanagourney.wordpress.com/>
6. <http://www.genomeweb.com/mdx/uks-nice-cites-lack-response-markers-bms-yervoy-factor-negative-recommendation>