2019-11-11

**陳如月**

**沒有獎勵根治**

由於現代醫學的進步，第1型糖尿病、心臟衰竭、HIV - 所有這些疾病都從致命狀態轉變為慢性病。

事實上，在過去幾十年裡，這一直是突破性創新的主要模式；能夠長期管理以前縮短生命的疾病的藥物，醫療保健系統負擔得起，因為费用是分散在一生中的。

但我們現在有醫學上的突破，完全顛覆了這一趨勢。尤其是細胞和基因療法預示著卓越的根治性藥物的誕生，這些藥物只給予一次，或短期內使用。

其中包括Novartis的開創性CAR-T細胞療法Kymriah (tisagenlecleucel) ，該療法在患有B細胞前驅因子之急性淋巴芽細胞白血病的兒童和青少年的緩解率高達83%。

C型肝炎病毒治療，如來自AbbVie的Maviret (glecaprevir+pibrentasvir)，在8至12周的療程後治癒了難以治療的基因型第三型的人。Biogen的Spinraza (nusinersen是首個針對脊髓性肌肉萎縮症(spinal muscular atrophy，簡稱SMA) 的疾病修飾治療，這種療法可以提高人體產生對運動神經元至關重要的SMN蛋白的能力。

這些「再生醫學」的出現–通常是針對病人的特定基因構成高度定制–是醫療保健領域的一場真正的革命；在企業的研發線中有許多這樣的療法，其中有幾個很快就會上市。

因此，當務之急是：我們如何為一次性的或短期的突破性治療定價、支付费用和以其他方式激勵它們，從而徹底根治以前無法治癒的疾病？

* **具成本效益但負擔不起**

這是醫療保健行業試圖找到答案的一個問題。2017年8月，Novartis宣佈Kymriah每次治療費用為475,000美元，這引起了很多媒體的關注，但實際上低於許多分析師的預期；一項成本效益評估發現，Kymriah的價格為600,000－750,000美元是有正當理由的。

事實上，許多創新藥物的成本效益證據是令人信服的。但這是許多創新療法面臨的悖論 - 它們可能具有成本效益，但這並不意味著它們是負擔得起的。

負擔能力的缺乏–以及圍繞這些高價產品的負面報導–不可避免地出現在像Kymriah和Spinraza上，並往往與圍繞藥品定價的普遍負面情緒混為一談–可能意味著創新的倒退。

醫療保健系統表示，他們負擔不起這些藥物，因此要麼不支付這些藥物，要麼只支付亞族群，要麼在生命週期的早期實施招標，迫使大幅度降價。隨後，產業將沒有動力去發現和開發新的治療方法。

* **當前的醫療保健系統增加了幾個障礙**

從德國和法國等國家的社會保險制度，到英國和斯堪地那維亞半島的所謂「單一保險人制度」，歐洲各國不同的醫療保健系統和給付方案使這種情況變得更具挑戰性。

每種不同的模式都是論量計酬給付模式的變體，這種模式已經發展到可以滿足慢性疾病的需求。目前，醫療保健系統的建立是為了在中長期內為慢性治療支付適度的費用，但不是為了預先支付高昂費用而建立的。

在醫療保健領域，也沒有普遍接受的「價值」定義，也沒有評估生物製藥創新價值的標準化方法。

從遞增成本效果比值(incremental cost-effectiveness ratio，簡稱ICER) 價值評估框架到美國臨床腫瘤學會（American Society of Clinical Oncology，簡稱ASCO）價值框架，我們擁有的系統往往相互矛盾，而且沒有一個系統完全解決潛在治療方法的所有屬性。

根治性療法的最大問題之一是，從長期來看可以省多少錢，以及如何衡量這一點。根治性療法有可能抵消醫療保健系統的巨大成本，完全消除長期治療，並避免與疾病進展和住院併發症相關的下游成本。

從理論上講，應該儘早讓符合條件的病患接受治療，以實現全面的公共衛生效益。然而，存在風險問題。我們仍然不知道大多數這些藥物的長期效果。我們要過很多年才能知道它對臨床和經濟影響是否如預期的那樣顯著。

此外，為一次性治療支付一大筆費用與可能在幾十年內為醫療保健系統節省的費用之間存在脫節。系統不是以這種方式設置的。

找到一個能夠準確描述臨床影響、生活品質影響、醫療系統成本節約和社會效益的系統將是關鍵。

然而，即使我們設法公平地確定這些創新的價值（因此也是成本），醫療保健系統仍然可以說它們負擔不起。那麼，我們該怎麼辦呢？

* **漸進式解決方案還是系統性解決方案？**

所有的利害關係人都需要參與這個主題，並積極尋找解決方案。賭注太大了，以至於無法做到這一點。我們面臨的抗微生物藥物抗藥性的風險和目前新抗生素的缺乏告訴我們，當生物製藥行業沒有動力時，我們需要知道所有的後果。

我們知道，為應對這些挑戰而採取的最初步驟往往遇到既定的給付途徑、結構性障礙和錯位的激勵措施，以及缺乏數據和後續數據追蹤機制。我們能做些什麼與眾不同的事呢？

一般來說，這行業有兩種選擇：要麼是在現有衛生系統和給付環境中實施的漸進式解決方案，要麼是全面的系統性解決方案，這些解決方案重新設計系統，以適應科學的野心。

問題是，鑒於慢性病對該系統的成本和需求不斷增加，從長期來看，漸進式改進能否長期持續下去？

* **漸進式改變可能在短期內起作用**

漸進式改變包括基於結果/基於價值的給付、年金模式以及醫療保健系統和生物製藥公司之間的風險分攤協議等解決方案。

這是英國英國國民健保署（National Health Services，簡稱NHS）採用的創新C型肝炎治療方法；只有在病患成功治癒的情况下支付藥費，否則製造商將承擔費用。

然而，這些類型協議的接受程度仍然很低，而且無論如何，支付方仍然會質疑負擔能力、治癒的定義，以及建議的價格是否反映了這些創新療法的真正「價值」。

* **潛在的系統性解決方案**

為了配合醫療領域的創新，我們迫切需要創新我們的方法、制度、激勵機制和融資，以採用治療模式。這會是什麼樣子呢？

潛在的解決方案可能包括創新的支付模式，例如不斷發展的融資途徑、從產品到解決方案的創新定價，以及將醫療成本的負擔分攤給多個利害關係人（例如公共支付方、公司和個別患者）。

是否可以從其他行業（例如融資/抵押行業）汲取經驗教訓，在證明收益後，高額的前期成本會在較長一段時間內分攤；而在音樂行業則可以採用許可的而不是購買的「Spotify[[1]](#footnote-1)方法」可以應用於藥品。

另一種選擇是將可由私人利害關係人管理的慢性病管理拆開，並為具有根治性療法的疾病設立獨立的資金單位。

除了改變定價模式之外，還有可能進行更具創造性的思考。可以透過市場排他性、保證銷售量，甚至是對解決和治癒特定疾病的公司提供獎勵金或獎勵等方式提供更大的激勵。

* **爭論仍持續著**

就醫療創新而言，這是一個令人興奮的時刻。我們如何確保挽救生命的藥物被醫療保健系統所接受，從而確保企業有動力繼續開發這些藥物，是當今藥業面臨的最緊迫問題之一。風險很高，機會之窗可能相對較小。

問題很複雜，障礙很多，潛在的解決方案也很吸引人。我們認為我們需要有一種如同藍天般有創意的方法，思想創新需要與實驗室的創新相匹配。

※　　　※　　　※

11月8日，北市聯合醫院企業工會代表們，在市議員陪同下召開記者會，抗議院方從今年六月起，將醫護及行政人員的獎勵金扣減。院方解釋，2018年受到健保點數下降影響，收入減少，間接造成獎勵金發放困難。

另外，11月4日公開的全民健康保險會議記錄顯示，藥費成長率6.9%高於總額成長率，委員認為會稀釋點值。而C型肝炎治療的新藥內入健保給付拉高平均每人之平均藥費單價。醫界慣常以點值低而要求藥界給予更多的折讓，連帶影響藥價與藥品治療類別發展甚巨，亟待系統性的解決方策。

(取材自PMLiVE)

–End–

1. Spotify是一個正版流媒體音樂服務平臺，2008年10月在瑞典首都斯德哥爾摩正式上線。Spotify提供免費和付費兩種服務，免費用戶在使用Spotify的服務時將被插播一定的廣告，付費用戶則沒有廣告，且擁有更好的音質。 [↑](#footnote-ref-1)