



真實世界證據發展有成

藥界如何從中學習，

贏得先機

理解藥物在真實世界的成效(如下圖列示)可有助於提高藥物研發效率及降低研發成本，也可替已上市藥物發掘更多新的患者族群，將有機會推動製藥業者轉型並帶來更高的投資報酬。如今製藥業者的領導人皆面臨重大挑戰，必須在這個近年不斷革新的產業去善用真實世界數據及真實世界證據 (Real world evidence, RWE)，以持續為企業提高競爭力。



真實世界證據如何在藥品價值鏈上提供幫助

 前期研究	 研發及取證	 市場准入及給付	 上市後安全監測
- 發掘與抗藥性機轉、基因突變及影響療效相關的生物標記 - 透過分子篩選、患者 / 疾病的特性與模型去輔助產品的決策 - 找出標靶藥物或罕見疾病臨床試驗的研究族群	- 協助試驗設計降低試驗風險 - 協助設計收案族群的合適性條件 - 辨認及選任受試者、試驗場所及試驗主持人 - 支持伴同式診斷的開發 - 研發合成對照組 (synthetic control arm) - 輔助務實性臨床試驗 (pragmatic trials) - 建立患者 / 疾病登記 (registries) - 取證送件提供補充臨床試驗證據	- 向支付者提供健康經濟、療法價值、支付模式及預算衝擊 (value story, reimbursement model, budget impact) 資訊 - 透過找出誤診及未診斷 (misdiagnosed, underdiagnosed, non-diagnosed) 的患者加強目標族群準確度 - 透過治療反應及世代分析 (cohort analysis) 找出最佳藥物劑量 - 最佳化商業行銷方法 (行銷人力、品牌規劃、行銷活動、決策輔助)	- 透過訊號偵測 (signal detection) 及數據分析進行藥物主動監視及注重藥物安全 - 協助發掘擴展藥物適應症的機會及強化相關證據 - 從患者風險分級和體驗去增加醫囑遵循 - 從醫院發掘未滿足需求增加推動醫療業務的效益

以下是近期幾個應用RWE的良好實例

加速臨床試驗：一個臨床試驗三期設計採用RWE，降低收案人數40%，節省大約6個月的試驗時間。¹

提高療法包容性：以人工智慧(AI)分析真實世界數據，結果發現適合使用特定癌症藥物獲得療效的病病人數可能比現行認知多出一倍。²

擴大藥證適應症：美國FDA曾接受設計良好的觀察性試驗 (observational trial)蒐集之RWE，核准已上市藥物的新適應症。³

PwC根據自身研究資料和近期與製藥業者或其供應商的RWE專家訪談結果，彙整出以下RWE市場快速變革的三大動因：



動因 1：數據資產與進階分析技術規模龐大且快速成長



全新功能更全面的RWD&E數據方案的興起



年輕的生技公司如Medicom, Foundation Medicine及HealthVerity正在將數據組擴充至傳統範疇之外。⁶⁻⁸ 透過更廣泛的來源包括**醫療影像、基因體學及患者產生的健康數據**，這些公司得以解決更多更廣的研究難題，這是過去僅用電子病歷及理賠資料辦不到的。



M2Gen公司的ORIEN Avatar工具在取得患者同意後，追蹤癌症患者**終生的病情變化**。這些數據可支持**標靶藥物的研發及用藥決策**。



Aetion公司的獨家平台可**串接醫院及醫師提供的各種數據資產**，包括電子病歷、處方及理賠資料、檢驗結果等，描繪出更全面的患者及疾病樣貌。¹⁰ 這個平台也可在RWD缺乏的情境下產出**合成健康數據**。



Pentavere及Ciox Health運用AI及NLP**處理非結構化資料**(臨床筆記、逐字稿、檢驗、影像及病理報告)產出洞見。

資料來源：企業官網公開資訊，PwC彙整，2023

目前健康數據的數量與種類仍不斷地快速增加，預估在2028年的年複合成長率(CAGR)將達到38%。⁴同時縱貫數據(longitudinal data)也越見普遍，有些案例甚至蒐集長達數年的病人的健康數據。

整合多個數據組(data sets)的健康數據使可用的數據資產更加完整，透過跨越不同機構來源的電子病歷(EHR)、藥歷、基因檢測數據及個人背景資料，可勾勒出更完整全面的患者健康面貌。有幾家RWE廠商正嘗試運用電腦輔助資料挖礦，從臨床紀錄加上合成數據(derived/synthetic data)補足既有的數據組。

PwC 預期數據及其相關科技快速演進將推動數據產品或服務市場，估計CAGR在2028年將達到8-10%，其中又以經整合的聯結數據組 (integrated, linked data sets)成長最高，其CAGR達 14%。⁵此外，RWE分析市場預估在2029年將達到 15% CAGR，相關業者也將面臨漸增的同業競爭與價格戰，必須經由開發先進精密的分析平台去增加競爭優勢，協助客戶在藥物開發、醫療照護及產品生命週期上提供洞見。¹³

雖然藥廠當然也可自行利用多種不同類型的數據資料及預測模型去加強臨床試驗及上市後研究，但RWE業者可能會相對更擅長以更有效率及更好的成效去執行這類分析。





RWE分析方案新增更多選擇



Cytel的**臨床試驗實作及決策輔助**軟體可協助試驗工作流程及文件管理、收案數預測及目標鎖定，還能協助研發團隊做出關鍵(go/no-go)決策。¹⁴



Certara公司的Simcyp是基於生理學的藥物動力學模擬器，可預測藥物交互作用，也可根據不同患者種族、年齡、遺傳基因及病情預測藥物反應，這項工具被用來**分析與終止試驗及為新患者族群提供劑量建議**。¹⁵



Optum的Clinformatics平台透過RWD找尋最佳的患者族群並提供試驗主持人和專科醫師人選排序，加速**試驗場所的選擇及受試者收案**。¹⁶

資料來源：企業官網公開資訊，PwC彙整，2023

藥廠應善用市場上相較過去更精進的RWE解決方案，以協助掌握現有產品的生命週期管理，包括臨床研發、產品上市及從市場競爭勝出。人才方面，藥廠可招攬過去有使用RWE洞見之經驗的醫療人員、資料科學家或專業管理人，以輔助企業營運決策。當藥廠缺乏RWE經驗的人才時，RWE業者也有機會針對不同專業領域協助提供RWE相關顧問工作。

動因 2：RWE業者專業分工趨勢

癌症及罕見疾病的治療一向複雜且有許多醫療需求未能滿足。當RWE產業生態系已臻成熟時，這些治療領域因此受惠而成為RWE最大及最快的應用場域。¹⁷



各有專精的方案可配對不同的目標患者族群



Komodo Health與類肉瘤病(Sarcoidosis)研究基金會合作分析這類炎症罕病**患者的治療途徑**。Komodo將利用AI輔助的平台進行縱貫研究(longitudinal study)分析以產出療法洞見。



Flatiron Health與TriNetX兩家公司皆投入在產出**經處理針對特定疾病的數據組**，通常專精在癌症、罕病或特定族群(如兒科患者)。¹⁹⁻²⁰



HealthVerity的**孕婦數據組**在醫療介入對懷孕婦女及新生兒的影響方面提供洞見。²¹



IQVIA的PharMetrics Plus提供**醫療保險縱貫研究資料庫**，其中包含詳細診斷、治療及相關支出的醫療及藥品理賠案例。²²

資料來源：企業官網公開資訊，PwC彙整，2023



RWE業者為了把握商機而拓展特定適應症市場及應用，它們紛紛在技術開發、臨床經驗及運用AI與自然語言處理(NLP)的分析平台投入大量資源，以提升匯集數據、填補數據空缺(fill gaps)及處理數據組(enhanced data sets)的能力。RWE市場在激烈競爭及專業分工下帶來很多創新應用，例如在臨床試驗外部對照組(external comparator)、務實性臨床試驗 (pragmatic trials)及豐富試驗 (enriched studies)中扮演角色，也因此讓RWE業者與特定領域專家展開密集的策略合作。這些應用及合作將為藥廠的研發項目及商品提供很好的洞見及成果。藥廠開始RWE相關規劃時應針對不同的治療領域專業去選擇合作的RWE業者，隨時維持合作對象的多元化。

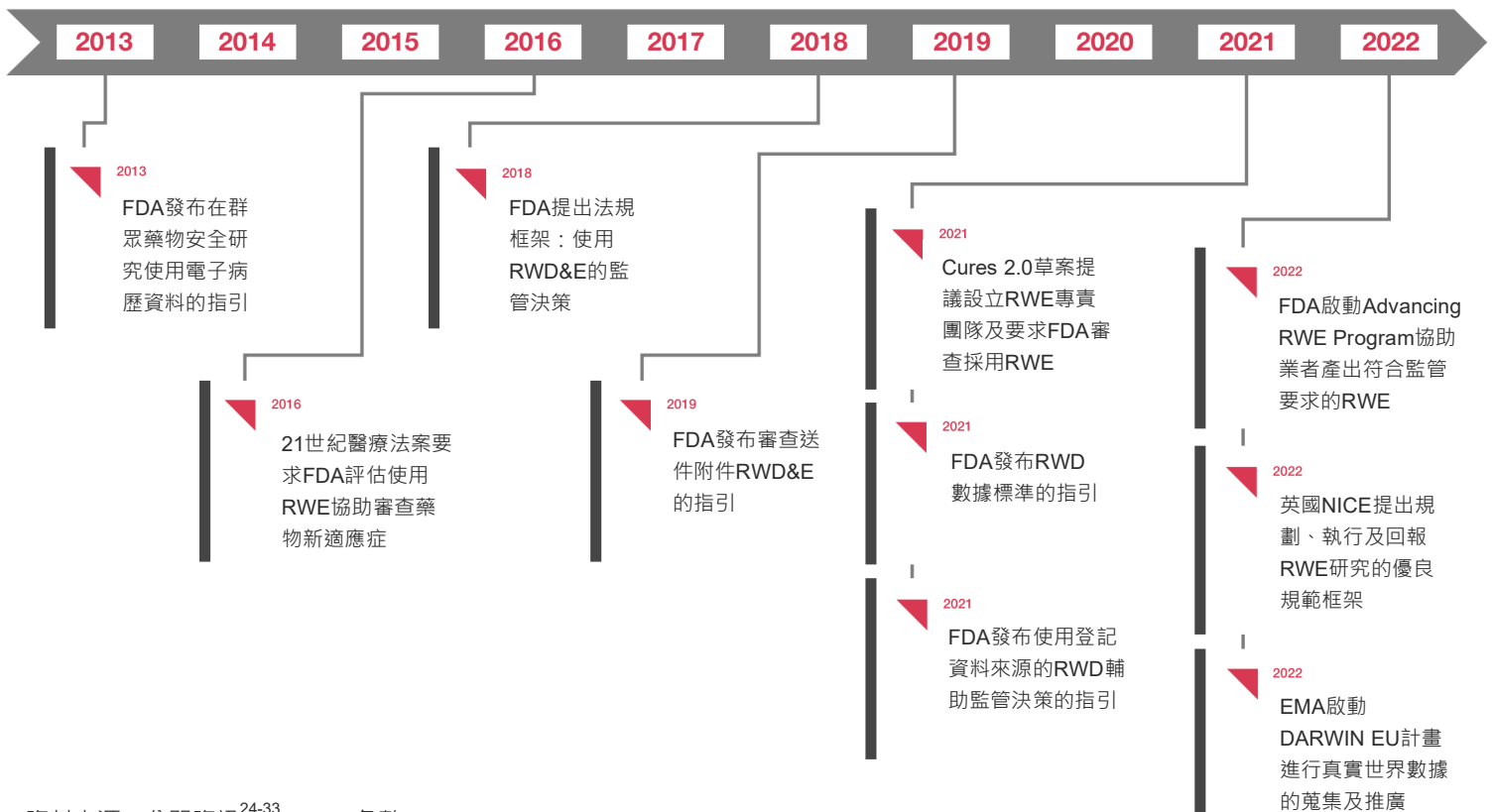
動因 3：監管機關持續增加對RWE的支持

法規監管機關如美國FDA及英國國家健康與照顧卓越研究院(NICE)透過成立RWE的專責部門、建立新的數據標準及指引等，去鼓勵各種RWE的應用，像是新藥的安全性及藥效評估或輔佐藥品的上市申請。歐洲藥品管理局(EMA)的數據分析與真實世界研究網絡(DARWIN EU)計畫則是不斷透過大量研究去蒐集真實世界數據，且規模逐年擴大。

然而，藥廠要釐清全球各地不同的指引及數據標準，其複雜程度會增加新產品上市的難度。有鑑於此，RWE業者透過不斷的併購及策略合作，以求建立國際性的數據組及累積各地區法規知識。新法規指引的推出速度驅使業界發展符合法規需求的數據組，以協助臨床試驗設計及其他新藥研發的關鍵流程。²³



RWE隨著監管法規變革而逐漸累積成長動能



資料來源：公開資訊²⁴⁻³³，PwC彙整，2023

RWE布局及商機5大策略問題

RWE產業生態系的快速發展為大家重新詮釋RWE在實務應用的潛力，但同時也提高了價值鏈上的業者導入RWE的複雜度、投資及經驗門檻。藥廠應確保其RWE策略規劃與時俱進，並與頂尖的RWE業者合作補足自身能力，藉此提升新藥研發到臨床照護的生命週期(前期研究、研發及取證、市場准入及給付、上市後安全監測)的價值。

以下五個問題提供業者作為評估RWE策略的參考。

策略問題1：您的企業營運目標及獨有的產品組合如何影響您對RWE的需求與布局？

企業的資產及產品組合：包括正在研發中的新藥及已上市產品的市場需求、風險、銷售表現、生命週期階段、治療領域與適應症及專精的治療等。

營運目標：產品上市的速度、市場占比、營收最大化、成本樽節、市場准入及為增加藥品適應症範圍產出安全性 / 藥效證據等。

企業應謹慎評估上述因素對RWE需求與布局的影響。

策略問題2：RWE能為您的企業帶來立即性投資報酬和未來投資報酬，分別是那些業務範疇？

立即性報酬：大部分已成熟的RWE應用如效果研究(outcome studies)、患者世代研究(patient cohort study)設計及上市後安全性研究等，將可為業者創造立即的價值。

未來的報酬：新興的RWE應用如先進的臨床作業(clinical protocol)設計、臨床試驗的合成對照組(synthetic control arm)及商業營運最佳化等，可能有機會為妥善運用工具的企業創造很大的未來價值及競爭優勢。

策略問題3：您應該如何規劃RWE的運作才能創造更多價值？

大型企業擁有非常多樣又分處不同生命周期的產品，因此中心化及規模放大(centralized, scaled)的RWE功能將可提高RWE使用率及長期的投資報酬。

相對預算有限的小型企業，傾向解決產品特定環節的需求及取得RWE資源，因此針對研發及商業營運採用嵌入式的核心功能較為可行。



策略問題4：比起企業自有的RWE能力、資產及經驗，外部RWE業者還能提供那些價值？

自行發展的RWE能力可成為藥廠的關鍵優勢同時又維持對重要業務領域(品質及法規治理)的掌控，然而這需要不斷投入大量資源去進行創新以趕上日新月異的RWE生態系發展。

專攻特定領域的RWE業者傾向專注特定使用場域、數據種類、疾病、地區及患者族群的研發創新。

注重規模化的RWE業者則透過長期的投資及合作對象(醫療體系、數據蒐集公司、分子檢測公司)，得以提供龐大的數據量、覆蓋廣大的地區及整合串連研究數據資產。

策略問題5：有那些RWE業者高度契合您的企業策略、營運模式及特定需求？

依據檢視前面四個策略問題的答案，審慎評估及決定企業特有的RWE需求，並從眾多的RWE業者中挑選適合的策略夥伴，再以此建構供應商網絡，運用RWE為新藥研發及臨床照護的生命週期創造價值。

單獨一家RWE供應商無法承擔企業資產所有生命週期階段的需求，而選擇特定RWE供應網絡的篩選條件必須能符合企業特有發展策略、產品組合、營運架構及目標，才能真正協助企業的長期發展及從中學習，贏得先機。

結語

RWE相關應用在許多國家受到監管機關的持續支持，也建立很多監管法規指引與標準，RWE業者的能力及生態系已臻成熟，已有先行國家與業者的實際應用案例創造價值，逐漸顯示RWE有潛力協助製藥業者在未來市場獲得競爭優勢及更高的報酬。

資誠建議業者應及早評估自身需求及合作夥伴，無論從內部或外部協助建立RWE的策略，以在數據資產、進階分析技術及經驗門檻不斷提高的RWD&E發展趨勢下永續成長。

參考文獻

- ¹ Reynaldo Martina, David Jenkins, Sylwia Bujkiewicz, et al. "The inclusion of real world evidence in clinical development planning," *Trials*, August 29, 2018, 468, Vol. 19.
- ² Ruishan Liu, Shemra Rizzo, Navdeep Pal, et al. "Evaluating eligibility criteria of oncology trials using real-world data and AI," *Nature*, April 7, 2021, 629-633, Vol. 592.
- ³ U.S. Food and Drug Administration. "[FDA approves new use of transplant drug based on real-world evidence](#)," fda.gov (July 16, 2021), accessed April 18, 2023.
- ⁴ Cheryl Coughlin, David Roberts, Kenneth O'Neill, et al. "Looking to tomorrow's healthcare today: a participatory health perspective," *Internal Medicine Journal*, January 2018, 92-96, Vol. 1.
- ⁵ PwC analysis informed by paid specialist interviews and purchased market reports from Meticulous Research and Grand View Research.
- ⁶ "[Sharing images helps veterans get better health care](#)," sanfordhealth.org (May 16, 2021), accessed April 21, 2023.
- ⁷ "[Clinical genomic data is a game-changer for precision oncology](#)," flatiron.com (March 8, 2023), accessed April 21, 2023.
- ⁸ "[The key to longitudinal patient journeys](#)," blog.healthverity.com, accessed April 21, 2023.
- ⁹ [Orien Avatar](#), orienancer.org, accessed April 21, 2023.
- ¹⁰ [Aetion Evidence Platform](#), aetion.com, accessed April 21, 2023.
- ¹¹ "[Using AI to accelerate the discovery of insights and evidence from clinical text](#)," pentavere.ai (June 6, 2022), accessed April 21, 2023.
- ¹² "[Ciox Health acquires biomedical natural language processing pioneer, Medal, Inc.](#)," cioxhealth.com (July 18, 2020), accessed April 21, 2023.
- ¹³ Meticulous Research. "[Real-world evidence analytics market by application, end user – global forecast to 2029](#)," June 23, 2022.
- ¹⁴ "[Analytics and innovation available to clinicians in drug development](#)," cytel.com (March 22, 2022), accessed February 20, 2023.
- ¹⁵ "[Accelerating ADCs' development pipeline using Simcyp PBPK](#)," certara.com (October 15, 2021), accessed February 20, 2023.
- ¹⁶ "[Finding the right patients and investigators for faster clinical trials](#)," optum.com (August 4, 2015), accessed February 20, 2023.
- ¹⁷ PwC analysis informed by purchased market research report from Meticulous Research.
- ¹⁸ "[For rare diseases with no standardized treatment strategy, insights can help inform next steps in patients' journeys](#)," komodohealth.com (November 17, 2022), accessed February 20, 2023.
- ¹⁹ "[Realizing the full potential of real-world evidence in oncology](#)," flatiron.com, accessed April 21, 2023.
- ²⁰ [TriNetX data sets](#), trinetx.com, accessed April 21, 2023.
- ²¹ "[Improved maternal health outcomes begin with MOM](#)," bloghealthverity.com, accessed April 21, 2023.
- ²² [IQVIA PharMetrics Plus](#), iqvia.com, accessed April 21, 2023.
- ²³ "[Regulatory and safety: Innovative approaches to stay ahead of regulatory change](#)," iqvia.com, accessed April 21, 2023.
- ²⁴ U.S. Food and Drug Administration. "[Best practices for conducting and reporting pharmacoepidemiologic safety studies using electronic healthcare data sets](#)," fda.gov (May 2013), accessed April 21, 2023.
- ²⁵ U.S. Food and Drug Administration. "[21st Century Cures Act](#)," fda.gov (January 31, 2020), accessed April 21, 2023.
- ²⁶ U.S. Food and Drug Administration. "[Statement from FDA Commissioner Scott Gottlieb, M.D., on FDA's new strategic framework to advance use of real-world evidence to support development of drugs and biologics](#)," fda.gov (December 6, 2018), accessed April 21, 2023.
- ²⁷ U.S. Food and Drug Administration. "[Submitting documents using real-world data and real-world evidence to FDA for drug and biological products](#)," fda.gov (final guidance September 8, 2022, draft 2019), accessed April 21, 2023.
- ²⁸ Sarah Karlin-Smith, "[Cures 2.0 likely to push US FDA to further embrace real-world evidence](#)," pink.pharmaintelligence.com (December 9, 2021), accessed April 21, 2023.
- ²⁹ U.S. Food and Drug Administration, "[Data standards for drug and biological product submissions](#)," fda.gov (October 21, 2021), accessed April 21, 2023.
- ³⁰ U.S. Food and Drug Administration. "[Real-world data: Assessing registries to support regulatory decision-making for drug and biological products guidance for industry](#)," (November 29, 2021), accessed April 21, 2023.
- ³¹ U.S. Food and Drug Administration. "[Advancing real-world evidence program](#)," fda.gov (October 19, 2022), accessed April 21, 2023.
- ³² The National Institute for Health and Care Excellence. "[NICE real-world evidence framework](#)," nice.org.uk (June 23, 2022), accessed April 21, 2023.
- ³³ European Medicines Agency. "[DARWIN EU completed its first studies and is calling for new data partners](#)," [www.ema.europa.eu](#) (March 28, 2023), accessed April 21, 2023.

Authors :



Ash Malik

Principal, Strategy& US



Greg Rotz

Principal, PwC US



Alan Keener

Director, Strategy& US

Additional Strategy& Contributors

Angad Nagwan, Manager, Strategy& USA

Brian Wong, Senior Associate, Strategy& USA

Gage Kaefring, Senior Associate, Strategy& USA

資誠 PwC Taiwan 生醫產業團隊



周筱姿 Zoe Chou

資誠生醫產業主持會計師

指導完成多個健康領域大型產業趨勢研究調查，輔導多家生技、長照等新興科技公司創設至國際佈局與上市櫃

zoe.chou@pwc.com



游淑芬 Jasmine Yu

資誠生醫產業主持會計師

輔導多家生技醫療與新興科技產業公司上市櫃。專長於生技製藥、再生醫療、CDMO與數位醫療領域企業

jasmine.yu@pwc.com



鄧聖偉 David Teng

資誠生技醫藥執業會計師

輔導多家生醫產業公司上市櫃，協助新興科技公司財稅規劃。

david.teng@pwc.com



黃珮娟 Pei-Chuan Huang

資誠生技醫藥執業會計師

輔導多家生醫產業公司上市櫃。專長於新藥、再生醫療與數位醫療領域企業

pei-chuan.huang@pwc.com



劉士瑋 William Liu

資誠生醫服務組協理

專長為生醫產品市場成長潛力及競爭分析，市場進入策略諮詢與生技醫藥產業營運與財務管理諮詢

william.s.liu@pwc.com



藍浚智 Sean Nam

資誠生醫服務組經理

專長為新藥、再生醫療及新興檢測產品科技市場趨勢及競爭分析

sean.jz.nam@pwc.com

關於本報告

資誠《真實世界證據發展有成 藥界如何從中學習，贏得先機》Real-world evidence comes of age for pharma: What to learn and how to earn (<https://pwc.to/3NwRpDW>)，彙整資誠全球聯盟組織 (PwC Global Network) 對於RWE在製藥產業的應用趨勢見解，並由資誠 (PwC Taiwan) 進行編譯呈現這篇報告。Strategy&是PwC旗下全球戰略諮詢公司，為多個跨國生醫企業提供諮詢，其專業團隊定期執行全球各地產業市場調查。

資誠生醫透視提供全球生技新知，分析產業發展趨勢，不但分享PwC全球資料庫中關於生技醫療產業之資訊，更分析國內產業優勢，協助客戶掌握市場先機及發展競爭策略。期望透過定期資訊分享，陪伴各位產業先進開發創新技術，精進產品服務，並邁向全球市場。

本報告僅提供參考使用，非屬資誠對相關特定議題表示的意見，閱讀者不得據以作為任何決策之依據，亦不得援引作為任何權利或利益之主張。若您有相關服務需求，歡迎與我們聯繫。

若您欲瞭解更多資誠生醫產業相關資訊：

請造訪我們的網頁



訂閱資誠生醫電子報

