

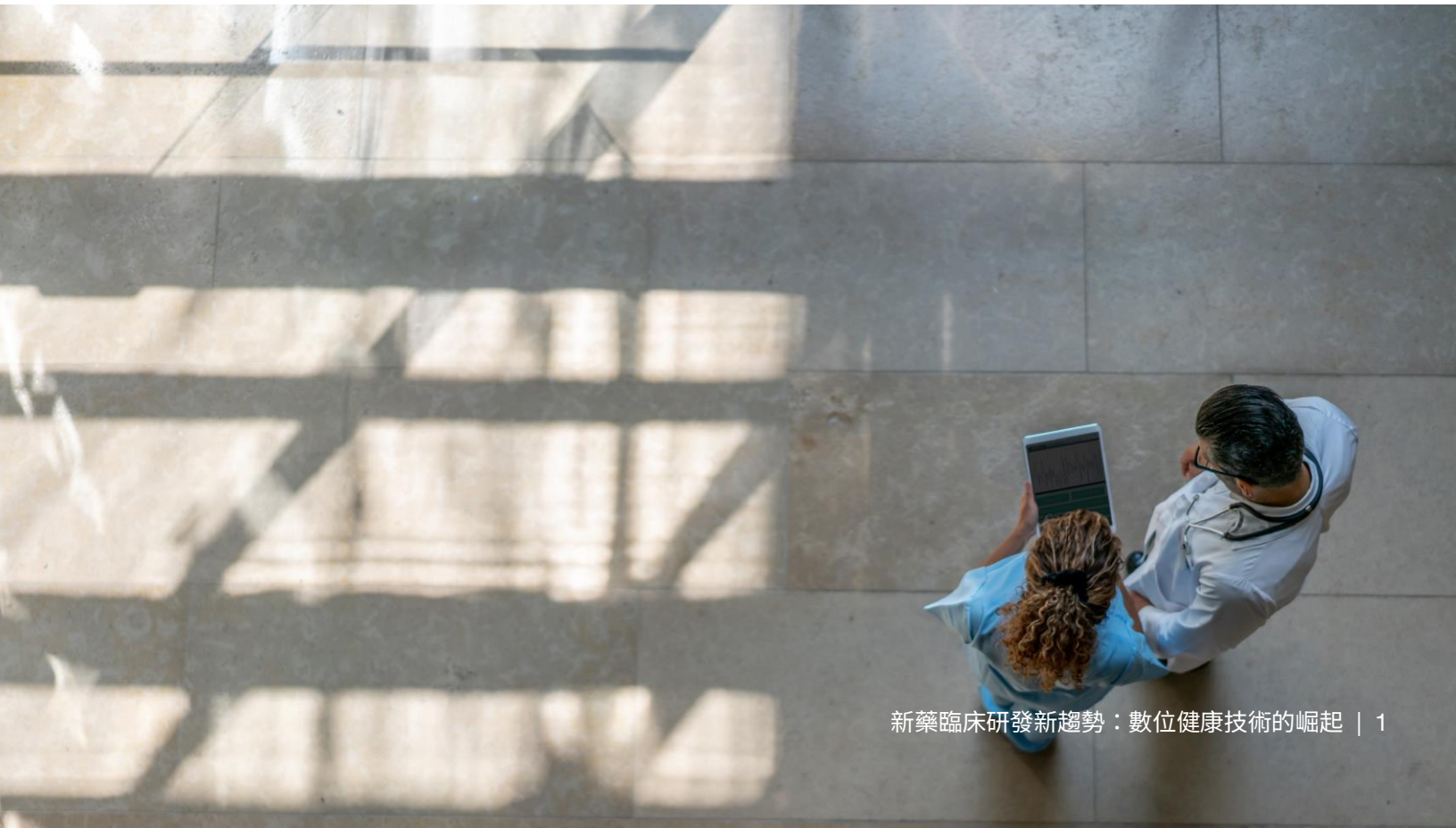
A photograph of three medical professionals in a clinical setting. A man in a white lab coat and blue shirt is holding a tablet, looking at the screen. A woman in a white lab coat and blue shirt is standing next to him, also looking at the tablet. A man in a blue scrub top is standing to the left, looking towards the tablet. The background shows a modern clinical environment with glass partitions.

新藥臨床

研發新趨勢：

數位健康技術的崛起

數位健康技術（digital health technology, DHT）的應用在過去十年間蓬勃發展，其中之一便是將其用於臨床試驗中以產生高品質的醫療實證。儘管如此，近期的研究卻顯示其尚未被廣泛利用¹。儘管這表示DHT是相對新穎的科技，但產品宣稱的臨床療效是否經實證是患者、醫療服務提供者與支付者決定採用產品的關鍵因素，缺乏證據恐會讓業者錯失展業機會。近期業界也逐漸看到臨床實證的重要性，PwC[訪問DHT產業專家](#)，其中有65%的受訪業者表示，因應學界專家與主管機關已逐漸將相關監管法規架構修訂完備，企業將把產品轉到較受數位健康法規監管的應用上發展^{2, 3, 4}。



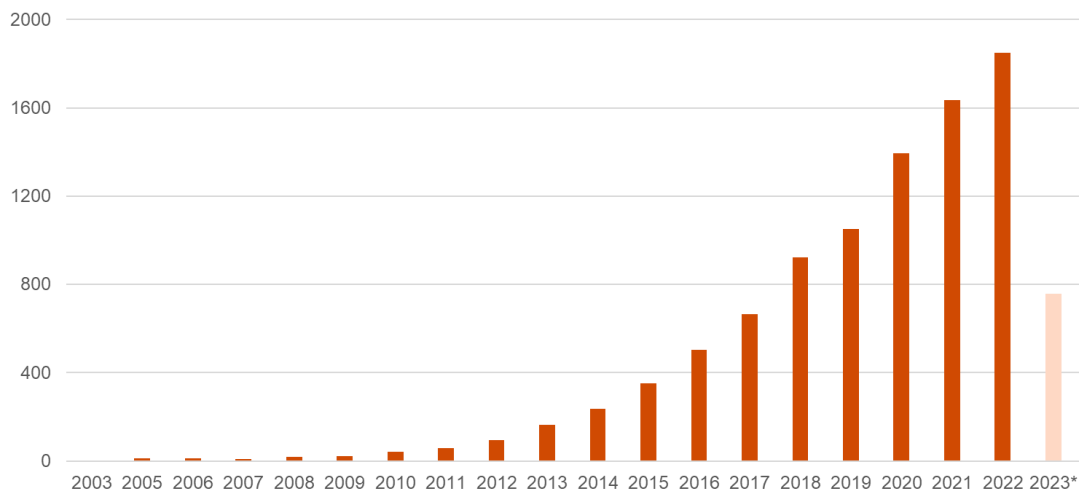
根據clinicaltrial.gov的數據，過去五年在臨床試驗中使用DHT的案例數量增加了97%，其中不乏產生實際成果的優良範例，例如歐洲藥品管理局（European Medicines Agency, EMA）於2023年通過首例數位化的臨床試驗終點（endpoint），用以評估裘馨氏肌肉失養症（Duchenne muscular dystrophy, DMD）的療效⁵。PwC的產業研究也發現，當數位健康解決方案（digital health solutions）具備醫療實證作為背書，將更有機會實現產品的規模化。因此臨床證據會是未來推動數位健康解決方案的基本要件，製藥及醫材業者應密切關注這一趨勢。

本篇報告中，PwC將DHT定義為使用於醫療保健相關用途的技術，如運算平台、數位聯網、軟體或感測器等，與美國食品藥物管理局（U.S. Food and Drug Administration, FDA）對數位健康的定義一致。

為了更了解產業趨勢，PwC調查15大製藥公司的臨床試驗內容，分析業者使用DHT產出臨床證據的重點，並根據分析結果提出四大建議，供製藥業者參考：

1. 為不同的使用者族群量身訂做綜合性臨床證據產出策略。
2. 重新思考營運模式以利導入數位健康臨床證據產出方法。
3. 以遠端數據輔助利害關係人（如醫師、支付者等）的決策。
4. 了解各治療領域的數位健康版圖演變，並利用產生之綜效建立跨領域的投資組合。

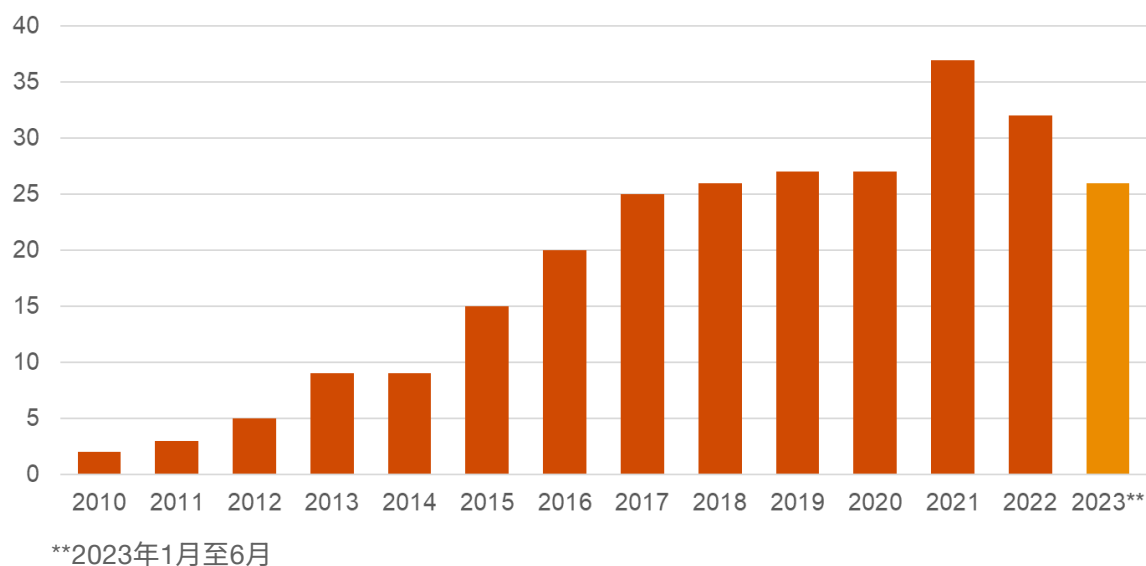
使用DHT的臨床試驗總數量



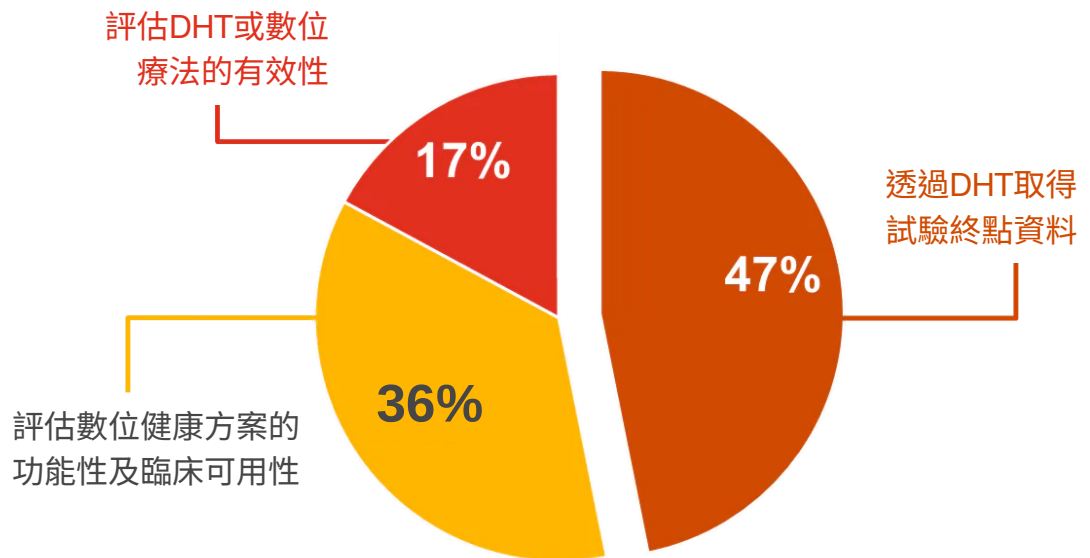
*2023年1月至6月

PwC對15大製藥公司的臨床證據產出方法進行調查與分析，分析結果顯示過去五年與DHT相關的臨床試驗數量有增加的趨勢。由於臨床試驗主要由學術研究單位主導而不歸屬於業界，因此本次調查的試驗案例僅占全部數量約20%（共269件）。這些臨床試驗使用DHT的目的大多為了取得試驗終點資料（47%），這些資料來自於主要療效指標及次要療效指標，也提供研究員其他寶貴資訊。此外，評估數位健康解決方案的功能性及臨床可用性（36%）、評估DHT或數位療法的有效性（17%）都是試驗目的之一。

15大製藥公司使用DHT之臨床試驗數量

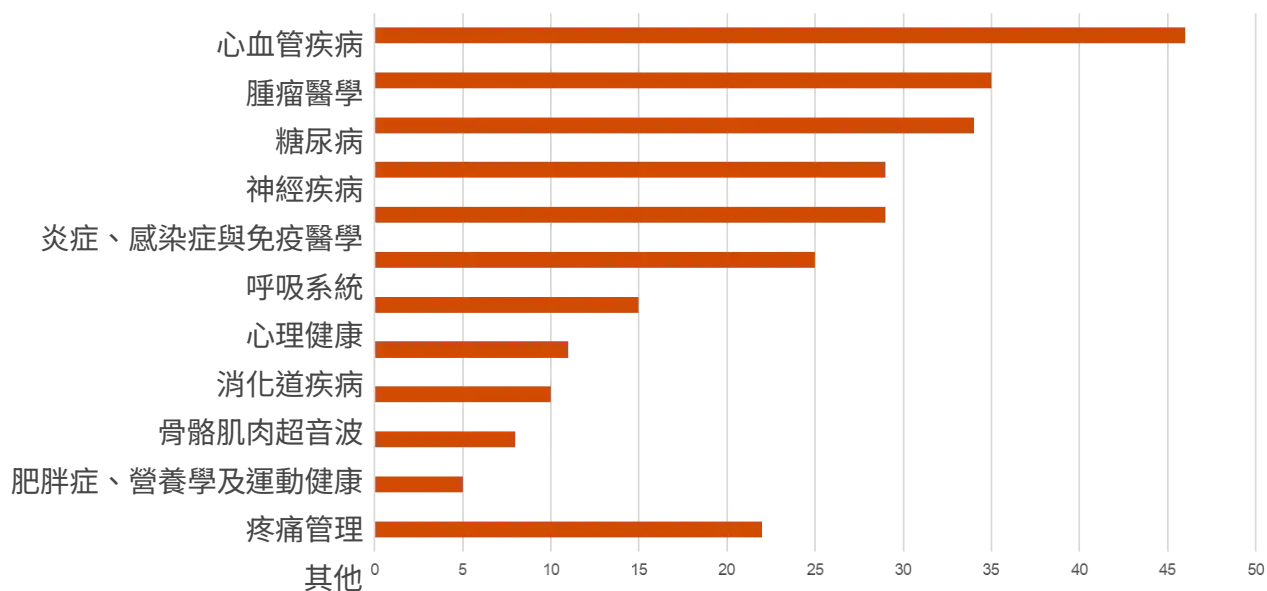


15大製藥公司如何在臨床試驗中使用DHT

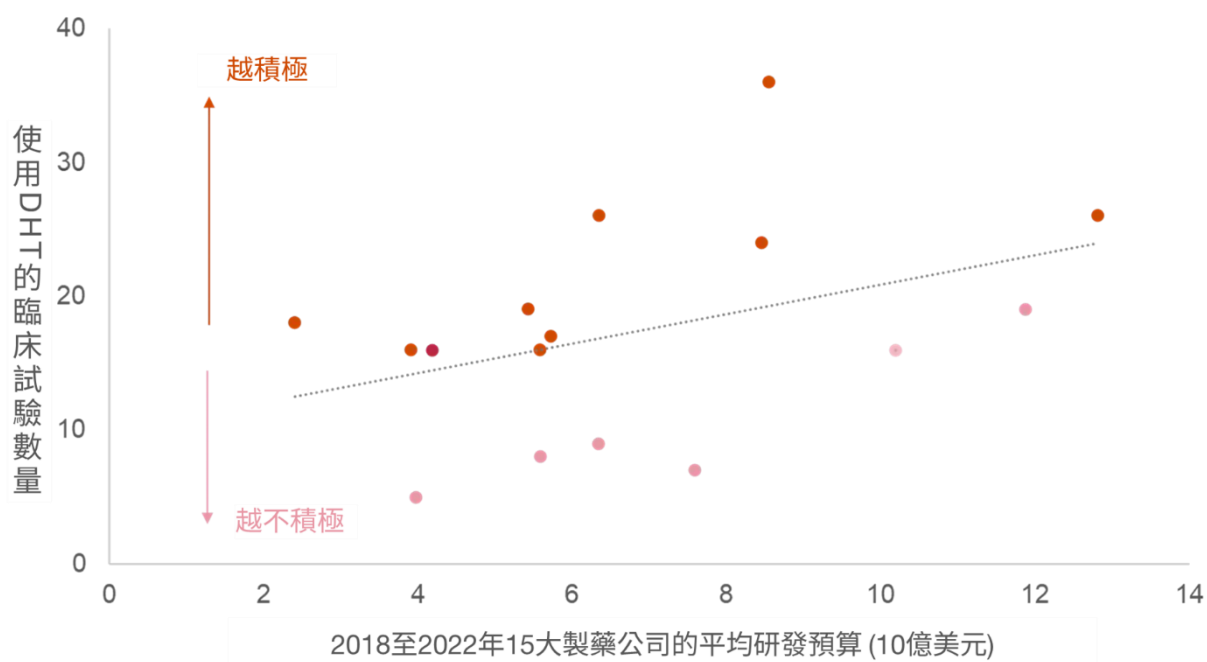


製藥公司使用DHT產出臨床證據的投入程度不一，由於DHT在部分治療領域發展較成熟，在這些領域處領先地位的製藥公司也較積極布局在臨床試驗中使用DHT。臨床試驗並非產生臨床證據的唯一途徑，例如許多DHT業者選擇透過FDA 510(k)的途徑，在不進行人體試驗的情形下完成實質等效（substantial equivalence）評估，證明其產品與已取得美國FDA許可上市之醫療器材（predicate device）同樣安全及有效，風險較低的醫療器材產品尤為適用。此外，部分專家也正在提倡運用模擬方法等更快速、更具成本效益的創新替代方案。儘管如此，PwC的調查結果顯示製藥公司仍積極投入發展DHT應用，並將臨床證據作為實踐數位健康策略的核心，以建立競爭優勢。

15大製藥公司於不同治療領域別臨床試驗的DHT使用樣態



各公司使用DHT的臨床試驗數量及五年平均研發預算



四大建議

雖然業界普遍認同數位健康解決方案需有醫療實證的支持才能實現規模化，但業者取得臨床證據的過程複雜及花費成本亦會增加風險。因此PwC提出四大建議，供製藥業者規劃DHT臨床證據產出策略之參考。

1

了解問題本質 根據對象量身訂做臨床證據產出策略

在過去十年間，許多以技術為導向（technology-led）的計畫未能實現規模化，原因在於其並未滿足客戶的需求。業者應更注重為利害關係人（如患者、醫療照護服務提供者或支付者）解決關鍵問題。這些利害關係人對用戶是否採用DHT具有影響力，因此業者需要深入了解利害關係人對於數位健康的價值觀為何，以及他們對於醫療實證的需求，再針對結果制定綜合性策略，以產出數位健康解決方案的臨床證據。

例如，PwC曾協助大型製藥公司了解醫療保健服務提供者（HCPs）對神經學領域的數位健康解決方案所需的臨床證據類型及標竿價值（benchmark values），結果發現醫師對於流程作業效率的重視程度比預期更高，這些資訊有助該製藥公司持續調校證據產出策略。

前述策略所獲得的資訊亦能整合至功能性及臨床可用性評估中，因為傳統流程中，當製藥公司察覺利害關係人對醫療實證其實存在不同需求通常為時已晚，導致後續須補充新證據，增加公司成本及造成產品上市時間延宕。

2

將數位健康臨床證據產出方法 整合至營運模式中

根據PwC的調查結果，15大製藥公司所有運用DHT的臨床試驗中，有超過半數（約52%）是為了取得DHT的臨床證據，包括臨床可用性、效能及療效指標。實務上，慣於藥物研發的臨床研究部門要導入DHT整合至臨床試驗向來是充滿挑戰的，包含組織及流程的破碎化、跨部門的職掌重疊，以及過度設計（overdesigned）的研究等。為了克服上述障礙，PwC建議業者重新建立正確的專業知識、角色定位、公司治理方針及品質管理系統（quality management systems, QMS），經過整合後打造全新的數位健康營運模式。為了將數位健康無縫（seamless）整合進標準流程，業者需進行全面的自我評估，內容包含以下幾點：

- 釐清產品組合與投入數位健康的願景：評估DHT的實踐能為產品組合帶來的價值（詳見建議四）。協調既有的多個整合性臨床證據產出計畫方向（詳見建議一）。
- 評估現行方法：分析公司組織如何去支持DHT產出臨床證據，並找出組織優勢、劣勢及可改善之處。常見問題如不同計畫與不同部門（如市場准入、研究開發、商業管理等相關部門）的不協調（misalignment）。此外，公司亦需將眼界聚焦於未來並提前布局，以達成數位健康相關計畫的規模化。
- 修正與改進：建立一個長期的營運模式，在其中設定關鍵角色、建立專業知識、強化公司治理及導入健全的DHT臨床證據產出與價值創造系統。DHT臨床證據產出需有專責團隊，並應被授權參與藥品與DHT的臨床證據產出計畫的決策，廣納來自不同利害關係人的專業意見，主導整個運作模式。

3

善用遠端資料 以滿足利害關係人的需求

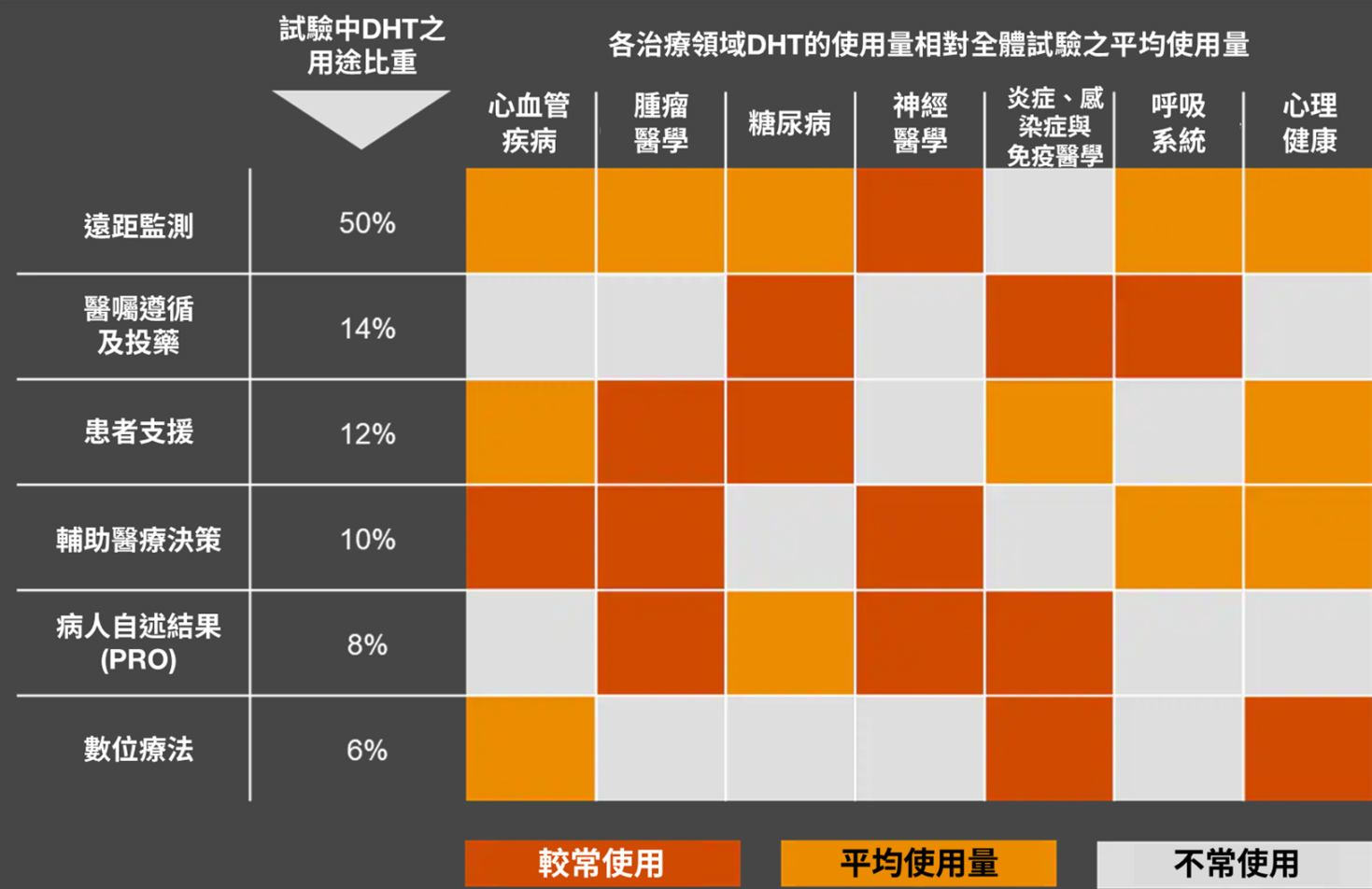
根據PwC對各治療領域臨床試驗採用DHT情形的調查，發現這些DHT以患者遠端監測為主（50%），利用遠端監測技術取得患者日常健康數據以完善試驗資料已漸成趨勢。因此業者需探討如何將這些健康數據與明確的用途進行連結，進而滿足利害關係人的需求，例如輔助醫師、支付者等人的決策，或是於查驗登記送件（regulatory submissions）時使用。這些特定的用途將決定資料所需的品質、類型及數量。一般來說，原始數據需要經過資料轉換並加以分析才能轉化為洞見，進而輔助臨床決策，而轉換過程亦需進行驗證，這些都是建立臨床數據相關策略時需要考慮的因素。

4

掌握各治療領域的數位健康版圖動態 創造綜效打造跨治療領域的產品組合

根據PwC對各治療領域臨床試驗採用DHT情形的調查，可以了解目前各大製藥公司的發展焦點。雖然遠距醫療是目前最常見的DHT使用情境，但了解其他領域的發展也同樣重要，有助於預測未來的市場需求。不同的治療領域帶來不同的機會，為數位健康解決方案提供價值創造的可能性。例如與心血管及神經系統相關的慢性疾病，其症狀較為多變且容易多重發病（multimorbidity），因此可以預期醫師對於數據分析相關工具的需求也會增加，以輔助他們完成較為複雜的診斷與決策。業者應透過上述的評估了解DHT及新藥研發計畫與各治療領域之間是否存在發展機會，了解各治療領域的差異也有助調整產品組合中各項目的研發優先順序。

15大製藥公司在臨床試驗導入DHT之用途及領域分布情形



台灣觀點

DHT具有改變醫療服務提供方式、增進傳統藥物治療效益的龐大潛力，但推動實踐的路途上必將經歷重大變革，業者需重新思考並詳細規畫從臨床證據產出到產品上市的整個流程。美國FDA歷經2年各界討論，終於在2023年接連推出分散式臨床試驗及DHT遠端蒐集臨床試驗數據的監管架構相關指引後，台灣食藥署於同年也迅速跟進公布「藥品臨床試驗執行分散式措施指引」及「數位健康技術應用於藥品臨床試驗執行遠端數據收集指引」，讓新藥研發過程使用DHT蒐集數據的業者可因應明確的要求及標準，帶動生技製藥及智慧醫材產業的發展。近年AI技術逐漸成熟並成熱門話題，PwC也觀察到部分業者將其成功應用至臨床或個人健康管理，因此給付制度及監管架構與時俱進至關重要，期待產官學研醫各自努力發展互相砥礪，讓數位技術在醫療領域大展拳腳造福更多民眾。



Authors



Jonathan Sander

Manager

Commercial Strategy for Pharma and Life Sciences

PwC Switzerland

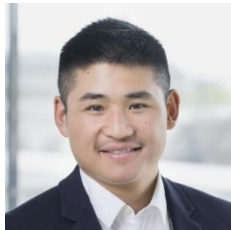


Catijn Schierbeek

Manager

Commercial Strategy for Pharma and Life Sciences

PwC Switzerland



Antoine Nguyen

Senior Consultant

R&D Pharma and Life Sciences

PwC Switzerland

References

1. Day, S. et al. (2022) Assessing the clinical robustness of digital health startups: cross-sectional observational analysis. *Journal of medical Internet research*, 24(6), e37677.
2. Silberman, J. et al. (2023) Rigorous and rapid evidence assessment in digital health with the evidence DEFINED framework. *NPJ Digital Medicine*, 6(1), 101.
3. Mathews, S. C. et al. (2019) Digital health: a path to validation. *NPJ digital medicine*, 2(1), 38.
4. Guo, C. et al. (2020) Challenges for the evaluation of digital health solutions—A call for innovative evidence generation approaches. *NPJ digital medicine*, 3(1), 110.
5. Qualification Opinion for Stride velocity 95th centile as primary endpoint in studies in ambulatory Duchenne Muscular Dystrophy studies. (Accessed: January 24, 2024)

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



林冠宏 Kuan-Hung Lin

資誠創新醫材產業執業會計師

輔導多家創新醫材公司上市櫃；專長為創新科技醫療器材公司之公開發行、市場准入、永續成長策略

kuan-hung.lin@pwc.com



顏裕芳 Yu-Fun Yen

資誠生醫新創產業執業會計師

專精於生醫新創企業股權規劃及財務健檢；輔導多家生技醫療企業公開發行及上市櫃並負責多家新藥開發、CDMO與再生醫療領域企業之簽證服務

yu-fun.yen@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，市場進入策略諮詢

sean.jz.nam@pwc.com

關於本報告

資誠《新藥臨床研發新趨勢：數位健康技術的崛起》How to generate value with evidence-led digital health technologies (<https://bit.ly/3QVcdX7>)，彙整資誠全球聯盟組織（PwC Global Network）對於數位健康技術在臨床研究的發展趨勢見解，並由資誠（PwC Taiwan）進行編譯呈現這篇報告。

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

