



生技製藥市場准入新戰場

早期近用制度如何加速新藥市場准入



資誠

引言

本文彙整 PwC Global 蒐集之各國早期近用計畫（Early Access Program）成功模式，並探討生技製藥產業如何透過早期近用計畫加速市場准入，更進一步提升生技製藥產業與醫療體系的合作，佳惠患者並提升生技製藥產業之永續發展。



背景介紹：全球觀點下的市場准入大趨勢

在 COVID-19 疫情之後，全球的醫療環境正受到各國政府和醫療支付者的影響。他們正在努力在以下方面找到平衡：包含資助專精特定治療領域的創新療法、擴大醫療可近性並解決在公衛有重大影響的疾病。其中，在罕見疾病領域中推動創新療法變得更加有挑戰性，例如針對具耐藥性微生物的抗生素研發。PwC Global 觀察到幾個關鍵趨勢，包括早期近用計畫、提高健康意識、提升患者可負擔性到創新支付制度的推出，將是生技製藥產業的機會。

隨著科學進步，像先進療法醫療產品（ATMPs）等技術正在將醫療從以症狀治療（Therapeutic）為主的模式，轉向治癒（Curative）和預防，這對治療選項和基礎架構產生了重大影響。截至目前，歐洲藥品管理局（EMA）已核准了 19 種細胞和基因療法（CGTs），美國食品藥品監督管理局（FDA）則核准了 36 種，其中 2 種先後於 2024 年核准。



在全球准入環境中，管理准入計畫（Managed Access）顯然正在興起，因為它們在解決未滿足的醫療需求方面發揮關鍵作用，同時促進大眾公平地獲得創新治療。

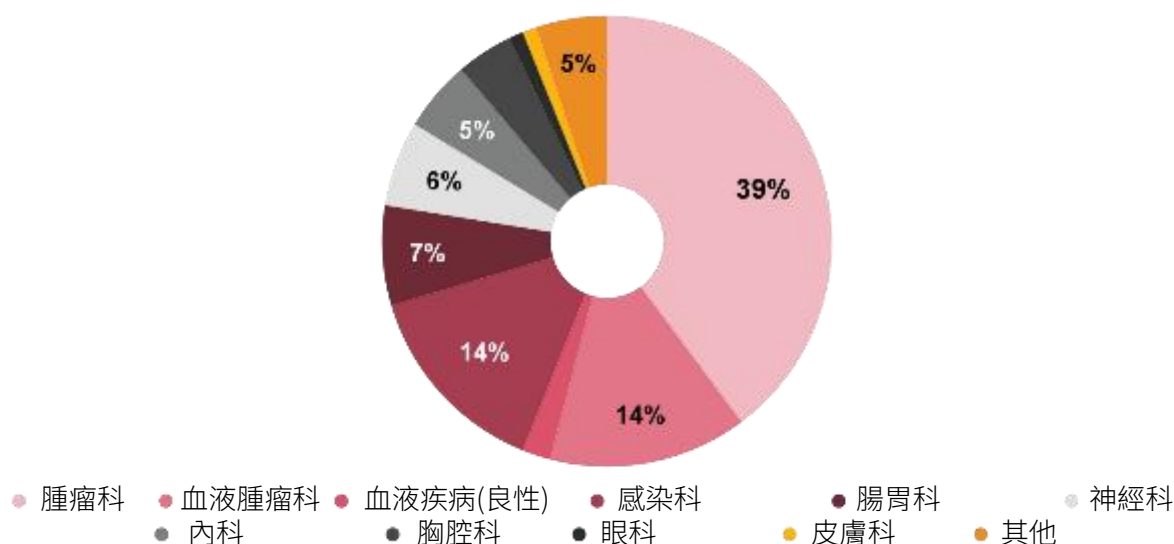
當前管理准入領域的趨勢

在不斷演變的生物製藥行業中，早期近用計畫在藥物開發期間的准入策略中發揮著關鍵作用。這些計畫策略性聚焦解決各種治療領域中高度未滿足的醫療需求，並逐漸被認為是市場准入過程中的關鍵。



管理藥物早期近用（Early Access，EA）領域的論文發表數量年增長率為 15%，這突顯業界對於在臨床試驗之外為患者提供試驗藥物的興趣日益增長（53%的論文與腫瘤學和血液學相關，反映了這些領域中高度未滿足的需求）。然而，擴大使用（Expanded Access）計畫在地理上存在顯著差異，歐洲和美洲佔所有論文的 87.4%，而非洲僅佔 0.6%，這揭示了國際合作和新藥准入普及性方面的迫切問題¹。

早期近用(EA)涵蓋的疾病領域分布



¹ Source: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC10193319/>

關鍵數據

523

創新療法的
數量

+15%

藥物早期近用研究

413

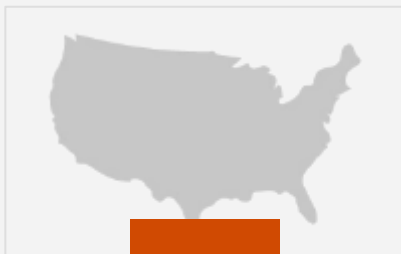
每個早期近用藥物
接觸到病患數

絕大多數早期近用計畫**首先在單一國家**推出，後來才擴展到其他國家。

發布最多早期近用計畫的國家

1

美國



243

2

義大利



183

3

法國



90

在全球範圍內，讓患者能夠及早使用新藥物的策略正變得越來越重要。PwC 研究了從東方（日本、韓國）到西方（加拿大、美國）共 13 個市場的立法情況，發現各國在患者早期和管理性取用機制上存在顯著差異和複雜性。透過揭示早期近用途徑、法律架構和資金管道的多樣性，本文旨在為利害關係人在面對變化不斷的市場准入挑戰時提供參考。



管理准入的定義與存在意義

PwC 將使用「管理准入（Managed Access）」作為一個概括性術語，描述多種獲取藥物的途徑，例如英國的「**早期藥物近用計畫**」（Early Access to Medicines Scheme）、加拿大的「**特殊藥物准入計畫**」（Special Access Programs）、韓國的「**治療性使用**」（Therapeutic Use）和美國的「**擴大使用**」（Expanded Access）。這些途徑對於為有潛力的新藥提供早期使用至關重要，特別是針對患有慢性、嚴重衰弱或危及生命疾病、且醫療需求未被滿足的患者。這些計畫的主要受益者是那些不符合臨床試驗條件、無法從市場取得已核准藥物，或需要在等待保險給付期間過渡的患者（例如，比利時的「**醫療需求計畫**」（Medical Need Programmes）），因此需要進行核准後的管理准入。



除了直接幫助患者，在這個過程中，製藥公司（作為藥物開發者）、醫療專業人員、監管機構、病友團體、專業的受託研究機構（CRO）等，都能獲得許多無形效益。業者透過積極合作，確保這些計畫在為患者提供試驗性藥物的同時，能有效管理患者期望並解決倫理問題。

管理准入計畫的複雜性和多樣性

在管理准入的背景下，使用的術語多樣且可互換，反映了計畫設計、監管環境和地域上的細微差異。我們調查了 13 個市場，發現從立法角度來看，有超過 33 種不同類型的管理准入途徑。在大多數市場中，法律提供兩條明確的途徑：針對單一患者的「**指定患者藥物使用計畫**」（Named Patient Programs, NPP）和針對患者群體的「**恩慈療法計畫**」（Compassionate Use Programs, CUP）。



在一些市場，例如加拿大，我們還觀察到急性和慢性治療之間的區別，而其他市場中，也可觀察到五種不同的准入途徑。



指定患者藥物使用計畫 Named Patient Programmes (NPP) :



又稱為「指定患者供應」 (Named Patient Supply) 或針對單一患者的「恩慈療法」 (Compassionate Use)。常見於歐洲，專注於個別患者的獲取需求。



恩慈療法計畫 Compassionate Use Programmes (CUP) :



在美國稱為「擴大使用計畫」 (Expanded Access Programmes) 。適用於一組患者，類似於 NPP，但針對患者群體。



早期藥物近用計畫 Early Access Programmes (EAP) :



如英國的「潛力創新藥物」 (Promising Innovative Medicines, PIM) 認定。



特殊藥物使用計畫 Special Access Programmes



用於加拿大等司法管轄區，該國有多種藥物准入計畫。



特殊獲取方案 Special Access Schemes:



如澳大利亞，允許在特殊情況下使用未批准的藥物，概念類似 NPP 與 CUP。

實施和管理像指定患者藥物使用計畫 (NPP) 和恩慈療法計畫 (CUP) 這樣的計畫需要了解各種複雜的監管問題、道德兩難和後勤挑戰。這些計畫需要制定符合納入資格的標準、確保研究藥物的可用性，並在保持嚴格數據收集協議的同時與利害關係人溝通。以歐盟為例，恩慈療法計畫 (CUP) 要求明確定義符合資格的患者群體，在遵守當地監管要求的情況下取得研究性治療的核准，以避免干擾正在進行的臨床試驗。

此外，隨著即將獲得上市核准，更加突顯了監管環境的複雜性。透明性、公平獲取和倫理考量依然是指定患者藥物使用計畫 (NPP) 和恩慈療法計畫 (CUP) 的核心，這促使我們反思成本影響、供應短缺期間的資源分配以及公平的患者選擇過程。

有效完成管理准入計畫的整合

我們認為，在企業整合早期管理准入計畫時，重要的是在四個面向間取得平衡，這些面向可以應用於治療領域層級，並逐漸擴大到公衛國家層級。

管理准入計畫必須與公司的策略目標保持一致，強調長期的商業目標、以病人為中心的理念以及倫理道德，同時與正在進行的臨床試驗無縫整合，以最佳化資源利用並保持科學嚴謹性。

了解全球和本地的治療指引並評估未被滿足的醫療需求，對於制定早期近用策略至關重要。駕馭多樣化的法規環境需要遵守法律和倫理要求，以確保法規遵循並促進市場准入。除了治療適應症之外，還需要考慮產品屬性，因為複雜的製造過程和高昂的成本可能會限制產品在臨床試驗之外的可用性。

風險來自：名譽、符合倫理的行銷、法律合規性、組織內部的一致性、安全性與責任考量、計畫可追溯性、潛在濫用可能性，以及供應連續性。

策略
一致性

可行性

風險

可持續性

早期近用計畫的可持續性取決於內部資金籌備、駕馭多樣化的資金管道和定價動態、與患者組織和當地社區建立良好關係、收集臨床上有效的真實世界證據，並與長期的商業目標、定價策略和計畫終止過程保持一致。

策略一致性

企業與治療領域策略：管理准入必須與公司的整體戰略相契合，強調與以下目標的一致性：長期商業上市考量、准入順序（國際參考定價（IRP）、孤兒藥給付）、市場定位、患者倡議和產品生命周期管理等目標的一致性。通過將管理准入計畫整合到公司的策略框架中，組織可以優化資源，利用協同效應，最大化影響力。

以患者為中心和倫理考量：管理准入的核心在於以患者為中心的承諾和倫理考量。計畫必須優先考慮患者需求，確保符合條件的患者都有享有公平的機會、知情同意以及公開分享治療的安全性資訊。將這些原則融入專案設計、治理和執行中，組織將在整個專案生命週期中培養信任、提高患者滿意度並維護道德誠信。



臨床試驗整合：與正在進行的臨床試驗進行整合至關重要，以避免衝突，並確保早期管理近用計畫與隨機對照試驗（Randomised Controlled Trial，RCT）方案的一致性。這種一致性包括涵蓋試驗參數的相容性、排除/納試驗標準和時程，以減少干擾並保持科學嚴謹性。

可行性

治療指引與未被滿足的醫療需求：了解全球和本地的治療指引，確定未被滿足的醫療需求，這對於早期近用管理至關重要。醫生和監管機構會權衡目標患者的利益和風險，因此需要明確患者群體的需求。

法規遵循與資格：在不同國家和地區，需要遵守各自的法律和倫理要求。與監管指南保持一致至關重要，這需要全面了解各地區管理准入核准、藥物進口、臨床試驗協議及退出策略的相關法規。這種一致性確保了法規遵循，同時有助於順利進入市場和持續的營運效率。

產品屬性：除了治療用途之外，還需要考慮所使用的技術，例如先進療法醫療產品（ATMP）和放射配體（radio-ligand）。高製造成本、小批量生產、複雜的醫院照護模式以及個性化的解決方案可能不利於在臨床試驗之外提供。

計畫終止與過渡管理：當藥物成為商業化產品時，通常會停止藥品近用計畫。然而，終止的標準因國家而異，涉及市場授權、商業可用性和給付政策等因素。過渡到可商業性使用需要停止接納新患者，並決定何時讓現有患者停止治療。這一決定受藥物市場授權日期、上市策略以及其在每個國家的供應情況影響。



可持續性

資金管道與定價策略：我們建議準備內部資金池，以確保早期近用計畫能免費提供。在不同市場中，理解多樣化的融資管道和定價動態對於早期管理准入的可持續性，以及過渡到管理商品化上市後給付至關重要。定價策略尤為重要：如果尋求對早期近用計畫收費（這在某些市場是可能的），這一定價可作為未來在其他地區進行給付談判的參考基準，因此需要進行審慎評估，以最佳化長期市場定位和財務的可持續性。

病友組織與治療社群：管理准入計畫的一項重要無形收益是建立社群內的良好關係。因此，在流行病學數據以外，了解當地患者至關重要。病人組織與治療社區：管理訪視計畫的一個基本無形效益是在社區內培養良好的意願。因此，了解流行病學數據之外的區域和當地患者的影響範圍非常重要。



臨床有效性數據：真實世界證據（RWE）是向付款者建立藥物價值主張時的重要依據，因此必須了解在每個市場中哪些數據可以合法收集，以及數據收集的機制。隨著歐洲將於 2025 年實施聯合健康技術評估（Joint HTA），早期有效性數據對於進行人群、干預、比較與結果（Population / Intervention / Comparator / Outcomes , PICO）的模擬可能非常寶貴。

長期商業前景：確保深入了解您的商業意圖、定價策略和給付可能性，同時了解供應承諾。在某些市場啟動早期管理近用計畫，可能需要提交完整的新藥申請（ New Drug Application , NDA）或生物製品許可申請（ Biologics License Application ,BLA），這可能會導致需在市場吸引力較低的區域中進行給付程序的處理。



風險

風險包括聲譽風險、倫理實踐、法律合規性、組織內部的一致性、安全與責任考量、計畫可追溯性、潛在濫用以及供應連續性。

聲譽風險：管理不善的計畫將對特定治療領域的聲譽產生重大影響。我們建議您依據上述考量進行準備，以減少可能的風險暴露。

法律合規性：確保您了解當地監管環境，並確保供應鏈符合優良製造規範（GMP）要求，同時審核當地合作夥伴。此外，隨時準備於當新數據出現時，向利益相關者（如主管機關和醫療保健專業人士）更新資訊。

監測與安全性：在管理近用計畫的背景下，需實施一套全面的藥品安全監控系統，這包括從醫療保健提供者和患者那裡收集並分析不良事件報告，發現潛在的安全問題，並採取措施減輕風險。

計畫濫用：某些市場存在顯著風險，因為藥品可能會流入黑市。因此，嚴格管理供應鏈並確保健全的追溯措施（如流水號）非常重要。

資源規劃：這些計畫需要投入多個利益相關者的時間和精力。定義並分配關鍵部門（如學術、法規和品質保證）之間的具體角色與職責，並實施協議或內部程序指南，以促進跨部門的合作。

臨床試驗與管理近用計畫的供應連續性：在罕見疾病領域的小批量藥物生產中，需預測需求和供應，以降低供應風險，並確保供應連續性。



台灣觀點

精準醫療與再生醫療等創新研發進展快速，台灣發展近 30 年的健保制度正持續革新以因應醫藥品的推陳出新。包括衛福部近兩年來推動成立健康政策與醫療科技評估中心（CHPTA）、開放暫時性支付與平行審查機制。

其中平行審查機制自今年 1 月實施，針對未滿足醫療需求、突破創新、台灣首發及相對療效佳且價格便宜之藥品，提前執行醫療科技評估及藥品專家諮詢會議之審查流程，預估藥品於取得許可證後最快 6 個月內公告生效。

健保署在支付創新療法上，積極嘗試並投入許多創新作法，例如 2023 年取得健保給付、一次藥費 4900 萬治療脊髓肌肉萎縮症（SMA）的基因療法，採用條件式分期付款方式，創下先例。

期待公私協力之下，持續推出創新支付制度，促成患者、醫療體系和產業界共贏的永續發展藍圖。

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

資誠生技醫藥產業執業會計師

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

資誠生技醫藥產業執業會計師

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



劉倩瑜 Chien-Yu Liu

資誠生技醫藥產業執業會計師

專長公開發行及上市櫃之規劃與輔導，為多家生醫公司提供財務、會計、內部控制及內部稽核規劃與諮詢服務

chien-yu.liu@pwc.com



劉士璋 William Liu

資誠生醫服務組協理

專長為全球與台灣生醫政策趨勢分析與產品市場競爭分析，參與並推動多項生醫產業市場准入專案，熟悉生醫產業成長營運與財務管理等各方面議題

william.s.liu@pwc.com



藍浚智 Sean Nam

資誠生醫服務組經理

專長為全球與台灣再生醫療及新興醫療科技技術發展、法規及政策趨勢分析，參與多項產業研究報告與生醫產業市場准入專案

sean.jz.nam@pwc.com

關於本報告

資誠《生技製藥市場准入新戰場》Navigating the complexities of early managed access programmes (<https://www.pwc.be/en/fy25/documents/hi-access-to-care.pdf>)，彙整資誠全球聯盟組織（PwC Global Network）於各國生技製藥產業早期近用計畫的相關分析與見解，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

