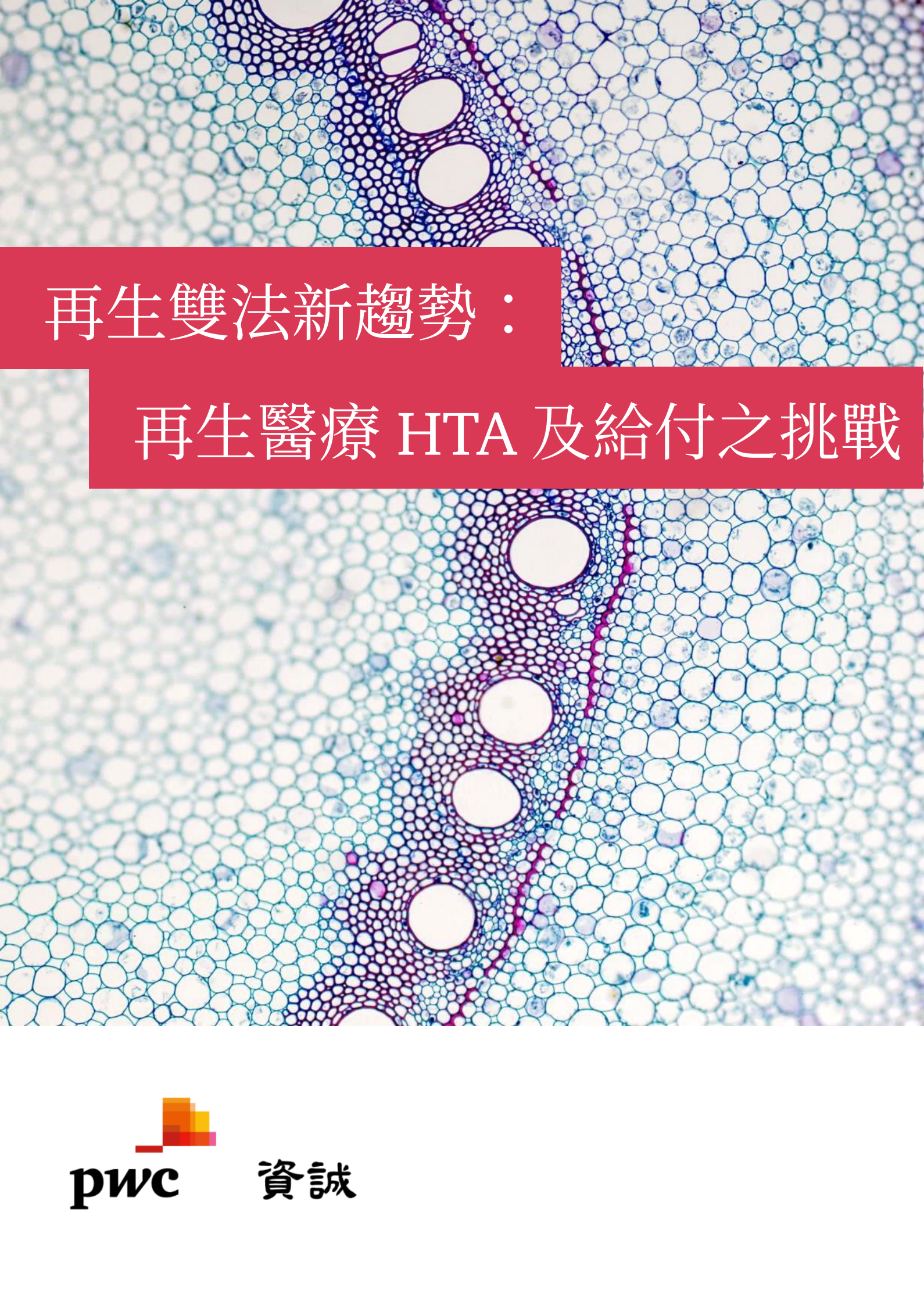




再生雙法新趨勢：

再生醫療 HTA 及給付之挑戰



資誠

前言

根據再生醫療聯盟（Alliance for Regenerative Medicine, ARM）的統計，截至 2022 年歐盟核准上市的 23 個先進醫療產品（Advanced Therapeutic Medicinal Product, ATMP）就有 7 個撤離歐盟市場。¹ 相對的，美國食品藥物管理署（FDA）核准的 31 個產品，僅有 2 個在美國市場落得撤離的命運。² 歐洲國家的主管機關表示，這些產品主係安全性及有效性證據不明確的顧慮而撤出。然而，生技製藥公司則主張歐洲整體生態系仍不夠成熟，難以接納 Strimvelis 及 Glybera 等這類創新細胞與基因治療（Cell and Gene Therapy, CGT）。此外，傳統的醫療科技評估（Health Technology Assessment, HTA）並無考量 CGT 對疾病治療帶來的重大轉變與長遠健康促進效益的潛力，造成創新療法難以爭取到足以維持營運的給付價格。³

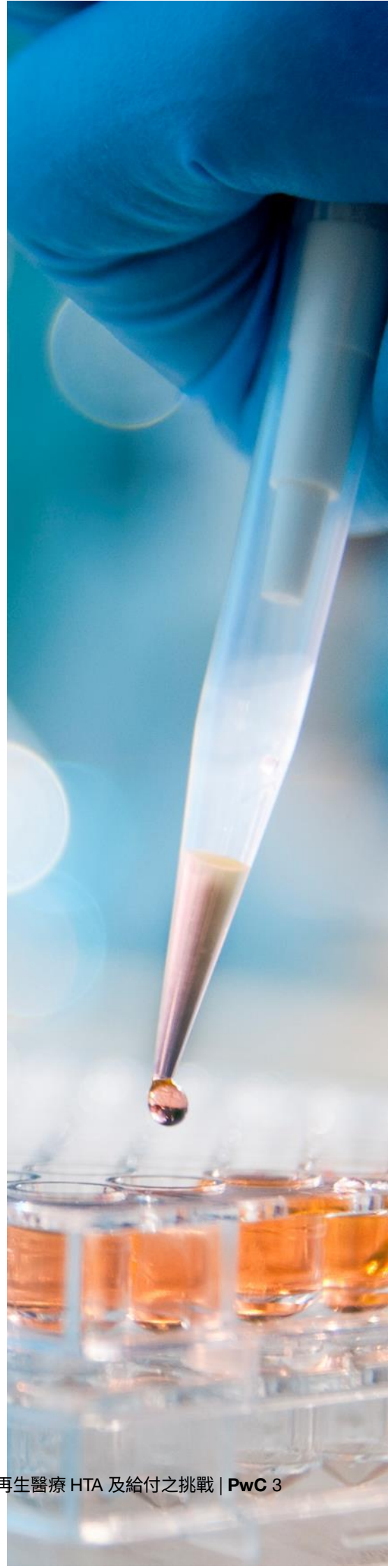
CGT 雖能帶來長期效益，其複雜及個人化的製程與成本導致價格居高不下。⁴ 相對小的目標患者族群在臨床試驗蒐集有效性證據形成障礙，進而影響業者證明療法價值。因此，醫療支付者和生技製藥公司都在尋求創新的訂價與給付機制，以提高患者取得創新療法的可及性，同時也確保醫療體系財務的可持續性。

本文的上半部分將討論 1) 現行的評估方法學如何進行調適，以改善 CGT 的核價流程，及 2) 生技製藥公司該如何去因應現行的 HTA 流程以取得成功。下半部分探討基於價值的支付合約（value-based contracts, VBC），以及供應 CGT 的生技製藥公司在 VBCs 面對的挑戰。

醫療科技評估的現況

歐洲的監管機關是依據傳統的 HTA 來進行給付決定的，經由 HTA 比較不同療法的成本效益，因此是許多歐洲國家，尤其英國的重要准入機制。許多 CGT 是作為高單價且終身只需一次的療法進行銷售，⁵ 但能合理支持售價的臨床療效及改善長期健康的效益證據常常在產品上市時仍顯薄弱，主要是缺乏對照組和患者族群相對小所致。⁶ 因此，HTA 通常會限制 CGT 的訂價空間，以確保可負擔性（affordability），並在建議給付之適應症範圍趨於保守。

HTA 的宗旨是為了謹慎評估創新療法的有效性及效率，它透過臨床評估為醫療人員訂下指引供作參考，同時透過經濟評估來確立療法的成本效益及整體財務衝擊。⁷ 生技製藥公司必須認識歐洲各地使用的不同方法學及評估架構，釐清 CGT 的當前挑戰及未來評估架構的改變方向，以確保自家的 CGT 能及時供應給適用的患者。



建立創新評估架構

大部分 HTA 是根據個別國家訂下的門檻去預估生活品質校正人年（quality-adjusted life year, QALY）的成本。然而，使用 QALY 量化健康效益是有問題的，例如有嚴重身心障礙的患者生活品質（quality of life）基準預設較低，因此任何身心障礙者的治療在計算 QALY 的改善程度就會比無身心障礙的患者更小。同樣的問題也出在年老患者族群，因為他們較短的平均餘命而使 QALY 提升程度較年輕患者來得有限。

許多 HTA 負責單位為了解決上述的醫學倫理爭議而採用了考量疾病嚴重性與罕見度的門檻調整參數（threshold modifiers）。英國的 HTA 主管機關—國家健康暨照護卓越研究院（NICE）近年就導入全新的疾病嚴重性量化調整參數，參考 2019 年國民醫療偏好調查來同時考量 QALY 的絕對損失（absolute shortfall）及損失比例（proportional shortfall）。⁸ 舉例來說，癌症藥物將以相較其他適應症的藥物更高的成本效益門檻來進行審查。

此外，全球的 HTA 組織也開始採取較過往更廣泛及較質性觀點去看待療法的社會成本與效益。PwC 也觀察到多個新的醫療科技評估架構被提出來，如 ISPOR Value Flower 及世界衛生組織（WHO）推薦的 One Health 概念。這些新架構目前大多只在學術界中使用，國家的 HTA 負責單位因受限相關資料品質不足及缺乏處理資料及評估的能力而尚未開始採用。為 HTA 負責單位找到適合的醫療科技評估方法將有利 CGT 擺脫現行成本效益分析方法認定產品售價過高的困境。許多的 CGT 目前沒有通過 HTA，原因就是現行的評估架構過於重視經濟面向考量，卻無法評量療法除 QALY 以外能為患者個人及社會帶來的重大改變之價值。

用更宏觀的角度看待醫療價值

許多開發中的阿茲海默症和阿茲海默症相關失智（ADRD）的療法是 CGT，即便療法能改善病情並為患者的健康與人生帶來重大轉變，以目前歐洲依賴 QALY 成本去評估效益的架構下是無法合理量化療法為醫療體系及廣大社會帶來的益處，如經濟生產力及公平性等社會性的考量。例如，照顧責任及疾病相關的自費開銷常常以更高的比例影響到女性或社會經濟地位較低的家庭，因而加劇財富分配不均問題。實際上，阿茲海默症相關失智的藥物價值除了能提高患者 QALY 外，對社會整體也有大規模影響。

解放療法真實價值

近年曾與歐洲 HTA 單位難分難解的知名案例就屬美國的 Bluebird Bio，該公司專長是嚴重遺傳疾病及癌症的基因療法，其中 Zynteglo 及 Skysona 兩項療法在價值認定上與歐洲 HTA 單位無法達成共識而在 2021 年撤離歐洲市場。⁹

Bluebird Bio 的 Zynteglo 向德國支付者爭取合理訂價協商失敗，原因是德國 HTA 採用相對成本很低的患者終身輸血作為對照組。¹⁰ 同個產品在荷蘭亦面對類似挑戰，QALY 成本已超出國家設定的給付基準達 35%，因此面臨荷蘭 HTA 負責單位 ZIN 的砍價壓力。¹¹ ZIN 還因此針對 Zynteglo 提出基於真實世界證據的給付機制。¹² Bluebird Bio 在申請准入當時無法確切的展現療法價值進而影響藥價協商的空間，導致該公司毅然退出歐洲將重心擺在美國市場。

我們當然也可從成功准入的案例吸取經驗，如 2017 年取得美國 FDA 核准首個細胞基因療法—諾華的 Kymriah。¹³ 諾華作為此領域先驅，因應成本效益需求採用創新的訂價機制，以舒緩高達 32 萬歐元的訂價對公共衛生體系造成的財務負擔。諾華透過提供藥價償還金額來減少 QALY 的對應價格以符合 HTA 設定門檻。另外，近期上市的一些 CGT 也利用了療效計價的給付流程，以利通過 HTA。¹⁴ 許多國家如義大利則協商基於療效進行階段性支付，但是療效計價流程需要使用高水準的真實世界證據（RWE）蒐集系統，才能確保 HTA 單位可持續的檢視數據。生技製藥公司必須理解各國 HTA 的角色和其監管法規環境依據個別國家政策而訂，因此呈現非常不一致且持續變動的狀態。因此，生技製藥公司能找到因應環境變化及發掘優質市場的方法，同時跟上產業未來發展步調是很重要的。生技製藥公司還必須運用創新的支付模式及以療效計價的支付合約搭配強大的上市後 RWE 分析，並確保公司具備相應的流程與執行能力。

細胞及基因療法 HTA 趨勢



調和國際標準

歐盟執委會啟動了一項倡議來調和 (harmonize) 歐洲各市場的臨床 HTA 流程，目標是推出 ATMP 的聯合臨床評估 (joint clinical assessment, JCA)，計劃在 2025 年涵蓋 CGT 及癌症藥物，再陸續於 2028 年納入孤兒藥及 2030 年納入其他醫療產品。EUnetHTA 目前正在開發這些規劃的流程，這也是透過公開議論影響未來指引內容的良好時機。一個經調和的 HTA 流程能夠如何改善缺乏經費的東歐地區的醫療可及性仍有待觀察。此外，個別國家仍有權要求完成 JCA 之後補充臨床分析以滿足各國本地流程，因此業者仍有必要熟悉當地的法規要求。¹⁵ 善用各個 HTA 單位產生加乘綜效的策略將是生技製藥公司未來長遠的關鍵成功因素。



強化生命週期管理

HTA 單位正在設法擴大服務量能來涵蓋醫療技術的生命週期各階段，從早期研發投資階段到產品失去市場獨佔性的晚期階段。許多 HTA 單位已經建置醫療科技評估前與評估後的工作流程，例如早期的科學諮詢、藥品給付協議 (MEA) 及系統性再評估等。¹⁶ 上述的這些工作流程雖完成規劃已有一段時間，直到最近才陸續上路。生技製藥公司的主導角色將有助解決預算有限及資料生成蒐集能力不足等問題。



善用真實世界證據

推動數位化可帶來多個生成準確且成本效益高的 RWE 的契機，但是生技製藥公司在這方面的發展仍出於早期有待加強。技術問題挑戰（如臨床試驗前置作業、統計數據評估及干擾因子的管理）及缺乏專業人才都使業者更不容易跟上這個領域的科技進展。然而，Yescarta 細胞治療完成臨床二期後善用 RWE 成功申請藥證的例子證明 RWE 是確實能夠加速臨床研發及取證上市時程的。成功的 RWE 策略會依據特定市場和產品的條件，透過以療效計價的方式滿足患者及經濟面的需求。



重新定義價值

展現 CGT 比傳統治療具有更廣泛的價值對生技製藥公司而言是很大的挑戰。ISPOR 及 WHO 從學術研究建立新的價值評估架構逐漸受到重視，但在實務執行上仍有待加強。這些挑戰也造就機會讓生技製藥公司去主動提出各種 HTA 標準化及價值量化的方式。此外，生技製藥公司應當熟悉各個 HTA 負責單位的對資料的要求，再謹慎規劃數據蒐集和監測工作，可涵蓋早期臨床試驗到上市後監測，對產品採取完整的生命週期管理。

細胞與基因療法如何推動醫療典範轉移

本文前半部探討了 ATMP 在歐洲各地面對 HTA 傳統架構方法帶來的挑戰及對訂價協商的影響。接下來將繼續探討 ATMP 因應財務衝擊及療法價值採用的創新給付機制及基於價值的給付合約（VBC）現況。

首先，我們參考最早核可上市的一款 CAR-T 細胞療法—諾華公司的 Kymriah，這款產品在 2018 年獲 EMA 核可上市，當時完成的三期臨床試驗數據因為收案數少及缺乏標準治療對照組，導致爭取給付時力量不足。諾華還必須提供額外及補充證據來向各國 HTA 單位展現療法的有效性。諾華在歐洲獲得上市許可的一年時間內，依據每個國家狀況採取相應的協商策略成功獲得給付。（見圖一）^{17,18}

圖一、各國給付諾華 Kymriah 的各類型創新機制。



HTA= Health Technology Assessment，醫療科技評估

CED = Coverage with Evidence Development，這是一種給付範圍及訂價會隨藥品上市後的臨床證據變動的給付合約。

諾華公司在德國與支付者達成採用依療效收費的協議（pay-for-performance agreement），將其有條件上市許可綁定後續療法產生的臨床證據，成了德國首例依療效結果為基礎之協議。¹⁹ 法國及英國也簽署了相同的協議合約，但在義大利則改用階段性給付機制，於療法開始後 6 個月及 12 個月兩個時間達成預定臨床結果目標才會依序給付費用。²⁰ 其實早在 2015 年，義大利就採用了相對進步的方式來因應 VBC，當時的義大利國家衛生主管機關 AIFA 已建置線上的登記系統（由生技製藥公司出資，醫療體系進行管理）來蒐集和監測真實世界證據。²¹

Kymriah 利用 VBC 協商取得 CGT 的給付是值得參考的先驅，支付者逐漸關注 VBC 且實務經驗不斷累積下，為生技製藥公司打開了全新的市場准入管道，但也必須謹慎應對其帶來的新風險。

VBC 的應用實例

數十年來，生技製藥公司與支付者之間進行採用的是以（藥）量計價的協議，較不考量患者對治療的個體差異及有高度醫療需求的部分族群，醫療體系的支出成本因而相對穩定。約十年前，生物藥和免疫治療的出現開始推動藥品訂價及給付策略的典範轉移，創新療法如 CGT 更是加快了轉變，昂貴的前期花費再加上較小的患者族群缺少長期療效證據，為醫療體系帶來相當高的財務風險。

為了減少這些不確定性及滿足各個利害關係人的期待，VBC 成為准入協商的創新工具。這與過去傳統以量計價的協議不同的是，醫療體系給付成本的計算是依據真實世界中特定治療提供患者的價值去計算，容許不同患者有不同的給付金額，彰顯每位患者個體的價值。大部分 VBC 屬基於財務或基於療效的兩種設計，以降低藥物經濟或臨床的不確定性。由於療效成果會直接連動訂價及給付，支付者更能接受新產品並依據事前設定的療效目標去給付有達標的患者。

歐美採用基於財務或基於療效的給付協議在近年大幅增加²²，主因是需要降低創新療法帶來的財務衝擊（尤其在癌症及罕見疾病治療領域）。生技製藥產業較從前更重視以價值為中心的醫療照護，但支付者對於選擇基於療效的給付協議仍有所保留，較傾向採用基於財務的協議。根據調查，歐洲目前有將近 80% 的風險分攤協議屬於基於財務的協議。²³ 協議中以預設目標去詮釋有效性的困難、精準量測及蒐集療效資料的技術障礙及這類協議相關行政工作負擔等，都是讓支付者對基於療效的給付協議裹足不前的原因。²⁴

推動 VBC 的主要風險考量

基於價值的給付合約，尤其是基於療效的協議，在協商、監測和報告上是很複雜的。相關風險大致上可分成三大類：

1. 合法性與法規遵循

生技製藥公司透過 VBC 將直接參與臨床資料的蒐集、儲存及分析，增加了與各利害關係人的互動共事流程中不合規的風險。舉例來說，在取得和管理 VBC 相關的患者資料時，公司會被要求背負相應責任，進而讓取得患者同意和確保資料安全等相關工作量增加。公司業務及法遵部門需要制定清楚的責任歸屬並強化管理，醫療事務主管則須在治療流程上做適當的決策。此外，公司也必須時時關注與第三方合作時可能產生的額外責任及風險。

2. 財務風險

當各方利害關係人在協議的特別條款和療效指標都達成共識後，後續就必須協商支付條件。從過去單筆預先收費及偶發的藥價折扣轉變為（以療效計算）分期付款，為支付者及生技製藥公司帶來全新的風險。對生技製藥公司來說，有條件付費不但為營業收入帶來不確定性²⁵，也與傳統 12 個月的公司財務週期²⁶及會計方法有所衝突。每筆治療收費都需花數年時間追蹤，不但提高現金流量的預測難度，公司還必須考量潛在的額外行政成本。²⁷此外，目前大部分 VBC 都有預先設定的付費時程（以美國來說大約在 2-3 年內），但已開始有人提議付費時程應改以患者終生為本，這是考量 CGT 療法可能會造成對患者影響重大的事件（包括治癒的正面影響），隨著付費時程拉長財務風險也會隨之增加。²⁸採用時程可能非常長的協議不但需要考量公司在處理財政及應計項目的複雜性，還有因應產品失去市場獨佔性時的虧損風險。

3. 營運風險

許多生技製藥公司表示，VBC 帶來的最大挑戰是營運風險。這些公司的產品在不同的市場上市時，需面對各地不同的 IT 基礎建設及資安法規。²⁹ 許多公司仍需改善長期蒐集資料的品質、資料所有權歸屬不明且分散及不同來源資料的互操作性（interoperability）問題。因此，建立國家級病患登記是蒐集患者資料作療效持續追蹤的必要投資。登記資料庫由衛生主管機關運作，其支出花費將由生技製藥公司承擔，因而增加公司財務及行政負擔。³⁰ 當療法適應症是較罕見且疾病進程複雜的時候，其營運挑戰將很大程度的阻礙 VBC 的實踐：舉例來說，基因治療公司 bluebird bio 在近期宣布其第二個上市的基因療法 Skysona 將不採用基於療效的給付機制，原因是這種協議在複雜的適應症及有限的患者族群適用條件下對公司及支付者來說皆窒礙難行。³¹



VBC 未來展望

雖然業者導入 VBC 仍需克服不少障礙，最近的資料顯示越來越多生技製藥公司開始採用這種支付機制。³² 同時，支付者也在如何實施基於療效的給付協議上逐漸累積經驗，加上財務壓力促使醫療體系持續投入發展以價值為中心的方案。舉例來說，賽諾菲和輝瑞兩家藥廠都在美國為各自的新藥 Cablivi 及 Xalkori 推出創新的保固機制，委由第三方去進行藥物監測和療效評估，以減少 VBC 帶給支付者及藥廠的行政工作負擔。^{32,33}

此外，利害關係人對 VBC 的意願提高和生技製藥產業的科技進展促使產業加快導入 VBC 及增加可行性。數位化的醫療體系可蒐集大量的真實世界數據，再連結到患者的電子病歷，人工智慧將資料結構化並分析這些醫療資訊，以協助執行藥物療效監測，滿足基於療效的支付協議的需求。³⁴



在許多重大科學創新陸續面世之際，支付者與生技製藥公司更應把握良機採用創新的支付協議，PwC 針對如何成功導入 VBC 整理出四大行動要點：



定位療法價值

生技製藥公司應在早期研發階段就已確實規劃產品價值策略，例如 RWE 生成計畫專門蒐集可向各方利害關係人舉證療效與效益的臨床數據。及早完成價值定位將有助一項產品的價值（與價格）最大化，也提高 VBC 的協商成功機率。



了解支付者類型

不同類型 VBC 的可行性會依據市場各方利害關係人的意願及經驗而定。生技製藥公司需要掌握不同國家及不同市場條件的差異，尤其在有多個支付者的市場要與各保險公司及當地支付者訂立支付協議，帶來營運上的挑戰。從既有成功案例複製實務經驗將可協助公司節省時間及克服營運挑戰。



確保資料品質

不同市場和治療領域臨床資料的取得方式會因各地法規要求而異，生技製藥公司即使握有結構化及非結構化資料來源，其中資料品質及透明化程度仍取決於當地醫院的基礎建設完備程度。因此，生技製藥公司應開發整合的 RWE 策略，以確保從醫療體系持續取得完整患者歷程資料。



建立新的能力

生技醫療公司首先應確保是否可及時察覺公司各部門間的能力落後狀況，發現落差存在後就可開始透過經營新的利害關係人，讓醫療事務主管深入參與商業實務，同時在公司不同業務部門建立卓越中心（Center of Excellence, CoE）等方式進行改善。研究市場標竿案例可為公司後續如何進一步提升 VBC 相關能力提供明確方向。

台灣觀察

台灣的細胞療法產業從早期的細胞儲存走到近年，包含基因療法與再生醫療皆歷經科技不斷進展及法規逐漸開放，已見顯著成長規模並帶動相關 CDMO 及策略合作逐漸成形。另一方面，再生醫療產品取證進入台灣市場數量相對少（諾華 Kymriah 及 Zolgensma），HTA 及創新給付機制經驗亦不若歐美豐富，本文透過探討部分歐美 HTA 現況及趨勢重點，供讀者參考。

各類型細胞與基因療法在未來會持續發展應用到更多不同之適應症，健保收載的相關項目預計將隨之增加，帶來健保財務上的壓力，也推升台灣在 HTA、真實世界證據及創新給付機制的需求。今年（2024 年）正式運作的「健康政策與醫療科技評估中心(Center for Health Policy and Technology Assessment, CHPTA)」專責辦公室，目的在於培養出國際水準的 HTA 人才及專業能力，讓創新醫療科技能及早進入台灣造福患者與創造價值。台灣 HTA 及給付機制的進步將帶動國內相關生技醫療產業之發展，讓國內部分具潛力之創新療法得以展現價值，能早日獲得給付與臨床採用實現投資報酬，後續發展值得期待。

Reference

1. ARM, “Regenerative Medicine: The Pipeline Momentum Builds”, 2022, <https://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/09/ARM-H1-2022-R12.pdf>
2. Citeline Clinical Intelligence, <https://citeline.informa.com/drugs/results?qld=700f4d13-09fa-4fd4-b508-29f714ba69bb>
3. G. F. Pierce et al, “Past, present and future of haemophilia gene therapy: From vectors and transgenes to known and unknown outcomes”, 21 May 2018, Haemophilia, <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/full/10.1111/hae.13489>
4. De Luca et al, “Cost and availability of novel cell and gene therapies: Can we avoid a catastrophic second valley of death?”, 2023, EMBO reports, <https://www.embopress.org/doi/full/10.15252/embr.202256661>
5. A. Angelis et al, “Recalibrating Health Technology Assessment Methods for Cell and Gene Therapies”, 22 September 2020, PharmacoEconomics, <https://link.springer.com/article/10.1007/s40273-020-00956-w>
6. M. Pochopień et al, “An overview of health technology assessments of gene therapies with the focus on cost-effectiveness models”, 2021, Journal of Market Access & Health Policy, <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC8592603/>
7. M. Büssgen et al, “Does health technology assessment compromise access to pharmaceuticals?”, 2023, The European Journal of Health Economics, <https://link.springer.com/article/10.1007/s10198-022-01484-4>
8. <https://www.ohe.org/news/nice%E2%80%99s-severity-modifier-step-right-direction-still-long-way-go>
9. bluebird bio, “bluebird bio Reports Second Quarter Financial Results and Provides Operational Update”, 9 August 2021, BUSINESS WIRE, <https://www.businesswire.com/news/home/20210809005334/en/bluebird-bio-Reports-Second-Quarter-Financial-Results-and-Provides-Operational-Update>
10. <https://scrip.pharmaintelligence.informa.com/SC144381/Lessons-From-Bluebird-Bio-How-To-Launch-Advanced-Therapies-in-Germany>
11. F. Bruce, “Lessons From Bluebird Bio: How To Launch Advanced Therapies in Germany”, 19 May 2021, SCRIP, <https://scrip.pharmaintelligence.informa.com/SC144381/Lessons-From-Bluebird-Bio-How-To-Launch-Advanced-Therapies-in-Germany>
12. ZIN, “Pakketadvies sluisgeneesmiddel betibeglogene autotemcel (Zynteglo®) voor de behandeling van een vorm van erfelijke bloedarmoede”, 2021, <https://www.zorginstituutnederland.nl/publicaties/adviezen/2021/07/21/pakketadvies-sluisgeneesmiddel-betibeglogene-autotemcel-zynteglo>
13. F. Bruce, “Dutch HTA Body Hits Out At Bluebird’s Zynteglo Pricing”, 29 Jul 2021, PINK SHEET, <https://pink.pharmaintelligence.informa.com/PS144717/Dutch-HTA-Body-Hits-Out-At-Bluebirds-Zynteglo-Pricing>
14. Penn Medicine, “Penn Medicine Developed CAR T Cell Therapy Wins Third FDA Approval”, 28 May 2022, <https://www.pennmedicine.org/news/news-releases/2022/may/penn-medicine-developed-car-t-cell-therapy-wins-third-fda-approval>
15. J. Jørgensen et al, “Outcomes-based reimbursement for gene therapies in practice: the experience of recently launched CAR-T cell therapies in major European countries”, 2020, Journal of Market Access & Health Policy, <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC7006635/>
16. F. Giorgio, “New HTA Regulation: key elements and next steps”, 2021, CAT Industry Interested Parties Meeting, https://www.ema.europa.eu/en/documents/presentation/new-hta-regulation-key-elements-next-steps-flora-giorgio_en.pdf
17. B. O’Rourke et al, “Announcing the New Definition of Health Technology Assessment”, 2020, Value in Health, [https://www.valueinhealthjournal.com/article/S1098-3015\(20\)32060-X/fulltext](https://www.valueinhealthjournal.com/article/S1098-3015(20)32060-X/fulltext)
18. <https://pharmaintelligence.informa.com/resources/product-content/competitive-strategies-critical-as-ema-decides-on-kymriah-and-yescartae-content-insights-page>
19. <https://www.biospace.com/article/novartis-car-t-reimbursement-strategy-finds-sweet-spot-between-value-and-price/>
20. <https://remapconsulting.com/gene-therapy-atmps/access-outcomes-novel-approaches/#:~:text=The%20launch%20of%20Kymriah%20in,an%20agreed%20time%20frame4>
21. <https://www.tandfonline.com/doi/pdf/10.1080/20016689.2020.1715536?needAccess=true&role=button>
22. <https://www.frontiersin.org/articles/10.3389/fphar.2021.699466/full>

23. <https://www.oecd-ilibrary.org/docserver/6e5e4c0f-en.pdf?expires=1679517984&id=id&accname=guest&checksum=8309DD2E8CC502DC83B560F0CAEC4CB1>
24. [https://www.pharmaceutical-technology.com/pricing-and-market-access/risk-sharing-agreements/#:~:text=Risk%2Dsharing%20agreements%20grow%20at%20a%20rate%20of%2024%25&text=N](https://www.pharmaceutical-technology.com/pricing-and-market-access/risk-sharing-agreements/#:~:text=Risk%2Dsharing%20agreements%20grow%20at%20a%20rate%20of%2024%25&text=Notably%2C%202022%20saw%20the%20greatest,approved%20and%20priced%20at%20%24475%2C000)
[otably%2C%202022%20saw%20the%20greatest,approved%20and%20priced%20at%20%24475%2C000](https://www.pharmaceutical-technology.com/pricing-and-market-access/risk-sharing-agreements/#:~:text=Risk%2Dsharing%20agreements%20grow%20at%20a%20rate%20of%2024%25&text=N)
[Q.](https://www.pharmaceutical-technology.com/pricing-and-market-access/risk-sharing-agreements/#:~:text=Risk%2Dsharing%20agreements%20grow%20at%20a%20rate%20of%2024%25&text=N)
25. https://www.statnews.com/wp-content/uploads/2017/03/PhRMA_ValueBased_MemberService_R23.pdf
26. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC8567951/>
27. <https://www.tandfonline.com/doi/full/10.1080/20016689.2019.1573164>
28. <https://alliancerm.org/wp-content/uploads/2018/05/JMCMArm.pdf>
29. <https://www.frontiersin.org/articles/10.3389/fphar.2020.594446/full>
30. <https://www.cellandgene.com/doc/the-promise-of-outcomes-based-agreements-for-cell-gene-therapies-0001>
31. <https://www.cellandgene.com/doc/the-promise-of-outcomes-based-agreements-for-cell-gene-therapies-0001>
32. <https://www.fiercepharma.com/pharma/3m-gene-therapy-bluebird-breaks-own-record-fda-approval-skysona>
33. <https://www.drugchannels.net/2022/05/its-time-to-put-innovative-contracts.html>
34. <https://www.pharmaceutical-technology.com/news/sanofi-offers-refunds-for-cablivi-in-novel-model-for-rebates/#catfish>
35. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/36401303/>

Authors

Alexander Dietrich

Manager, Advisory Health Industries, PwC Switzerland

Sabrina Alessandra Lehmann

Consultant, Advisory Health Industries, PwC Switzerland

Markus Suter

Consultant, Advisory Health Industries, PwC Switzerland

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

資誠生技新藥、製藥與 CDMO 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

資誠生技新藥、製藥與 CDMO 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

資誠生技新藥、製藥與 CDMO 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



劉士瑋 William Liu

資誠生醫服務組副總經理

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《再生雙法新趨勢：再生醫療HTA及給付之挑戰》Cell and gene therapies Navigating today's HTA challenges and opportunities in Europe (<https://bit.ly/3OJIPmx>)，彙整資誠全球聯盟組織（PwC Global Network）對於歐洲細胞及基因治療的市場准入及給付趨勢見解，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

