

115年4月藥品共同擬訂會議 病友意見會前會

醫藥科技評估組
115年4月13日



病友意見案件簡介及討論

- Ultomiris® (ravulizumab，優力適輸注液)：
全身型重症肌無力(gMG)

【1】疾病及治療 (I)

- 重症肌無力(myasthenia gravis, MG)：
 - 為一種自體免疫神經肌肉疾病，主要由乙醯膽鹼受體(acetylcholine receptor, AChR)抗體所引起，會導致眼部、延髓和四肢肌肉波動性無力。15%病人可能會發生肌無力危象(myasthenic crisis)，是一種以呼吸衰竭為特徵的神經急症。
 - 大多數病人初期會先出現眼肌無力；約20%病人會出現上眼瞼下垂及/或複視的眼肌型重症肌無力，其餘病人則會發生**全身型重症肌無力(generalized myasthenia gravis, gMG)**。
 - 發生率為每百萬人每年5至30例，盛行率為每十萬人10至20例。gMG最常見的共病症為高血壓、糖尿病和惡性腫瘤。

【1】疾病及治療 (II)

- 重症肌無力(myasthenia gravis, MG)：

2023年德國重症肌無力指引

- 症狀治療應使用**乙醯膽鹼抑制劑**(acetylcholinesterase inhibitors, AChEIs)，主要是pyridostigmine(美定隆錠，Mestinon®)。
- 口服糖皮質類固醇**(glucocorticoids)為基本的免疫治療藥物，且在考量共病症、禁忌症和副作用，並於最短時間內以適合疾病嚴重程度的劑量用於MG病人。
- 對AChR抗體陽性、LRP4抗體陽性及血清學陰性的**輕/中疾病活動度gMG**者，**口服糖皮質類固醇及/或azathioprine**(移護寧，Imuran®)(**+/-胸腺切除術**)為除了症狀療法以外的首選治療選擇。
- 對於**高疾病活動度的症狀療法**，包括難治型的AChR陽性MG病人，應使用**補體抑制劑**(如eculizumab [Soliris®，舒立瑞]或**ravulizumab** [Ultomiris®，優力適])，或**新生兒Fc受體(neonatal Fc receptor, FcRn)調節劑**(如efgartigimod [Vyvgart®])，並考慮是否合併**胸腺切除術**。

【2】藥品臨床地位

- **Ravulizumab (優力適)主管機關核准適應症：**

- 全身型重症肌無力

作為標準治療的附加治療，用於治療抗乙醯膽鹼受體(AChR)抗體陽性之全身型重症肌無力(gMG)成年病人。

- **Ravulizumab (優力適)使用方式：**

- 體重為40公斤以上的gMG成年病人，建議靜脈輸注Ultomiris起始劑量和維持劑量依據病人體重而定，投與起始劑量2週後，開始以8週間隔給予維持劑量。

- **目前健保已給付與Ravulizumab (優力適)具有相近治療地位之藥品：**

- Pyridostigmine(美定隆錠，Mestinon®)

【3】相對療效

多國多中心、安慰劑對照、第III期、雙盲隨機對照試驗及開放性延伸試驗：
CHAMPION-MG試驗(NCT03920293)

- 受試者：AChR抗體陽性之18歲以上病人。
- 試驗設計：以1:1比例隨機分派至ravulizumab (Ultomiris[®]，優力適[®])組和安慰劑組，接受為期26週治療後，兩組皆給予ravulizumab (Ultomiris[®])並進入開放性延伸追蹤。
- 主要療效指標：第26週時，ravulizumab相較安慰劑，在MG-ADL總分或QMG總分皆較基期有統計顯著改善，且ravulizumab持續治療至第164週時，效果亦可持續。

評估指標	Ravulizumab (n=86)	安慰劑 (n=89)	2組差值(95%CI)
重症肌無力日常活動度(MG-ADL)總分較基期的改變量	-3.1	-1.4	-1.6 (-2.6至-0.7)
重症肌無力定量量表(QMG)總分較基期的改變量	-2.8	-0.8	-2.0 (-3.2至-0.8)

- 安全性：
 - 幾乎所有受試者(96.4%)皆經歷至少一件不良事件，嚴重度多為輕/中度，最常見的不良事件為COVID-19、頭痛、腹瀉。
 - 長期接受ravulizumab治療，無發生新的安全性資訊。

【4】病友意見整理 (I)

- 截至2025年2月7日止，共收集到4筆資料，皆為病友本人所填寫。
- **本品使用經驗：**
 - 3位有本品使用經驗。整體來說，兩位病友認為相較於口服藥物症狀有明顯改善；1位病友則認為無改善。
 - 個案1：已使用本品18個月。過去使用口服藥物曾出現掉髮嚴重，而使用本品後無副作用，也無掉髮情形。本品注射一個療程需分次靜脈注射三劑，時間約2個多小時。個案表示**施打第一劑本品後一週，明顯感受到肌力恢復，可執行日常事務**，如飲食、自我照顧、行動能力、幫忙家事、輕度運動、假日出遊等，且情緒穩定、睡眠正常；工作亦穩定，較不需請病假。
 - 個案2：曾使用類固醇和大力丸(美定隆錠，pyridostigmine bromide，Mestinon®)，效果有限，無明顯改善肌無力。使用本品第2年時，認為最為改善的是**行動能力，從無法久站和蹲下後起立，變為平均每月步行6000步，可自行搭乘公車，且無副作用**。
 - 個案3：未說明本品的使用時間，但認為未改善。

【4】病友意見整理 (II)

● 醫療現況：

- 1位無本品使用經驗的病友使用過的治療包含美定隆錠(pyridostigmine，Mestinon®)、類固醇、普樂可復(tacrolimus，Prograf®)和移護寧(azathioprine，Imuran®)。目前使用美定隆錠、類固醇、普樂可復，和參加生物製劑的臨床試驗。整體來說，病友表示目前免疫抑制劑、類固醇、美定隆錠等藥物療效不佳，且類固醇造成身體發胖，移護寧造成免疫力差和掉髮。
- 1名病友2年後接受內視鏡手術移除增生胸腺，病況逐漸穩定，且目前已參加生物製劑的臨床試驗約1年半左右，日常行動逐漸自如，可應付生活所需，外出基本無影響，但有出現施打部位紅腫癢情形。

● 生活品質：

- **自我照顧**：生活可自理，無力時會稍作休息，但有時需請家人幫忙洗頭、吹頭髮和剪指甲，但較無法協助家事；亦有病友反應無法站立洗澡，且無法舉起蓬蓬頭超過頭部。

【4】病友意見整理 (III)

● 生活品質(續)：

- **行動**：無法久站或行走太久，每走一小段路需休息，上下樓梯緩慢，無法蹲下起身或較為吃力，上公車需緊抓扶手將自己拉上階梯，下階梯需一階一階下，且因手指抓不住、手臂無力，拿不住雨傘，也無法提重物。病友易疲累，外出時需考慮身體狀況和交通工具。
- **飲食**：因口腔舌頭或喉嚨無力，咀嚼緩慢、吞嚥費力，進食需耗費很長時間。有病友表示用餐時間需花費至少1小時；因嘴唇無法自行緊閉，每吃一口皆須用手協助將嘴唇闔上；且無法咬動較硬的食物(如肉類)，熱、辣、甜的食物也容易使口腔無力或生痰。另外，需小口緩慢喝水，大口喝水易嗆到。
- **社交參與**：長時間說話會大舌頭、聲音變小，因此不想參與額外聚會。
- **情緒管理**：情緒低落，較無耐心。
- **工作**：因疾病需不時請假或安排住院洗血，有病友因呼吸無力且喘而急診而影響工作，前後也因此更換數份工作。

【4】病友意見整理 (IV)

- 對新治療的期待：

- 病友希望肌肉和生活狀態能恢復成與常人無異，**改善日常行動能力**，可隨意外出逛街、運動、出國，不需擔心肌無力情形；及**改善免疫力低下**情況，不用每次到人多的地方都需配戴口罩。

【5】病友意見討論



- **新藥**：Ultomiris[®](優力適輸注液[®]，ravulizumab)
- **疾病**：抗乙醯膽鹼受體(AChR)抗體陽性之全身型重症肌無力(gMG)
- **討論方向**：針對「新藥及新醫材病人意見分享」平台蒐集的病友意見進行討論

病友意見案件簡介及討論

■ Evrysdi® (risdiplam，服脊立)：

脊髓性肌肉萎縮症(SMA)

【1】疾病及治療 (I)

- 脊髓性肌肉萎縮症(Spinal muscular atrophy, SMA) :
 - 為衛生福利部公告之罕見疾病，屬於體染色體隱性遺傳疾病。
 - 因先天存活運動神經元 (survival motor neuron 1, SMN1) 基因缺失，導致無法正常產生SMN 蛋白質，造成 α 神經運動元 (alpha motor neurons) 退化，伴隨有漸進性的肌肉萎縮 (atrophy)、無力及麻痺 (paralysis)
 - SMA依照發病的年齡與嚴重程度分為type 0至type IV，其中以type 0最為嚴重(出生時即有嚴重虛弱、無力鮮少存活超過6個月)， type 1最常見(出生6個月內發病，出現對稱性近端肌力不足、活動能力發展遲緩且持續退化)
 - 透過基因檢測針對SMN1、SMN2定量分析進行診斷。SMA目前無法完全治癒，治療策略主要包含症狀控制及併發症的預防。
 - 根據115年2月之罕見疾病通報統計，共有584名個案，120名病人死亡。

【1】疾病及治療 (II)

- 脊髓性肌肉萎縮症(Spinal muscular atrophy, SMA)：

治療建議

- 目前疾病改善的治療選項均可用於2歲以下，尚未需要長期呼吸輔助的病童，包括脊髓注射的nusinersen (Spinraza®)、單次靜脈注射的onasemnogene abeparvovec (Zolgensma®) 以及口服的risdiplam (Evrysdi®)。
- onasemnogene abeparvovec 在2歲以上病人族群的療效仍不明確，因此若為2歲以上有中度症狀的SMA 病人，建議使用nusinersen或是risdiplam 治療。
- 對於已經需要呼吸輔助、管灌餵食或嚴重肌肉攣縮的病人族群，以及年齡較大的輕症兒童或成人均尚無相關使用此類藥品療效證據。

【2】藥品臨床地位

- **Risdiplam (服脊立)主管機關核准適應症：**
 - 適用於治療經基因確診之脊髓性肌肉萎縮症(SMA)病人，其SMN2為1到3套或已出現症狀之SMA第一、二、三型病人。
 - **Risdiplam (服脊立)使用方式：**
 - 膜衣錠：口服給藥，每天一次， ≥ 2 歲 (體重 ≥ 20 kg)者，每日建議5 mg 對於吞嚥整顆藥錠有困難的病人，可將藥錠溶解崩散投予或可處方使用口服溶液用粉劑。膜衣錠應配水整顆吞服或溶解崩散，不可咀嚼、切割或壓碎藥錠。
 - 溶液用粉劑：口服、鼻胃管或胃造瘻口管給藥，每天一次，劑量取決於病人的年齡和體重(如表)。
- | | |
|------------------------------|------------|
| < 2 個月 | 0.15 mg/kg |
| 2 個月到 < 2 歲 | 0.20 mg/kg |
| ≥ 2 歲 (體重 < 20 kg) | 0.25 mg/kg |
| ≥ 2 歲 (體重 ≥ 20 kg) | 5 mg |
- **目前健保已給付與risdiplam (服脊立)具有相近治療地位之藥品：**
 - nusinersen (脊瑞拉注射液，Spinraza[®]) 、
onasemnogene abeparvovec (諾健生靜脈懸液注射劑，Zolgensma[®])

【3】相對療效

雙盲、第 II/III 期隨機對照試驗(part 2)： SUNFISH 試驗

- 試驗目的：針對第 2/3 型SMA 病人比較ridisplam 和安慰劑的療效及安全性。
- 主要療效指標：治療 12 個月後，活動功能評估32 量表(MFM32)分數相較於基期的改變程度。
- 受試者：ridisplam 組 120 人，安慰劑組 60 人 年齡中位數為9歲(2至25歲)，發病年齡平均為15.5 個月，約七成為第2 型SMA 病人

研究結果	Risdiplam vs. 安慰劑	
	兩組差異 (95% CI)	P 值
MFM 32	1.55 (0.30至2.81)	0.0156
RULM	1.59 (0.53至2.62)	0.0028
HFMSE	0.58	0.3902
用力肺活量	-2.05%	0.3804
SMA 獨立指標	2.55	0.0022

安全性結果：治療組常見不良事件：上呼吸道感染 (31.7%)、肺炎(7.5%)、嘔吐(14.2%)、咽喉炎(25.8%)

開放式作業、第II/III期單臂試驗(part 2)： FIREFISH 試驗

- 試驗目的：針對第 1 型SMA 病人探討使用
- ridisplam 的療效及安全性。
- 主要療效指標：治療 12 個月後，依照BSID-III 量表粗動作第22 項標準，能夠在無輔助下維持坐姿 5 秒以上的受試者比例。
- 受試者：ridisplam組41人。年齡中位數為5.3 個月 (範圍2.2 至6.9 個月)，發病年齡中位數為1.5 個月

指標	病人(比例%)
BDIS-III標準，維持坐姿5秒	12 (29%)
CHOP-INTEND 40分以上	23 (56%)
CHOP-INTEND 進步 4 分以上	37 (90%)
吞嚥 (可完全經口餵食)	28 (68%)
頭部控制 (維持直立)	18 (44%)
坐姿 (保持上身直立)	10 (25%)
站姿 (腿部可承重)	9 (22%)

安全性結果：3 名死亡。常見不良事件為上呼吸道感染 (46%)、嚴重肺炎 (32%)

MFM32：量表列出32 項活動能力指標，並以0 至3 分評估完全無法達成至正常完整達成動作，總分再轉換成百分制呈現，分數越低，失能情形越嚴重。

RULM：上肢模組修訂版運動功能評估 (Revised Upper Limb Module)，包括20 項上肢活動指標，總分37 分，分數越低，上肢失能情形越嚴重。

HFMSE：增訂版Hammersmith 運動功能評分量

表 (Hammersmith functional motor scale-extended)，用於評估兒童活動能力，總分66 分，分數越低，活動能力越差。

BSID - III：貝利嬰幼兒發展測驗第3 版 (Bayley Scales of Infant Development)。

CHOP-INTEND 量表：費城兒童醫院嬰兒神經肌肉疾病測試 (the Children's Hospital of Philadelphia Infant Test of Neuromuscular Disorders)。

【4】病友意見整理 (I)

- 截至2026年3月31日止，共收集2筆意見，分別為來自1個病友團體社團法人台灣生命之窗慈善協會（來自32位病友之意見），以及1位個別病友的意見回應資料。
- 本品使用經驗：
 - 在所蒐集到的病友意見回覆中，病友團體中有部分病友^a有本品使用經驗，另一位個別提供意見之病友亦有本品使用經驗。
 - 病友團體中有使用過本品的病友，多數可維持病況。而個別提供意見之病友則表示已經使用本品的液體劑型12個月，認為在用藥之後，嘴巴比較有力氣，飲食方面感受到明顯的效果，使吃飯比較不會噎到，腸胃功能、胃口變好，較不會因為肚子痛常常就醫；然而，認為用藥後腋下跟胯下的皮膚在天氣熱或體溫較高時比較容易發炎，且因為藥品需要冰，使得外出旅行很不方便，而自用藥之後都沒有去旅行過，因為要帶呼吸器且此藥品又要冰，覺得還沒有出門就累了。

^a未提供已使用本品之病友人數及其使用後之詳細資訊。

【4】病友意見整理 (II)

● 醫療現況：

- 病友團體的意見回覆中，表示病友除了本品之外亦可使用 **Spinraza®(nusinersen)**，兩款藥物機轉相似；六個月以下的新生兒則可選擇使用 **Zolgensma®(onasemnogene abeparvove)**，表示三款藥物皆可使患者穩定甚至改善病情。

● 生活品質：

- 病友團體的意見表示，**SMA**的病人會隨著時間持續肌肉萎縮，最終導致吞咽、呼吸困難而致命；疾病會重大影響患者日常生活，**重度患者生活無法自理，需仰賴旁人24小時照護**，不僅會造成病人的生活困境，也會**嚴重影響照顧者生活及身心健康**。個別提供意見的病友表示，**家人因為需要陪伴病友，而無法出遠門**。

【4】病友意見整理 (III)

- 對新治療的期待：

- 病友團體和個別提供意見的病友均表示，因為目前Evrysdi液態藥品需要冷藏，外出非常不便，希望可以有錠劑代替，減少需要冷藏保存與攜帶的不便。另外個別提供意見之病友，表示希望在用藥之後，能變得比較有力氣，能自理、獨立、不用他人陪伴，且使嘴巴變得有力氣，可以享受很多美食。

【5】病友意見討論



- **新藥**： Evrysdi® (risdiplam，服脊立)
- **疾病**： 脊髓性肌肉萎縮症(SMA)
- **討論方向**：針對「新藥及新醫材病人意見分享」平台蒐集的病友意見進行討論

病友意見案件簡介及討論

■ Winrevair® (sotatercept，穩納肺)：

特發性或遺傳性肺動脈高壓

【1】疾病及治療 (I)

- **肺高壓(pulmonary hypertension, PH)：**

- 平均肺動脈壓升高到正常值上限以上的血液動力學疾病。臨床上，肺高壓可依據病理生理機制、臨床表現、血液動力學特徵與治療方式劃分為5個主要疾病類別以及相關子分類：

Group 1 肺動脈高壓(pulmonary arterial hypertension, PAH)

1.1 特發性 (idiopathic):對鈣離子通道阻斷劑有長期反應

1.2 遺傳性 (heritable)

1.3 與藥物和毒素相關

1.4 與下列病症相關: 結締組織疾病、人類免疫缺乏病毒(HIV)感染、門脈高壓、先天性心臟病、血吸蟲症

1.5 涉及肺靜脈閉塞疾病(PVOD)或肺微血管瘤(PCH)特徵的肺高壓

1.6 新生兒持續性肺高壓

根據國健署的罕見疾病通報個案統計表，截至2026年2月累計個案數與死亡數分別為629人與280人

Group 2 左側心臟病相關肺高壓

Group 4 肺動脈阻塞相關肺高壓

Group 3 肺臟疾病與/或缺氧相關肺高壓

Group 5 機轉不明與/或多因素肺高壓

- PAH主要的致病機轉為肺動脈內皮細胞不可控制地增生，改變血管構形進而導致肺動脈壓上升；常見症狀包含呼吸困難、疲倦、虛弱、心絞痛以及暈眩，當肺動脈壓逐漸升高，右心負荷隨之增加，最後造成右心肥大、衰竭，甚至死亡。

【1】疾病及治療 (II)

• 肺動脈高壓(PAH)治療：

- 根據2024年第7屆WSPH發布的專家共識，病人若在初始評估為非高風險者，建議治療方式為併用ERA, PDE-5i；若初始評估為高風險，應接受ERA, PDE-5i, 注射型PPA合併治療。
- 如果病人非屬高風險但有高風險的特徵(如右心功能不佳)，也可考慮在初始就接受注射治療。
- 在治療三至四個月後，建議進行追蹤評估以及考慮是否需要升階治療。升階治療選項包含加上sotatercept、加上口服PPA藥物(selexipag或口服treprostinil)或吸入型PPA藥物，以及從PDE-5i藥物轉為使用riociguat，或考慮進行肺臟移植。

藥理作用	成分
口服藥品	
第一型內皮素受體拮抗劑 (endothelin-1 receptor antagonists, ERA)	bosentan、ambrisentan、macitentan
第五型磷酸二酯酶抑制劑 (phosphodiesterase-5 inhibitor, PDE-5i)	sildenafil、tadalafil
可溶性鳥苷酸環化酶促進劑 (soluble guanylate cyclase stimulator, sGCS)	riociguat
前列環素受體作用劑* (prostacyclin receptor agonist, PRA)	selexipag
前列環素類似物* (prostacyclin analogues)	treprostinil、beraprost
吸入藥品	
前列環素類似物* (prostacyclin analogues)	iloprost、treprostinil
注射藥品	
前列環素類似物* (prostacyclin analogues)	epoprostenol (i.v.) [#] 、 treprostinil (i.v., s.c.) [#]
活化素訊息傳遞抑制劑 (activin signaling inhibitor)	sotatercept (s.c.) [#]

【2】藥品臨床地位

- **Sotatercept (穩納肺)主管機關核准適應症：**
 - 適用於治療患有特發性或遺傳性肺動脈高壓的成人病人。
- **Sotatercept (穩納肺)使用方式：**
 - 每3週一次根據病人體重以皮下 (SC) 注射給予。
 - 起始劑量為0.3毫克/公斤，目標劑量是每3週給予0.7毫克/公斤。
- **目前健保已給付與Sotatercept (穩納肺)具有相近治療地位之藥品：**
 - PPA藥物：selexipag、iloprost、treprostinil及epoprostenol。

【3】相對療效 (I)

雙盲、多國多中心、隨機對照、第III期試驗：STELLAR

- 納入對象：≥ 18歲，診斷為WHO Group 1 PAH (亞型包含特發性、遺傳性、藥物或毒素引發、與結締組織疾病相關、與先天性分流矯正相關)，WHO-FC II~III，已接受至少90天穩定劑量的PAH背景治療與利尿劑治療。

	sotatercept組 (N = 163)	無add-on治療組 (N = 160)	差異與檢定
主要療效指標 24週6MWD變化量 單位: 公尺, 中位數(95% CI)	34.4 (33.0 to 35.5)	1.0 (-0.3 to 3.5)	40.8 (27.5 to 54.1), p<0.001
次要療效指標 24週時複合指標(共3項)達改善標準 n/N % (95% CI)	63/162 38.9% (31.3 to 46.9)	16/159 10.1% (5.9 to 15.8)	p<0.001

- 安全性：24週雙盲期間sotatercept組發生治療相關不良事件的比例高於安慰劑組(41.1% vs. 25.6%)，其中以流鼻血、微血管擴張與暈眩為發生率較高者。sotatercept組亦觀察到較高的血紅素升高、血小板減少症以及出血事件；Sotatercept 組在長期雙盲階段有2位病人死亡，死亡原因分別為急性心肌梗塞與顱內出血；對照組在24週雙盲期間有6位病人死亡，持續追蹤至長期雙盲階段結束時新增1例病人死亡，7位病人的死亡原因分別為心跳停止、心因性休克、右心室衰竭、敗血症、PAH及COVID-19 肺炎。

【3】相對療效 (II)

雙盲、多國多中心、隨機對照、第III期試驗：ZENITH

- 納入對象：18~75歲，診斷為WHO Group 1 PAH (亞型包含特發性、遺傳性、藥物或毒素引發、與結締組織疾病相關、與先天性分流矯正相關)，WHO-FC III~IV，已接受至少90天穩定劑量的兩種或三種藥物PAH背景治療。

(期中分析結果)	sotatercept組 (N = 86)	無add-on治療組 (N = 86)	Hazard ratio (95% CI)
主要療效指標： 發生死亡或臨床惡化事件, n (%)	15 (17.4%)	47 (54.7%)	0.24 (0.13 to 0.43), p<0.001

- 安全性：sotatercept組明顯在與治療相關不良事件發生比例高於對照組；其中，出血事件、血紅素上升事件、微血管擴張事件明顯較對照組高。

【4】病友意見整理 (I)

- 截至2025年9月1日止，共收集納入由4位病人、1位照顧者及1個病友團體所提供之6筆意見；其中台灣原發性肺動脈高壓病友聯誼會以問卷方式蒐集到21位病友意見。
- 本品使用經驗：
 - － 未收集到有本品使用經驗之病人回覆。
- 醫療現況：
 - － 台灣原發性肺動脈高壓病友聯誼會的問卷調查結果顯示1位病友正在使用1種藥品、8位病友使用2種藥品、11位病友使用3種藥品，以及1位病友使用4種藥品，病友所使用的藥品包含 treprostinil (Remodulin，勵脈展素；Tyvaso)、macitentan、riociguat (Adempas，愛定保肺)、sildenafil、Opsynvi (macitentan, tadalafil，奧欣威)、selexipag (Uptravi，優拓比/尚達利)、iloprost (Ventavis，菲塔敏思)；個別填寫意見的病友中，1位病友提到目前正在服用sildenafil (Revatio，瑞肺得) 和macitentan (Opsumit，奧欣明/傲朴舒)，1位病友服用sildenafil及macitentan；1位病友表示已合併使用多種藥品但近三年疾病控制效果不佳，雖心臟情形好轉，但身體其他器官出現更多問題，需服用利尿、腸胃、止痛、安眠各種症狀治療藥品。

【4】病友意見整理 (II)

● 醫療現況 (續)：

- 接受皮下注射者，施打處皮膚紅腫發膿，每月換針後經歷施打部位疼痛及產生硬塊，需服用止痛劑；接受吸入性藥劑者，則會有喉嚨刺痛、生痰、易咳嗽、鼻血管容易破、水腫等情形。
- 大部分病友提到服藥後有改善喘不過氣、呼吸困難、無力、只能行走很短距離或爬不動樓梯之情形，但仍有部分病友提及仍有咳嗽、吐血，一段時間仍需休息，無力提重物，氣候變化導致突然勞累疲倦等問題。使用多種合併治療的病友表示用藥後雖然心臟狀況穩定但出現其他症狀，而需要服用更多症狀治療藥品；也有病友用藥後認為症狀並未進步。兩位病友另提到其治療藥效持續時間短，在藥物濃度低時活動能力明顯下降；sildenafil每天需服用3次，容易忘記服藥。

【4】病友意見整理 (III)

● 生活品質：

- 日常生活會感到疲倦、精力不足，接近暈厥；活動容易感到呼吸困難、喘咳、胸悶、心悸，較大動作時特別容易，例如爬樓梯。因此，行走或走路速度較一般人慢，且耐久度差。病友團體統整較常出現之症狀包含：67%病友有喘不過氣、呼吸困難的狀況；52%病友有倦怠無力、走路不遠或爬樓梯爬不動的現象；另有少部分病友有頭昏、胸悶、咳嗽、食慾不振。整體來說，病人會因身體虛弱而無法活動、工作、需坐輪椅、無法爬樓梯；嚴重者甚至難以自理生活、坐臥在床上且無法平躺。
- 病人需長期維持坐姿、坐著睡覺，導致肌肉流失及腰部拉傷；心臟衰竭造成腹部器官腫脹、消化困難。疾病本身，和藥物治療均可能造成水腫。病友害怕發病而不敢出門、無法工作，沒有生活品質及尊嚴，對於需要家人協助感到愧疚。
- 病人活動能力降低，照顧者需要負擔更多家務和經濟來源。病友團體統整9位病友認為在用藥治療後病人可以自行出門，不需照顧者陪同，使照顧者更輕鬆，但也有1位病友認為沒有影響，1位病友仍會擔心。1位病友提到因有兩次突然暈倒之經驗，因此還是需要照顧者。

【4】病友意見整理 (IV)

● 對新治療的期待：

- 病友期待服用新藥後能改善心悸、呼吸困難、喘咳及頭痛，控制心臟衰竭指數，改善體力及疲倦感，讓行走、上下樓梯、日常活動變得輕鬆，更接近到尚未發病的身體狀態；也希望減少疾病導致就醫住院、急診頻率。病友希望能夠恢復日常生活自理，增加出門與人互動的機會，不再因病情感到焦慮恐懼、擔心害怕。
- 病友希望能減輕藥品副作用和減少服藥數量，期望能降低每月注射所需自付的高額耗材費用。
- 病友團體提供之意見提到希望在疾病早期得到有效治療，減少住院與急診的頻率，減緩疾病惡化速度，延長存活率；期望有更多的治療選擇，延長生命且活得更有尊嚴與品質。

【5】病友意見討論



- **新藥**：Winrevair[®] (sotatercept，穩納肺)
- **疾病**：特發性或遺傳性肺動脈高壓
- **討論方向**：針對「新藥及新醫材病人意見分享」平台蒐集的病友意見進行討論

病友意見案件簡介及討論

- Fruzaqla[®] (fruquintinib，伏腸剋[®]膠囊)：
轉移性大腸直腸癌(mCRC)

【1】疾病及治療 (I)

- 轉移性大腸直腸癌(metastatic colorectal cancer, mCRC)
 - 通常是指腫瘤通過淋巴、血液、鄰近組織及腹膜的途徑轉移，最常見的轉移部位是淋巴結、肝臟、肺部和腹膜。
 - 症狀包含右上腹痛、腹脹、過早飽足感、鎖骨上方淋巴結腫大或肚臍周圍腫塊
 - 根據衛生福利部國民健康署2023年癌症登記報告，結腸、直腸及肛門惡性腫瘤當年度發生個案數占整體惡性腫瘤發生個案數的13.82%，初次診斷為此惡性腫瘤者共計19,074 人，死亡人數6,791例。
 - 結腸癌與直腸癌臨床期別第四期人數分別為2,508人及1,338人。
 - 結腸癌和直腸癌病人KRAS無突變(wild type)比例分別為55.41%及57.07%。

【1】疾病及治療 (II)

- 轉移性大腸直腸癌(mCRC)治療

美國NCCN大腸癌與直腸癌治療指引(2026年第二版)

- 對於晚期或轉移性疾病先前接受含irinotecan與oxaliplatin化療或是其他二線治療者，若具生物標記可依照生物標記(HER2)選擇特定治療
- 對於經採可用治療後病情仍惡化者，可選擇**fruquintinib**、regorafenib、或trifluridine/tipiracil ± bevacizumab，建議等級皆為category 2A。

【2】藥品臨床地位

- **Fruquintinib(伏腸剋)主管機關核准適應症：**
 - 適用於治療先前曾接受下列療法的**轉移性大腸直腸癌(mCRC)**成人病人，包括 fluoropyrimidine-、oxaliplatin-、irinotecan-為基礎的化療，和抗血管內皮生長因子(anti-VEGF)等療法；若KRAS為原生型(wild type)，則需接受過抗表皮生長因子受體(anti-EGFR)療法。
- **Fruquintinib(伏腸剋)治療方式：**
 - 建議劑量為**前21天口服5毫克每天一次**，以**28天為一個週期循環**，直到發生疾病惡化或無法接受的毒性。
 - 無法耐受口服3毫克一天一次的病人應永久停用。
- **目前健保已給付與fruquintinib (伏腸剋)具有相近治療地位之藥品：**
 - Stivarga® (癌瑞格®，regorafenib)、Lonsurf® (朗斯弗®，trifluridine/tipiracil)。

【3】相對療效

隨機分派、雙盲、第三期臨床試驗： FRESCO-2 試驗

- 主要療效指標：整體存活期(overall survival, OS)。
- 受試者：須已接受過 fluoropyrimidine、oxaliplatin、irinotecan 為基礎的化學治療、anti-VEGF 治療、RAS 原生型病人則須經anti-EGFR 治療，並於trifluridine/tipiracil 或regorafenib 治療後疾病惡化或對藥物無法耐受。

	Fruquintinib 組 (n = 461)	安慰劑組 (n = 230)
主要療效指標 OS中位數，月 (95% CI)	7.4 (6.7 to 8.2)	4.8 (4.0 to 5.8)
風險比(95% CI)	0.66 (0.55 to 0.80) p < 0.0001	
關鍵次要療效指標 PFS中位數，月 (95% CI)	3.7 (3.5 to 3.8)	1.8 (1.8 to 1.9)
風險比(95% CI)	0.32 (0.27 to 0.39) p < 0.0001	

安全性結果：常見三級以上關注的不良事件為高血壓(30.5%)、皮膚毒性(28.3%)和甲狀腺功能障礙(19.1%)

隨機分派、雙盲、第三期臨床試驗： FRESCO試驗

- 主要療效指標：整體存活期(OS)。
- 受試者：為轉移性大腸直腸癌中國籍病人，先前接受至少2種標準化學治療，若接受過部分anti-VEGF治療或anti-EGFR治療允許參加試驗。

	Fruquintinib 組 (n = 278)	安慰劑組 (n = 138)
主要療效指標 OS中位數，月 (95% CI)	9.3 (8.2 to 10.3)	6.6 (5.9 to 8.1)
風險比(95% CI)	0.65 (0.51 to 0.83) p < 0.01	
次要療效指標 PFS中位數，月 (95% CI)	3.7 (3.7 to 4.6)	1.8 (1.8 to 1.8)
風險比(95% CI)	0.26 (0.21 to 0.34) p < 0.01	

安全性結果：最常見的治療相關不良事件為高血壓(59.4%)、手足症候群(49.3%)和蛋白尿(51.8%)、出血(35.3%)、甲狀腺功能障礙(19.4%)

【4】病友意見整理 (I)

- 截至2025年9月18日止，共收集來自2個病友團體的資料，分別為癌症希望基金會（包含2位照顧者）與台灣癌症基金會（包含1位病友）所提供之資料。
- 本品使用經驗：
在所蒐集到的病友意見回覆中，未收集到有本品使用經驗之回應。
- 醫療現況：
 - 病友接受過的治療包含手術治療、化學治療、放射治療、標靶治療，目前接受的治療有癌思停(Avastin®；bebacizumab)、抗癌妥(Campto®；irinotecan)、友復(Ufur®；tegafur/uracil)、洛滿舒(Lumakras®；sotorasib)。
 - 認為目前的治療尚可控制疾病，但仍會出現抗藥性、出現轉移。
 - 主要副作用有腹瀉、便秘、噁心/嘔吐、食慾不振、口腔黏膜破損/潰瘍、暈眩、疲倦/容易累、體力差、水腫、睡覺時間長、睡不好、虛弱無力、皮膚乾癢/起疹，影響生活品質。

【4】病友意見整理 (II)

● 生活品質：

1. 病人：

- 1位病友家屬表示，癌症造成病人**身體虛弱無力**，生活無法自理。
- 1位病友則表示，在完成注射治療之後，改由口服治療，認為過去三個月內整體生活品質良好，注意力與體能皆恢復普通水準，醫療支出與收入之間能達到平衡，亦能有自己正常的社交活動；但病友表示年紀大得癌症，**非常難以接受且情緒失落，認為很多事情都失去掌控力。**

2. 照顧者：

- 1位病人家屬表示照顧會累，看著病人**越來越累，體力弱，會有點焦慮。**
- 另1位病人家屬表示一週就需要回診一次，家庭、社交、工作會受到影響。

● 對新治療的期待：

- 希望新藥可以**控制或消滅癌細胞，降低mCRC的進展**；認為如果有更多口服的藥物選擇，而不是用打針，對年長者會更友善，也讓醫師有更多的治療選擇。

【5】病友意見討論



- **新藥**：Fruzaqla[®] (fruquintinib，伏腸剋[®]膠囊)
- **疾病**：轉移性大腸直腸癌(mCRC)
- **討論方向**：針對「新藥及新醫材病人意見分享」平台蒐集的病友意見進行討論

病友意見案件簡介及討論

■ Truqap[®] (capivasertib，泛抑癌)：

局部晚期或轉移性乳癌

【1】疾病及治療 (I)

- 乳癌：

- 乳癌診斷之分型(subtype)和癌症期別，與預後評估和治療、預後相關。
- 可以分為雌激素受體 (estrogen receptor, ER) 和 / 或黃體素受體 (progesterone receptor, PR)陽性、第二型人類表皮生長因子受體過度表現 (HER2 overexpression)或基因擴增(HER2 gene amplification)，及雌激素受體、黃體素受體與HER2三者受體陰性。
- 癌症期別：以TNM系統依據腫瘤大小(T)、腋下淋巴結轉移與否(N)、遠處是否轉移(M)，將乳癌區分為0期至第IV期，其中晚期乳癌定義為無法手術的局部晚期乳癌(locally advanced breast cancer)與第IV期的轉移性乳癌。
- 根據台灣癌症登記中心統計，2023年女性及男性乳房惡性腫瘤發生個案數分別占全部惡性腫瘤發生個案數的12.88%及0.05%，新診斷共17,779名女性個案，乳癌發生率為女性第1位。HR陽性且HER2陰性約占60%。
- 一份使用台灣單一醫院人體生物資料庫之檢體研究指出，乳癌病人基因突變，*PIK3CA* 約佔39.7%、*AKT1* 佔4.3%、*PTEN* 佔3.4%。

【1】疾病及治療 (II)

美國國家癌症資訊網(NCCN)乳癌臨床指引(2026年第2版)

- ER陽性和 / 或PR陽性、復發性無法手術（局部或區域性）或第四期（M1期）經第一線治療後惡化或產生不可耐受毒性，且不是內分泌治療難治型（endocrine therapy refractory）腫瘤，第二線治療以未曾使用過的內分泌治療合併或不合併標靶治療。
- NCCN建議HR陽性、HER陰性之復發無法手術或轉移性乳癌之第二線標靶治療如下：

生物標記	建議治療
<i>PIK3CA</i> 突變	首選治療 <u>fulvestrant, inavolisib, palbociclib</u> (category 1) 首選治療 <u>alpelisib, fulvestrant</u> (category 1)
<i>PIK3CA</i> 、 <i>AKT1</i> 突變或 <i>PTEN</i> 變異 (alteration)	在特定族群中的第二線或後續治療，首選治療 <u>capiwasertib, fulvestrant</u> (category 1) *

*用於具PIK3CA/AKT1/PTEN變異，且曾經接受內分泌治療併用CDK4/6抑制劑(如ribociclib, abemaciclib, palbociclib)，但疾病惡化或復發之人病人。

【2】藥品臨床地位

- **Capivasertib(泛抑癌®)主管機關核准適應症：**
 - 與fulvestrant 併用可治療患有荷爾蒙受體(HR)陽性、第二型人類表皮生長因子受體 (HER2)陰性及具PIK3CA/AKT1/PTEN任一變異，且曾經接受內分泌治療，但疾病復發或惡化之局部晚期或轉移性乳癌成人病人。
- **Capivasertib(泛抑癌®)使用方式：**
 - 一般劑量：TRUQAP併用fulvestrant 的建議劑量為400毫克(2粒 200 毫克錠劑)，每日口服兩次(間隔約12小時)，可隨餐或空腹服用，持續4天然後暫停3天。
 - fulvestrant 的建議劑量為 500 毫克，分別在第 1 天、第 15 天及第 29 天給藥，之後每月一次。
- **目前健保已給付與Capivasertib(泛抑癌®)具有相近治療地位之藥品：**
 - 癌伏妥(Afinitor®，everolimus)、愛克利 (Piqray®， alpelisib)。

【3】相對療效

隨機、雙盲、安慰劑對照、多中心第三期臨床試驗：CAPItello-291 試驗

- 受試者：納入18歲以上，診斷為復發、惡化的無法手術局部晚期或轉移性乳癌，且HR 陽性、HER2 陰性 (IHC 0 or 1+; IHC 2+ AND ISH-) 病人。局部晚期或轉移性乳癌病人先前必須已接受過芳香環酶抑制劑 (aromatase inhibitor, AI) 治療；或是病人於早期階段已接受過AI單獨或併用其他治療作為輔助或術前輔助治療，且治療期間或治療後12個月內復發或惡化。
- 主要療效指標：由研究人員評估整體病人族群及PIK3CA/AKT/PTEN 變異病人群的無惡化存活期。
- 安全性結果：全體治療組常見不良事件為腹瀉(72.4%)、皮疹(38%)、噁心(34.6%)、疲憊(%)、嘔吐(20.8%)等。

PIK3CA/AKT1/PTEN 變異族群之 指標結果	合併capivasertib, fulvestrant (N=155)	合併安慰劑, fulvestrant (N=134)
主要療效指標		
無惡化存活期中位數，月 (95%信賴區間)	7.3 (5.5 to 9.0)	3.1 (2.0 to 3.7)
經調整風險比(95%信賴區間) *，p 值	0.50 (0.38 to 0.65) p<0.001	
次要療效指標		
整體存活期中位數，月 (95%信賴區間)	未到達	未到達
客觀反應率，人數 (%)	38 (28.8)	12 (9.7)
勝算比 (95%信賴區間)	3.93 (1.93 to 8.04)	
反應持續時間中位數，月 (95%信賴區間)	9.4 (7.4 to 19.5)	8.6 (3.8 to 9.2)

【4】病友意見整理 (I)

- 截至2025年11月30日止，共收集**2筆回應**，來自**癌症希望基金會**(包含1位病友和1位照顧者之問卷資料)與**台灣癌症基金會**(包含1位病友之訪談資料)。
- 本品使用經驗：
 - 1位病人與1位照顧者代填的意見提及有本品使用經驗。2位病友均剛開始使用，故尚**不清楚對於腫瘤的效果**，其中一位認為治療尚可控制疾病。
 - 其中1位病友過去曾為早期乳癌，接受手術與術後輔助治療；後復發且為轉移，接受ribociclib治療後再次惡化，再合併fulvestrant治療；再次惡化後使用本品合併fulvestrant；該病友服用本品約兩週，劑量為每日兩次、每次兩顆。另1位由照顧者代填的意見，說明病友也剛開始以本品治療。
 - 2位病友發生的副作用包括明顯**疲倦、嗜睡與紅疹、噁心和暈眩**。1位病友表示**需使用抗組織胺緩解紅疹，且另有肝指數偏高的情況**。
 - 病友認為藥品費用高昂，本品每月約需**25萬元**，但保險給付僅約**6萬元**，自費近**20萬元**對病友造成極大的經濟壓力。

【4】病友意見整理 (II)

- 醫療現況：

- 根據2位病人與1位照顧者代填的病友意見回應，表示在轉移性乳癌時使用的藥物治療包含化學治療、標靶治療、GnRH類似物，如捷癌寧(Verzenio[®]，abemaciclib)、復乳納(Femara[®]，letrozole)、擊癌利(Kisqali[®]，ribociclib)、法洛德(Faslodex[®]，fulvestrant)或本品併用法洛德等治療。
- 1位病人指出已接受許多治療與使用過非常多藥物，認為目前治療尚可控制疾病(滿分7分，填寫4分)，出現的副作用包含腹瀉、疲憊，擔心復發轉移。

【4】病友意見整理 (III)

● 生活品質：

1. 病人：

- 自我照顧：癌症造成身體虛弱無力，生活無法自理。
- 日常活動：病友表示疾病影響其日常活動，認為體力狀態非常不好，注意力與社交狀態屬普通，工作能力受影響，但目前尚能維持日常功能，但日常事務常受疾病影響。腹瀉、虛弱無力、情緒低落嚴重影響日常生活，或身體疼痛導致無法行走，無法出外工作，而使生活品質大受影響。
- 疼痛或不舒服：病友表示出現疲倦、嗜睡與紅疹、肝指數偏高、腹瀉、身體虛弱無力與疼痛、噁心、暈眩等症狀。
- 焦慮或沮喪：1位病友表示偶有低落，但目前尚能維持日常功能；另1位病友則會擔心腫瘤復發轉移。
- 其他：1位病友表示醫療支出與收入非常不平衡，認為有極大經濟壓力。而1位照顧者代填的病友意見指出因使用過非常多藥物，而造成家中沉重的經濟負擔。

2. 照顧者：

- 1位照顧者的意見提及工作、身體健康、情緒等受影響。

● 對新治療的期待：

- 病友表示希望新藥可以改善腹瀉及憂鬱；希望本案藥品可控制疾病，能儘快納入健保給付，減輕病友沉重的經濟壓力，也能讓更多轉移性乳癌的病患者有機會持續接受有效的治療。

【5】病友意見討論



- **新藥**：Truqap[®] (capivasertib，泛抑癌)
- **疾病**：疾病復發或惡化之局部晚期或轉移性乳癌
- **討論方向**：針對「新藥及新醫材病人意見分享」平台蒐集的病友意見進行討論

Thank you for your attention