

以真實世界資料作健康科技評估促進全民健康與福祉：

方法與實例簡介

王榮德

成大醫學院名譽講座教授

成大醫院職醫部特聘專家醫師

課程綱要

1. 全世界面臨共同問題—醫藥界不斷提出創新科技，使各種病存活年數增長且盛行個案數日增，醫療費用升高。醫療給付改革的國際趨勢為：從「論量計酬(pay by volume)」轉為「論價值計酬(pay by value)」；病人，從「買醫療服務量」改為「合理價格下買健康」。
2. 評估與比較健康照護價值：原來本國健保法 42 條即有「醫療科技評估」之規定，必須兼顧醫療倫理與本保險財務；但是目前在衛生福利部食品藥物管理署底下，執行此工作之小組主要為協助藥商申請新藥納入健保給付作評估，計算遞增成本效果比值(Incremental cost-effectiveness ratio，簡稱 ICER)，只比較新舊兩特定科技對某病之成本效果，例如每多活一健康人年需要增加多少健保花費(或是，「多花一元錢，能換到多少健康」)；以及加入此科技後對健保短期(1-5 年)預算的衝擊(budget impact assessment)。(詳見 <https://www.cde.org.tw/HTA/>) 由於 ICER 雖然可增進健保花費的效率(efficiency)，並維持目前給付制度表面上平等(equality)；但是卻未能考慮實際倫理上各病對健康之需求不同，每健康人年/人年對各病之邊際效用不同，難以照顧到弱勢；也尚未考慮此病之終身花費；因此常會造成不同疾病間資源分配之不公平性(inequity)，也無法將預防與診療、復健、長照相比。
3. 國際上對有限醫療資源如何分配，至少有 4 個倫理原則需要統合考量：效益極大化(maximize benefits)、每個人機會平等(treat people equally)、弱勢優先(give priority to the worse-off)、促進資源之增加(promote and reward instrumental value)^{59,60}。為補救此項不足，本團隊有幸在國科會長期支持下，使用真實世界資料(real-world data)，全面整合預防與診療照護發展出新的統計方法；也呼應世界衛生組織普遍性成本效果分析(Generalized cost-effectiveness analysis，簡稱 GCEA)的主張；整體做法如下：觀念上與 global burden of disease(GBD)相似，同時先考量預防對發生率變化的影響；再乘以生病後對終身平均餘命、生活品質、各種失能、生產力損失、與診療花費的影響。GBD 主要是利用死因資料與專家共識粗略估計生病的結果；我們則用巨量真實世界資料求出終身存活函數，將之乘以第二函數(診療費用、生活品質、失能、生產力等等)，估算各病終身對健康與社會之全面衝擊。在計算預防對健康的貢獻時，也可考量與每個病人年齡、性別、及開始

診療年代所匹配之對照組的健康餘命或平均餘命互比，兩者相減後得到的健康餘命損失(loss-of-QALE(quality-adjusted life expectancy))或平均餘命損失(loss-of-LE(life expectancy))即為該病之終身後果；損失越大者在健康上越弱勢，也是成功預防該病可獲得的健康效應越高，以健康人年(quality-adjusted life year，簡稱 QALY，同時考量存活時間與生活品質) 或人年作單位，越需投入資源作有效的預防，以促進公平正義(justice)。簡要表示如下：

△發生率 x [估計出終身存活函數 x 第二函數(費用、生活品質、失能、生產力等等)，再與每個病人相同年齡、性別、及開始診療年代所匹配之對照組的結果相比]

如此即可將各種預防、診療、復健與照顧服務作終身計量；供所有的利害相關者公平公開審視與檢討，來作出最佳(符合公平正義與效率)之決策；也為促進「所有政策均考慮健康(health in all policy)」鋪路。

實際執行時先計量各種政策對各病發生率之改變，求出△發生率。然後用長時間蒐集之真實世界資料(例如健保資料、死因資料、癌篩資料、重大傷病檔等等互相比對以增進正確性)；觀察追蹤超過 5-10 年以後，將此存活函數延長到終身。癌症篩檢可作典型範例^{63, 65, 66}。此法可以計量出預防醫學將節省長期健保負擔、促進全民更健康長壽、多賺錢、少失能⁵⁰；適用於其他無法執行臨床隨機試驗，如罕見疾病之診療；亦可用來定義及找出弱勢的疾病(終身健康量損失最大而健保給付最少)，促進不同疾病資源分配的公平性。為了降低不同年齡、診斷年所造成之干擾；我們比較平均餘命(loss-of-life expectancy(LE))²⁷ 及健康餘命損失(loss-of-quality adjusted life expectancy (QALE))之差，即是以差異中之差異(difference in differences)作估計量來相比，而非直接比平均餘命或健康餘命^{55, 56}。

4. **台灣全民健保之永續策略：全面推動有效預防各種疾病的生活型態以降低發生率，及對各病診療指引做健康科技評估不斷提升其效率與公平性。**英國的科技委員會在發生 COVID-19 大流行後，於 2021 對首相建議整合預防、診療與照顧的路徑；方能使他們目前論人計酬制的健保永續；⁷ 新英格蘭醫學雜誌 Catalyst Insights Council 2024 年的調查，更指出公衛與醫療照護機構間密切協調，對感染性與非感染慢性病控制極為重要。⁶¹ 近年來，美國心臟學會曾提出 8 項心血管病預防基本原則(Life's Essential 8)，世界癌症研究基金會(World Cancer Research Fund International)與美國癌症研究所(American Institute for Cancer Research)共也同提出防癌 10 項建議大部分重疊；換言之，預防心血管病也可預防各種癌及慢性病、失智。因此，**戒菸酒檳榔、運動、健康飲食(如地中海飲食)、好睡、保持理想體重、控制好 3 高(血糖、血壓、血脂肪)、適當癌篩(子宮頸、大腸、乳房、口腔、肺等)、安全帽安全帶且不開快車，國人十大死因即可下降。**其實可以從健保法第 44 條家庭責任醫師制度著手做起，配合健保署品質(P4P)計畫推動，再從學校、職場及社區衛生單位，全面提升個人及社群健康識能與預防行為；亦將部分改善不同

社經地位帶來的健康不平等⁴⁸⁻⁵⁰。

以真實世界資料研究促進政策改善的實例(Empirical examples)

以真實世界資料的研究，促進台灣政策之改善與臨床指引之改進，舉五個實際的例子：

(1)長期插管呼吸治療：

幾乎各種病到末了病人都是不能呼吸而需插管靠呼吸器維生，在台灣這是重大傷病由健保全額給付醫療花費。但是插管後能使病人存活多久，專家醫師們也都未知；家屬常想，既然由健保出錢我們也就等等看。而台灣早期的法律是不容許拔管的，病人增加造成健保每年約 169 億花費在此。醫策會關注此議題，故董事長謝博生教授擔心它可能會拖垮健保財務。當時我剛進入生活品質研究領域，謝教授要我評估長期插管呼吸治療各類病人的費用、生活品質與平均餘命、拔管倫理，看有何適當的解決方案。

我們的研究團隊估計各種病之發生率、推算其終身存活函數，計量出終身健保花費及家屬自付額，同時探討插管拔管背後的倫理議題，用真實世界證據說服大家，促成 2011 及 2013 年立法院二度修法；對於已神志昏迷且有二位專科醫師認定為疾病終末期，例如癌症全身轉移者，只需有一位最近之親屬簽署即可拔管，此辦法載於安寧緩和醫療條例第 7 條。家屬從我們實證研究的結果得知各種病人終身自付額度後，也自然會有合宜的打算¹⁷。在政府與社會各界齊心努力之下，終於使台灣此項健保花費從 2015-2016 年起逐年遞減，每年節省數十億。

(2)比較血液透析與腹膜透析之成本效果：

由於腹膜透析的洗腎病人常是高知識水準、較年輕、較多女性、且較可能少些嚴重共病；因此直接與血液透析比其成本效果並不公平，會有因果關係的干擾(confounding)¹⁶。控制好 confounding 之比較才有可能服眾。我們的團隊做各種匹配後之比較均顯示，血液透析每健康人年比腹膜透析至少貴 3000 美元以上，終身至少多花 33000 美元¹⁵。這個真實世界的資料促成台灣政策之改變，健保增加腹膜透析固定點值至 1.2 元/點，改變血液透析為浮動點值 0.96-0.84 元/點。最近我們已發展成功計算罹患慢性病以後終身減損多少生產力的方法⁵¹，可計量兩者終身就業年數，血液透析比腹膜透析依年齡約多損失 1-2 年，且薪水稍有下降呈現減效在職(presenteeism)的趨勢；對病人而言後者較有財務誘因。

(3)安全帽對頭傷之預防與保護，與交通事故傷害整體思考：

我們的團隊同時計量騎機車戴安全帽對減少頭傷發生率與嚴重程度之雙重貢獻。前者發現戴全罩式頭盔與半罩式頭盔，可把頭傷風險各降為未戴安全帽之 0.3 及 0.7 倍⁵³；後者發現同樣發生頭傷，有戴安全帽者比未戴者終身少損失 5 個健康人年(QALY)⁵⁴。此等結果顯示政府安全帽政策的方向是正確的。又發現佩戴安全帽、安全帶、與改善交通安全建設，將降低脊髓損傷的發生率與負

擔^{18,19,64}；只可惜這些努力雖然使得歷年交通事故總死亡人數略有下降，從 2008 年 3474 人至 2024 年降為 2950 人；卻仍然趕不上事故總件數逐年增加的趨勢，同期間從 170,127 件增為 393,918 件(約 2.3 倍)

(<https://roadsafety.tw/Dashboard/Custom?type=%E7%B5%B1%E8%A8%88%E5%BF%AB%E8%A6%BD%E5%9C%96%E8%A1%A8>)。這個問題在年長者尤其嚴重¹⁹。

(4)乳癌、大直腸癌篩檢之終身成本效果評估：

我們的研究發現 2024 年乳癌篩檢達 91.6 萬人，約可診出 5250 個案，其中罹癌為早期者佔絕大多數；相對於非篩檢診出之乳癌平均多活 2.4 年(調整生活品質後約 2 QALY)，每人節省健保花費 18.3 萬新台幣；總共為健保節省了約 10 億。光只計量拿薪水工作的部分，發現兩者終身生產力接受篩檢者終身多工作 7 個月、多賺到的薪資加總起來約達 12.8 億^{27,65,66}；可作為推動癌篩的誘因。

大直腸癌篩檢出之個案比非經篩檢出之個案，男性多活 2.7 年多工作 0.6 年；女性多活 2.9 年多工作 0.5 年⁶³。可考慮將篩檢年限下移至 40-45 歲。

(5)美沙酮對鴉片類成癮者之終身健康效應：

我們的團隊先計量接受美沙酮與未接受者之 ICER；仍是比較兩者之 loss-of-QALE³⁸；發現前者比後者少損失 9.7 健康人年。現在正進行兩者之 lifetime loss of productivity 之比較，將更能服眾。

(6)預防胃癌之策略，幽門螺旋桿菌篩檢陽性者，是否需先作內視鏡後才除菌治療？

衛福部 HTA 小組評估發現，在原鄉地區之成本效益分析結果，直接除菌治療具優勢(dominant)；每篩 1 萬人且立即治療約可減少 100 個胃癌新個案，但健保需額外負擔除菌治療 969 萬元。由於目前健保不給付預防性醫療服務而有爭議。其實我們早已發現每個胃癌診療終身花費健保 97 萬元¹²，因此這一項投資將為健保帶來約 10 倍的回饋。

根據以上實際的經驗，若要所作的評估結果讓提出議題之單位及民眾接受，研究者必須先與該單位作深入的溝通，聆聽並瞭解問題的來龍去脈，所設計的研究方才能夠對症下藥，所提出的解決方案才能夠讓政府與民眾接受。