

國立中正大學法律學研究所
碩士論文

罕見疾病患者之醫療保障

指導教授：郝鳳鳴 博士

學生姓名：林育蘋

中華民國九十八年一月

本論文感謝 財團法人罕見疾病基金會 提供
第十屆罕見疾病博碩士論文獎助學金

謝辭

紫色的洋紫荊編織而成的晨之徑，迎著飛舞的黃花風鈴木邁向圖書館，颱風過境後阿伯勒花所繪製而成的美麗抽象畫，同享小葉欖仁生命的週期，炙熱夏天的鳳梨與土芒果，一簇簇橘紅色的鳳凰花，黑冠麻鷺扯著沙啞的嗓音呼喊，鴿子咕咕地覓食，松鼠活蹦亂跳於樹林間，早晨十九度水溫的游泳池，享受著齒輪運轉聲的飛輪，黑夜中與我相互競跑在操場的月神，後山中經歷許多煩悶及生命禮讚，陪我成長躍進的法學院及圖書館，感謝您們伴我走過這六年半的歲月。

老爸、老媽、老哥、三阿姨及小阿姨，感謝我摯愛的家人們的鼓勵及支持，感謝郝鳳鳴老師及鄭津津老師三年來的指導，感謝我親愛的朋友們：美莉、好、采、小卓、靜雯、秀老大、阿蘇、心怡、縉文、雲慈、孟慧、小妹、雋雅、琇惠、家慧、皓菁、小皮及阿金…伴我渡過許多的低潮期，感謝您們讓我的生命繪上許多色彩。

這是一本不成熟的論文，但是卻是伴隨著您們支持而生的信念作品，大三那一年的社會法課程報告，帶領我進入這個不受大眾注意的法領域，三年後，以同樣的主題為題目畫下句點，這是一條讓我實踐夢想的道路，我走過、哭過、笑過，或許未達我的夢想目標，然而，我不悔走過這一趟，因為，有您們的相伴。

下一個旅程即將開啟，帶著您們的祝福和支持，我知道，眼前的道路雖充滿了許多的不確定性，無數的挑戰正等著我，然而，因為，有您們，我將會昂首前進，感謝與您們的相遇，這是一件非常幸福的緣份。

中文摘要

本文係由罕見疾病患者之醫療缺失為出發，探討我國罕見病患在醫療上所生之隙漏，試圖從法律面提出解決方案。為文在方法論中，以文獻分析為主，先從憲法位階著手，論述罕見疾病患者醫療保障之憲法基礎，以生存權、健康權確立其權利來源，再由平等原則強化其保障之正當性；又鑑於我國現行關於罕見疾病患者之立法多參酌他國之立法經驗，於次章節中便以最早立法的美國法為研究範圍，由美國的立法例中反向審思我國現狀及待改善之處。然若對於我國現行法制無相當了解，尚無法由美國經驗中獲取反省之基礎，特於文中規畫出一章，從法釋義評析，我國現行法制面不足之處；最後，由我國及美國之立法上，提出對於我國現行對於罕見疾病患者之醫療保障網之建構。

在醫療社會安全制度的建立上中央、地方，不論在水平或是垂直權限劃分上，宜再加以調整、相輔，並納入全球化思維。科技的日新月異，基因工程及人體試驗的研究可謂如日中天，罕見疾病患者多屬基因遺傳性缺憾，基因療法及人體試驗於我國法制尚未健全下，對病患之安全性仍有待商榷。醫療資源運用上，從法制面上是否有符合病患之特殊健康需求及尊重病患權利？現行法制上仍有些微尚待調整處，於本文中有加以論述，惟關於罕見疾病患者之醫療保障上，其醫療之長期照護不足可謂目前最需改進之處，醫療之長期照護不僅需要相當程度的專業性、持續性外，其所需負擔成本，不僅單純是醫療照護費用外，更涉及罕見疾病患者整個家庭的結構，於立法層次上，我國在立法上似乎僅從單純「個人」為對象加以思考，而忽略其背後支撐之家庭功能。

故而，本文認為罕見疾病患者之醫療保障，於我國現行法制面上，除了文中所述需加以調整之處外，比較大的修整方向上：在實施權責機關上應調整中央地方功能，在立法上並需考量科技、社會演進，最重要的是長期醫療照護之建立法制化。

關鍵字：罕見疾病、生存權、健康權、孤兒藥法、基因療法、長期醫療照護。

目錄

第一章 緒論.....	1
第一節 研究動機與目的	1
第二節 研究範圍.....	3
第一項 醫療資源分配正義.....	3
第二項 發掘我國罕見疾病之醫療保障缺失.....	3
第三節 研究方法.....	4
第四節 章節安排.....	5
第二章 罕見病患醫療保障之法理基礎.....	7
第一節 罕見疾病意義	7
第二節 人權發展之演進：從個人、國家到跨世代及集體.....	7
第三節 社會國家之理念	9
第一項 社會國之基礎	9
第二項 生存權之保障	10
第四節 健康權的保障	11
第一項 健康的意義.....	11
第二項 醫療人權.....	12
第五節 罕見疾病患者之醫療保障基礎	18
第一項 健康權及生存權之最低限度保障.....	18
第二項 合理差別保障	19
第三章 美國罕見疾病法規範之保護.....	20
第一節 立法背景.....	20
第一項 立法過程.....	20
第二項 歷次修法及爭議	21
第二節 治療前期：以藥物研發為主軸	24
第一項 藥物研發之誘因	25
第二項 藥物研發誘因之市場判斷準則	26
第三項 公權力政策誘發研發.....	27
第四項 美國罕見疾病法規範之影響	31
第三節 治療期：醫療資源及需求.....	32
第一項 醫療資源考量因素	32
第二項 給付財源.....	33
第三項 特殊醫療食物之注重.....	35
第四節 治療後期：孤兒藥之商品製造者責任.....	37
第一項 免責與否爭議	37
第二項 商品責任及孤兒藥.....	38
第三項 孤兒藥物適用商品製造者責任之政策考量	40
第五節 爭議及缺失.....	41

第一項 美國國境內.....	41
第二項 全球化影響.....	42
第四章 我國罕見疾病患者相關法規範.....	45
第一節 立法背景.....	45
第一項 立法過程.....	47
第二項 罕見疾病立法定義及範圍.....	48
第二節 治療前期：預防及檢測.....	52
第一項 通報制度建立.....	52
第二項 罕見疾病國際醫療合作代行檢驗服務方案.....	54
第三節 治療期：醫療資源取得.....	55
第一項 藥物使用及取得.....	55
第二項 納入重大傷病適用.....	64
第三項 福利補助.....	70
第四節 治療後期：醫療復健.....	72
第五節 美國孤兒藥法案對我國啟發.....	73
第一項 目的差異性.....	73
第二項 平等原則.....	73
第伍章 罕見疾病相關法規範之檢討.....	77
第一節 治療前期：醫療前階段基因療法之採納.....	77
第一項 罕見疾病之檢測.....	77
第二項 罕見疾病患者需求政策.....	78
第二節 治療期：醫療資源運用.....	80
第一項 特殊需求.....	80
第二項 病人權利保障.....	81
第三節 治療後期：長期照護之不足.....	83
第四節 其他.....	88
第一項 中央及地方相互輔助.....	88
第二項 全球化對於社會福利影響.....	90
第三項 罕見疾病議題之國際化的視野.....	93
第六章 結論.....	94
參考資料：.....	100

第一章 緒論

第一節 研究動機與目的

「疾病是生命的黑暗面，一較為幽暗的公民身分。每個人來到這世界的人握有雙重公民身分-既是健康王國的公民，也是疾病王國的公民。儘管我們都希望僅使用好護照，遲早我們每個人都會成為疾病的公民」¹。

健康是身為一個完整的人所具備的基本，亦是許多人追求的「財富」，在國際人權宣言第二十五條中便揭櫫了：人人有權享受為維持他本人和家屬的健康和福利所需的生活水準，包括食物、衣著、住房、醫療和必要的社會服務。然而，縱使醫療科技發展的巨輪快速前進，但仍舊有許多無法完全根除的疾病，倘較好的情況，則可能有緩和疾病痛苦及延緩疾病加重藥物出現；在最糟糕的情況則是無藥可救的情況，僅能等待權利能力²的終了。

罕見疾病，意指罹患率極低、人數極少的疾病。其中大部份為遺傳性疾病，只有部份為非遺傳或原因不明的疾病。在我國依「罕見疾病及藥物審議委員會」的公告，則是以疾病盛行率萬分之一以下作為標準。並以「罕見性」、「遺傳性」以及「診療困難性」三項指標來綜合認定³。鑑於罕見疾病患者極其藥物昂貴，在藥物取得及進口不易下，若無政府的支持救助及社會保險制度加以支撐，對於罕見疾病患者而言，可謂是等待死亡的降臨？故而，於二〇〇〇年立法院通過罕見疾病防治及藥物法，該法中為防治罕見疾病之發生，及早診斷罕見疾病，加強照顧罕見疾病病人，協助病人取得罕見疾病適用藥物及維持生命所需之特殊營養食品，並獎勵與保障該藥物及食品之供應、製造與研究發展⁴。從疾病的預防、診斷發現、藥物進口、取得、使用、特殊營養食品提供及健保制度的給付，進行

¹ Susan Sontag, "Illness as metaphor AIDS and its metaphors"(疾病的隱喻), 刁曉華 譯, 大田出版有限公司, 2000, 初版, 頁 9。此書作者藉由歷史的觀點，從許多的文學作品中，加以去剖析疾病的原貌，進而在此過程中，將疾病還原到疾病的真正的樣子，使得人們對疾病所附加的想像(如書中所舉的結核病、癌病、愛滋病等)，而生的迷思及歧視加以消除。

² 按民法第六條：人之權利能力，始於出生，終於死亡。又按權利能力之出生及死亡認定上，學說上見解紛歧，惟通說則以獨立呼吸為出生的起點，而對於死亡，則有心跳停止、呼吸停止及瞳孔放大、腦波完全停止等。相關論述，可參王澤鑑，民法總則，2002.9，頁 111、118。

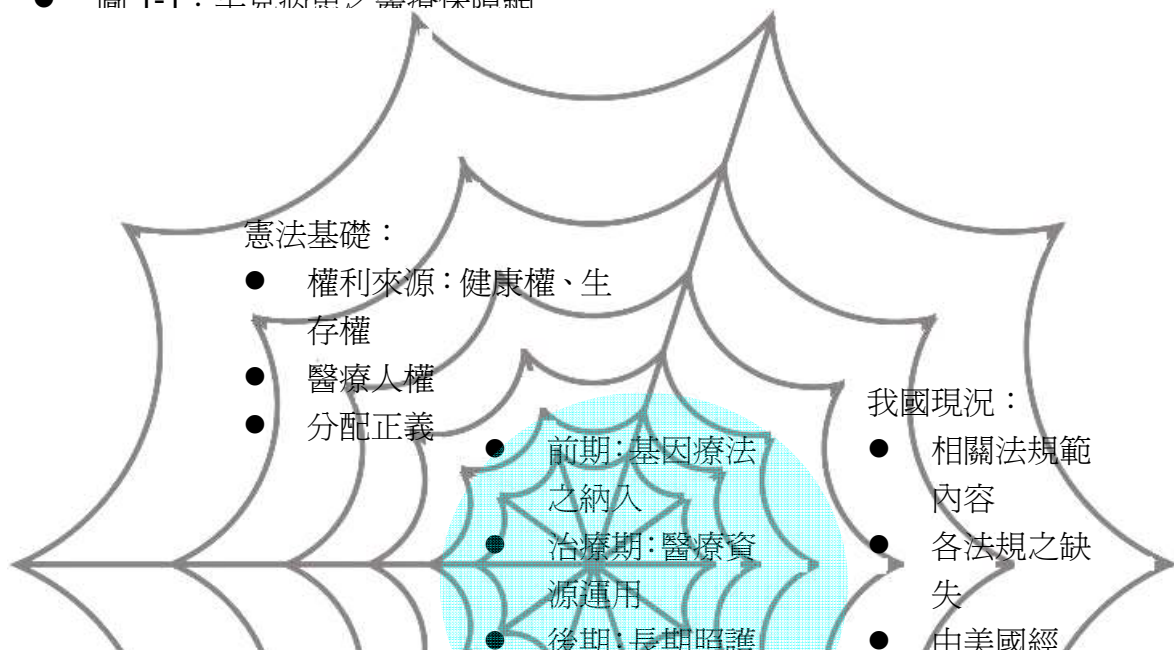
³ 過去，罕見疾病患者大多為社會中的弱勢族群，其在醫療、藥物、生活及安養照護上，一直未受到政府及社會大眾的重視，立法院於 2000 年立法三讀通過「罕見疾病防治及藥物法」，並陸續公布「罕見疾病防治及藥物法施行細則」、「罕見疾病醫療補助辦法」、「罕見疾病藥物專案申請辦法」、「罕見疾病藥物供應製造及研究發展獎勵辦法」等。罕病法實施七年多以來，截至 2008 年 1 月政府公告共 151 項 171 種罕見疾病，通報至國民健康局的罕見疾病個案為 3026 人（統計至 2007 年 012 月，含未公告病類）。另外，目前公告之罕病藥物品項為 86 種，96 年罕病使用罕藥之病友人數為 939 人，至於營養品部分目前有 40 種品項，共符合 15 種疾病之適應症，目前共有 280 人使用。綜合政府通報、及罕見疾病基本會資料庫所掌握以及各病友團體所提供的資料來推估罕見疾病人數將近 5000 人。資料來源：罕見疾病基金會
http://www.tfrd.org.tw/rare/index.php?kind_id=4 最後瀏覽日：2009/1/3

⁴ 參罕見疾病防治及藥物法第一條。

一個通盤制度保障的法規範，在看似已臻完善的立法，是否以達盡善盡美的程序？然而於近期所發生的多起新聞事件⁵中，其爭議之處不外乎在於健保局給付與否？而致罕見病患健康權(生存權)處於一動盪不安情形，故而，在對於罕見疾病似類特殊保障族群中，在法規範面與實際面上有無產生扞格？而致法律的實行面上出現了漏缺？本文之目的係在找出罕見疾病患者在醫療保給付保障的缺陷及提出解決方案，以罕見疾病患者在藥物上設有相當完善的補助？茲於以下提出本文欲解決問題：

- 1、罕見疾病相關法規範現行法，於醫療保障上有無任何缺失？
- 2、醫療資源分配適宜性：如果可以確定一個人生命的終結之時，在健保財物分配、資源有限的公共財下，無效的治療是否有其必要性？正如同醫療經濟學中追求利潤(profit)及效率(efficiency)對於罕見疾病患者為給付便是一個相對來說較為無效率之事，對其保障的正當化基礎何在？若欲要加以特別保障，則保障的範圍為何？此外，如由同樣罹患少數疾病的病患，如獨鍾其一時，對於其給付是否有違平等原則？給付的公平性與否判斷的比較基準為何？
- 3、給付性補助是否一定處於一種隨時不安的狀況？其受到預算波動大之外，恩給性給付的性質是否僅能處被動的地位，而隨時處於浮動的狀態？
- 4、最後，如何在現行醫療保障制度加以強化，並消除對於罕見病患過度運用醫療資源之慮，以建立一個建全的醫療保障網(見圖 1-1)。

● 圖 1-1：罕見病患之醫療保障網



第二節 研究範圍

第一項 醫療資源分配正義

醫療資源是一有限的公共財，如何在有限的資源下獲得最大的效益，應可謂一重要的問題，然而，對於罕見疾病患者而言，渠等所使用的醫療資源為數不少，然所獲得結果卻是極為不易發現，故而，在醫療資源分配、利用，如何說服他人對其為特殊保障？保障的範圍到何處？

第二項 發掘我國罕見疾病之醫療保障缺失

探討醫療保障，罕見病患首當其衝要面對的問題是藥物取得，不論是藥物的事前核准、進口、使用、事後的救濟，在藥物多屬唯一的救命藥下，對於罕見病患的醫療福祉之維繫及建構，對於其在健康權(生存權)上影響重大，事涉罕見病患保障，可能產生的問題，諸如：健保給付、醫藥進口核准、醫藥研發及試驗與使用、對特定少數族群的保障過度、病患之隱私權及個人資訊自決權、優生保健之預防或是胎兒的生命權、罕見病患所生之瑕疵擔保責任、病患就醫的權益…等，惟筆者之能力有限，故而，僅將研究範圍限縮在以下部分，茲分述如下：

1、醫藥事前取得、使用：

孤兒藥取得困難及獲得不易，於藥物取得、使用前，醫藥專利進口、核准、審

查、研發、及人體試驗。以病患尚未使用藥物之前階段所生安全監管及獲得藥物的可近性。此部分涉病患基本權利-生命權(健康權(生存權))討論，並兼論及藥物在於病患使用前階段時，程序上、實體上法規範面規定及可能所生的隙罅。

2、醫療資源的給付及補助：給付資源的分配、給付的時間長短、給付的種類、給付審查過程所生問題，諸如，審查標準、程序等。

23、其他醫療方法使用及獲取。

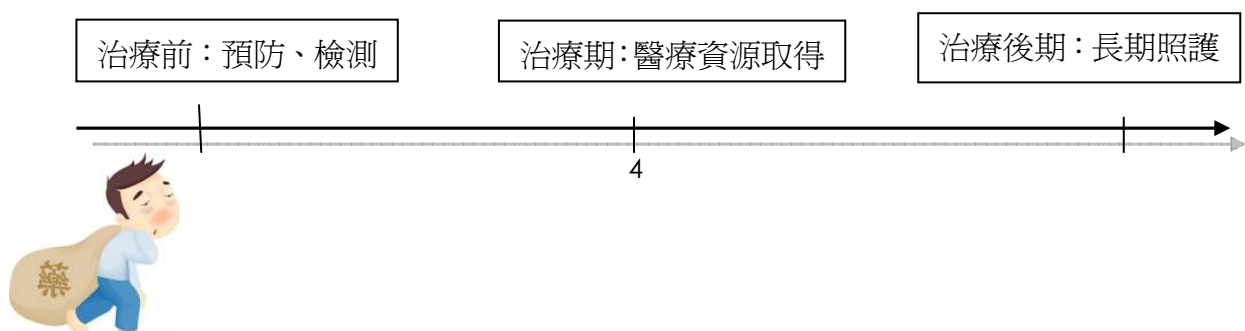
第三節 研究方法

本論文之研究重點係在於找出罕見疾病患者在醫療保給付保障的缺陷及提出解決方案。運用文獻歸納分析上，以蒐集關於罕見病患之書籍、期刊、專論、研究報告、學位論文及報章資料，藉由研讀、分析及整合的過程中，希冀耙梳出罕見病患醫療保障上缺失及解決方案，並進而建構出其醫療保障與立法建議。

兼以法學比較法汲取他人所長，由我國罕見病患立法的演進過程中，罕見疾病防治及藥物法可謂一重要的先鋒者地位，而斯法之立法係參酌美國為主，故而，本文對於美國法上對罕見病患立法的發展、演進、運作及實體法上的規範，並酌以就美國法上實務見解中，有關於罕見病患所生的爭議，加以介紹，並和我國法制加以比較，以做為我國參考學習之用，在此部分上，則運用滾雪球的方式，先從相關的期刊論文及評論，閱讀後，採用以文找文的方式，擴大蒐集和閱讀的範圍，並就美國相關的判決及法律加以研讀分析，並找出可為我國加以學習或改進之處，或是在身為法律的繼受國時，有無產生繼受時的隔閡？而致相類似的規定，產生水土不服的現象，取他人之長，以美國法為外國立法的借鏡，並為了避免橘越淮而枳，故如何加以吸收外國立法，而發展成為法律在地化，將法規範適用在我國，亦為一值得深思的問題。

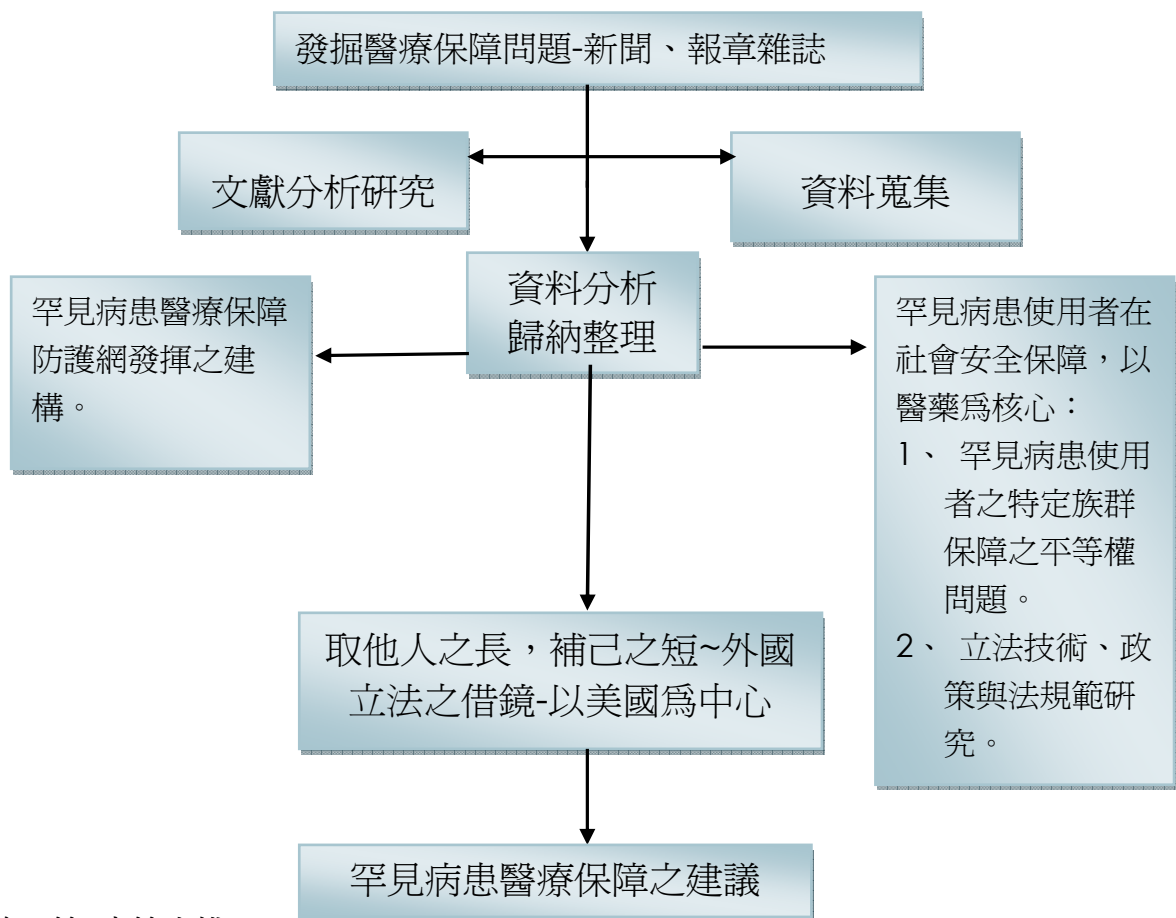
又於研究脈絡及論述上，吾人採用病患之生命歷程方式加以闡述(見圖 1-2)，亦言之，本人係虛擬處於罕見疾病患者之立場，當身為病患時，所經歷之生命歷程加以探討，然而，無法否認係某些情況無法完全截然二分為何一階段，在論述上會加以調整並說明之，又吾人採用此方式之因在於希望藉由此論述方式，能夠有系統的將罕見疾病患者所可能遭遇或需要之醫療處境加以的探討，並且更能符合病患之需求。

● 圖 1-2：罕見疾病患者之生命歷程圖



綜上所述，於研究方法上，係以罕見病患在醫療保障上的相關法律問題為主，在研究方法的流程上，筆者嘗試運用圖解的方法，將研究方法的流程加以圖說。(見圖 1-3)

圖 1-3：研究方法流程圖



第四節 章節安排

第一章 緒論

就本文的研究動機及目的、研究範圍、研究方法、研究架構分四節提出說明。

第二章 罕見病患醫療保障之法理基礎

首先先說明罕見病患之定義，再從人權發展的演進過程帶入到社會國理念及人權保障後，再分述罕見疾病患者之憲法保障依據為何後，探討對於罕見疾

病患者特殊保障之合理性！

第三章 美國罕見疾病法規範之保護

此章節的安排上，係以美國法上對於罕見病患使用者，對於法律上所生之問題，及司法實務上法律運作及規範所為之應對與立法。

第四章 我國罕見疾病患者相關法規範

我國罕見病患使用者之藥物取得之相關法律規範一一陳述，並加以分析，兼採他人之長，補自己之短，借鏡相關外國立法。並兼與之和我國之法制為比較，以建立法律在地化。

第五章 罕見疾病相關法規範之檢討

此部分係承襲上述各章節中，找出我國罕見疾病患者所欠缺之或是需要改進之點為何？並加以檢討改進。

第六章 結論

歸納前揭章節之研究所得，提出研究發現及所獲得的結論，並提出改進我國罕見病患藥物取得制度上可得改進之方向。

第二章 罕見病患醫療保障之法理基礎

第一節 罕見疾病意義

罕見疾病顧名思義係指病患人數極為少數的疾病，亦即是罹患率極低，相當少見的疾病，然於疾病發生後，對患者之腦部、身體其他重要器官，造成智能障礙或併發其他惡疾，造成永久性身心機能或功能障礙，甚而喪失生命⁶。

由上可知罕見疾病指疾病之發生率極為低的疾病，罕見疾病患者則為罹患此類疾病之患者而言，然而，在醫療資源是一個有限財下，在諸多國家中對於此類族群在法律層面上，加以立法保障其醫療上的醫療取得，在不符醫療經濟學的思慮下，對於其醫療何障之法理基礎何在？

在供給面及需求面上極度的不均等，立法者仍立法加以保障其醫療保障，實則看似毫無經濟效益可言，實則牽涉了許多法理上的環節，值得加以探討。第一，國家對於特定族群加以立法保障有無違反憲法上平等權之保障？第二，生存權及健康權保障的法理依據為何？第三，對罕見病患之醫療保障法規範之建構，應遵守何種原則，方能確實達到保障罕見病患之醫療權利？

針對上揭疑義，本文擬從國家功能歷史潮流的演進、人性尊嚴之基本價值以及人權保障等方向加以著手，試圖找到一個較為具有說服力的立論依據。本文以為，於罕見疾病患者之醫療保障之理論基礎在於：每個人皆為權利主體，皆有其生存的意義存在，對於生存權的保障乃對人性尊嚴的最低限度的尊重，予罕見疾病患者之醫療保障不僅是對於其生存權的最低限度的尊重外，更是社會福利國家表徵的體現。

第二節 人權發展之演進⁷：從個人、國家到跨世代及集體

人權發展的演進上，大略可分為三個時期，茲於下述中，就各時期的人權思想核心加以介紹：

第一代人權，係以個人自由權利為主，此係指自由主義(liberalism)⁸浪潮下

⁶ 張原風、張淑卿，罕見疾病患者立法保護之研析，社會福利政策及立法，立法院法制局編印，2002年6月15日，頁467。

⁷ 陳慈陽，基本權核心理論之實證化及其難題，1997年6月，頁49-56；陳新民，論社會基本權利，憲法基本權利之基本理論(上)，元照五版，1996年6月，頁95-128；吳全峰、黃文鴻，「論醫療人權之發展與權利體系」，月旦法學雜誌148期，2007年9月，頁141-142；鄧衍森，從國際人權法論健康權之法理基礎與實踐方式，東吳大學法律學報第11卷第1期，1998年1月，頁56、61-62；陳秀容，近代人權觀念的轉變：一個社會生態觀點的分析，人文及社會科學刊九卷二期，中央研究院中山人文社會科學研究所，1997年，頁122。

⁸ 溫信學，從社會正義觀點探討外籍與大陸配偶健康權之保障，社會科學學報13期，1995年，頁96-100。

的產物，伴隨著一七八九年法國大革命的人權宣言，及一七七四年美國獨立宣言的推波助瀾下，此時期的的人權思潮，認為對抗國家的不當侵害，干涉人民最少的政府便是極為重視人權思想，也最能夠保障人民自由權利，其本質以爭取個人自由，不希望政府加以干預，此時在學理分類上又稱之為防禦權或自由基本權，又相對與第二代人權為一「消極人權」，此時期的主要目標係在爭取投票權、言論自由、公平審判、法律保障及反歧視等。

到了十八、十九世紀時，人權思想以「人生而自由與平等」為近代人權運動的起點，開啓第二代人權序幕，此時期著重於福利國家及國家照護責任，人民積極向國家爭取個人權利保障，此時期的人權體系，係以國民與國家權力之關係來加以探討⁹，其中最具代表性的演譯者，當推德國著名的公法學者耶林克(Georg Jellinek)，其將人權劃分為被動性、消極性、積極性、主動性¹⁰，然而，工業革命衝擊，資本主義的發展，分配不均衡貧富差距擴大下，人權保障仿若空談，一般大眾並無免於貧窮、饑餓的自由，此時遂有社會權的理念形成，以使人權保障體系更趨為完整。

在此階段，是以經濟、社會和文化權為訴求，主要在爭取受教權、住宅權、健康權、就業權、所得安全的權利，人民不再認為干涉最小的政府是最好的政府，而認為應擴張國家的任務，某些權利需要政府積極作為以求社會平等，此時，人權理念由消極轉為積極賦予人民請求國家為一定給付或服務之權利，諸如：社會保障權、工作權、文化教育權等，是屬於「積極人權」，在此思潮的下，各國漸可接受第二代人權，又稱為給付權(Leistungsgrundrechte)、受益權或社會權(soziale Grundrechte)、社會基本權(social rights)¹¹。

第三代人權(three generations of human right)係由法國人權學者瓦薩克(Karel Vasak)於一九七七年提出，其認為第一代人權係指公民政治權利(civil and politic right)，而第二代人權則為有關於經濟、社會及文化的權利(economic, social and culture rights)，為一由政府積極作為以達平等，冀望由政府建立一符合道德要求的公共政策；第三代人權是一非常的特殊的人權型態，立基於社群、集體連帶關係(solidarity)的和同胞愛(fraternity)的精神上¹²，渠屬於一種團體性的集體權利(collective rights)¹³，源自於對於經濟學、世界發展與綠色主義的

⁹ 許慶雄，社會權論，眾文圖書公司，1992年5月，頁1-4。

¹⁰ 被動性係指，國民須服從國家統治的被支配地位，即所稱的國民義務；消極性的係國民可要求國家須消極不作為，即可要求國家不得侵害或干涉個人自由領域的權利，乃一般所稱的自由基本權；積極性乃相對於消極性，國民在自由權受到侵害時，可要求國家權力機關積極作為，以落實具體保障自由權的地位，為要求國家作為，使國民享受權益的權利，一般稱為受益權；主動性，國民乃國家主權者，可主的參與國家意思形成，即一般所稱參政權。見上揭許慶雄，社會權論一書，頁2。

¹¹ 吳全峰、黃文鴻，同註7，頁141。

¹² 陳秀容，社群的互動與人權：關於社群權利的一種思考，政治社群，陳秀容、江宜樺主編，中研院中山人文社會科學研究所專書，1995年11月，頁323。

¹³ 溫信學，同註8。

思想，其主要在爭取經濟發展所帶來利益權利、社會和諧權利、健康清潔的生存環境¹⁴，諸如原住民的住民自治權、環境權、發展權與自主權等¹⁵，以透過國際社會的共同努力加以落實。

集體權可謂是一種藉由團結力量向政府主張的權利，但第三代人權並非排斥個人自發展之重要性，亦非不保障個人的自由¹⁶，集體權有時亦兼具有個人權的色彩，故而，吾人認為集體權屬一綜合性的權利型態，其相對於個人權以個人為權利主體以茲向政府主張權利，以具有集體性、連帶性為其主要特徵¹⁷。

第三節 社會國家之理念

社會國之理念係鑑於工業革命以降，資本主義的興起，貧富差距的日益擴大下，所生以維護人民之生活，保障其權利的理想，由國家一肩擔當保障人民權益的守護者，以國家的積極的作為，加強對人民的保障，以人民能真正達到實質平等及自由，使人權之保障更趨完整

第一項 社會國之基礎

第一款 社會正義

羅爾斯(John Rawls)的社會正義理論，當推關於討論「正義」的經典之作，氏著中認為正義包含二個基本的原則面向，一為自由權平等原則(the greatest equal liberty principle)，一為差別原則(the different principle)。自由權平等原則係人民之自由權(基本權利)在社會中平等的保障，其認為縱為了改善社會、經濟不平等或促進經濟繁榮，在正義的觀點下，仍不得對自由權為侵犯¹⁸；差別原則在建構一個正義的社會中，使「處境最不利的成員」(the least advantage members)獲得最大的利益(the great benefit)¹⁹，差別原則並非反對差別對待，僅禁止無正當理由的差別對待，羅爾斯的終極目標在於均富、自由權的實質保

¹⁴ 王永慈，建構 2010 年社會福利發展理念，2010 年社會發展策略社會福利研究報告，行政院研究發展考核委員會，2003 年 1 月，頁 54-55。

¹⁵ 鄧衍森，同註 7，頁 56。

¹⁶ 李震山，多元、寬容與人權保障-以憲法未列舉權之保障為中心，元照出版，2007 年 9 月，頁 294。

¹⁷ 關於集體權之概念乃一較為新興之權利體現，何種權利可納入集體權之範疇內，尚有爭議，在現行法規制下，是否有此權利形態？相關內容可參見，李震山於「多元、寬容與人權保障-以憲法未列舉權之保障為中心」一書中，頁 293-317。

¹⁸ 石元康，當代自由主義理論，聯經，1995 年。轉引至郭文正，2000 年，「由生存權保障論我國年金保障制度之建構」，國立政治大學社會學系研究所碩士論文，頁 12。

¹⁹ John Rawls, A Theory of Justice, Cambridge, Mass.: Belknap Press of Harvard University Press, 1972, at 60。

障，藉由國家適當的介入提供人民所需要的福利，以改善社會上、經濟上相對弱勢者的處境。

由羅爾斯的社會正義理論中，可知社會正義的內涵在於對於自由權的尊重及平等原則之合理差別待遇，易言之，社會正義乃對於自由權最大限度的保障，使得人民最基本的權利，不受到不合理的侵犯，又為了平衡機械式平等中平等的假象，建構出合理的差別待遇的方式，加以調整社會上相對的弱勢族群，冀以此達到人民福祉的提升。

第二款 社會安全制度

社會安全制度之旨在於保障人民之人性尊嚴為主，建全其經濟生活安全上的保障，社會安全制度在劃分上有認為狹義及廣義二者²⁰，其見解認狹義的社會安全包括社會保險、社會救助及社會福利。又有學者認社會安全制度，係指「因應現代社會成員所可能面對的疾病、傷害、老年、殘廢死亡、職災、失業、照護需求、家庭過度負擔、貧窮等社會風險以致造成生活短缺之社會保障體制²¹」。亦有認社會安全制度為「有組織地集眾人之力，保障每一社會成員在人生每一階段的基本生活需求與福祉，該制度不但在物質上保障最低生活條件，在精神上亦重視人性尊嚴之維護，期人人有均等機會，以發展健全之人格，進而促使社會整體進步²²」。

對於社會安全制度的定義，各學者由不同描述形容，似非完全相同，然吾人認為其核心的內涵其實是大同小異，社會安全制度的建立不外乎以人性尊嚴的保障為主，建全其生活保障為旨趣。

第二項 生存權之保障

第一款 生存權保障意義

生存權，一般將其定義為「得要求確保生存或生活上必要諸條件的權利」²³，然而，由本文上節關於人權演進中可知，鑑於歷史的演進、人民對於國家義務要求的不同下，依此定義，將導致生存權之範圍處於一流動，其內涵而生變動，在自然權利概念中所得知的生存權內涵與社會體系中的生存權內涵，可謂有著極大迥異，惟吾人認為其區分的實益，在於其是否屬於現行法中，可以由人民加以主張向國家據以為請求的權利，而要求國家為一定行為以保障人民的生存權，對於生存權之保障範圍為何？方為重點所在？

²⁰ 曾妙慧，社會安全與社會保險，華泰文化事業公司，2002年12月，頁10、19。

²¹ 郭明政，社會安全制度與社會法，翰蘆圖書出版有限公司，1997年11月，頁1-53、115-134。

²² 郝鳳鳴，我國社會法之現況與展望，輔仁法學第15期，1996年6月，頁94。

²³ 許慶雄，同註9，頁29。

第二款 生存權保障範圍

對於生存權保障之範圍為何？在學者間可謂迭有爭議，有謂生存權係限於狹義的生存權，以社會弱勢者的最低的生活保護、一般國民生活的社會保險及維持社會安定的法律制度、行政措施，如公共衛生、婦女、兒童福祉保護法等；另有謂生存權之保障範圍應採以廣義角度，亦言之，除上揭所陳外，亦涉及學習權、工作權、勞工權等²⁴。然而，在涵攝生存權的保障範圍，亦有學者由權利主體的角度切入，認為狹義的生存權指「不能維持基本生活之社會弱者」請求國家以維持渠等之最低生活權利；廣義的生存權泛指射「一般國民」要求國家保障其追求最低經濟、健康文化生活權利。

生存權對於建立人民福祉及生活保障為鵠的，使得朝向福利國家邁進確有重大的貢獻存在，惟對於生存權保障範圍，通說的見解以「最低限度保障」為主，係指人民維持生存最迫切需要的條件²⁵。然吾人認為，此將生存權的規範內涵確認出了一個概約的範圍，惟仍有不明確性²⁶，但無法否認在具有流動性、伸縮彈性下，使得生存權具有與時俱進的效果以符合當代的潮流，加以調整，但從另一個角度觀之，此處於浮動狀態下權利，對於人民權利行使而言何嘗不是一種危害？或許此為生存權特殊所在，於主張生存權時立法者必需考量整體經濟環境、保障優先順序及社會的變遷發展而定，於立法者應為立法但不為時，人民力量的展現便於此產生。

第四節 健康權的保障

第一項 健康的意義

如何對健康下一定義並非一件非常容易的事，聯合國「世界衛生組織」(World Health Organization，簡稱 WHO)將「健康」定義為「在身體、心理、和社會三方面安寧福的狀態」，然而，此三者是相互影響交互作用的²⁷，故而，在何狀態下可稱之為健康，便是一難以用絕對的定義來加以說明。

有學者²⁸曾對健康的觀念作一整理，其分別從不同的角度切入認為：

²⁴ 許慶雄，憲法入門，月旦出版，1993年，頁144。

²⁵ 李建良，基本權利理論體系之構成及其思考層次，人文及社會科學集刊第七卷第一期，1997年3月，頁47。

²⁶ 彭鳳至大法官於釋字第五八八號解釋一部協同意見書及一部不同意見書中：「釋字第五六七號解釋理由書則可解讀出「人性尊嚴」是一種防衛權，而且具有不容國家機關以任何理由、任何方式予以侵害的效力，然而「人性尊嚴」的規範內涵是什麼？是不是僅指該號解釋相關的思想自由，或概括指「不容侵犯之最低限度人權保障」？又何謂「最低限度人權保障」？仍不明確。對於人性尊嚴的規範內涵為何？與生存權的規範內涵為何所生之爭議有異曲同工之妙。

²⁷ 張笠雲，醫療與社會醫療社會學的探索，巨流圖書公司，1998年3月，頁31。

²⁸ 相關論述，可參林芸芸，健康指標之探討，公共衛生第9卷第3期，1982年，頁271-279。

- 一、從醫學觀點，健康在於發現疾病和減輕疾病；
- 二、從預防醫學或公共衛生學的觀點，在於預防疾病；
- 三、從人道立場，健康是人類一切努力的重心，舉凡社會福利、教育和兒童福利的改善都是；
- 四、從經濟觀點，則如何去除一切導致經濟和生產損失的因素；
- 五、超生物體系而言，人是一個體系和自然環境作用及調適，有其內在的特性和限制，疾病是環境中必然存在的成份；
- 六、哲學觀點，則重在充份發揮自己的能力，實現自我；
- 七、生態學觀點，人只是整個動態體系中的一部份，在強調人和整個動態體系交互作用的效果。。

由上可知，對於健康的定義，可謂非常的廣泛，由不同的觀點剖析會有不同對於健康權的定義產生。

第二項 醫療人權

倘若談到關於人的身體健康方面的議題時，大部分的人第一個反應，應該都是想到醫療或是醫師、醫院等，故而，在學理上便有爭議係何謂醫療人權？其和健康權有何不同？亦或其實是指涉相同的範圍僅名稱上的不同？吾人在此須加以先界定一下，何謂醫療人權？

在學說上關於醫療人權²⁹的概念，泛指民眾有獲得充分之保健服務與醫療照護之權利，以保障符合人性尊嚴之生活，其應視為一種新興的社會基本權利，而其內涵則與其他之社會基本權利有互動關係³⁰，指醫療上相關的權利皆屬之，其中由基本權的功能面向可將其畫分成：一、防禦權（自由權、知的權利、隱私權、平等權）性質、二、受益權、三、其他權利。由學者對於

又從醫療人權適用的主體區分，可劃分為一般民眾（病人）之醫療人權及醫事人員之醫療人權，前者中具有防禦權特質的，諸如：自由就醫之權利、自由投保

²⁹ 吳全峰、黃文鴻，同註 7，頁 112-131。溫信學，同註 8，頁 100-101，於吳氏著中，整理出其他學者對於醫療人權的定義概有以下：（一）民眾有要求府增進國民健康，普遍推行保健事業及健全醫療制度的權利，並能以人格主體之地他，要求尊嚴、自由、平等接受妥當醫療照護和拒絕醫療之權利；（二）關於人民健康照護、醫療保健等之基本權利稱之為健康權（為生存權之延伸），而將健康權具體落實在實體法中，並作為政府制訂政策、法律規範者，則是醫療人權。在上述的文獻中，可知對於醫療人權之定義，有一共同特色係以人民之健康為最主要的目的，本人延用吳全峰、黃文鴻，同註 7 之定義，一來，其定義上兼具上述二種定義的長，再者，吾人肯認其將醫療人權之權利特性，歸為社會基本權中。

³⁰ 吳全峰、黃文鴻，同註 7，頁 144。

之權利、自由議定報酬之權利、自己決定權、同意及拒絕醫療權、轉診及轉院與出院權、接受平等醫療權、醫療資源平等分享權；具有防禦功能之受益權，則有訴訟權、投訴之權利、醫療政策參與權、醫療顛末瞭解權、藥劑用法說明權、醫療文書掣發請求權、費用知悉請求權、醫院內規瞭解權、專業能力資訊請求權、詢問權、溝通權；含受益權特質者，如生育照護服務請求權、嬰幼兒照護服務請求權、緊急醫療請求權、健康權、一般衛生保健服務請求權、醫療品質權、個人尊嚴權；其他無法涵射在上述者，則有適當之工作與居住環境、乾淨之飲用水、適當營養之食物、相對之文化尊重。而在後者中，關於醫療人員之醫療人權，氏著中學例，認為如：診療權、平等執業之權利、拒絕醫療權、拒絕證言權、自由議定報酬之權力、轉診權、醫療業務權等³¹。

其中和本文欲討論範圍較為相關者為，防禦權中的醫療自由權，醫療平等權，形式上人民不因種族、經濟、社會、地位、疾病影響要求接受政府推行的醫療保健事業及福利權利，及接受平等醫療之權利，實質上係指公平正義概念應成為法律制定及政策推行上指導方針。而受益權之內涵則為民眾要求國家提供適當健康照護服務之權利。其它權利則如醫療品質權、個人尊嚴權及國家健康保險計畫參與權等。

由以上可知，醫療人權之範圍非常的廣泛，《國際人權宣言》(Universal Declaration of Human Rights) 第二十五條中便揭櫫了：人人有權享受為維持他本人和家屬的健康和福利所需的生活水準，包括食物、衣著、住房、醫療和必要的社會服務；在遭受到失業、疾病、殘廢、守寡、衰老或其他不能控制的情況下，喪失謀生能力時，有權享受保障...³²。又根據《世界衛生組織憲章》序言一：「健康是一種完全的身體、心理和社會的健康狀態，而且不只是沒有疾病或虛弱。」序言二：「享受最高可達到的健康標準是基本人權之一，沒有種族、信仰、政治信念、經濟或社會狀況的差異。」第一條：「世界衛生組織的目標是人人享有最高可能的健康水平的達成。」，再者，最接近世界衛生組織對健康人權的陳述應是《經濟、社會與文化權國際公約》第十二條：「簽署這項公約的國家承認人人有權享受最高可達到的身體和心理健康標準。」另外，該公約第十一條則是接近《世界人權宣言》裡的陳述：「簽署這項公約的國家承認人人有權享受適合他自己和家屬的生活標準，包括食物、衣著和住房，及生活標準的持續改善。簽署這項公約的國家將採取適當的步驟以確認這權利的達成.....」³³。

³¹ 吳全峰、黃文鴻，同註 7，頁 160。見氏著文中所製圖表中，可清楚觀察得知，醫療人權傳統權利兼具有防禦權(自由基本權)及受益權(社會基本權)特質。

³² 轉引至溫信學，同註 8，頁 101，原文為：Everyone has the right to a standard of living adequate for the health and well-being of himself and of his family, including food, clothing, housing and medical care and necessary social services, and the right to security in the event of unemployment, sickness, disability widowhood, old age or other lack of livelihood in circumstances beyond his control.

³³ 網路資料來源：

<http://www.hf123.com/health%20human%20right-implement to become a world brand.htm>
最後瀏覽日：2009/1/3

因此，對於何謂醫療人權，其所指涉的範圍為何？吾人採用較為廣義想法認為，以保障人民之醫療上、健康上(包含生理、心理層面的)權利，應和國際人權宣言第二十五條之範圍相當，一來，在保障人民是類權利上，較不會產生漏洞，二來，在醫療人權尚屬未臻成熟下，倘加以過度限縮其射程，有礙其發展的可能。

故而，吾人認醫療人權係具多面向的權利，無法僅得用傳統分類上防禦權、受益權等加以一言以蔽之，屬於一種融合了多面向的權利特質。

第一款 健康權保障意義³⁴

於我國憲法第一百五十七條規定：國家為增進民族健康，應普遍推行衛生保健事業及公醫制度。憲法增修條文第十條第五項規定：國家應推行全民健康保險，並促進現代和傳統醫藥之研究發展。此二條文為憲法中為二出現健康字眼的條文規定。

然而，健康權又為何物呢？在我國憲法本文的基本人權條款中，並無相關的字眼存在，健康權是否為人民基本權的範圍？在思考的層次上，應該需要先找出健康權之憲法基礎為何？然後再探討健康權的功能及效力？

第一目 憲法保障依據

我國法制上受到從德國法極大影響，關於健康權，德國聯邦憲法(基本法)無健康權之明文規定，但學界將之視為基本法第二條第二項“身體不受傷害權”的下位類型，因此包含身體不可侵害，而為了回復個人健康狀態所為治療與治療前之檢查，甚至本身不會造成個人傷痛的抽血或剪髮，雖與健康無直接關係，但仍對個人身體的不可侵害有所影響，因此，亦包含在身體不受傷害權在內。以生理、肉體與心理、精神之完整性，遠離病痛殘缺為主。而世界衛生組織規章前言認為健康權尚包含“社會安寧”，因射程範圍過大，且個人敏感度不同，倘作為健康基本權利中健康概念的法學上定義恐有範圍過廣之嫌。

一 健康權在憲法上基礎：

學界通說一般贊成健康權屬於憲法所保護的範疇，又於司法院大法官解釋第三九八、四〇四、四一四、四七二、四七三、四七六、五一二、五二四、五三一、五三三、五四五、五四七、五五〇、五七七號等亦肯認有健康權。然健康權之憲法基礎到底為何？其理論依據為何？

(一) 歷年大法官解釋

1、司法院大法官解釋第四一四號：以憲法第十五條之生存權為基礎

釋字第四一四號解釋理由書(節錄)：藥事法第六十六條規定：「藥商刊播藥物廣告時，應於刊播前將所有文字、圖畫或言詞，申請省(市)衛生主管機關核

³⁴ 林明昕，「健康權-以國家之保護義務為中心」，法學講座 32 期，2005 年 3 月，頁 26-36。

准，並向傳播業者送驗核准文件。傳播業者不得刊播未經省（市）衛生主管機關核准之藥物廣告。」旨在確保藥物廣告之真實，維護國民健康，其規定藥商刊播藥物廣告前應申請衛生主管機關核准，係為專一事權，使其就藥物之功能、廣告之內容、及對市場之影響等情事，依一定程序為專業客觀之審查，為增進公共利益所必要，與憲法第十一條保障人民言論自由及第十五條保障人民生存權、工作權及財產權之意旨尚屬相符。

2、司法院大法官解釋第五五〇號：基本國策相關規定

釋字第五五〇號解釋文(節錄)：國家為謀社會福利，應實施社會保險制度；國家為增進民族健康，應普遍推行衛生保健事業及公醫制度，憲法第一百五十五條、第一百五十七條分別定有明文。國家應推行全民健康保險，重視社會救助、福利服務、社會保險及醫療保健等社會福利工作，復為憲法增修條文第十條第五項、第八項所明定。

3、大法官解釋對健康權之憲法基礎依據

按司法院大法官解釋第四一四號、第五五〇號中，對於健康權之憲法上基礎為何？迭有不同的見解，司法院大法官解釋第四一四號認應為憲法第十五條生存權所涵攝的範圍，惟與司法院大法官解釋第五五〇號中，又改弦易轍認為健康權的憲法基礎為基本國策即憲法第一五五條、一五七條及憲法增修條文第十條第五、八項，憲法解釋本具有其時代性，而有改變見解的可能，惟二者所生的效果迥異，倘認為健康權之憲法依據為憲法第十五條生存權，其屬基本權利的規範疇，在效果上便具有基本權利的功能面向，諸如：主觀公權利、客觀法規範等；反之，倘認為健康權之憲法依據為憲法第一五五條、一五七條及憲法增修條文第十條第五項的基本國策為依據，則因基本國策並無法等同與基本權利功能一般，在保障人民的強度便稍嫌薄弱之處，故而，健康權之憲法依據為何？孰是孰非，當應加以釐清，以杜爭議。

(二) 學者討論

1、基本國策

有認為從基本國策中，憲法第一百五十七條³⁵及增修條文第十條第五項³⁶，縱觀整部憲法條文中，與「健康」有關的條文，僅在憲法第一百五十七條及憲法增修條文第十條第五項，因此，有認健康權的憲法基礎為此二條文，惟此二條文的性質，均為基本國策，然對於基本國策的效力可謂顯有爭議性³⁷，有從基本國

³⁵憲法第一五七 條 （衛生保健事業之推行）國家為增進民族健康，應普遍推行衛生保健事業及公醫制度。

³⁶憲法增修條文第十條第五項：國家應推行全民健康保險，並促進現代和傳統醫藥之研究發展。

³⁷ 林明鏘，論基本國策，現代國家與憲法，1997 年，頁 1465-1503；陳新民，中華民國憲法釋論，2002 年 10 月四版第三刷，頁 832-844；李震山，論憲法未列舉之自由權利之保障-司法院大法官相關解釋之評析，憲法解釋之理論與實務，第三輯，中央研究院，2002 年 9 月初版，頁

策與基本權本質上差異不同，而認基本國策不具有直接效力，亦有將其依條文的內容加以分類為具方針條款、憲法委託、制度性保障或公法權利，亦有同樣以條文的內容將基本國策作為釋憲依據、人民公法請求權基礎、課與立法義務之依據或方針條款，然而，在各學者對於基本國策的解釋中，多認為其欠缺個人性，及主觀公權利性質的基本權利，而頗受批評不宜直接作為健康基本權的憲法上依據³⁸，因此，惟有找尋其他的憲法條文作為解釋的依據。

2、基本權利

有認健康權的憲法依據為憲法第八條及第十五條³⁹。但憲法第八條⁴⁰為人身自由，人民的身體自由看似會與健康有相當程度的關聯性，由憲法第八條的內涵以人身自由受到侵害為主，而非涉身體健康與否，其應屬人民身體自由的活動問題，而非關健康權，倘若認屬於健康權之憲法上的依據，則有涵攝過廣之嫌，故不宜採之。又憲法第十五條⁴¹生存權，從法條的結構觀察，其和工作權、財產權並列，似以個人經濟、物質之生活為主要規範對象，亦不宜納入。故而有力見解認為憲法第二十二條為解釋上最有可能條文依據⁴²。

由上述整理可知，對於健康權性質上認並非基本國策，係屬基本權利，而其在基本權利中的依據，則多有爭議，吾人認為在肯認健康權為基本權利性質後，無法由憲法第八條、第十五條中合適的加以涵攝時，運用憲法第二十二條的規

372-377。林明昕，原住民地位之保障作為「基本權」或「基本國策」？，憲政時代，第 29 卷第 3 期，2004 年 1 月，頁 348。林明鏘教授認為基本國策僅有間接效力，規定僅有客觀性，而陳新民與李震山教授則將基本國策區分為不同的類型加以劃分其效力，其與林明鏘教授最大不同差異處，在於憲法第一六〇條第一項基本教育免納學費之規定，而其他區分為方針條款、視為憲法委託、視為制度性保障，或是釋憲依據、課與立法義務之依據，整體而言，與林明鏘教授所認為之基本國策效力並無太大的差異，其核心皆在於憲法對國家之政策性指示，而賦予國家依其能力負有義務實踐此具有拘束力指示。

³⁸林明昕，同註 34，頁 28。

³⁹鄧衍森，同註 7，頁 55-72。

⁴⁰憲法第 8 條（人身自由）

人民身體之自由應予保障。除現行犯之逮捕由法律另定外，非經司法或警察機關依法定程序，不得逮捕拘禁。非由法院依法定程序，不得審問處罰。非依法定程序之逮捕、拘禁、審問、處罰，得拒絕之。

人民因犯罪嫌疑被逮捕拘禁時，其逮捕拘禁機關應將逮捕拘禁原因，以書面告知本人及其本人指定之親友，並至遲於二十四小時內移送該管法院審問。本人或他人亦得聲請該管法院，於二十四小時內向逮捕之機關提審。

法院對於前項聲請，不得拒絕，並不得先令逮捕拘禁之機關查覆。逮捕拘禁之機關，對於法院之提審，不得拒絕或遲延。

人民遭受任何機關非法逮捕拘禁時，其本人或他人得向法院聲請追究，法院不得拒絕，並應於二十四小時內向逮捕拘禁之機關追究，依法處理。

⁴¹憲法第 15 條（生存權、工作權及財產權）人民之生存權、工作權及財產權，應予保障。

⁴²林明昕，同註 34，頁 26-36。

定，而在論證的過程中，有力見解應係屬妥適，吾人從之。

(三) 憲法第二十二條為健康權的憲法上依據

按憲法第二十二條：凡人民之其他自由及權利，不妨害社會秩序、公共利益者，均受憲法之保障。此條文係鑑於立法技術本有其侷限性，人民權利保障對於立法的需求也會隨著時代而流動，立法者縱殫思竭慮，也無法全面的將所有的保障人民權利的加以列舉，然為避免人民反而遭受權利保障的罅隙，以概括條款的立法模式是在所難免的，憲法第二十二條採用概括(非列舉)基本權的立法模式以保障人民基本權利的無漏洞，藉由憲法解釋，建構一個完善的人民基本權利的保障網。

針對憲法第二十二條如何實際運用到系爭的所欲討論的權利是否符合此條文，是否為基本權利的一環，在實際操作解釋上，學者有其不同的操作方式：

1、先判斷人民權利在實質上是否已具有基本權利的品質，即具有普遍性、不可侵害性，而有納入憲法保障層次的必要，再視此人民權利的行使具有憲法第二十二條中不妨害社會秩序、公共利益的要件後，倘符合此二要件，即該當憲法第二十二條概括基本權⁴³。

2、有採用界定憲法第二十二條概括基本權之範疇的方法，從正面解釋去定義可納入憲法第二十二條範疇的人民權利，此說認為「應限於對個人自我認同、人格存續與發展、維持私密生活等事項，具有重要關連的自主決定，才需憲法層次的高度保障；反之，僅為一般生活事務或細節事項的決定，例如，購物是否要用環保袋，遛狗者應否撿拾狗大便？雖然也會涉及自我決定，但就未必要承認是憲法層次的行為自主權⁴⁴」。

3、另有採行反面的定義去界定概括基本權的範疇，其認為「殺人、竊盜之行為，內在具有惡劣之傾向，外部行為復明顯的、立即的、並持續對社會共同體之秩序有所妨害，故殺人、竊盜即不可能成為憲法第二十二條之保障內涵。但與他人進行性交易之行為，內在似不具備惡劣傾向，外部行為亦不積極妨害社會秩序或公共利益，故應屬憲法第二十二條之保障範疇，只發生其行使時，如何在公益的概念下，受到規制的問題而已⁴⁵」。

(四) 健康權之主觀面向及客觀面向

揆諸前述，健康權之憲法依據為憲法第二十二條，憲法第二十二條為概括基本權其權利的規範功能及內涵，和其他明文基本權利(列舉基本權利)殊無不同，亦具有主觀面向及客觀面向兩大功能。

⁴³ 李震山，同註 37，頁 384-393。

⁴⁴ 黃昭元，車速限制與行為自主權，月旦法學教室第 5 期，2003 年 3 月，頁 40。

⁴⁵ 李惠宗，憲法要義，元照出版，2004 年 10 月出版第 2 刷，頁 318-319。

主觀面向功能，即課於國家消極不得侵害個人健康義務，而當國家行為侵害人民之健康權時，人民在此時取得公權利地位後，必要時可透過訴訟方式，請求法院保護。健康權是一種真正的公權利，非單純客觀法規範而已。

客觀面向則在課與國家積極以行為、金錢、組織、程序及制度方式，排除國家以外第三人，甚至對自然災害等對個人健康之侵害進而照顧保護個人健康的完整性即國家保護義務。國家因健康權規範被課與個人健康義務，相對個人卻不因此取得權利地位，無法直接以訴訟方式，請求法院救濟，也無法強迫國家立法權，履行特定義務。

第五節 罕見疾病患者之醫療保障基礎

第一項 健康權及生存權之最低限度保障

由上開文中，得知生存權與健康權皆有可能是對於罕見疾病患者醫療保障的權利基礎來源，生存權已屬憲法中明文列舉之基本權利，倘欲以此解釋為罕見疾病患者醫療保障基礎似較為便捷，若欲由健康權加以解釋，則有基本國策或是基本權利間性質之爭議。吾人認為關於罕見疾病患者之醫療保障不僅僅可單純由健康權或是生存權為憲法上依據討論即可加以解釋，蓋罕見疾病患者之特別立法保障醫療權利上，似類病患之醫療保障健全與否？對於其生存權與否較一般的疾病患者而言威脅更大，亦言之，罕見疾病患者之醫療保障建立對於其生存與否影響非常大。

又罕見疾病患者之醫療保障，再細緻化深入後，將會發現生存權僅是第一道的維繫防線，而健康權的建構是維繫其生命基礎較為長久的權利基礎，又礙於基本國策之不具有強大的主觀公權利色彩，健康權性質上宜認為屬於基本權利，又於上開文中內容所示，吾人認為健康權宜以憲法第二十二條為解釋的基礎，健康權的主觀面向功能，使得國家不得恣意的侵害人民的健康權，惟在符合憲法第二十三條：「以上各條列舉之自由權利，除為防止妨礙他人自由、避免緊急危難、維持社會秩序，或增進公共利益所必要者外，不得以法律限制之。」健康權的行使亦也會生有一定的限制，誠屬當然。

再者於健康權的客觀面向功能上，蓋國家保護義務上，鑑於資源的有限性，國家政策的煩雜及資源利用分配，需透過立法及預算方式加以處理，當立法者不為時，於主權在民、權力分立的思考，因此，作為基本客觀面向的國家保護義務，人民原則上僅能以選舉、監督等民主方式為之以要求國家積極的作為，以制定相關於健康權的法案或是通過相關的預算。

惟立法怠惰時，人民是否便無其他的救濟管道可資救濟？立法消極不作為是否負一定的義務？是否有生國家賠償的問題？在我國目前實務上，尚未有此案例產生，又從權力分立的角度上觀之，倘由司法權或是行政權擇一認定為立法怠惰，權力分立恐有受到侵害之虞。於目前僅能藉由相關利益團體或是人民力量，以民主監督方式加以調整和控制。

故而，吾人認為關於罕見疾病患者之醫療保障之憲法基礎，不僅單單是由生

存權亦或是健康權得加以解釋，應由具有雙層的基本權利加以涵蓋而成，首先，於第一層次，係由生存權以保障其最基本生命存活的功能，再由第二層次的健康權加以維繫生命持續完整。

第二項 合理差別保障

疾病是大多數的人於生命的歷程中都需要行經的道路，醫療服務或許不見得是完全適宜具商品的特質，但是，無法否認享受醫療服務時尚需要一定的對價，於罕見疾病患者之醫療保障上是否有必要加以去立法照護，相較於一般患者而言，立法加以提供其醫療服務之合理性為何？是否會產生不平等的現象？是否有達到分配正義？

在審視是否有違平等原則時，罕見疾病患者和一般患者確皆為受病痛之人，二者間病存在差別的對待，但是，鑑於罕見疾病患者醫療使用的特殊性上，依憲法第二十二條應屬合理的差別對待，應較無太大的爭議。

又罕見疾病醫療資源，分配予不同疾病類別項目：罕見疾病依不同疾病類存在高度異質性，縱是相同類別的罕見疾病，在不同疾病項目間亦存在高度異質性，又依患者的疾病嚴重程度、疾病發展過程，也存在個別化的差異性，因此，關於罕見病患者之醫療資源分配，可謂是一大難題⁴⁶。

惟有疑問的是，罕見疾病患者之醫療保障網中，於現行法下有極大的部分有賴於全民健康保險制度，對於罕見疾病患者健保給付金額龐大下，是否會造成健保財政困難，或是醫療資源分配過度不均的問題？本文擬於下述章節(見第四章)中再加以說明，罕見疾病患者之憲法保障基礎已於上述中加以論述後，然礙於對罕見疾病患者立法之不熟悉，本文於下章節中，先以美國立法為例，就美國立法過程、現況為介紹，以資作為對於我國立法上借鏡之用。

⁴⁶ 陳亭華，醫療資源分配倫理之探討-罕見疾病者家庭之困境與權利，國立中正大學社會福利研究所碩士論文，2002年2月5日，頁45-55。

第三章 美國罕見疾病法規範之保護

鑑於本章節有許多外文翻譯名詞，為避免閱讀上不便，將某些出現過數次或是重要名詞，放置在本章節最前面，作者先放置一中英文對照表，以供參閱之用。

中文	英文	頁碼
孤兒藥法	Orphan Drug Act，簡稱為 ODA	22
美國食品暨藥物管理局	Food and Drug Administration，簡稱 FDA	22
孤兒藥品發展處	Office of Orphan Products Development，簡稱為 OPD	22
美國食品藥物暨化妝品法	Orphan Drug Act Provisions of the U.S. Food, and Cosmetics Act)	22
人道主義用途設備規則	humanitarian use devices，簡稱 HUD	25
人道主義設備豁免法	Humanitarian Device Exemption，簡稱 HDE	25
價格優先或購賣委託	advance price or purchase commitments，簡稱為 APPC	26
藥物價格競爭法	drug price competition act	29
專利期間回復法	patent term restoration act	29
孤兒藥品獎勵金計畫	Office of Orphan Products Development Grant Program，簡稱為 OOPD Grant Program	31
社會醫療保險	Medicare	34
醫療救助	Medicaid	36
悲憫 IND 狀態	Compassionate IND status	39
罕見疾病法	Rare Diseases Act	44

第一節 立法背景

第一項 立法過程

美國於十九九〇年早期，關於藥物的研發多由聯邦實驗室或是非營利研發中心主導，但在十九九六年後，便產生了變化，多由私人或以利潤趨向的製藥廠為主導⁴⁷。在此情形下，對於不具市場誘因的藥物使用者而言，可謂雪上加霜，而孤兒藥法案產生，於立法初，製藥企業曾透過製藥組織(Pharmaceutical Manufacturer's Association，簡稱為 PMA)貿易團體反對立法，蓋其認為此作法

⁴⁷ David Duffield Rohde, *The Orphan Drug Act: An Engine of Innovation? At What Cost?*, The Food and Drug Institute, Food and Drug Law Journal, 55 Food Drug L.J.125, 2000, at 126。

將會導致政府的力量侵犯私人企業⁴⁸。

一九八三年，美國總統雷根簽署立法通過，使得美國成為第一個通過孤兒藥法(Orphan Drug Act，簡稱為 ODA)之國家。在立法的過程中，自願團體組織的積極促使提升立法上鼓勵產品的研究發展及對於生命威脅的病人予以幫助⁴⁹。

第二項 歷次修法及爭議⁵⁰

主管罕見疾病藥物之機關為隸屬於美國食品暨藥物管理局(Food and Drug Administration，簡稱 FDA)之孤兒藥品發展處(Office of Orphan Products Development，簡稱為 OPD)，此機關係藉由美國食品藥物及化妝品法(Orphan Drug Act Provisions of the U.S. Food, and Cosmetics Act)中的孤兒藥法為法源，針對以下為主業務範疇⁵¹：

- 一、審核評估贊助廠商所申請之指定藥品為孤兒藥。
- 二、授予孤兒藥贊助廠商七年孤兒藥專利權的監督計畫。
- 三、管理研究獎金，並輔助診斷或治療罕見疾病的藥品、生物製劑、醫療食品首醫療設備之安全性及效度等各項臨床訓練。
- 四、協調各研究計畫，以協助贊助廠商得到新藥核准相關資訊。

第一款 美國孤兒藥法案的適用範圍

在最初的立法時，此法在劃分何謂孤兒藥時，並不以病患人數為標準，反而以是否有罕見疾病或是類似情況(rare disease or condition)為判斷標準，再加上是否對於藥廠而言無利益(lack of profitability)⁵²為是否納入此法之保障範圍，「醫學上看似合理」的制度，恐罹於過度的主觀，蓋法律文字運用上的有限性使然，不明確法律概念可謂必然產生的現象，美國在該法的制度過程中，孤兒藥品發展處擴張解釋「醫學上看似合理」⁵³，以合與國會此立法目的，但卻造成提供誘因

⁴⁸ Abbey S. Meyers, *Orphan Drugs: The Current Situation in the United States, Europe, and Asia*, Drug Information Journal, Vol, 31, 1997, at 101。

⁴⁹ Marlene E. Haffner, *Orphan Drugs: The United States Experience*, Drug Information Journal, Vol, 33, 1999, at 565。

⁵⁰ Rhode, *supra* note 47, at 132-142。

⁵¹ Marlene E. Haffner, *U.S. Legislative Policy Regarding the Development and Regulation of Treatment Products for Rare disorders*, 載於九十年十二月三日於台北舉辦罕見疾病及孤兒藥國際學術研討會, at 11-12、21-22。

⁵² *Id.*, at 21。

⁵³ 在美國法上關於「醫學上看似合理」，涉及「合理群族使用者」，本文於下述中另闢討論。

予無立法規定不具價值的療法申請者的不公平現象，有學者提出見解認為，惟有不再細分疾病，方得解決此之問題，然反向思考，採此作法，將會致此顯然急需此療法的少數人之權益受損。

於一九八四年時，方明定孤兒藥之認定標準為：美國境內罹病患者少於二十萬人，且此藥物得用於「治療」或「診斷」罕見疾病，倘若某藥物在美國上市超過七年，其利潤無法彌補成本及上市之開銷，亦言之，無足夠誘因吸引藥廠研發，縱罹病人數多於二十萬人，則亦可指定為孤兒藥⁵⁴。

第二款 藥物相同與相似之爭議

於立法初，於條文對於何謂「相同」的藥物可說是產生極大的爭議⁵⁵，如何界定「相同」？會影響次順序的藥廠是否有搭便車(*free-ride*)的情形產生，此一九九一年時，美國食品暨藥物管理局宣佈了一個「提出制定規則的通知」(*Notice of Proposed Rulemaking*)稱之為「孤兒藥規則」(*Orphan Drug Regulations*)，其中包含以解決何謂「相同」的認定：次順序的藥廠需要舉證證明：經允許的藥物被認為是具備新穎性且不同的，而其為臨床優先者(*clinical superiority*)。在此情形下，對於先製造藥廠的七年特許實施權可謂獲得更為穩固的保障。

然而，令人不解的是何謂構成孤兒藥之異與同？倘有二種孤兒藥針對同一徵狀而研發時，需提出化學或臨床上的差異，方得取的核准，故而，在解釋上，何謂相同、不同為操作上重心，藥品差異是基於明確或是假設而得之結論？有無一定的準則加以適用？在實際操作上，其實明確性也尚非無疑。又為了杜絕爭議，該規則中，並同時定義了「臨床優越性」、「病患照料之重大改善」。然而，無法否認的是該規則在性質上應似大陸法系的「裁量性行政規則」⁵⁶，給予行政機關一定的標準考量加以適用決定是否屬於相同藥物？

第三款 明星藥物的獨占反思

本法被認為是保障在高獲利市場競爭中且低利潤藥物之研發，然有聲浪認為

⁵⁴ Haffner, *supra* note 51, at 21。鄭師安，歐美及我國促進孤兒藥研發相關法規之簡介，科技法透析，2005年2月，頁10。

⁵⁵ 舉例來說：曾有案例為 Genentech 先獲得孤兒藥七年的特許實施權，後來，第二家公司 Eli Lilly 亦也獲得 FDA 的許可，亦可發展孤兒藥治療於罕見疾病。上開二種藥物，皆在基因工程上由大分子(*macromolecules*)設計構成，僅是在其物理結構上的有極細微的不同，但其在治療罕見疾病的作用上是一樣的。Genentech 後提起訴願請求 FDA 撤銷 Eli Lilly 之處分，惟 FDA 認為根據本法 Eli Lilly 的藥物和 Genentech 是「相同」的，且 Eli Lilly 的 NDA 和 Genentech 是立基於二種不同的分子結構。此案的爭議在於 Genentech 的藥物，是由極大量的 191 號氨基酸構成的蛋白質分子；Eli Lilly 仍有額外加上 192 號氨基酸。此額外的成分，並不會使安全性、有效性產生不同於先前的藥物，且由基因工程的角度觀之，後者並無有結構上有重大的不同。

⁵⁶ 按英美法系並無將區分公法及私法之分，又上開「孤兒藥規則」係源於孤兒藥法案之不明確性，由行政機關加以制定，在內容上給予執行之行政機關裁量適用之的標準參考，在性質上，吾人認為與「裁量性行政規則」類似，故而，有此結論。

當孤兒藥使用者是慢性長期疾病或是病人的人口數極速的膨脹，將會產生高獲益的藥物。蓋孤兒藥法案於立法初，有一大部分的立法原因係來自於 AIDS 的治療，當時患病人數非常的少，而 AZT⁵⁷是 AIDS 的惟一治療藥物，然在 AIDS 患病的人口日益增加下，便生上開反對意見。

於一九九〇年十月二十三日，國會欲通過孤兒藥法修正案(H.R.4638)⁵⁸以因應 AIDS 所生的問題。其內容中：

一：現行法要求美國食品暨藥物管理局決定疾病是「罕見」與否，依照事實及環境判斷。又修正草案中，另外新增美國食品暨藥物管理局之處分也要立於保護當病患的人數將會受疾病影響，或是要求指定已屆三年的條件。

二：孤兒藥市場特許實施權的例外：當藥物是被指定為罕見疾病或情況時，但後來經許可後，其情形已不符合上揭的要件。

故而，在一九九〇年的修正案中，便是當美國境內的患病人數超過二〇〇,〇〇〇人時便得加以撤銷特許實施權。此修正案，將可能使得「明星藥物」(blockbuster)或是高獲利的藥物情形減少，但美國總統布希卻否決(pocket-vetoed)此修正草案，蓋其認為草案之作法將使得本法的誘因下降，再者，有使藥廠產生「賭博」(gamble)心態，因為對於不具獲利性的藥物而言，無其他的競爭對手進入市場競爭，藥廠將會以「賭博」心態加以決定是否進入此市場，市場的特許實施權便僅單純是一個限制性誘因⁵⁹，使得藥廠考量是否投入成本進入此種藥物的市場。

第四款 合理群族使用者

又於一九九二年時，孤兒藥品發展處針對孤兒藥法規中何謂“salami slicing”提出了相關判定標準，“salami slicing”係「醫學上看似合理的族群」(medically

⁵⁷ 關於 AZT 可見 Evan Ackiron, *The Human Genome Initiative and the Impact of Genetic Testing and Screening Technologies: Note and Comment : Patents for Critical Pharmaceuticals: the AZT Case.*, American Journal of Law & Medicine (17 AM. J. L. and Med. 145), at 145-147、178-179。

有關於 AZT 爭議的具體化，在事前誘因上尋求專利法及研究的平衡，乃在確保如 AZT 的藥物能夠上市，此外，在事後則產生價格獨占的情形。如何在考量較低價格的公共利益，使得現存在的藥物產品和原本計畫的損失及未來發明間調整？乃本法的重點。聯邦巡迴法院採用「事前」(ex ante)觀點，即適用公共政策例外，或是誤用政策在 *Burrnughts Wellcome's* 的 AZT 定價是遙遠的。孤兒藥是被認為優先於司法決定在保障研發上：一、相同的影響在未來的研發當任何司法製定了一個例外，二、各別的方案並無法解決已存在的問題以解決 AZT。

⁵⁸ 資料來源：http://www.house.gov/waxman/issues/health/orphan_drugs.htm 最後瀏覽日：2009/1/3

⁵⁹ Meyers, *supra* note 48, at 101-104

plausible subsets)，詳言之，此族群之病患相對與大部分病患一般病患而言，若無孤兒藥核發之獎勵金，將使其無從研發治療此類族群⁶⁰，故而，在針對何謂“salami slicing”時，採用疾病演變、療法特徵、及罹病人口的獨有特徵為劃分之基礎。

一九九六年美國食品暨藥物管理局公佈了人道主義用途設備規則(humanitarian use devices，簡稱 HUD)以實施於一九九〇年訂立之安全醫療設備法(Safe Medical Device Act)，人道主義用途設備規則意指此項醫療設備用途在於治療或診斷美國每年罹病人數不到四千人之疾病。於人道主義設備豁免法(Humanitarian Device Exemption，簡稱 HDE)中，規定孤兒藥設備贊助商，在其設備符合安全規定下，且不會讓病患產生任何不合理風險下，得豁免醫療設備法之規定，然而，贊助商尚須證明無其他相容療法存在、使用該設備的可能利益大於風險下，方得將此設備引入市面⁶¹。

其申請流程上可獨立分別由：(1)贊助商遞交人道主義用途設備規則認定申請書給孤兒藥品發展處，孤兒藥品發展處判斷是否符合人道主義用途設備規則；(2)將人道主義設備豁免法申請書遞交至美國食品暨藥物管理局之設備與放射醫學健康中心(Center of Device and Radiological Health，簡稱 CDRH)的設備評估處(the Office of Device Evaluation，簡稱 ODE)，由上述二機關認定是否合於人道主義用途設備規則，亦言之，由複數機關加以認定是否為人道主義用途設備規則⁶²。

第二節 治療前期：以藥物研發為主軸⁶³

在美國法上關於罕見疾病患者之醫療保障上，在治療前期美國首重於藥物之取得研發外，其亦透過減稅和優惠多項措施鼓勵各研究機構和藥廠多開發關於罕見疾病的基因檢測，但此類型的檢測數量還是在明顯地減少。大多數的基因檢測仍以一般性的疾病，如癌症或是心臟病發生率較大的疾病為主。然而，罕見疾病患者之罹病人數稀少，由成本效益上，對於私人研發者而言，不具足夠誘因，僅能有賴政府必須制訂政策或是以經費直接補助各機構從事有關罕見疾病的基因檢測和研究⁶⁴。

美國法其主要內容係以罕見疾病患者之醫療需求為主，以提升孤兒藥之研

⁶⁰ Haffner, *supra* note 51, at 14。

⁶¹ *Id.*, at 17。

⁶² *Id.*

⁶³ 葉秀珍、曾敏傑、林志鴻，各國罕見疾病相關法案之比較研究，2002年，頁27。Thamer Mae, Nial Brennan, Rafael Semansky, *A Cross-national Comparison of Orphan Drug Policies: Implications for the U.S. Orphan Drug Act.*, *Journal of Health Politics, Policy and Law*, volume 23, at 265-290.

⁶⁴ 范麗娟，基因與遺傳諮詢-重視罕見疾病患者的特殊需求，發表於「醫弱勢與社會工作學術研討會」，2004年5月28日，頁2。

發，藉由專利權之控制，賦予研發者專利特許實施權，及兼採用稅務上優惠，增加藥商在孤兒藥之研發上的誘因。由美國之立法緣由中，得知其係以市場機制為核心導向，在具體作法上，美國認為制定聯邦相關法律並降低孤兒藥物在研發上的成本，以財務為誘因方能促使研發⁶⁵。

然而在評估藥物是否有研發之價值時，藥物研發所需的成本及反應藥物的價格，如何取得二者間的平衡點，美國經驗上，對於藥物的價值提出了參酌的準則依據即下文所述之價格優先或購賣委託(advance price or purchase commitments，簡稱為 APPC⁶⁶)，在藥價上的控制提供了一個較為客觀的標準，以維藥物使用者利益，防止藥廠不當提高藥價，又藥物使用者於藥物的取得上，除了藥價考量外，尚需要注重藥物安全性的使用。

第一項 藥物研發之誘因

為何藥物的價格如此的高？藥價是否合理的反應出其成本？藥價及成本間是否有一定的關係？在目前藥物市場上，某些藥物之價格非常的高昂，病患為了獲得較為便宜藥物，多採取由其他國家買進所需藥物，或是藉由網路或是其他的代替性治療如：草藥治療，及增加非專利藥的使用。無法否認藥物的研發支出是非常多的，而且以成功的藥物研發，單以人體實驗為例便需要大約九十三百萬元的美金(一九九三年的幣值)⁶⁷，此外，又平均要費時十三到十五年方能獲得美國食品暨藥物管理局的特許，再者，在藥物的試驗上，藥廠尚須經過五〇〇〇到一〇〇〇〇種合成物的風險實驗。

從一九〇六年至一九八四年可謂美國藥物安全管制的重要時期，因為 Waxman-Hatch 修正案，增訂專利及特許實施權公開出版達到高峰。於一九三七年，有一種抗細菌名為 Sulfanilamide 的藥物，因當時經安全測試，導致超過一百人死亡，嗣於一九三八年時，美國國會通過，「聯邦食品、藥物暨化妝品法案」(Federal Food, Drug, and Cosmetic Act)以嚴格限制要求「安全性」；又於一九六〇年左右，因為安眠藥物導致的出生缺陷，促使於一九六二年，通過了 Kefauver-Harris 藥物修正案(Kefauver-Harris Drug Amendments)，該法引進了「有效性」以加強藥物的安全性。

在一九八〇年十月，美國食品暨藥物管理局出版「增進醫藥產品治療均衡估價」(Approved Drug Products with Therapeutic Equivalence Evaluations)，

⁶⁵ 鄭師安，同註 54，頁 10。

⁶⁶ Adrian Towse', Hannah Kettler, *Advance price or purchase commitments to create markets for treatments for diseases of poverty: lessons from three policies*, Bulletin of the World Health Organization, April 2005, 83(4), at 301-305。

⁶⁷ DiMasi J.A., *Trends in drug development cost, times, and risks*, Drug Information Journal 29, 1995, at 375-384, 轉引至 Natalie D. Reaves, *A Model of Effective Health Policy: The 1983 Orphan Drug Act*, Journal of Health & Social Policy, Vol. 17(4)2003, at 63.

係以達到製藥過程中，消費者、藥廠、政府間力量平衡，內容上列出了經美國食品暨藥物管理局許可認為具安全性、及有效性的藥物，它不僅提供了藥物是否已成非專利藥狀態的資訊，也包含了專利、特許實施權方面內容。

又於一九八四年，藥物價格競爭暨專利回復法(Drug Price Competition and Patent Term Restoration Act)，俗稱為 Waxman-Hatch 修正案，當於相同的時間點提供予研發新藥的發展誘因時，將可以取得較少花費的非專利藥物，亦言之，該法藉由非專利藥物的使用以減少了健康照顧上的花費，並且確保新藥不間斷的研發透過專利的制度及特許實施權的允許用於新藥的使用上(new drug applications，簡稱為 NDAs)⁶⁸。

第二項 藥物研發誘因之市場判斷準則

有學者認為針對於私人公司在結構上爲了增加其研發的誘因，稱之爲價格優先或購賣委託。以美國孤兒藥法案一例中，包含了簡約成本的「推力」(cost-saving push)及提高利潤的「拉力」(revenue-enhancing pull)，成功的吸引私人公司加以投入孤兒藥物的研發。在具體的作法(見表格 3-1：爲孤兒藥立法上，符合價格優先或購賣委託的情形上，運用給予七年的市場特許權(於下述中，將有完整的說明)。

於判斷是否具有藥物研發誘因的考量，美國實務上認為宜參酌以下幾點：一、確實性；二、建立完整的規劃；三、正確合理的定價；四、有無次順位或是第三順位提供者。

一、確實性(credibility)：價格優先或購賣委託必須要提供一確實性的保證包含全部的研發(R&D)的成本、意料之外的成本(out-of-pocket cost)、機會成本及失敗所需負擔的成本。根據學者 DeMasi 等⁶⁹預估藥物發展所需的總成本大約是八〇二百萬元美金，其中有百分之二十一點五成功的比例並獲得市場的批准，又十到十二年左右大學要花費百分之十一的資金成本；此外，又有學者證實孤兒藥在發展的過程中需要的成本比上揭數據爲低⁷⁰，蓋肇因於較小規模及數量的人體實驗使然⁷¹。

⁶⁸ Mary Ann Holovac, *A balancing act in the United States Drug Industry: pioneer and generic drugs, the Orange Book, marketing protection and the US consumer*, World Patent Information 26(2004), at 123-129。

⁶⁹ Joseph A. DiMasi, Ronald W. Hansen, Henry G. Grabowski, *The price of innovation: new estimates of drug development cost*, Journal of Health economics 22, 2003, at 151-185。

⁷⁰ Grabowski H. *Increasing R&D incentives for neglected diseases: Lessons from the Orphan Drug Act*. Maskus KE, Reichman JH, editors. International public goods and transfer of technology under a globalized intellectual property regime. Cambridge University Press; 2004. 轉引自 Towse & Kettler, supra note 66, at 303。

⁷¹ Janice M. Reichert, *Clinical development of therapeutic medicines: a biopharmaceutical*

二、建立完整的規劃：清楚且特定要生產何種產品。三、正確合理的定價：太高的價格會導致公共財務的浪費，相對的太低廉的價格將會致無人願意生產，故而，爲了要合理的定價，必須要對於藥物的生產領域的科學了解外，更要對於法令的規制有一相當的熟悉，方能有效的從成本及研發考量後，決定價格。更甚者，定價亦會反應出第二手或是第三手的產品，當產品在市場上處於一「全勝的策略」(winner-takes-all strategy)時，失敗的風險考量將會更高，並且必須要提高價格以因應潛在危機。當然了，價格亦非一成不變的。

四、次順位或是第三順位提供者：當第一順位的市場進入者，將市場的風險取代後，進入市場誘因將會減少。舉例來說：在一九八三年至二〇〇二年間有一八七種孤兒藥獲得允許，其中僅有四十八種(約是百分之二十五)有一種以上的產品，又僅有二十一種藥物是被指定爲「相似」。五、確保使用：藥物的研發能加以爲市場所用。

表格 3-1：價格優先或購賣委託於孤兒藥之具體作法⁷²：

具 體 要 求	法 案 名 稱	孤兒藥法案
確實性		- 七年的市場特許。但以下除外： 1、有競爭的跡象 2、正式用法之外(off-labeled use) 3、不同的產品 4、須先行人體實驗的產品
完整性		市場授權的要求
定價		- 第三方的付費市場 - 歪曲的回收證據(evidence of skewed returns)
次順位加入者		- 給予第一個取得執照者市場特許 - 除了以上之外者
確保使用		有效的運輸網絡

第三項 公權力政策誘發研發

美國的藥物規制及政策上，以注重安全性，並兼顧功效爲主。孤兒藥法案被

versus pharmaceutical product comparison. , Drug Information Journal , Vol.35 , 2001 , at 337-346

⁷² 此表格係整理至 Towse & Kettler, *supra* note 66 , at 304 。

認為是政府介入公共政策最完善的典範。其規制手段分為以下四種為主⁷³：

一、藉由經美國食品暨藥物管理局認可獲得七年的市場特許實施權是主要的市場誘因。

二、孤兒藥法允許特別的發展稅保證在人體實驗。

三、孤兒藥法許可給予孤兒藥廠商發展補貼。

四、孤兒藥法允許孤兒藥廠商要求特別的協定支持，針對藥物研究與美國食品暨藥物管理局訂立計畫⁷⁴。美國法之規制手段以上為主，但其仍配合其他的方式加以調合，以下針對美國法上之規制方式加以介紹，惟其順序上並不依上開順序。

第一款 七年市場特許實施權

專利制度設計的主要目的在於爲了公共利益，而製造了一誘因使發明者得以發明及使大眾得以利用⁷⁵。智慧財產權和經濟、社會、政治議題、人民權利如：公共健康、教育、食物及農業及所有權皆習習相關⁷⁶。

一九八四年通過藥物價格競爭法(drug price competition act)及專利期間回復法(patent term restoration act)，及本法即孤兒藥法增加了二〇〇〇〇〇人口的限制以搭配罕見疾病或情況(rare and disease or condition)，又於一九八五年時，消除了原本該法所禁止孤兒藥保護不及於不可專利性藥物。故而，藥物將受雙軌的保護即專利法和孤兒藥法案的授權。

罕見疾病之成因多屬基因缺陷而致，為一遺傳性疾病，多無法藉由藥物加以完全藥到病除，美國賦予藥廠於研發相關藥物後，具有獨佔市場期間，對於藥廠而言大多具有一定程度上的利多⁷⁷。

孤兒藥法案提供了一個附加的市場特許實施權即「迷你專利」(mini-patent)，

⁷³ Reaves, *supra* note 67 , at 61-70.

⁷⁴ 原文爲：the ODA allows orphan drug firms to request special protocol assistance from the FDA for their drug research and study design.

⁷⁵ Ackiron, *supra* note 57 , at 149 .

⁷⁶ Laurence R. Helfer, *International rights Approaches to Intellectual Property: Toward a Human Rights Framework For Intellectual Property*, The Regents of the University of California U.C. Davis Law Reviews(40 U.C. Davis L. Rev. 971), March.2007, at 973

⁷⁷ 鄭師安，同註 54，頁 9。文中舉出美國 Biogen-IDEc 研發出可緩解多發性硬化症(Multiple Sclerosis)藥物 Avonex 為例，其於 2002 年銷售額超過十億美元，已可屬暢銷藥物。

對於一個潛在的開發者而言，專利對其是無用的，蓋此藥物不具專利性、上市前已過專利期間或是專利已快屆期。當一個藥物要被認定為孤兒藥時，不僅要能治療罕見疾病，並且是一個可專利性藥物，其必須是具有新穎性(*novel*)、可用性(*useful*)及顯在性 (*nonobvious*)，孤兒藥的保護期間為七年，較專利期間十七年為短；且其範圍較為小，僅針對特定的疾病即罕見疾病而已⁷⁸。

伴隨著孤兒藥法立法，藥物價格競爭法及一九八四年專利期間回復法，及如 *Smith International* 及 *Eli Lilly v. Premo Pharmaceutical Laboratories* 案件中，可以得知具優勢地位的專利保護可以提升研發且被認為是對於公益有利之事⁷⁹。

特許實施權⁸⁰提供了一個無競爭的環境，以確保孤兒藥的贊助者能合理的估計其所可得的收益，亦使不可專利的藥物或已過專利期間藥物獲得如同專利權的保障，在七年的特許實施期間中，當藥物用於其他功能時次順序的贊助者也可以申請及獲得市場的許可，當最先的贊助者的藥物無法符合要求，而決定要減少藥物的生產或同意和其他的提供者共享特許(*shared exclusivity*)，健康及人類服務委員會(*secretary of the department of health and human services*)可能會承認第二家廠商不具專利的孤兒藥上市以確保持續性、足量的藥物的供給⁸¹。

第二款 稅捐優惠

孤兒藥法是針對特定族群所制定的立法，並含有社會公益色彩，政府多運用財稅減免或全錢補助之獎勵方式⁸²。藥商得從孤兒藥之醫學研究成本，獲取稅捐之減免，並得向孤兒藥品發展處申請經費補助。

除了稅捐上的優惠外，復於申請孤兒藥上市審查的規定豁免繳納規費⁸³，於一九九七年時，美國食品暨藥物管理局現代法(*FDA Modernization Act*)將孤兒藥申請費用減免⁸⁴，以撤回美國食品暨藥物管理局使用者費用的，希冀能藉由行政規費的減免，加以提升藥廠對於研發的誘因。惟吾人認為，此作用實益並不大，

⁷⁸ Ackiron, *supra* note 57, at 156-159。

⁷⁹ *Id.*, at 166。

⁸⁰ 按特許實施權與專利之異處在於：專利主管機關為美國專利及貿易處(*US Patent and Trademark Office*)，超過二十年保護期間，特許實施權之主管機關為美國食物及藥物局(*US Food and Drug Administration*)，其依種類而有不同的期間，於孤兒藥中則為七年。可參見 *Mary Ann Holovac*, *supra* note 68, at 123-129。

⁸¹ Rhode, *supra* note 47, at 130。

⁸² 鄭師安，同註 54，頁 11。美國規定上，在企業為進行孤兒藥人體臨床試驗所支出費用，在符合美國內地稅法規定要件情形下，可就其支出費用的百分之五十，抵減當年度應納予聯邦政府的所得稅。

⁸³ 鄭師安，同註 54，頁 11

⁸⁴ Haffner, *supra* note 49, at 567。

蓋行政規費之支出與研發所需成本考量，根本不成比例，減免行政規費與否，對於藥廠而言並無太大的誘因產生。

第三款 製藥商向孤兒藥品發展處請求協助，以確保研發成功可能性並加速藥品審核流程：

孤兒藥立法不僅製造了對於罕見疾病的誘因，並且加快取得明星藥物，美國食品暨藥物管理局以「優先審查證書」作為交換被稱之為使用者費用額外的一百萬元，並且同意至少有一基因藥物製造者去發展治療被忽略的疾病。

使用者費用治療藥物法(Prescription drug user fee act，簡稱為 PDUFA)在一九九二年承認加強快速審查時間藥物的安全性，藉由此項政策推波下，優先審查的保證可以加速產品獲得許可，但是相對的在限制臨床利益的安全性堪慮⁸⁵。

第四款 政府研發補助

政府透過補助金或運用各界訂定契約方式以降低孤兒藥研發成本，美國在具體作法上，美國國會特別撥一專款予美國食品暨藥物管理局，針對臨床研究給予補助並促使其推動一項「孤兒藥品獎勵金計畫」(Office of Orphan Products Development Grant Program，簡稱為 OOPD Grant Program)⁸⁶。

此計畫係由美國食品暨藥物管理局於每年政府公報上，刊登孤兒藥獎勵金申請表(Request for Applications，簡稱 RFA)，針對未核准之藥品，或將已上市但發現有其他用途之藥物認定為新藥，以加強藥廠之臨床研究上之成本及效率，在具體施行上，申請書應具體記載何者臨床實驗，並提供可支持性證明，證明其研究之藥品不論在數量、形式上，能供給相關學術人員進行臨床實驗，且此類病患人數合於美國罕見疾病標準即少於二十萬人或是無具體誘因而多於二十萬人，在符合上述要件下，則每年藥廠可獲得不超過三十萬美元之補助金。獲取該筆獎勵金後，可對於數十名實驗對象為試驗，首先，取得公共審核董事會(an institutional review board，簡稱為 IRB)的保障人體實驗對象的核准書⁸⁷，由公共審核董事會

⁸⁵ Donna Young, *Proposal ties financial incentives to development of drugs for neglected diseases*, Am J Health-Syst Pharm, Vol 63 Apr. 15, 2006, at 694-696.

⁸⁶ 鄭師安，同註 54，頁 12。Office of Orphan Products Development Grant Program(OOPD Grant Program)，此計劃之目的在於鼓勵實驗罕見疾病藥物之發展，此計畫之範圍不僅涉及藥物之研發，更及於生物學、醫學上(相關設備 biologics, medical devices)及醫療食物(medical foods)，在美國藥物的臨床實驗，必須經過 FDA 的允許(approval)，除醫療食品(medical foods)外，尚須經過新藥之研究申請(Investigational New Drug (IND))或是研究設備除外(Investigational Device Exemption (IDE))方得為之，此計劃之主旨使得一些尚未獲得允許藥物得以逕行臨床實驗。資料來源：U.S Food and Drug Administration 網站 <http://www.fda.gov/orphan/grants/info.htm>，最後瀏覽日：2009/1/3。

⁸⁷ 此份核准書內容中，需包括實驗對象的特徵資料、研究材料來源、招募計畫及同意手續、預防或降低可能風險的流程、給實驗對象的提議利益等。

內部專業人員加以審查後發給獎勵金。

又孤兒藥法中，並無規定原先以孤兒藥為目的研發之藥物，後來不得用於另一市場龐大患者身上，則此時，對於藥廠而言，可謂又增加了一研發誘因，但對於病患而言，相同之藥物，用於不同罹病族群身上，反因將此藥物定為孤兒藥，而致其需負擔更多之醫療負擔，對於非孤兒藥之病患而言，在公平性上是否合適？

鑑於孤兒藥缺少臨床實驗以確保其安全性及有效性於治療目標疾病。在許多的例子下，次順位的廠商在美國食品暨藥物管理局的協助下將會承受孤兒藥及設計臨床實驗。為了要協助此次順位廠商能有效的履行臨床協定，並能符合孤兒藥研發的高成本考量，本法鼓勵研究允許計畫(research grant program)研發，藉由聯邦藥物管理局孤兒藥產品發展加以實施⁸⁸。

孤兒藥品獎勵金計畫的任務在於協助臨床實驗必要性發展中，以確保新藥的使用的認可。蓋臨床實驗必須要有一定數量的研究參數，然孤兒藥之臨床實驗鑑於患病群體個案數使然，故僅有賴本法中由美國食品暨藥物管理局協助定義何謂臨床的資料，方能有效的控制在研發過程中所支出因臨床實驗所生的花費。

本法的規定係立基於公共利益下，承認製造者的獨占，但如何調整其間的利益衡量基礎為何？美國之作法為：一、藥物實際經濟上所生的花費成本。二、實質上當缺少特許實施權時也會產生獨占現象時，此藥物即不得被生產。

第五款 臨床實驗稅賦優惠⁸⁹

此優惠係贊助研發之藥廠最高可獲得百分之五十的稅賦抵免額，並得分二十年攤銷成本，並得以追溯至一年前。

第四項 美國罕見疾病法規範之影響

第一款 實質成果

一、大約有三分之一的被指定為孤兒藥者係為治療惡性的癌症及有關基因性的疾病⁹⁰。

二、大約有百分之十的孤兒藥是用於治療愛滋病或是與其有關之疾病。

三、生物科技用藥取得專利之保護是非常的困難的，但是孤兒藥法案被認為是一個生物製藥的「安全天堂」(safe haven)。

⁸⁸ Rhode, *supra* note 47, at 132-133。

⁸⁹ Haffner, *supra* note 51, at 11。

⁹⁰ 如：Gaucher's disease 及 testicular cancer。

四、有大約百分之三十的孤兒藥經特許後，成為生物科技藥物。

五、小型或是中型的藥廠製造超過百分之七十的孤兒藥⁹¹。實際上似類廠商在 ODA 協助下，可以設定目標在縫隙市場(niche markets)⁹²，取代其他較具有競爭性的治療用藥的研發。

六、明星孤兒藥(blockbuster orphan drug)指此類孤兒藥能獲得相當大的利潤。美國國會在一九九〇、一九九一、一九九三年，曾經嘗試要廢止市場銷售超過二百萬元美金的孤兒藥之市場特許。其欲廢止此類孤兒藥之保護在於過度的利益，但是，美國總統布希否認國會之提案，蓋明星孤兒藥畢竟是小眾，且獲利的時間極短，倘廢止之，將會導致廠場的研究發展受到限制，而且實際上有大約三分之一的孤兒藥在第一年的銷售量少於十萬萬美金。

第二款 對研發之具體影響⁹³：

孤兒藥法案之立法，亦促使其他立法上有關特許權或有關藥物價格的立法措施包含了：一、孤兒藥額外獲利稅法(Orphan Drug Windfall Tax Bill)此法將會移除誘因，當前競爭價值藉由任何稅收的獲利超過二次孤兒藥花費的總合加上百分之二十五年利潤時。二、此外，「銷售觸發」(sales trigger)接近時，當銷售量在第一次即達到二〇〇百萬元以上時，將會允許競爭藥物在第一種藥物後二年的許可，以調整孤兒藥法案與藥價間的均衡。

此外，孤兒藥的研發會與聯邦政府的利益產生競爭關係，舉一例言之，美國食品暨藥物管理局鼓勵藥廠治療有關嗜睡症的罕見疾病的治療，藉由獲申請新藥的使用許可 gamma-gydroxybutyrate(GHB)藥物；但是，在另一方面，藥物立法局(Drug Enforcement Agency，簡稱為 DEA)及司法部(Department of Justice，簡稱為 DOJ)尋求將上開藥物分類為 Schedule I 或是 II，當被認定後，會將新藥的使用程序移除。將藥物的分類加以改變並無法禁止 GHB 的藥物流動，僅使得其治療研究產生抑制。

第三節 治療期：醫療資源及需求

第一項 醫療資源考量因素

對於許多罕見病患個人而言，需要面對的選擇問題為救命藥物及其生命時間的利益間的取舍，在許多的案例中，當一個家庭中，有一罕見疾病的病患時，將會使得其他的家人，無法永續的獲得保險的保障，提高的藥物價格及不適宜的第三者賠償的加重對於社會及經濟上的影響在立法上，除非大多健康照顧的立法重

⁹¹ Natalie D. Reaves, *Regulation and Innovation and Orphan Drugs*. Pennsylvania Economic Review. 10(2) Fall 2001. p29-38。轉引至 Reaves, *supra* note 67, at 66。

⁹² 縫隙市場(niche markets)係指填補穩固市場縫隙的新市場。

⁹³ Rhode, *supra* note 47, at 137-139。

新修正，否則孤兒藥物的法案是無法獲得更合宜的修正⁹⁴。

藥物救助計畫(Medicare programs)係以當產品對於其他的疾病亦產生功效或是病人的人數成長劇烈時所為之救助手段。然而，在諸多的案例中，在藥物上市的第一年或是第二年，有一些孤兒藥銷售量是遠超過研發的成本，因為無法確定如何去分配研發成本在不成功及成功的藥物上，蓋多數製藥者不願去提供資訊在其自我生產成本的預計上。

又合作研究及發展協議(collaborative research and development agreements，簡稱為 CRADAs)被用於製藥廠與聯邦政府，其中包含了，合理的價格協定。病人抱怨藥物的費用太過高，以致其無法負擔，故有學者建議⁹⁵：一、藥廠保持低價格以延展其獨占的期間。二、允許在未完全成熟的競爭，如藥物實際上具有商業價值，此亦將會降低對於消費者的價格。關於醫藥產品的花費的提高由保險制度或是消費者吸收則一直是一種爭議⁹⁶。

美國在管理照顧體系上，試著要依合理的醫藥服務、公共及私人、第三者負擔，以限制治療的花費，但是事實上，仍以實驗性藥物為必需。道德考量、經濟因素及醫療不當的責任，對於特定、小眾個人而言是極重要的考量因素⁹⁷。

第二項 給付財源

不可否認孤兒藥物之價格高於其他一般藥物許多，對於一般家庭而言，負擔孤兒藥物之費用，可說是一筆不小的負擔，在其財源的給付上，係由一、州政府給付；二、私人保險或是；三、二者共同給付。鑒於罕見疾病藥物價格昂貴，獲得藥物之財源，美國大致上以私人保險、社會醫療保險(Medicare)及醫療救助(Medicaid)等為主⁹⁸。

第一款 私人保險

於私人保險一環的財物給付，保險公司最高可給付高達百分之八十的保險金額，然被保險人需於每月給付相當的保險金，此外，許多製造罕見疾病藥物藥廠

⁹⁴ Peter S. Arno, Karen Bonuck, and Michael Davis, *Rare Diseases, Drug Development, and AIDS: The Impact of the Orphan Drug Act*, Montefiore Medical Center / Albert College of Medicine, Bronx, New York; /Cleveland State University, at 231-249。

⁹⁵ Meyers, *supra* note 50, at 102

⁹⁶ Mark A. Rothstein and Phyllis Griffin Epps, *Ethical and legal implications of pharmacogenomics*, Macmillan Magazines Ltd, volume 2, 2001, march, at 229。

⁹⁷ *Id.*, at 230。

⁹⁸ 關於美國醫療制度之給付，筆者詢問美國 NORD 基金會後，感謝 Stefanie Putkowski 所給予之回覆及解惑。

多設有病患支助計畫(patient assistance program)，多會負擔剩下未由私人保險給付的百分之二十的費用，而少數似類藥廠甚至會針對無加入私人保險之藥物使用者且無收入者提供完全免費的藥物使用。然而，對於其他既未具有私人保險，又不符合病患支助計畫的患者而言，僅能善盡其家產或是以貸款方式解決一途，幸而在美國仍有許多慈善團體會提供一些藥物上支助。

第二款 社會醫療保險

社會醫療保險(Medicare)⁹⁹為醫療保險的一種，其資金的給付來源係由聯邦政府提供，社會醫療保險需具有美國公民身分，針對

一、超過六十五歲之人為給付主體，並不行資產調查，亦言之，不論是富人或是窮人，皆一概為保障對象，但需在具有工作的一定長度期間內加入社會醫療保險體系(Medicare system)，又其給付的範圍包含醫生診療、住院治療、多數醫療設備和有些處方，包括孤兒藥物等，

二、若一未達六十五歲成年人罹患長達二年以上慢性病，且加入此社會醫療保險，則其亦為適格之給付主體，當然了，倘其具工作能力及意願仍可繼續工作。

三、此外，在許多非常嚴重的情況下，諸如晚期腎病(end-stage kidney disease)或是肌萎縮性脊髓側索硬化症 (amyotrophic lateral sclerosis ; ALS¹⁰⁰)，則無年齡的限制皆能在經過診斷確定罹病後，獲得社會醫療保險的給付，但當然仍需此類病人工作的期限夠長且加入此保險體系。這是一非常公平的規則，畢竟在這些大部分的案例中，這些病患僅能存活二年，並無法等到六十五歲獲得其在工作時所繳納之保險費，所以才會設有此例外規定。

第三款 醫療補助

醫療補助(Medicaid)¹⁰¹是一健康保險針對低收入之人之健康救助，則要具有美國公民身分或是合法的移民身分。其給付主體包含成年人，但需參酌其收入，而幼童亦為保障對象。聯邦政府主辦及由州政府管理的計劃，照顧低收入戶的醫療保險補助，由州政府決定低收入審核與補助標準，通常州政府與保險公司簽約來處理Medicaid事務，因此計劃名稱都不相同，例如華盛頓州稱為「健康方案 Healthy Options」，加州稱為「加州醫療Medi-Cal」，其他名稱有「社會服務

⁹⁹ 參美國 Medicare 網站有詳細介紹：

<http://www.medicare.gov/MedicareEligibility/Home.asp?dest=NAV|Home|GeneralEnrollment#TabTop> 最後瀏覽日：2009/1/3

¹⁰⁰ ALS 起因於運動大腦皮質與脊髓的某些神經死亡。這些神經控制著隨意肌 (voluntary muscles) 以及身體行動的能力。當這些神經死翹翹的時候，人可能會變的虛弱，甚至癱瘓。ALS 不會接觸傳染，但它可能在家族中發生率頗高。資料來源：

http://en.wikipedia.org/wiki/Amyotrophic_lateral_sclerosis 最後瀏覽日：2009/1/3

¹⁰¹ 資料來源：<http://www.cms.hhs.gov/home/medicaid.asp>。最後瀏覽日：2009/1/3

Social Services」，「公共援助Public Aid」，「人類服務Human Services」，「公共福利Public Welfare」等，醫療補助的財源有來自於各州政府，亦有由聯邦政府提供，又因有時係由州支付(state-sponsored)，故需符合各州特定的需求標準。又關於給付種類，爰基於投保範圍的限制，在給付的種類上，有採全部給付、選擇性給付、不限制疾病種類。¹⁰²

第三項 特殊醫療食物之注重

罕見疾病患者之藥物有極大部分僅具有延緩疾病之惡化，並無法完全有效的根治疾病，且罕見疾病患者在日常生活上，除了需要藥物延緩疾病外，其所需要攝取的食物與一般食品不同，尚需要一些特殊食品，此類食品便稱為醫療食物(medical food)。

醫療食物的使用及需求的肇因於：一、有些藥物的治療無法完全的被治癒。二、在自然、植物基礎(botanical-based)原料上的成功及其持續性的控制新陳代謝的不平衡於許多此類情形或疾病的案例上¹⁰³。三、大致上在醫療食物的GRAS(generally recognized as safe，簡稱為 GRAS)原料僅有少數的毒性¹⁰⁴。

醫療食物為一特別的營養產品，它在成分必須被一般認為具安全性(即 GRAS)，並且在法規的地位上是界於飲食的補充物品(dietary supplements)及處方藥(prescription drugs)中間¹⁰⁵，不僅要在科技的規範下不具有毒性且安全的，並經由相關領域的專家認定之¹⁰⁶。然而為了安全性考量現在許多醫療食品已經過人體試驗以促使更能予以慢性病患使用。

美國於一九四一年時，便針對「特殊營養使用」的食品便作了一定義¹⁰⁷，在一九七二年時，美國食品暨藥物管理局，在聯邦食品及藥物暨化妝品法第201(g)(1)(B)部分中，對此加以立法，為了要提升產品的研發，及鑑於醫療食物大多是用於控制生理機能，故於，一九七二年時，美國食品暨藥物管理局便重新加以將其分類為「特殊營養食品」(foods for special dietary use)，在一九八八年時，制定孤兒藥法案時亦將此定義採納使用之，又於一九九〇年時，美國食品暨藥物管理局於營養標誌及教育法(Nutrition Labeling and Education Act)納入醫

¹⁰² 葉秀珍、曾敏傑、林志鴻，同註 63，頁 32。

¹⁰³ 原文為：the success of natural, botanical-based ingredients and their constituents in managing metabolic disequilibrium associated with many conditions or disease.

¹⁰⁴ Sarah L. Morgan, Joseph E. Baggott, *Medical Foods: Products for the Management of Chronic Diseases*, Nutrition Reviews, Vol. 64, No11, at 500。

¹⁰⁵ Morgan & Baggott, *supra* note 104, at 495。

¹⁰⁶ *Id*, at 496。

¹⁰⁷ Charles Mueller, *The regulatory status of medical foods and dietary supplements in the United States*, Nutrition Vol.15, NO.3, 1999, at 249-251。

療食品定義，一九九三年時，又再次加以修正立法，於此法中認為醫療食品於符合以下的要求時可以避免成為營養標誌(nutrition labeling)：一、係由特別經過合成給予一些需要特別食用的病人口服或是由試管餵食；二、針對一些慢性病患者，其消化、吸收需要特別的營養，此食品得具調整功能與一般食品迥異；三、它可以提供特別的營養支持給予需要特別營養管理之人；四、它必需是要經過藥物生理監督；五、患者必須要經由指示在藥物的監督。¹⁰⁸

醫療食物納入孤兒藥法案立法上定義，從一九八八、一九九二、一九九六年三個階段，最終才加以確立醫療食物係針對某特殊的疾病群體，渠等群體需要特殊的營養要求而設¹⁰⁹。又鑑於近來在高度重視產品的安全下，醫療食物已漸有需要經人體實驗以維使用者之權利¹¹⁰。此外，在孤兒藥法案的推波助瀾下，關於「特殊性營養要求¹¹¹」漸漸的受到重視，其包含了因為疾病所致的體內的不均衡(disequilibrium)，可藉由特定的營養或是自然的產品能使病人加以新陳代謝或是使生理內部的體內平衡(physiological homeostasis)¹¹²，又於許多的州法律，針對醫療食物要求需經過醫生的許可方得使用。

爰孤兒藥法案之立法，不僅使得藥廠較願意投入研發成本，製造孤兒藥，對於孤兒藥病患在藥物的取得上，獲得了較多的選擇外，亦帶動了藥物的價格、安全性、相關使用食物或是輔具等藥物、公衛政策上的議題視角產生。然而，美國法於孤兒藥法案誘因上，吾人認為尚得：一、擴展孤兒藥稅收保證及於「臨床前」之階段。蓋此階段是最漫長且需花費最多，其包含基本的研究、動物實驗、測試等，皆是在人體臨床試驗前。二、擴張孤兒藥物之保障及於「避孕性之研究」，吾人認為罕見疾病多屬遺傳性疾病，在事前的預防上，可以減少將來產生的許多支出，藉由基因檢測等科學方式，提早了解帶因者將來發病時間預測外，也給予帶因者能儘早準備，是否孕育下一代，或是如何將基因分離以避免生出罕見疾病患者。

¹⁰⁸ 原文為：(1)It is a specially formulated and processed product(as opposed to a naturally occurring foodstuff used in its natural state) for the partial or exclusive feeding of a patient by means of oral intake or enteral feeding by tube ; (2)It is intended for the dietary management of a patient who, because of therapeutic or chronic medical needs , has limited or impaired capacity to ingest, absorb, or metabolize ordinary foodstuffs or certain nutrients, or who has other special medically determined nutrient requirements, the dietary management of which cannot be achieved;(3)It provides nutritional support specifically modified for the management of the unique nutrient needs that result from the specific disease or condition as determined by medical evaluation(4)It is intended to be used under a medical physician's supervision :and (5)It is intended only for a patient receiving active and ongoing medical supervision wherein the patient requires medical care on a recurring basis for , among other things , instructions on the use of the medical food.

¹⁰⁹ Morgan & Baggott, *supra* note 104 , at 497 。

¹¹⁰ *Id.* , at 496 。

¹¹¹ National Archives & Administration. Federal Register: November 29, 1996 (Volume 61, Number 231) 資料來源：<http://www.cfsan.fda.gov/~lrd/fr961129.html> 最後瀏覽日：2009/1/3

¹¹² Morgan & Baggott, *supra* note 104 , at 496 。

第四節 治療後期：孤兒藥之商品製造者責任¹¹³

美國法上對於孤兒藥法案，從藥物的研發、取得、使用等用藥前、用藥中權益皆有一定的規定，又於用藥後所產生責任，諸如：藥物安全性，對於罕見疾病患者最直接影響在於藥物所生之身體、健康上的損害，是否得據以資向藥廠即商品製造者請求賠償，相對的，倘採肯定的見解，對於藥廠而言，其藥物成本勢必提升，是否會抑制藥廠投入研發？有無使得孤兒藥法案之立法美意落空？而影響到罕見疾病患者之用藥權益；然若採否定見解，是否對於罕見疾病患者之所致損害便陷於所求無門的田地？因此，而妄顧罕見疾病患者之用藥安全？在罕見疾病患者之生命權及身體權與藥廠之工作權相衝突下，二者間利益如何調合？美國法上，對於孤兒藥所致損害及商品製造者即藥廠責任歸屬權責上，有其特殊見解，本文嘗試從相關學說及實務見解為主，觀察美國法上如何處理此爭議。

第一項 免責與否爭議

一九八二年於「孤兒藥初步調查報告書」(Preliminary Report of the Survey on Drugs for Rare Disease) 中，揭櫫孤兒藥不具有可獲利性，在於許多的孤兒藥無法成為可專利性的藥物，因為僅有極為少數之罹病，故難以去實施臨床實驗以證明藥物具有效性。

一九八三年立法之初，將孤兒藥定義為「罕見疾病或是類似狀況」(rare disease or condition)¹¹⁴，贊助者必須要提交詳細的財務資料有關於藥物研發的成本及預期的銷售。

一九八四年修正，蓋製造者多不願意提上揭資料，故而，本法將此藥定義為「任何藥物之使用者在美國境內估計人口數在二十萬以下者，將會自動的被指定為孤兒藥；又如果病人的人數超過二十萬人，當製造者提交財務資料內容如前述者，亦可獲得指定為孤兒藥之機會。

一旦被認定為孤兒藥後，贊助者可以要求美國食品暨藥物管理局推薦人體臨床實驗及動物及試管內研究以獲得認可，但是，臨床測試無法像非罕見藥物一樣的廣，大致上，美國食品暨藥物管理局僅要求二個足夠的控制完好的人體研究以證明。又贊助者可能也要具有「悲憫 IND」狀態("compassionate IND" status)¹¹⁵，允許贊助者加上渠無法被治療的病人。又「開放協定」(open protocols)係

¹¹³ Susan F. Scharf, *Orphan Drugs: The Question of Products Liability*, Boston University School of Law. American Journal of Law & Medicine. 1985 10Am. J. L. and Med.491. at 497-513.

¹¹⁴ 此類疾病在美國發生極為罕見，並無合理的期望在成本發展及取得藥物，針對似類疾病是情況者，皆可適用孤兒藥法案。

¹¹⁵ 按「悲憫 IND」，其中 IND 原文為 Investigational New Drug，係指在極為特殊的情況下，為了要保障、救濟其最低生活上需求，而在人體實驗進行過程中，以使其過程較為簡便快速。

將可用的研究資料加以分析，顯示藥物是安全且有效，然至少要有一個以上的研究是被要求以獲得市場的特許：悲憫 IND 可以使贊助者符合美國食品暨藥物管理局測試的要求，並且確保病患獲得藥物。

然此法並無法調整製造者成本當發生侵權訴訟及責任保險。國會可以限制製造者侵權責任以達到降低成本。然而，在漸增加的爭訟及司法不一致的判定關於賠償責任，責任成本將會成為主要的製造者決定是否研發孤兒藥的因素。

第二項 商品責任及孤兒藥

第一款 設計缺失

根據侵權行為法第 402A 部分(section 402A of the Restatement(Second) of Torts)限制責任的認定是立基於當「任何產品的缺陷情形對於使用者而言是不合理危險」而造成身體的傷害。在此條文的基礎下，法院推出了「I 及 K 評註」(comments I and K)，評註 I 指稱嚴格責任是當產品是對於一般大眾是危險的；評註 K 則承認商品不可避免及不安全的例外，不論是評註 I 或是 K 皆非是反對製造者對於新藥或實驗藥物製造，僅是針對未為警告及製造者的缺失而為之規範。在美國法院實務上，對於藥物缺失及商品製造者的責任，多適用 Section 402A 及評註 I 及 K 加以規制，但是，實際上，仍會考量特別風險及利益加以平衡權衡之。

孤兒藥物僅單提供予罕見疾病患者的治療所用，其所獲得的利益有可能是超過大部分的風險。根據眾議院委員會調查(The House Subcommittee's Survey)透露出有一百三十四種的藥物被認定為孤兒藥，其中有百分之四十三被認為實際或潛在性為延續生命所用，百分之三十七為疏緩疾病，百分之十三是針對不具有生命威脅情況患病治療所用，剩下的百分之六是診斷所用工具；在二十四種孤兒藥是被認為符合實驗基礎的，其中六種提供了新的治療方法，又所餘的十七種，提供較為安全、有效的方法以取代其他的藥物。在關於孤兒藥爭訟上，過高的利益可能導致對於嚴格責任於製造者身上的偏見，因此，為了要回復損害，原告多

如：「癌患社安給付加快審批」【2008-10-28 美聯社華盛頓 27 日電】社會安全署推出悲憫認可計畫 (Compassionate Allowances Initiative)，以加速處理罹患癌症和其他嚴重病症的人提出的殘障福利申請。這項計畫初期適用於 25 種罕見疾病和 25 種癌症，日後還可能擴大，並將把決定殘障福利申請的處理時間，從現在的 100 天或更久，縮短到甚至只要 2 天。社安署長艾斯楚 (Michael Astrue) 說，許多申請案件只要病況診斷獲得證實，就可以獲得批准。這些疾病包括急性白血症、肌萎縮側索硬化症和胰臟癌、一些無法開刀治療的乳癌、膀胱癌、腎臟癌和骨癌、庫賈氏病 (Creutzfeldt-Jakob disease)、高雪氏症 (Gaucher disease) 和雷特氏症 (Rett Syndrome)。目前這類申請案件根據性質不同，要通過社安署審查可能得等幾個月。上訴案件等待聽證可能拖得更久，有時超過 1 年。

資料來源：世界新聞網

http://www.worldjournal.com/wj-us-news.php?nt_seq_id=1794809&sc_seq_id=1 最後瀏覽日：2009/1/3

會加以證明並指稱商品的缺失是可以被消弭在無過度的花費或是損失商品的效用上。

於 *Brochu v. Ortho Pharmaceutical Corp.* 一案中，第一巡迴法院認為商品的缺失係在於 Ortho 販售的其他降低雌激素的口服避孕藥，亦同時提供了相同的療效，在於大腦血栓風險的降低上。

一言以蔽之，商品責任在於當危險是明顯或是需要適合的警告時，製造者無降低此危險所需負之義務。在非孤兒藥物上「合理的步驟」(reasonable steps) 是促使商品安全的方法，但是在孤兒藥上它包含了「過度的成本」(excessive cost) 考量及經濟需求，故法院在審判時多會猶豫是否採用嚴格責任。

又孤兒藥在實驗藥物透過「悲憫 IND」可能會變成評註 K 的例外。於 *Gaston v. Hunter* 中，原告指稱 chymopapain 酵素是有缺失的，蓋其無治療的價值且具有高含量的毒性；然而，法院認為在實驗性藥物的審查上，只要是製造者盡到其合理審慎的製造者義務(按似我國善良管理人義務)時即可免責，又於特別的平衡測試上，法院納入了關於 chymopapain 酵素潛在性(potential)的利益，及不知(unknown)風險二者考量點，而認為製造者無需負擔責任。

再者，於 *Hawkinson v. A.H. Robins* 案中，承認設計上的缺失責任非由評註 K 加以規制，而是依評註 I，蓋法院認為，根據評註 K 得知，製造者必須確定其商品是準備好且有適當的警告及使用方法，但 Robins 卻無法有效的控制已知及不知的風險，此案揭示了，關於嚴格責任在藥物商品缺失和以責任過失間是互相獨立的。故法院需認定一般消費者的對於藥物缺失的預期，以判定消費者是否已接受藥物所存在的風險，但於孤兒藥上，因在市場上的困難度，法院可能以消費者預期製造者僅要求知有限度的風險已足，而非一般大眾之認知為否；雖然，大部分的法院仍然不願意認為藥物製造者需負擔商品設計缺失採用嚴格責任，但當製造者在控制已知或未知的風險時，無經過合宜的測試及限制藥物的分配時，評註 K 抗辯將無法用於孤兒藥製造者。

第二款 警示義務(duty of warn)

未盡到警示產品危險特性時，可能會致製造者需負嚴格責任。亦言之，當製造者已善盡其警示的義務提供適宜的警告，當造成損害時，除了商品本質上及可避免的危險外，其無庸負擔嚴格的責任。又何謂已盡到警示義務：一、製造者已提供資料由醫生處方。二、製造者具持續性關於商品及適時溝通警告的保持義務。三、符合美國食品暨藥物管理局的法規並無法證明製造者已合宜的為警告義務。又製造者亦無法以長期性的藥物影響是無法預期而認為已盡警告義務。相對的，原告要舉證製造者未盡到合適的警告義務，法院採用一般過失義務為準。

然而，於孤兒藥卻會遭遇到，證明的困難，原告必須要證明製造者已知或是可得而知風險存在，由研究的資料或是報告得知未提及不可預見的風險，但是，鑑於孤兒藥僅行有限度的測試，上揭資料其實是不存在的，故而，在此侷限下，法院大多不會成立製造者未盡到警告風險的義務。

第三款 試驗過失(negligence in testing)

藥商對於可預見的風險傷害必須在實驗測試時盡到合理的注意義務。當美國食品暨藥物管理局承認較為彈性的在前臨床實驗時，病人在臨床的試驗上，可能會遭到不合理的風險傷害，此時，將有可能致藥商對於其過失負責。

第四款 懲罰性賠償

當原告證明商品製造者具可歸責事由並缺少注意義務時¹¹⁶，廠商有可能需要負擔懲罰性賠償。於孤兒藥中當製造者無遵受通常協定及不合適實驗時，製造者將可能會違反善意而無法阻卻。

第三項 孤兒藥物適用商品製造者責任之政策考量

第一款 立法政策

商品製造者責任法律在攸關孤兒藥中，涉及消費者損害賠償及新藥物研發市場上的平衡，當要求上市前實驗具較高度品質時，相對的亦會使製造者的設計上缺失或不合宜的警示產生損害賠償的發生降低，美國法院實務認為不可預見的風險因為新藥的使用太快使用於人類身上，有可能會產生非常嚴重的損害，此外，亦有可能會導致死亡的產生而會影響新藥的發展。故而，有認為若使製造者須遵守嚴格的實驗要求可鼓勵新藥物的市場性增高，進言之，製造者僅在對於可能作為無盡到責任時，方可歸責。

許多法院更認為可以將過失及嚴格責任合併考量，嚴格責任用於考量不適宜的實驗，以提升賠償及成本的過度延伸當產生過失時。然而，有反對聲浪，認為除了當受損害者無法自行吸引藥物所致相關的損害外，製造者並不需要賠償。

再者，訴訟的威脅可能將會侵蝕立法要求要保障孤兒藥設備研究及發展。當嚴格責任是合理可被成本涵蓋時，縱使是相對較不利益的孤兒藥物，製造者仍得加以從其他較具利潤藥物所得吸收成本花費，責任成本製造了不具有誘因在孤兒藥發展上，因此宜降低製造者的責任。

故孤兒藥法案誘因仍具有利且鼓勵製造者由一般藥物所得利潤上用以開發孤兒藥物，更甚者，和一般疾病經過研發的藥物相較，當病人率先使用未經美國食品暨藥物管理局許可的孤兒藥物，將會使其遭遇到更高的損害成本，因此，法院必須要適用嚴格的責任以分配孤兒藥所致的損害由較具可合理承擔成本者即製造者負擔。

又懲罰性賠償金確會致新藥的研發產生反誘因的現象，因此，宜限縮適用於：當故意或是重大無知且使公共利益產生極度嚴重的犧牲時。在孤兒藥一例中，當製造者未盡合理的注意義務於實驗，即：一、產品的設計未伴隨警示。二、

¹¹⁶ 包含了：一、未提供經過有效的商品安全資訊。二、產品已知可能於治療時產生極度危險情況。三、使大眾誤解產品的安全性。

病人無其他可替代性藥物可加以使用時，風險仍是合理。

第二款 其他見解

一、法院宜藉由回復合理補償病人損害使孤兒藥製造者負擔不同的責任。

二、政府宜設立一合宜的額外基金用於臨床前及人體實驗，以確保孤兒藥的生產過程是受到如非孤兒藥物般嚴格的品質控管。

三、製造者宜捐助責任基金用於擔保賠償孤兒藥病患所致損害係無過失責任而生。亦言之，製造者宜負有一定的社會責任以支持孤兒藥發展，且其亦具有足夠的資金以承載孤兒藥所需花費。

然罕見疾病欲增加孤兒藥的可用性時，會受到不可預見的不利的反應時，蓋責任使然下，關於治療方法設計的缺失、未盡警示義務及實驗上過失，將會使製造者的責任花費嚴重的威脅其決定是否研發孤兒藥。故而，政府當局宜尋找其他的替代方案以鼓勵孤兒藥的研發而不是免除製造者的法律義務以保護及補償消費者。在普通法系的國家，醫生及製藥者依過失責任多是反對負擔責任，但是在關於義務違反時，倘無盡合理標準或是合理的照料義務時，仍是需要負擔責任。但是，當醫生及製藥者可能在對於藥物的使用上，因未有合適基因的診斷測試，而缺少足夠的知識下，要求其負擔責任受到了極大的反彈。

醫生對於藥物使用的警告義務，在美國實務上多採用限制責任，在藥物公司對於損害的原因未行合法的告知義務時；又其不像是過失責任的理論，在限制責任上，不用盡合理的義務，但是負舉證責任之人，需要證明藥廠未行合適的警告義務，於已被承認或是可得知的知識上。

第五節 爭議及缺失¹¹⁷

第一項 美國國境內

於醫療保障中，美國從個人到國家的保障制度，運用個人己力，與國家社會責任建構的醫療保障體系，於罕見病患的保障已臻完善，然而，仍有產生以下尚需加解決的爭議處：

一、孤兒藥之高額利潤：未考量藥品價格、服用藥物次數、治療期間等因素。

二、美國社會醫療保險及醫療救助為提供罕見疾病之支付，然其受到政策性之影響甚大，影響病人之醫療權與消費者之選擇權。

三、美國境內孤兒藥品之昂貴價格間接補貼世界各國之孤兒藥價格。

¹¹⁷ Thamer Mae, Nial Brennan, Rafael Semansky, *supra* note 63, at 265-290.

第二項 全球化影響

人類基因在判定基因缺口上變得非常有效，如罕見疾病，但是在分子病理學及目標治療上，仍僅有較小的進展。罕見疾病及缺陷需要加重國際間生物醫療的研究整合。二〇〇二年，美國國會通過罕見疾病法(Rare Diseases Act，簡稱為 RDA)此法增加政府在研發治療的器具及建立罕見疾病局在國際健康機構(National Institutes of Health，簡稱為 NIH)下，及特別的指定適宜的罕見疾病的研究¹¹⁸。

世界衛生組織(WTO)，醫療研究暨發展條款(The Medical Research and Development Treaty，簡稱為 MRDT)目標在於建立一個新的司法制度，以提升關於製藥及其他醫藥治療的研究和發展，以產生替代專利和獨占的藥物價格，但是，該條款的反對者認為過度的擴展智慧財產權的保護會製造更大的問題，包含限制取得主要的藥物、花費及浪費藥物的市場及醫藥產品、及使投資和研發產生重大的偏斜。又該條款認為，應針對全球性的需要、在政府間(見表格 3-2，係關於各國孤兒藥立法政策概述比較)公平的研發分配花費¹¹⁹。

在人類中有許多種類的罕見疾病，不論在政治上、科學聯繫上，需要面對挑戰及認為和定義治療此類疾病。針對受到重大災難及被遺忘的人類疾病上¹²⁰，藉由各方的努力，在學術上、非利益組及工業團體的相互幫助在發展器材、科技上。

表格 3-2：世界各國關於孤兒藥計畫/政策¹²¹

	澳洲	加拿大	歐盟	日本	美國
立法成立時	一九九八年時，與美國食品暨	無孤立計畫，於一九九六年審查已存在的法	於二〇〇〇年十一月	一九九三年醫事法 (Pharmaceutical	一九八三年孤兒藥法案修正

¹¹⁸ Mitchell R. Lunn, Brent R. Stockwell, *Chemical Genetics and Orphan Genetic Diseases*, Chemistry & Biology, Vol. 12, October 2005, at 1063。

¹¹⁹ Helfer, *supra* note 76, at 973-1020。

¹²⁰ Lunn & Stockwell, *supra* note 118, p1070

¹²¹ 作者參照整理自：Drusilla L. Scott, Susan Alder, Etsuko Usui, Karolyn Lui, *Orphan Drug program/Policies in Australia, Japan, and Canada*, Drug Information Journal, Vol. 35, 2002, at 14-15。

	藥物管理局合作，達成正式協定以交換及審查知識提供	律是否已確何病患能取得重要的藥物產品。	二十二日，孤兒藥法案制定，具強制性、且更有效性，	Affairs Law)修正提升孤兒藥物的發展	了聯邦食物、藥物暨化妝品法案。
產品可用於孤兒藥的指定	藥物及生物製具 (biologics)	無規定	藥物及生物製具	藥物、生物製具及輔具	藥物及生物製具
指定要件	病患人數少於二千人或是產品在商業上是無法獲得	在立法上無針對「罕見」加以定義	五到一萬人病患之生命受到威脅或是慢性缺失，或是藥物的研發不具有誘因且無其他另人滿意的治療方法存在或是新產品將的產生重大的利潤	病患的人數少於五萬人，以高健康照顧優先	病患人數少於二十萬人，或是研發的成本無法在七年內回收必需在 NDA/BLA 要求仲裁前。
市場特許實施權	並無適用。但是除非有臨床的優勢顯勢，否則從第二個產品有這相同的原料將會被排除	依據專利保護	十年，但是當孤兒藥標準不符時，可減少至六年。	可延展的，經過重新審查後。(第二順位的贊助者必行在此期間內全力發展實施計畫)	七年，除非有臨床優勢，否則不准許相同產品被獲得認可。

費用	當市場資格及孤兒藥指定費用被撤回時，其他的費用將會減少	當產品是小量時，評估、授權執照及藥物的費用，可以減少	市場資格及指定的費用可以免除或是減少	資格費用可以減少	NDA/BLA 資格費用撤回，產品或是建立的費用撤回需要經過同意。
經濟誘因關於研究與發展	無適用	自然研究及實驗發展稅誘因計畫	研究允許計畫；其他經濟上誘因由各州自行訂立。	允許最多達一年有百分之五十的研發成本支助達三年，在臨床前或是臨床階段給予稅收的減少	當獲得許可後，百分之五十的稅收保證在臨床研究；允許臨床的試驗
其他利益	相對於一般預期的二五五天的審查，較短的審查時間；美國食品暨藥物管理局評估的報告亦將會促進審查。	NDS 對於較重要且新的產品的優先審查；針對重要藥物定有一「特別取得計畫」(Special Access Programme)；	進入主要程序；協定的支助。	加速審查流程；監督發展。	研究允許的取得在醫藥食品、輔助器具及生物製品；協定的支助；當有明顯的擔保時，優先予 NDA/BLA 審查。

第四章 我國罕見疾病患者相關法規範

前章中已針對於美國法罕見疾病相關法規範為介紹，於本章節中，則以我國罕見疾病患者相關法規範為主，在具有我國法之基礎後，於本章節之末，將第三章美國法部分，與我國法制作一整合性的觀察、分析，以吸取他人所長，截長補短。

第一節 立法背景

自民國七十三年政府對新生兒篩檢以降，陸續發現數起罹患罕見疾病之病童¹²²，其病因不外為遺傳基因或是不明原因所致¹²³，在家屬的極力奔走下，相關的病友社團組織成立，在媒體報導的能見度下，使得社會大眾對於何謂罕見疾病有了些許的認識，然而在治療費用過鉅，藥物取得不易¹²⁴，醫事人力不足及分佈不均，健保無給付，且罕見疾病患者在當時非身心障礙者保護者法的保障主體¹²⁵，在此背景下，為了促進病患權益而成立了罕見疾病基金會，除籌募常設性

¹²² 葉秀珍、曾敏傑、林志鴻，同註 63，頁 9-13。

¹²³ 張原風、張淑卿，同註 6，頁 469-470。文中，引台大醫院優生保健主任柯滄銘之語：人類每個人身上都有五到十個不正常的基因，萬一男女雙方在同一個基因有缺陷，就會導致下一代出現基因異常的罕見疾病」。又於引衛生署指出：「罕見疾病屬於遺傳性疾病，在人體內約有五至八萬個基因，藉著去氧核糖核酸(deoxyribonucleic acid, DNA) 準確的複製，把基因代代相傳中，若有幾個基因發生變異，將可能在傳宗接代時，把有缺陷的基因傳給子代，造成遺傳性疾病。」

¹²⁴ 研發上的成本及經濟上的誘因不足，及藥物進口查驗登記程序嚴謹冗長，在藥物需求及供應上便陷入了難題。

¹²⁵ 身心障礙保護法已於民國九十六年七月十一日修正，斯法並更名為身心障礙者權益保障法，其最後生效日期為民國一〇一年七月十一日。

按民國 90 年 11 月 21 日修正前身心障礙保護法條文：

第 3 條

本法所稱身心障礙者，係指個人因生理或心理因素致其參與社會及從事生產活動功能受到限制或無法發揮，經鑑定符合中央衛生主管機關所定等級之下列障礙並領有身心障礙手冊者為範圍：

- 一 視覺障礙者。
- 二 聽覺機能障礙者。
- 三 平衡機能障礙者。
- 四 聲音機能或語言機能殘障者。
- 五 肢體障礙者。
- 六 智能障礙者。
- 七 重要器官失去功能者。
- 八 顏面損傷者。
- 九 植物人。
- 一〇 癡呆症者。
- 一一 自閉症者。
- 一二 慢性精神病患者。
- 一三 多重障礙者。

經費，主動爭取醫療權益，放寬核定孤兒進口與健保給付¹²⁶，並加以推動立法以確切保障之醫療人權，幸而醫界、相關社會團體¹²⁷、立法委員等的多方幫助與配合便有了斯法的催生立法。

罕見疾病防治及藥物法實施至今，截至二〇〇八年一月政府公告共一五一項一七一種罕見疾病，罕見疾病基金會服務病類則達二〇二種，通報至國民健康局的罕見疾病個案為三〇二六人（統計至二〇〇七年十二月，含未公告病類）。另外，目前公告之罕病藥物品項為八十六種，至二〇〇五年度使用罕藥之罕病病友人數共計九三九人；至於營養品部分目則有四十種品項，共符合十五種疾病之適應症，目前共計二八〇人使用；綜合政府通報、罕見疾病基金會資料庫所掌握以及各病友團體所提供的資料來推估罕見疾病人數將近五〇〇〇人。目前行政院衛生署已陸續成立「罕見疾病個案特殊營養品暨罕見疾病藥物流中心」、「罕見疾病國際醫療合作代行檢驗服務方案」及在北、中、南、東設置「遺傳諮詢中心」等，期望能提供罕病患者更完善的照護服務¹²⁸。

又身心障礙者保護法亦為保障罕見疾病患者之重要法規，身心障礙者權益保

一四 其他經中央衛生主管機關認定之障礙者。

前項障礙類別之等級、第七款重要器官及第十四款其他障礙類別之項目，由中央衛生主管機關定之。

第 4 條 （身心障礙者之保障）

身心障礙者之人格及合法權益，應受尊重與保障，除能證明其無勝任能力者外，不得單獨以身心障礙為理由，拒絕其接受教育、應考、進用或予其他不公平之待遇。

第 5 條 （社會教育及相關宣導之推動）

為預防、減低身心障礙之發生，各級政府相關目的事業主管機關，應有計劃地推動身心障礙預防工作、優生保健、預防身心障礙之知識，針對遺傳、疾病、災害、環境污染和其他致殘因素，並推動相關宣導及社會教育。

在當時法律未規定罕見疾病患者為此法的保障主體下，對政府各項福利措施，諸如醫療復健、教育、職訓、就業、托育、養護、稅捐、交通及參與社會生活上得到應有之保障，無法受到保障與照顧。

¹²⁶ 吳嘉苓，台灣病患權益運動初探，台灣的社會福利運動，蕭新煌、林國明主編，巨流圖書有限公司，2001年8月，頁396-404。由氏著之文章中認為，在諸多的社會運動中，罕見疾病基金會以病患之就醫權、生存權等醫療人權為核心，以孤兒藥處境，凸顯資本主義市場下，有藥可醫，外尚需要有利可圖的窘境，及醫療資源的分配不均下，評判台灣在衛生政策、醫藥體系中以功利為主要追求目的，過度的以醫療商品化-創造最大剩餘價值的醫療技術、措施、研究等，方會受到鼓勵、推行，該基金會以「人道救援」的理念，透過罕見疾病基金會的創立，塑造壓力團體，迫使立法者為立法。相關論述亦可見於：雷文玫，罕見疾病防治及藥物法對我國社會立法的啟示，罕見疾病社會立法紀念專輯，曾敏傑、陳莉茵主編，2002年12月，頁131。

¹²⁷ 吳嘉苓，同註126。

¹²⁸ 網路資料來源：財團法人罕見疾病基金會 http://www.tfrd.org.tw/rare/index.php?kind_id=4
最後瀏覽日：2009/1/3

護法係中華民國九十一年十一月二十一日前修正之身心障礙者保護法，此法又於中華民國九十六年七月十一日修正並改名為「身心障礙者權益保護法」惟此法之最後生效日期為中華民國一〇一年七月十一日，爰基於行文之必要及新修正之法尚未全部施行下，吾人爰就採用現行法即「身心障礙者保護法」之規定為主，輔以「身心障礙者權益保護法」之修正旨趣，針對身心障礙相關法規範中，涉及罕見病患之醫療保障部分為文討探。

第一項 立法過程

鑑於罕見疾病患者的病因多為基因上的缺陷而生的功能性障礙，大多數的患者屬於終身型的病患，隨著病程日趨惡化，而無法完全根治，目前我國對於罕見疾病患者之立法上的明文的相關規範有「罕見疾病防治及藥物法」、「罕見疾病防治及藥物法施行細則」、「罕見疾病及藥物審議委員會設置要點」、「罕見疾病藥物供應製造及研究發展獎勵辦法」、「罕見疾病藥物專案申請辦法」、「罕見疾病醫療補助辦法」、「罕見疾病藥物查驗登記審查準則」、「全民健康保險罕見疾病用藥免事前專案審查品項及作業方式」、「罕見疾病特殊營養食品專案申請輸入辦法」、「行政院衛生署受理罕見疾病藥物查驗登記審查費收費標準」及「全民健康保險法」、「身心障礙者權益保障法」¹²⁹、「優生保健法」等，對於罕見疾病患者的醫療權益，有加以明文立法的規範保障。惟縱使在就醫權益上的保障，看似已臻健全完善，但是，在近期數例新聞案件中¹³⁰，卻仍可發現一些尚未完全健全之處，然涉及罕見疾病患者的保護仍有許多的疑問，諸如¹³¹：

一、就學上：患見疾病患者之因長期服用藥物及特殊的飲食控制，患者之學習效能及學校的空間設備、教師的合適性等，均有待整合檢討。

二、就業上：在我國對於罕見疾病患者的教育或職業訓練不足上，縱有工作能力或是工作機會，仍有遭雇主解僱或是無法獲得完善的工作環境的對待。

三、經濟上：在相關的立法保障，對於罕見疾病患者的用藥或是特殊營養食品，有加以補助，但在財經狀況變動或刪除補助額下，罕見疾病患者的經濟狀況可謂是站在鋼索上，隨時遭受危險。

四、就醫上：有些傳統文化思想較為根深的家庭，在遭逢罕見疾病的案例時，常會以業障、因果、風水、神鬼等說法，而誤用醫療方式或是產生歧視；又在醫

¹²⁹ 舊法即為「身心障礙者保護法」。

¹³⁰ 2008/04/11「大甲媽祖回鑾 兩歲兒罹罕病 母親抱著鑽轎底」，雅虎新聞網：
<http://tw.news.yahoo.com/article/url/d/a/080411/17/x3kj.html>；2008/3/29

「國健局：尼曼匹克症患者 臨床試驗不斷藥」，雅虎新聞網：
<http://tw.news.yahoo.com/article/url/d/a/080329/5/wc23.html>

最後瀏覽日：2008年4月13日。(註：此網頁作者於2009年1月3日再次瀏覽時，已被移除)

¹³¹ 張原風、張淑卿，同註6，頁472-475。

療市場的萎縮下，藥物的缺乏、醫事人力不足，地區分佈不均，週邊的醫療的團隊所需之遺傳諮詢人員、營養師、心理諮商師、復健人員及社工人員等尚未健全的配套，就醫的權益上，便無法達到盡善盡美之處。

第二項 罕見疾病立法定義及範圍

按罕見疾病防治及藥物法(下簡稱爲本法)第三條第一項：「本法所稱罕見疾病，係指疾病盛行率在中央主管機關公告基準以下或因情況特殊，經第四條所定委員會審議認定，並經中央主管機關指定公告者。¹³²」，關於罕見疾病之定義，採取較爲彈性的立法模式，即不加以對罕見疾病採取硬性的規定，而委由罕見疾病及藥物審議委員會每三年認定檢討。在權力分立下，及行政、立法間功能及性質不同下，此授權主管機關依其權限認定之，有其適用調整的便利性、專業性之利。

又於同條第二項中，對於罕見疾病之藥物，爲一定義性的規定，係指依本法提出申請，並經由罕見疾病及藥物審議委員會¹³³審議認定，且經中央主管機關公告，其藥物之主要適應症用於預防、診斷、治療罕見疾病者皆可爲本法所稱之罕見疾病藥物。同條第三項，對於罕見疾病病患所需之維持生命所需之特殊營養食品，係指經第四條所定委員會審議認定，並經中央主管機關公告，主要適用於罕見疾病病人營養之供應者。

第一款 罕見疾病與藥物認定組織與程序

第一目 主管機關

與罕見疾病相關之業務在中央係隸屬於行政院衛生署，在地方的組織層級上，則得分別由直轄市、縣(市)政府爲之¹³⁴。主管機關的認定涉及發生爭議時，熟爲提起訴願、行政訴訟之相對人主體。

¹³² 又參罕見疾病防治及藥物法施行細則 第 3 條 本法第三條第一項所稱疾病盛行率，指中央主管機關參照醫事人員依本法第七條規定報告之資料及全民健康保險就醫資料所計算之疾病年盛行率。

中央主管機關對於前項疾病盛行率之公告標準，至少每三年檢討一次。

罕見疾病防治及藥物法施行細則第 4 條 本法第三條第一項所稱情況特殊，指疾病盛行率超過中央主管機關公告標準，或難以計算，而其診斷治療所需之方法或藥物取得確有困難，經中央主管機關依本法第四條規定設置之罕見疾病及藥物審議委員會認定者。

¹³³ 參罕見疾病防治及藥物法第 4 條 中央主管機關爲審議罕見疾病有關事項，應設罕見疾病及藥物審議委員會（以下簡稱委員會），其組織及會議，依中央主管機關之規定。

委員會委員，由政府機關代表、醫事學者專家及社會公正人士組成，其中委員名額，至少應有三分之二以上爲醫事學者專家。

¹³⁴ 參罕見疾病防治及藥物法第 2 條 本法所稱主管機關：在中央爲行政院衛生署；在直轄市爲直轄市政府；在縣（市）爲縣（市）政府。

主管機關之權責¹³⁵有委託辦理罕見疾病之防治與研究，聽取醫事人員發現罹患罕見疾病之病人或因而致死者之報告後，經病人或其法定代理人同意，得派遣專業人員訪視，告知相關疾病之影響，並提供照護諮詢，課予醫師之報告義務係為增進醫學研究目的所定之立法¹³⁶，又為兼顧加強罕見疾病個案之照護諮詢，並尊重病人之人格及自主注意執行之態度及方法，尊重病人之人格與自主，因業務知悉或持有之罕見疾病資料，應予保密，不得無故洩漏或交付。並維護其隱私與社會生活之經營，明定相關人員對罕見疾病病人資料之保密義務；至違反該義務之醫事人員或醫療機構之人員，其罰則回歸相關法律處罰，民間團體人員則不予處罰¹³⁷。

再者，主管機關對於罕見疾病不論在藥物之研發、防治工作之進行上，具有獎勵、補助相關機構之經費¹³⁸。又為加強社會大眾對於罕見疾病之認識，以減

¹³⁵ 參罕見疾病防治及藥物法

- 第 6 條 中央主管機關得委託辦理罕見疾病之防治與研究。
- 第 7 條 醫事人員發現罹患罕見疾病之病人或因而致死者，應向中央主管機關報告。
- 第 8 條 中央主管機關接獲前條報告或發現具有罕見遺傳疾病缺陷者，經病人或其法定代理人同意，得派遣專業人員訪視，告知相關疾病之影響，並提供照護諮詢。
- 第 9 條 從事前二條業務之機關、機構、團體及其人員，應注意執行之態度及方法，尊重病人之人格與自主，並維護其隱私與社會生活之經營。
前項人員，因業務知悉或持有之罕見疾病資料，應予保密，不得無故洩漏或交付。

¹³⁶ 陳聰富，醫師的行政管制(下)，月旦法學教室第六十七期，2008 年 5 月，頁 67。文中認為對於醫師之行政管制目的有為達疾病傳染預防及擴散、醫學研究、防止弱勢者成為被害人。

¹³⁷ 參罕見疾病防治及藥物法第八條、第九條，於九十四年一月九日之立法理由。資料來源：法源法律網 <http://db.lawbank.com.tw/FLAW/FLAWDOC01.asp?Isid=FL013785&Ino=8>
<http://db.lawbank.com.tw/FLAW/FLAWDOC01.asp?Isid=FL013785&Ino=9> 最後瀏覽日：2009/1/3

何建志，防治罕見疾病的相關法律問題，罕見疾病社會立法紀念專輯，曾敏傑、陳莉茵主編，2002 年 12 月，頁 146-147。一文中可知，按民法第一八四條第二項：「違反保護他人之法律，致生損害於他人者，負賠償責任。但能證明其行為無過失者，不在此限。」罕見疾病防治及藥物法第九條之規定，係可該當民法第一八四條第二項所謂之「保護他人法律」，故而，於違反罕見疾病防治及藥物法第九條時，侵害他人權利之人即相關失職人員，而致被害人致生有損害，而損害及結果間有相當因果關係時，符合侵權行為之一般要件下，得直接依民法第一八四條第二項為請求權基礎向加害人請求損害賠償；倘加害人具有公務員身階備，則亦當然在符合要件下，應依國家賠償法相關規定處理。惟查，於罕見疾病防治及藥物法第六條得知，從事防治罕見疾病作者有中央主管機關本身、受委託行使公權力之個人或是私法人，前者屬於國家賠償法第二條之公務員，後者，則屬國家賠償法第四條擬制為公務員之行為辦理，似乎上述中，民法第一八四條第二項之適用可謂當然無存，然又觀諸罕見疾病防治及藥物法第七條中，涉醫事人員通報義務，亦為「防治」範疇，通報之主體有可能為私立醫療院、所、人員，其並不當然為國家賠償法中具公務員之適格主體，故而，民法第一八四條第二項並非無存在之實益。

¹³⁸ 參罕見疾病防治及藥物法第十條 中央主管機關應獎勵各級醫療或研究機構從事罕見疾病防治工作，補助相關人力培育、研究及設備所需經費。

少對於病患之汙名之印象，主管機關具有辦理教育、宣導之工作¹³⁹，以矯正大眾之觀念，又於病患在就學、就業、就養上發生極待資源問題時，主管機關亦負有居於協調相關機關協助之義務。

第三目 罕見疾病審議委員會

罕見疾病審議委員會可謂在認定是否為本法涵攝的範圍內之一重大的影響機關，其權限分為以下幾點為主：

- 一、罕見疾病認定之審議及防治之諮詢。
- 二、罕見疾病藥物及維持生命所需之特殊營養食品認定之審議。
- 三、罕見疾病藥物查驗登記之審議。
- 四、罕見疾病藥物及維持生命所需之特殊營養食品補助及研發之審議。
- 五、罕見疾病國際醫療合作之審議、協助及諮詢。
- 六、治療特定疾病之非罕見疾病藥物¹⁴⁰之審議。
- 七、其他與罕見疾病有關事項之諮詢。

而其組成之成員¹⁴¹中，主要由政府機關代表、醫事學者專家及社會公正人

前項規定，直轄市、縣（市）主管機關得準用之。

¹³⁹ 參罕見疾病防治及藥物法第十一條 主管機關應辦理罕見疾病之教育及宣導，並由機關、學校、團體及大眾傳播媒體協助進行。

主管機關於罕見疾病病人發生就學、就業或就養問題時，得協調相關機關（構）協助之。

¹⁴⁰ 指罕見疾病防治及藥物法第二二條 非罕見疾病藥物依藥事法規定製造或輸入我國確有困難，且經委員會審議認定有助於特定疾病之醫療者，準用本法有關查驗登記及專案申請之規定。

¹⁴¹ 參罕見疾病防治及藥物法第四條第二項 委員會委員，由政府機關代表、醫事學者專家及社會公正人士組成，其中委員名額，至少應有三分之二以上為醫事學者專家。

又於罕見疾病及藥物審議委員會設置要點中，對於罕見疾病審議委員會之組成有一較為詳細之規定：

- 一 行政院衛生署（以下簡稱本署）為審議罕見疾病有關事項，依罕見疾病防治及藥物法（以下簡稱本法）第四條規定，設罕見疾病及藥物審議委員會（以下簡稱本會）。
- 二 本會置主任委員一人，由本署副署長兼任；委員十六至二十人，由本署署長就政府機關代表、醫事學者專家及社會公正人士遴聘之，任期二年，期滿得續聘。
- 三 本會置執行秘書一人，秘書一人至三人，由本署署長就現職人員派兼之。

士組成，委員之遴選由行政院衛生署署長選任之，成員數則約以十六至二十人，其中一人須由行政院衛生署副署長擔任主任委員一職，負有召集委員開會之義務，而委員之任期為二年，期滿得續聘之，開會過程中，需由委員親自出席，其屬非給職，但得給出席費及差旅費，此外，罕見疾病審議委員會除委員外，並置執行秘書一人，秘書一人至三人，由行政院衛生署署長就現職人員兼派。

又於罕見疾病及藥物審議委員會之下，採用專業分組會議形式過濾及初步審核相關議案，以加速委員會之審議效率，其中包括有：一、醫療小組：負責初步審議有關認定新增罕見疾病、國際檢體轉送服務、罕見防治事項、及病患醫療補助等議案，其下再設有醫療補助費用審核小組，審面國際檢體外送與病患醫療審核。二、藥物小組：主要以審議有關罕見疾病用藥認定與查驗登記、非罕見用藥審議、及藥物供應研發獎勵。三、食品小組：以特殊奶粉暨營養品的認定為主。四、健保總額預算監測小組：負責收集並監測健保總額預算實施相關業務¹⁴²。

又涉罕見疾病審議委員會之性質是否為行政機關、內部單位？其討論與否事關當此委員會之行政行為對於病患權益產生侵害時其救濟為何？吾人認為仍屬內部單位¹⁴³，故於藥物審查或其他需經該委員會審查所為決定，對受處分人之權利產生侵害時，應仍可循相關行政救途徑加以解決，惟其訴訟之主體即相對人仍應為罕見疾病審議委員會之上級機關-行政院衛生署。然，於給付行政一環上，患者之信賴利益保護問題，在公益與私益二者之權衡上，孰先孰後？吾人認除非是對於國家整體發展會產生重大的不利益影響，對於人數不多之病患所作成之受益處分，病患應可主張信賴保護。此外，罕見疾病之相關主管機關或是審議主體，仍是以罕見疾病醫療審議委員會為主，於受到相關行政處分時，可行相關行政、司法程序為之，方符合監督原則，又於司法審查上，司法機關於某程度上應尊重行政機關專業判斷，於判斷餘地上審查時宜有一定限縮。

四、本會為執行本法第五條所定任務，每三個月開會一次，必要時得召開臨時會，並得依醫療、藥物及食品等類別召開分組會議。

五 本會會議，由主任委員召集，並為主席，主任委員未能出席時，應指定委員一人為主席。

六 本會開會時應由委員親自出席，並得視實際需要邀請本署有關單位人員列席。

七 本會委員及各分組委員為無給職，但署外委員得依規定支給出席費及差旅費。

¹⁴² 國民健康局九十二年度科技研究發展計畫，罕見疾病防治與藥物法施行成效之評估與改進研究，計畫主持人：曾敏傑，研究人員：楊家裕，頁 18-19。

¹⁴³ 按行政程序法第二條第二項：行政機關，係指代表國家、地方自治團體或其他行政主體表示意思，行事務公共事務，具有單獨法定地位之組織。又行政機關與內部單位之區分，學理上依照：是否有單獨組織法規、獨立預算及編制、印信有無為區分標準，但實務上則有認為難因機關之人員編制、預算未獨立而否定其為行政機關。

第二節 治療前期：預防及檢測

罕見疾病之預防，於我國法制上於優生保健法中，對於遺傳性疾病得於婚前或是一般身體健康中加以檢測，於同意下得實施流產手術¹⁴⁴，此部分係以疾病發生之預防手段，然當已罹病或是疑似時，關於罕見疾病患者於治療前期則著重通報制度、疾病之檢測及藥物之進口取得申請為主，關於新生兒之早期通報制度，於身心障礙者保護法及罕見疾病防治及藥物法中均有明文規定。

第一項 通報制度建立

涉及罕見疾病患者疾病之通報於身心障礙者保護法及罕見疾病防治及藥物法中均有相類之規定，惟其適用之主體範圍並非完全相同，身心障礙者保護法係以新生兒為主，而罕見疾病防治及藥物法之適用主體範圍較為廣，僅需於醫療人員發現罹病之病患時即有通報義務，不限於新生兒，然身心障礙者保護法之通報之適用症狀則較為廣，以需要早療之新生兒即應通報，故二法在適用之層次上有其差異。

新生兒之早期通報制度¹⁴⁵為達到早期發現適時提供療育與服務，在身心障礙者保護法中復規定中央相關目的事業主管機關應建立彙報及通報系統，針對疑似身心障礙六歲以下嬰幼兒建立早期發現通報系統，以達到早期發現早期治療的成效。又早期通報制度之建立不僅在醫學研究、病患之照護、資源之取得及協助均能藉由早期通報制度之建立，使得病患取得相關之社福資源，然通報制度仍會對病患之隱私權造成侵害，因而，仍應以遵守相關之行政程序兼顧病患之隱私。

罕見病患之通報制度¹⁴⁶係為使罕見疾病患者儘速獲得適當之醫療，明定醫療人員之通報義務¹⁴⁷。於罕見疾病防治及藥物法中，明確要求醫事人員負有發現罹患罕見疾病之病人或因而致死者，應向中央主管機關報告¹⁴⁸。此條文雖賦與醫事人員之通報義務，惟吾人認為無通報期間的限制，其實質性及時效性上是否有其實益存在，誠屬可疑。

再者，通報制度之建立，吾人認為不僅可使得病患獲得適當之醫療外，對於研究發展及預防，亦產生一指標性方向¹⁴⁹，通報制度不僅能促進相關疾病的研

¹⁴⁴ 參優生保健法第六、九條。

¹⁴⁵ 參身心障礙者保護法第十四條第一項第一款。

¹⁴⁶ 同註 142。頁 96-97。

¹⁴⁷ 曾敏傑、陳莉茵主編，罕見疾病社會立法紀念存輯，2002 年 12 月，江綺雯委員提案說明部分，頁 210。

¹⁴⁸ 參罕見疾病防治及藥物法第七條。

¹⁴⁹ 【中國時報 黃天如／專題報導】結合性貧血 病例倍增卻遭忽視 2008.09.07，資料來源：<http://www.ctitv.com.tw/new/news/news02.html?id=15&cno=1&sno=351401> 此報導中，國人與外籍配偶結婚生下的子女，罹患地中海型結合性貧血的比率增加，中國附醫研究團隊進一步分析

究發展及治療外，更甚者，能加以歸納分析，某些特殊疾病之帶病因子的成因，有助於預防疾病發生¹⁵⁰。

又當中央主管機關接獲上開報告或發現具有罕見遺傳疾病缺陷者，經病人或其法定代理人同意，得派遣專業人員訪視，告知相關疾病之影響，並提供護理諮詢¹⁵¹。此規定係為顧及病患個人之隱私權而為之規定，尚屬合宜之立法，惟吾人認為在生命權保障的絕對性上，是否法定代理人不同意下，均無法為之？倘病患之法定代理人無正當理由不為同意時，對於病患之生命權影響可謂不小，故而，吾人認為應以先派遣專業人員訪視，告知相關疾病之影響，由病人或其法定代理人同意，是否需要後續的協助或提供護理諮詢後，本條文宜修正為「當中央主管機關接獲上開報告或發現具有罕見遺傳疾病缺陷者，應派遣專業人員訪視，告知相關疾病之影響，經病人或其法定代理人同意，並提供護理諮詢」。

圖 4-3：罕見疾病個案（含疑似病例）報告流程¹⁵²

10 例結合性貧血個案後，發現其中多達 9 例個案的母親是來自東南亞的外籍配偶，蓋東南亞國家民眾變異血紅素 E 的帶因率一直很高，例如，柬埔寨的帶因率有 32~63%、南越 32%、中越 6~40%、泰國 13~17%，平均是台灣帶因率的千倍以上。近年來，台灣與東南亞大量通婚，相關研究也證實，近年來，國人變異血紅素 E 帶因率已從原本的 0.03% 上升到 0.15~0.2%，足足增加 4 到 6 倍之多。如果一對夫妻帶有回到乙型海洋性貧血與變異血紅素 E 基因，有 1/4 的遺傳機率會生下結合性貧血的孩子，其症狀、治療難度都與重度海洋性貧血不相上下，罕見性還更勝一籌，卻未受到相對的重視。根據衛生署國民健康局的資料，目前國內被列為罕見疾病的重度海洋性貧血患者約 200 多人，其中以乙型海洋性貧血患者居多，結合性貧血患者不但未被納入其中，詳細的個案數通報與調查亦付之闕如。台大基因醫學部主任胡務亮表示，上述問題發生的原因可能有二，一是目前國內已知結合性貧血個案的症狀，或重度海洋性貧血那麼嚴重；另一就是結合性貧血過去實在太少見，以致各醫院進行患者缺損基因分析時，疏忽而有所漏失。施木青強調，國健局現行推動的優生保健篩檢，第一線只檢驗孕婦紅血球體積（MCV），若發現體積小於平均值的 80fl.（紅血球體積單位），才會進一步通知當事人與其配偶共同接受 Hb 電泳（HPLC）檢查，進行變異血紅素的分析。個案少醫師不熟悉 健保未給付 然而，中國附醫團隊的研究發現，變異血紅素 E 個案的 MCV 值常落在正常值 80fl. 的上下。換言之，若僅以 MCV 值判定患者血紅素的質與量是否正常，很可能出現漏網之魚。其實，Hb 電泳分析的檢驗價格每次只須約 250 元，在國人與東南亞籍外籍配偶大量通婚的趨勢未見改變前，將變異血紅素篩檢提前至第一線與 MCV 檢驗並行的優生保健政策，值得相關單位評估採納。

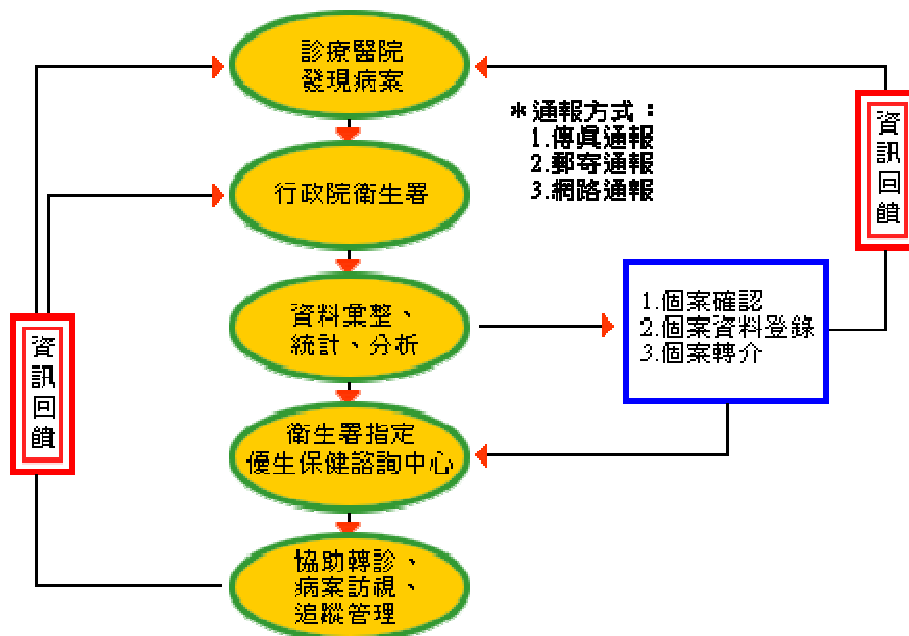
最後瀏覽日：2009/1/3

¹⁵⁰ 然而，吾人亦認為，倘研究後，發現某疾病多發生於某些族群或是群體時，是否有可能造成「基因歧視」或是對特定族群「妖魔化」或是「標籤化」，亦是一需要討論的問題，惟礙於本文範圍及個人能力，尚不列入討論。

¹⁵¹ 參罕見疾病防治及藥物法第八條。

¹⁵² 資料來源：財團法人罕見疾基金會病

http://www.tfrd.org.tw/laws/index.php?kind_id=1&subKind_id=3&title=個案報告流程 最後瀏覽日：2009/1/3



第二項 罕見疾病國際醫療合作代行檢驗服務方案¹⁵³

對於疑似罹患經行政院衛生署公告之罕見疾病，經醫師判定須將檢體送至國外檢驗機構進行進一步確認診斷者得申請罕見疾病國際醫療合作代行服務方案。先由診療醫院之個案之主治醫師檢具應備表單資料，以傳真或郵寄方式逕向行政院衛生署國民健康局（以下簡稱國民健康局）補助財團法人罕見疾病基金會設置之「罕見疾病國際醫療合作代行檢驗服務方案單一窗口（以下簡稱單一窗口）」提出申請¹⁵⁴。

單一窗口受理診療醫院之申請，應先進行資料檢視，如有資料不全情形，逕由單一窗口通知補正。當申請資料齊備並符合規定時，需分辨屬於屬行政院衛生署公告之罕見疾病或是非行政院衛生署公告之罕見疾病，倘為前者且亦屬十二項國際代檢快速審核檢驗項目者¹⁵⁵，由單一窗口逕依快速審核條件審視，符合規

¹⁵³ 資料來源：行政院衛生署國民健康局

http://www.bhp.doh.gov.tw/bhpnet/portal/Them_Show.aspx?Subject=200712250007&Class=0&No=200712250050 最後瀏覽日：2009/1/3。

同註 142。頁 86-95。

¹⁵⁴ 應備表單：1.罕見疾病國際醫療合作代行檢驗申請單。2.罕見疾病國際醫療合作代行檢驗病患同意書。3.罕見疾病個案(含疑似病例)報告單。4.罕見疾病個案(含疑似病例)病歷摘要及個案家族史。5.相關檢驗報告資料。6.非屬行政院衛生署公告之罕見疾病，須另備疾病相關資料，申請納入罕見疾病。

¹⁵⁵ 十二項快速審核疾病如下：

1.Glycogen storage disease type III、2.Glycogen storage disease type IX、3.Galactosemia enzyme assay、4.Methylmalonic aciduria enzyme assay、5.Propionic aciduria enzyme

定者，由單一窗口將審查結果逕復申請醫院，並副知健康局；未符合規定者，由單一窗口將相關資料函送國民健康局核復。非屬十二項國際代檢快速審核檢驗項目，由單一窗口將相關資料函送國民健康局審查。而非屬行政院衛生署公告之罕見疾病由單一窗口將資料（含疾病申請納入罕見疾病資料）函送國民健康局，依行政作業流程報請「罕見疾病及藥物審議委員會」審議認定後，將結果逕復單一窗口，並副知申請醫院。

確定將檢體送檢後，通知病人預付檢驗費用由單一窗口（必要時得委由醫院通知）通知病人，預付總檢驗費用（含運費）的百分之二十；國民健康局及罕見疾病基金會各補助百分之四十¹⁵⁶。單一窗口接獲國外檢驗機構之檢驗報告後，登錄統計並逕行通知申請醫院。另由單一窗口定期向行政院衛生署罕見疾病及藥物審議委員會，提報統計成果資料。

第三節 治療期：醫療資源取得

第一項 藥物使用及取得

第一款 罕見疾病用藥確保

專利權之具有保障人民精神文明創作，以國家賦與制度性的保障其權利，使其原則上具有獨占性格，使似類無體財產權的保障發揮效果，以誘使人類之創作與發明。按我國專利法第二十二條¹⁵⁷僅要具備發明專利之要件：實用性(產業可

assay、6.Glutaric Aciduria type I enzyme assay、7.3-Methylcrotonyl-CoA carboxylase enzyme assay、8.MSUD enzyme assay、9.Orotic acid、10.Allopurinol test、11.OTC /CPS enzyme assay、12.Niemann- Pick Type C test。

¹⁵⁶ 其他補助注意事項：

一、同一家庭中，父母及兄弟姐妹中有一人以上具相同症狀，並經臨床診斷確認為罹患同一罕見疾病，以補助一人至國外進行代檢為原則，但為預防疾病發生或為延遲疾病發展而進行之早期檢驗，如產前檢查，不受此限。

二、家庭中第一位診斷出之患者(Proband)，若已藉由 DNA 遺傳檢驗確定突變點者，則下一胎之產前遺傳診斷宜在國內進行。

三、醫師診治病人，如遇婦女曾孕育罕見疾病患童或其家族罹患有礙生育健康之遺傳性疾病時，應主動瞭解該名婦女之再生育計畫，以及早進行遺傳諮詢及產前檢查相關作業。

¹⁵⁷ 參專利法第二十二條 凡可供產業上利用之發明，無下列情事之一者，得依本法申請取得發明專利：

一、申請前已見於刊物或已公開使用者。

二、申請前已為公眾所知悉者。

發明有下列情事之一，致有前項各款情事，並於其事實發生之日起六個月內申請者，不受前項各款規定之限制：

一、因研究、實驗者。

二、因陳列於政府主辦或認可之展覽會者。

三、非出於申請人本意而洩漏者。

申請人主張前項第一款、第二款之情事者，應於申請時敘明事實及其年、月、日，並應於專利專責機關指定期間內檢附證明文件。

利用性)、新穎性及進步性,並且非屬專利法第二十四條所屬之消極要件¹⁵⁸,則為得申請為專利之保障客體,又鑑於專利權具有獨占性格,故而,對於醫藥專利之保護上多有其使用上限制,非得任意為之,在衡量專利權之保護與罕見疾病患者之生存權、健康權等保障下,罕見疾病防治及藥物法第十四條便規定:除本法另有規定外,罕見疾病藥物¹⁵⁹非經中央主管機關查驗登記,並發給藥物許可證,不得製造或輸入。故而,原則上因藥物之專利權的保障存在,僅於我主管機關發給藥物許可證時,方得對於外國之藥物為製造或輸入。又藥物之使用涉及對於人民之健康有重大的影響¹⁶⁰,為達國家對於人民之身體健康之保障,不僅對於外國之藥物的進口當設有相當程度的控管,於我自行研發之藥物有設有一定的審查門檻後方得加以上市,於本法中即規定,原則上罕見疾病藥物當先加以向主管機關申請查驗登後,主管機關許可後,發給藥物許可證後,方得加以製造或輸入¹⁶¹。

在本法中,為有效控制藥物之使用、管理措施,亦設有違法販賣、供應、調劑、運送、寄藏、牙保、轉讓或意圖販賣而陳列者,於藥事法中,設有關於刑事責任之制裁¹⁶²。又涉藥物之安全性上,於需要臨床實驗時,不符合罕見疾病防

發明雖無第一項所列情事,但為其所屬技術領域中具有通常知識者依申請前之先前技術所能輕易完成時,仍不得依本法申請取得發明專利。

¹⁵⁸ 專利法第二十四條下列各款,不予發明專利:

- 一、動、植物及生產動、植物之主要生物學方法。但微生物學之生產方法,不在此限。
- 二、人體或動物疾病之診斷、治療或外科手術方法。
- 三、妨害公共秩序、善良風俗或衛生者。

¹⁵⁹ 罕見疾病藥物依罕見疾病防治及藥物法第十五條,係指主要適應症用於預防、診斷或治療罕見疾病者,經申請查驗登記者。又於申請查驗登記應備之書證資料、審查程序及相關事項之準則,由中央主管機關定之。又主管機關於「罕見疾病藥物查驗登記審查準則」規定了對於申請登記為罕見疾病藥物查驗登記所需之文件資料、程序設有一定的明文規範。

¹⁶⁰ 參司法院大法官解釋第四一四號:「藥物廣告係為獲得財產而從事之經濟活動,涉及財產權之保障,並具商業上意見表達之性質,惟因與國民健康有重大關係,基於公共利益之維護,應受較嚴格之規範。…」由此意旨中可知,藥物對於人民之健康具有重大關係,基於公益之維護,當受到較為嚴格之規範,諸如法律保留原則、規範密度較為嚴苛等。

¹⁶¹ 罕見疾病防治及藥物法第十六條:

申請罕見疾病藥物查驗登記者,中央主管機關於必要時,得要求其進行國內臨床試驗,並應對臨床試驗之申請內容及結果予以適當之公開說明。

罕見疾病防治及藥物法第十七條:

罕見疾病藥物依本法查驗登記發給藥物許可證者,其許可證有效期間為十年。有效期間內,中央主管機關對於同類藥物查驗登記之申請,應不予受理。

前項罕見疾病藥物於十年期滿後仍須製造或輸入者,應事先申請中央主管機關核准展延,每次展延不得超過五年。展延期間,同類藥物得申請中央主管機關查驗登記。

罕見疾病藥物依本法查驗登記發給許可證後,如經中央主管機關公告不再列屬罕見疾病藥物者,其許可證之展延,適用藥事法有關規定。

依第一項規定取得許可證之所有人於特許時間內擬停止製造或輸入罕見疾病藥物者,應於停止日前六個月以書面通知中央主管機關。

¹⁶² 此規定參見罕見疾病防治及藥物法第二十六條。

治及藥物法第十六條規定時，本法便設有一定的制裁規範¹⁶³。

第二款 病患健康權優先保障

為增進對罕見疾病患者用藥物之安全及藥物使用上的可近性，罕見疾病防治及藥物法亦設有諸多之除外規定以健全保障病患之健康權。

一、原則需經主管機關之查驗登記，並受到專利期間之規範¹⁶⁴：

藥物之使用攸關人民之健康權益影響重大，對於人民之健康福祉占有一席之地，因此，原則上，對於罕見疾病藥物，當經過中央主管機關之查驗登記後，發給藥物許可證後，在許可證有效期間即十年內，得由申請人加以合法使用。惟藥物之使用對於不同的人種、民族非即可全體一體適用，故於必要時，中央主管機關，得要求申請人進行國內臨床試驗，並將內容及結果公開說明。

又當外國之藥物獲得主管機關之查驗登記後，主管機關發給藥物許可證後，該項藥物受到十年的專利期間的保護，於期滿後，得再加以展延五年，然基於情事變更之當然法理於展延時，倘該項藥物受到主管機關之公告已非罕見疾病藥物時，即適用藥事法¹⁶⁵之規定處理之，惟又於適用藥事法後，對於藥物之製造、輸入在我國確有困難時，則又放寬其限制，復再次回歸本法適用¹⁶⁶，賦予罕見疾病申請權利人此制度之設置目的，係冀藉由專利權之獨占性格，鼓勵申請權利

又於藥事法第八十二條：製造或輸入偽藥或禁藥者，處十年以下有期徒刑，得併科新臺幣一千萬元以下罰金。犯前項之罪，因而致人於死者，處無期徒刑或十年以上有期徒刑，致重傷者，處七年以上有期徒刑。因過失犯第一項之罪者，處三年以下有期徒刑、拘役或科新臺幣五十萬元以下罰金。第一項之未遂犯罰之。及藥事法第八十三條：明知為偽藥或禁藥，而販賣、供應、調劑、運送、寄藏、牙保、轉讓或意圖販賣而陳列者，處七年以下有期徒刑，得併科新臺幣五百萬元以下罰金。犯前項之罪，因而致人於死者，處七年以上有期徒刑，致重傷者，處三年以上十二年以下有期徒刑。因過失犯第一項之罪者，處二年以下有期徒刑、拘役或科新臺幣三十萬元以下罰金。第一項之未遂犯罰之。規定了對於違反罕見疾病防治及藥物法對於藥物之管制規定時，在附屬刑法即藥事法中，設有罰則之規定以課予當事人注意義務。

¹⁶³ 罕見疾病防治及藥物法第二十七條 違反第十六條規定者，處新台幣三萬元以上十五萬元以下罰鍰；其情節重大者，藥商於二年內不得再申請該藥物之查驗登記，並得處醫療機構一個月以上一年以下停業處分。

¹⁶⁴ 參罕見疾病防治及藥物法第十六條、第十七條。

¹⁶⁵ 藥事法第四十七條：

藥物製造、輸入許可證有效期間為五年，期滿仍須繼續製造、輸入者，應事先申請中央衛生主管機關核准展延之。但每次展延，不得超過五年。屆期末申請或不准展延者，註銷其許可證。

前項許可證如有污損或遺失，應敘明理由，申請原核發機關換發或補發，並應將原許可證同時繳銷，或由核發機關公告註銷。

¹⁶⁶ 罕見疾病防治及藥物法第 22 條 非罕見疾病藥物依藥事法規定製造或輸入我國確有困難，且經委員會審議認定有助於特定疾病之醫療者，準用本法有關查驗登記及專案申請之規定。

人進口罕見疾病藥物之進口及研發，又為建構一無漏洞之保障網，則於非罕見疾病藥物在製造、輸入產生困難時，又得例外適用本法規定。再者本法又規定於例外情況下縱為其他同類藥物，中央主管機關仍可發給許可證¹⁶⁷，在許可證有效期間內，欲停止製造或是輸入時，為維護用藥之罕見疾病患者之用藥權益，課予應於停止日前六個月向主管機關為書面通知之義務。

主管機關對於罕見疾病及藥物之認定、許可、撤銷、廢止上，應定期加以公告，使資訊得以公開讓社會大眾得知相關資訊¹⁶⁸。於依本法申請查驗登記、臨床試驗、許可證之核發、展延或專案申請者，基於費用性相當之理，自應繳納審查費、登記費或證照費；其費額，則由中央主管機關定之¹⁶⁹。

二、例外不需中央主管機關查驗登記¹⁷⁰

為達到健全保障罕見疾病患者之用藥之權益、健康權之保障，於極特殊之情況下，縱未經查驗登記或持有罕見疾病藥物許可證者無法供應該藥物之需求或於罕見疾病藥物售價經中央主管機關認定顯不合理時，得由特定之團體，如政府機關、醫療機構、罕見疾病病人與家屬及相關基金會、學會、協會，以專案方式，以營利用途為限，向主管機關申請許可，即得在未經查驗登記下獲得藥物之使用。

三、適用客體及於非藥物¹⁷¹

¹⁶⁷ 罕見疾病防治及藥物法第十八條 有下列情形之一者，中央主管機關得不受前條第一項規定之限制，受理其他同類藥物之查驗登記申請，並發給許可證：

一、新申請人取得經查驗登記許可為罕見疾病藥物之權利人授權同意。

二、具相同適應症且本質類似之罕見疾病藥物之新申請案，其安全性或有效性確優於已許可之罕見疾病藥物。

三、持有罕見疾病藥物許可證者無法供應該藥物之需求。

四、罕見疾病藥物售價經中央主管機關認定顯不合理。

依前項第二款至第四款規定經中央主管機關查驗登記發給許可證者，適用前條之規定。

¹⁶⁸ 罕見疾病防治及藥物法第二十三條 罕見疾病及藥物之認定、許可、撤銷及廢止，中央主管機關應定期公告之。

¹⁶⁹ 罕見疾病防治及藥物法第二十五條。

¹⁷⁰ 罕見疾病防治及藥物法第十九條 罕見疾病藥物未經查驗登記或有前條第一項第三款、第四款情形之一者，政府機關、醫療機構、罕見疾病病人與家屬及相關基金會、學會、協會，得專案申請中央主管機關許可。但不得作為營利用途。

前項專案申請，中央主管機關於必要時，得委託或指定相關機構或團體辦理。

前二項專案申請應備之書證資料、審查程序及其他應遵行事項之辦法，由中央主管機關定之。

¹⁷¹ 罕見疾病防治及藥物法第二十五條 主管機關得獎勵罕見疾病藥物或維持生命所需之特殊營養食品之供應、製造及研究發展；其獎勵對象、方式或被獎勵者應遵循事項之辦法，由主管機關定之。

罕見疾病防治及藥物法第三十四條 醫療機構得專案申請輸入罕見疾病病人維持生命所需之特

鑑於罕見疾病患者之特殊性，某此病患之「醫療用藥」非以「藥物」為限，而有需要其他之特殊之營養食品以延續其生命。本法遂在立法上規範以維持罕見疾病病人之生命所需之特殊營養食品，不僅在供應、製造、研究發展上，主管機關設有獎勵外，並得以專案方式向主管機關為申請由外國輸入。

四、主管機關之監督責任

藥物之使用對於人民之健康權益影響重大，國家負有建制一完善的健康用藥環境之責，主管機關即擔此重責，負有認定藥物是否有無危害人體健康或危害之虞之責，於發現有此情事時，得命藥商或專案申請者於期限內回收，又於必要時，得廢止藥物之許可¹⁷²。

在控制監督藥物上，主管機關應編列年報，載明藥物之使用數量、人數、不良反應及其他相關報告等資料，而藥商及專案申請者亦應提供相關資料¹⁷³，以順利年報之彙集、統整，建構一完善的藥物資料庫，以利管理及通盤檢討相關政策的改進及施行。

又為課予申請人資訊公開之正確性，達到資訊對等，以維罕見疾病藥物使用者之用藥上知的權利，並保障其用藥之安全性，主管機關於申請者查驗藥物登記或展延登記時，課予申請者有提不實書證資料之義務，違反時便有罰鍰之行政罰制裁，且在二年內不得再申請，倘該申請者已獲得主管機關之許可證，則此許可證因未提供不實書證資料，主管機關將撤銷之，又若涉刑責者，當受到司法機關之制裁¹⁷⁴。

此外，又如前揭文中所述，罕見疾病藥物原則上當經過查驗登記或是經由專案申請後，方得准予上市，涉專案申請部分¹⁷⁵之藥物若充作營利用途，亦受有一定罰鍰之行政罰，倘因而獲利，則所得之利益則加以沒入，且於二年內不得再行提出罕見疾病藥物之專案申請¹⁷⁶。

殊營養食品；其應備之書證資料、申請審查程序及其他應遵行事項之辦法，由中央主管機關定之。

¹⁷² 罕見疾病防治及藥物法第二十條 罕見疾病藥物經認定有危害人體健康之情事或有危害之虞者，中央主管機關得命藥商或專案申請者於期限內回收。必要時，並得廢止該藥物之許可。

¹⁷³ 罕見疾病防治及藥物法第二十一條 經依本法核准上市或專案申請之罕見疾病藥物，應由中央主管機關編列年報，載明其使用數量、人數、不良反應及其他相關報告等資料。藥商及專案申請者應提供相關資料，配合前項年報之辦理。

¹⁷⁴ 罕見疾病防治及藥物法第二十八條 申請罕見疾病藥物查驗登記或展延登記，提供不實之書證資料者，處新台幣二萬元以上十萬元以下之罰鍰，二年內不得再申請該藥物之查驗登記；其已領取該藥物許可證者，撤銷之；其涉及刑責者，移送司法機關辦理。

¹⁷⁵ 參罕見疾病防治及藥物法第十九條。

¹⁷⁶ 參罕見疾病防治及藥物法第二十九條

違反第十九條第一項規定，將專案申請之罕見疾病藥物充作營利用途者，處新台幣三萬元以上十

再者，藥物之使用對於人民之健康影響甚鉅，當主管機關發現所核准之罕見疾病藥物有危害人體之健康或是有危害人體健康之情事時，藥商或是專案申請人當限期內回收，倘違反時，主管機關除課予罰鍰外，並得按次連續罰至回收為止¹⁷⁷。

又鑑於資訊公開並防止資訊不對等，主管機關並課予藥商提供使用數量、人數、不良反應及其他相關報告等資料¹⁷⁸以供主管機關之年度報告之用，藥商於違反時，亦有罰鍰之行政罰；又專案申請者之資源顯較藥商少，其違反此義務時，於再申請此項藥物時，中央主管機關得不予許可¹⁷⁹。

未查，中央主管機關應編列預算，補助依全民健康保險法依法未能給付之罕見疾病診斷、治療、藥物與維持生命所需之特殊營養食品費用。其補助方式、內容及其他相關事項之辦法，由中央主管機關定之。又此項補助經費，得接受相關單位或團體之捐助¹⁸⁰。

第三款 罕見疾病個案特殊營養品暨罕見疾病藥物流中心¹⁸¹

罕見疾病個案特殊營養品暨罕見疾病藥物流中心以罕見疾病患者之藥物取得保障為設立思考核心，將特定之罕見疾病藥物儲備，以備不時之需及緊急情況利用。除了具有緊急藥物供應中心功能，整合管理藥物取得，以防止病情延誤之比例，並兼有提供、儲備及統籌供應罕見疾病個案（含先天代謝異常個案）全民健康保險未給付之特殊營養食品（以下簡稱特殊營養食品），又關於緊急用藥及

五萬元以下罰鍰；其獲取之利益，沒入之；二年內並不得再行提出罕見疾病藥物之專案申請。

¹⁷⁷ 參罕見疾病防治及藥物法第三十條：

違反主管機關依第二十條規定令其限期回收之命令者，處新台幣三萬元以上十五萬元以下罰鍰，並按次連續處罰至回收為止。

¹⁷⁸ 參罕見疾病防治及藥物法第二十一條。

¹⁷⁹ 參罕見疾病防治及藥物法第三十一條：

違反第二十一條第二項規定，藥商處新台幣一萬元以上五萬元以下之罰鍰；專案申請者，其再申請罕見疾病藥物，中央主管機關得不予許可。

¹⁸⁰ 參罕見疾病防治及藥物法第三十三條。

¹⁸¹ 同註 142。頁 81-83。及

「物流中心管理規則」資料來源：罕見疾病個案特殊營養品暨罕見疾病藥物流中心
http://www.rfdlmc.tw/index.php?option=com_content&task=view&id=56&Itemid=90 最後瀏覽日：2009/1/3

特殊營養食品之管理亦由此中心加以統籌¹⁸²。

其業務經費及購藥費用來源由行政院衛生署提供，藥物採購由指定之罕見疾病個案特殊營養品暨罕見疾病藥物流中心統籌採購，並加以緊急供應與調配。儲備藥量控管上，以一至二位病患(由疾病發生率為依據)之三個月治療季為原則。又藥物之保存也當然由此物流中心加以保存控管。

當各地醫療院所需要藥物之使用時，其申購流程先向罕見疾病個案特殊營養品暨罕見疾病藥物流中心申請，並檢附規定之申請文件，得申請獲得藥物劑量上限原則上以二星期用藥，然必要時或特殊情況時，得再延長一次，同樣以二星期劑量為限，又每位病人僅得申請二次為原則。而該管申請之醫療院所則需在一個月內盡速向中央健保局申請給付，倘於特殊情形無法為之時，得先向罕見疾病個案特殊營養品暨罕見疾病藥物流中心申請緊急調撥藥物¹⁸³，然於申報完成後二週內歸還藥物至物流中心。若遇有原申請緊急用藥病患於治療中死亡或遇確診後非罕見疾病時，已供應之藥物費用則由衛生署相關經費補助，尚未使用完藥物應返還物流中心管理。

罕見疾病個案特殊營養品暨罕見疾病藥物流中心於接到申請案時，應將二星期藥量快遞寄至申請醫院之特定醫生，並完成簽收手續。經費之核銷，由申請罕見疾病藥物之緊急需要之使用單位與醫院，雙方備齊相關文件後，由物流中心統籌代辦，統一於年度結束前向衛生署核銷。儲備特定之罕見疾病藥物品項及緊急供應罕見疾病病人需用之罕見疾病藥物；現行此中心儲備之罕見疾病藥物品項，

¹⁸²物流管理原則如下：

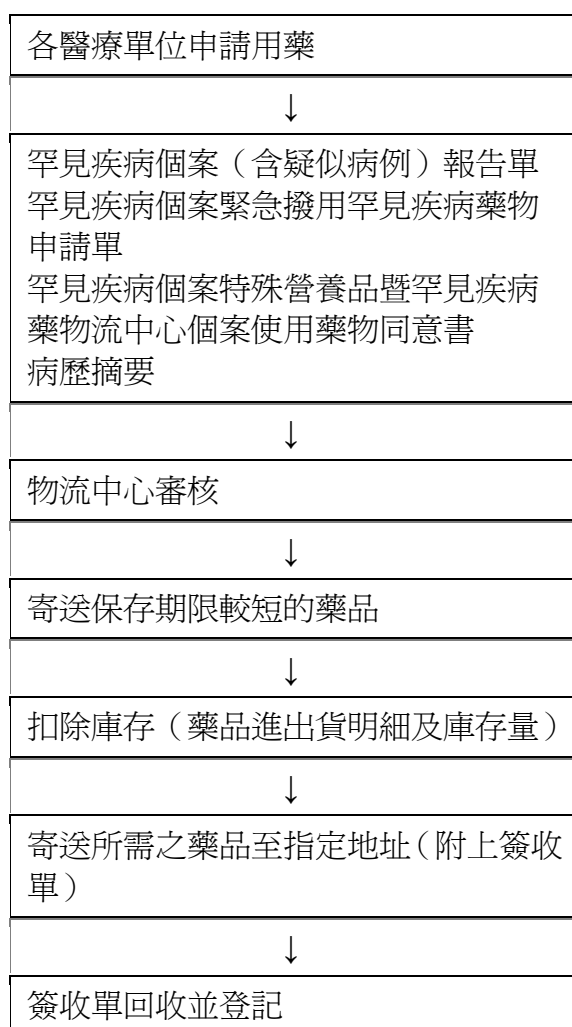
- 1.招標：於相關採購作業說明資料，明訂交貨時貨品之使用期限需求，並列為驗收之主要項目。
- 2.庫存、供應管理：
 - I. 以上一年度特殊營養品實際領用量的 5% 做為安全庫存量。以全年度之預估需求量，單次採購、分批送貨方式，有效控管供應量。
 - II. 配送前兩個月向廠商訂貨，一個月前再次確認，貨到之後可先與廠商交換保存日期較長之產品，並先暫放廠商之倉庫等待配送。
 - III. 配送前加貼「行政院衛生署經費補助，禁止轉售」、「奶粉市售價格 00 元」、「請珍惜資源」及等字樣之標籤，使病患及其家屬珍惜國家資源。
 - IV. 指定專人管理，並將特殊營養食品及罕見疾病藥物存放於附有良好的通風及溫度控制系統之地點；並將區分「新個案急用區」及「安全庫存區」。
 - V. 電腦化的管理系統，統一申請流程、申請表單及文件，並詳實登記進貨之品項、數量及保存期限，與出貨之用量、用途及申領人等相關資料。
 - VI. 掌握儲備品項之有效期限，並採「舊貨先出」之原則。隨時追蹤申請、出貨及領用狀況，提昇供應效率。
 - VII. 定期調查個案及各醫院之需求量，作為儲備之參考；適時檢討物流中心儲備品項及數量，並向國民健康局提出報告。
 - VIII. 儲備及庫存資訊公開查詢。

於使用期限僅剩六個月時，由物流中心洽詢各醫療單位之遺傳科主治醫師之需求。倘經前述處置仍無申領者，有關已屆使用期限之儲備品項等，即由物流中心向國民健康局報請銷毀。

¹⁸³各醫療單位申請緊急用藥時須檢附：一、罕見疾病個案（含疑似病例）報告單、二、罕見疾病個案緊急撥用罕見疾病藥物申請單、三、罕見疾病藥物物流中心個案使用藥物同意書、四、病歷摘要。一同寄回物流中心存檔，然因為醫療上之急迫性，物流中心採取先出貨後補件的方式，以利各醫療單位作業進行，物流中心也會隨時提醒各醫療單位補齊文件。

計十項。

圖 4-1：罕見疾病藥物申請詳細流程圖如下¹⁸⁴：



而特殊營養品供應原則上區分為兩個部份，在發現新個案方面，由發現（或診治）罕見疾病病人之國內醫學中心或區域教學醫院（醫師）協助申請；診療醫師，應依罕見疾病防治及藥物法第七條之規定辦理罕見疾病報告¹⁸⁵。

¹⁸⁴ 資料來源：罕見疾病個案特殊營養品暨罕見疾病藥物流中心

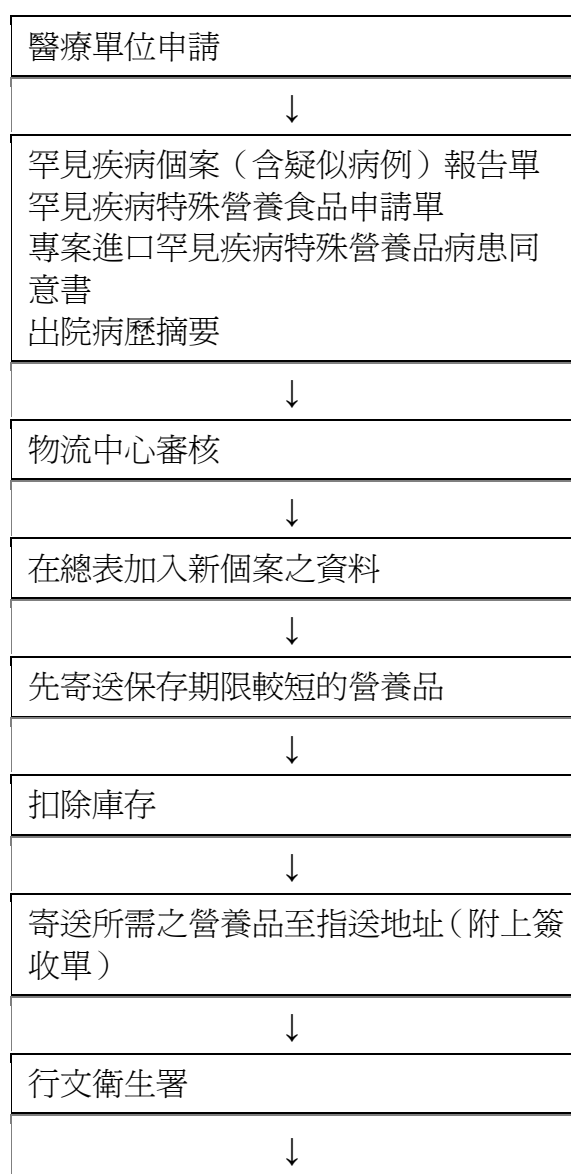
http://www.rfdlmc.tw/index.php?option=com_content&task=view&id=58&Itemid=90 最後瀏覽日：2009/1/3

¹⁸⁵ 診療醫師申請罕見疾病病人所需特殊營養食品或緊急需用之罕見疾病適用藥物時，除應依罕見疾病防治及藥物法規定辦理罕見疾病個案報告之外，還應檢附：一、申請單，二、病患使用同意書，三、病歷摘要，四、治療方式參考文獻等資料。以傳真或郵寄方式送交物流中心，以作為資料評估及撥配之依據，各申請單位或病患收到特殊營養食品後，需填具簽收單回傳與物流中心，以確保送貨之數量無誤。爾後再檢附：一、罕病通報單，二、各醫院專案進口同意書。

由物流中心向衛生署申請特殊奶粉之專案進口。一經過衛生署同意之後，物流中心將以三個月為配送單位，定期將特殊營養品送至各申請單位或病患家中，廠商再將病家簽收之送貨單據整理成

特殊營養食品供應，以：一、每次以寄送三個月的用量，供診療醫師轉予罕見疾病病人。二、診療醫師收到特殊營養食品後，需填具簽收單回傳與物流中心，以確保送貨之數量無誤。三、為了解病人使用特殊營養食品之情形，診療醫院須定期追蹤病人身高、體重狀況，及檢測病人體內之代謝產物濃度，並按季（每三個月）回傳「使用狀況追蹤單」及「家長簽收單」予物流中心彙辦及評估使用效果。物流中心將在收到相關資料後，將彙辦相關分析結果回饋予診療醫師。四、如醫療團隊在檢測病人之代謝產物濃度上有所困難時，得轉請物流中心協助提供血清胺基酸分析、尿液有機酸分析等檢測服務¹⁸⁶。現行此中心儲備之特殊營養食品品項，計三十項。

圖 4-2：特殊營養品供應詳細申請流程如下



冊，交予物流中心當做送貨依據。

¹⁸⁶ 見「物流中心管理原則」

若衛生署同意後
↓
按季（每三個月）寄送所需之營養品至 指送地址（附上簽收單）
↓
簽收單回收

第二項 納入重大傷病適用

第一款 全民健康保險法擴大重大傷病範圍

全民健康保險法屬社會保險，集眾人之力，採用大數法則的保險原理，以強制納保之方法，將全民納入醫療保險體系網絡中。於立法初，對於罕見疾病是否屬於重大傷病¹⁸⁷而得享有全民健康保險法第三十六條的免自行負擔，按全民健

¹⁸⁷ 按我國全民健保重大傷病範圍計有如下：1.需積極或長期治療之癌症。2.先天性凝血因子異常（血友病）。3.嚴重溶血性及再生不良性貧血。4.慢性腎衰竭（尿毒症）必須定期透析治療者。5.需終身治療之全身性自體免疫症候群。6.慢性精神病。7.先天性新陳代謝疾病。8.心、肺、胃腸、腎臟、神經、骨骼系統等之先天性畸型及染色體異常。9.燒燙傷面積達全身 20%以上；或顏面燒燙傷合併五官功能障礙者。10.接受心臟、腎臟及骨髓移植後之追蹤治療。11.小兒麻痺、腦性麻痺、早產兒所引起之神經、肌肉、骨骼、肺臟等之併發症者（其殘障等級在中度以上者）。12.重大創傷且其嚴重程度到達創傷嚴重程度分數 16 分以上者。13.因呼吸衰竭需長期使用呼吸器者。14.因腸道大量切除或失去功能，或其他慢性疾病引起嚴重營養不良者，給予全靜脈營養已超過 30 天，口攝飲食仍無法提供足量營養。15.因潛水、或減壓不當引起之嚴重型減壓病或空氣栓塞症，伴有呼吸、循環或神經系統之併發症且需長期治療者。16.重症肌無力症。17.先天性免疫不全症。18.脊髓損傷或病變所引起之神經、肌肉、皮膚、骨骼、心肺、泌尿及胃腸等之併發症者（其殘障等級在中度以上者）。19.職業病。20.多發性硬化症。21.先天性肌肉萎縮症。22.先天性水泡性表皮鬆解症（穿山甲症）。23.癩病（癲瘋病）。24.肝硬化症。25.早產兒出生 3 個月後評定為中度以上殘障。26.烏腳病。27.運動神經元疾病使用呼吸器或殘障中度。28.庫賈氏病。29.罕見疾病。30.經衛生署公告之罕見疾病，但已列屬前 30 類者除外。

資料來源：中央健康保險局

http://210.69.214.131/webdata/webdata.asp?menu=1&menu_id=4&webdata_id=805&WD_ID=19

康保險法第三十六條，重大傷病患者免該法第三十三條、第三十五條自行負擔費用，又依該法第三十三條係規定，病患關於門診或急診費用之自行負擔規定，第三十五條則是針對住院費用所為之規定；上開規定，係為避免被保險人過度浪費健保資源，並兼顧全體被保險人對於健保資源公平使用而為規定，於合理的範圍內賦予被保險人一定比例的負擔。¹⁸⁸，尚有疑慮¹⁸⁹，依據行政院衛生署公告之重大傷病證明的疾病範圍，患者經由醫師的專業判斷後，醫師才會建議患者向健保局申請重大傷病證明，患者若不知如何申請，可詢問醫療人員或來電健保局各分局，通常健保局各分局在接受到被保險人申請受理後，在 10 個工作日之內，受理單位就會通知核可與否。萬一申請人對於受理單位的核定結果有異議，可在 30 日之內提出書面申復。並提出相關的申辦文件¹⁹⁰，惟爰基於罕見疾病患者之

http://www.nhi.gov.tw/webdata/webdata.asp?menu=1&menu_id=&webdata_ID=2265

最後瀏覽日：2009/1/3

¹⁸⁸ 參全民健康保險法第三十六條：

保險對象有下列情形之一者，免依第三十三條及第三十五條規定自行負擔費用： 1. 重大傷病。 2. 分娩。 3. 接受第三十二條所定之預防保健服務。 4. 山地離島地區之就醫。前項免自行負擔費用之辦法及第一款重大傷病之範圍，由主管機關定之。

全民健康保險法第三十三條：

保險對象應自行負擔門診或急診費用百分之二十。但不經轉診，而逕赴地區醫院門診者，應負擔百分之三十；逕赴區域醫院門診者，應負擔百分之四十；逕赴醫學中心門診者，應負擔百分之五十。前項保險對象應自行負擔之費用，主管機關於必要時，得依各級醫療院、所前一年平均門診費用及前項所定比率，規定以定額方式收取，並每年公告其金額。第一項轉診比例及其實施時間，由中央衛生主管機關另定之。

全民健康保險法第三十五條：

保險對象應自行負擔之住院費用如下： 1. 急性病房：三十日以內，百分之十；第三十一日至第六十日，百分之二十；第六十一日以後，百分之三十。 2. 慢性病房：三十日以內，百分之五，第三十一日至第九十日，百分之十；第九十一日至第一百八十日，百分之二十；第一百八十一日以後，百分之三十。保險對象以同一疾病於急性病房住院三十日以下或於慢性病房住院一百八十日以下應自行負擔之費用，其最高金額，由主管機關定之。急性病房及慢性病房之設置標準，由主管機關定之。

¹⁸⁹ 余政道，中國時報，2000 年 2 月 16 日，第十五版時論廣場，「罕見疾病患者 又被忘了是否他們人數太少、選票太少 才排除在健保德政外」。節錄內容如下：行政院長蕭萬長日前宣布，政府將成立「全民健保紓困基金」，用於補助失業勞工、低收入戶、弱勢原住民及經濟困難者之健保自付額，相較於行政院所認為 應受保護之對象，屬於更弱勢族群之罕見疾病患者，當初在協商「罕見疾病防治 及藥物法」時即強烈要求，對於經嚴格認定為罕見疾病之患者，應免其部份負擔，但健保局以「弱勢病患免部份負擔違反健保精神；且健保財務困難」為由而堅決反對將罕見疾病患者納入免部份負擔之範圍。

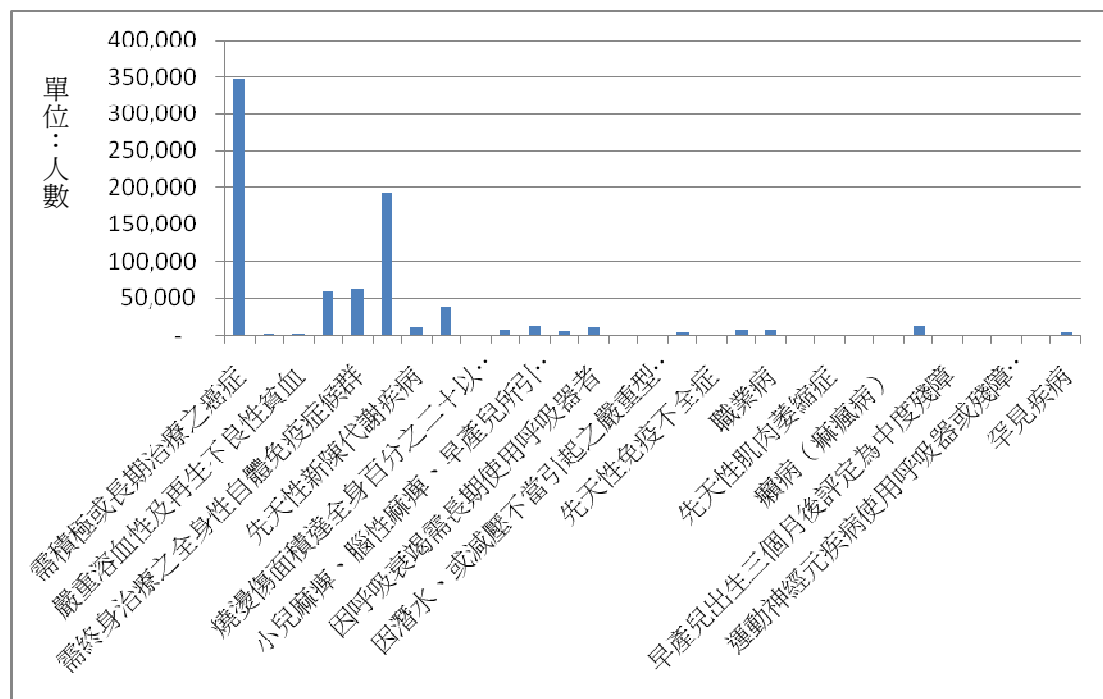
¹⁹⁰ 重大傷病證明的申辦文件：

保險對象經特約醫療院所醫師診斷確定所罹患的傷病是屬於公告之重大傷病時，可檢具下列文件郵寄或親自送件，向健保局各分局申請重大傷病證明。

1. 全民健康保險重大傷病證明申請書。
2. 特約醫院、診所開立 30 日內之診斷證明書。
3. 身分證明文件（正反面影本，兒童得以戶口名簿代替）。現場臨櫃申請者，請盡量攜帶健保 IC 卡。

醫療費用昂貴，對於罕見疾病患者之生存權產生重大的影響，在各方利益團體努力下，自民國九十一年八月起罕見疾病納入重大傷病範圍，許多罕見疾病獲得健保的醫療補助¹⁹¹，節省了患者大筆醫療費用的支出，截至民國九十七年七月底止，所有重大傷病實際有效領證數累計七八〇〇八七張。其中罕見疾病患者之領照人數為三〇五八，占全體約百分之〇點三九(見圖 4-4)。

● 圖 4-4



領有重大傷病證明之患者可享有免付部分負擔的權益，也就是重大傷病證明

4. 病歷摘要或檢查報告等相關資料。

目前健保局發出的重大傷病證明的有效期限，因疾病種類的不同，可分為永久性、5 年、3 年、1 年與 3 個月，專業人員會依據患者疾病種類、病情進展、嚴重程度，來決定核發哪一種重大傷病證明。

自民國 94 年 3 月 1 日起，重大傷病資料均寫入健保 IC 卡，不再核發紙卡(特殊疾病除外)。經審查同意核發重大傷病證明之患者，為確保就醫免部分負擔權益，應依下列方式更新健保 IC 卡重大傷病註記：(1)於就醫時請醫療院所協助更新。(2)自行至健保局各分局、聯絡辦公室之公共資訊服務站更新。(3)利用鎮、鄉、市、區公所之讀卡機更新。(4)另因維護個人隱私，經寫入健保 IC 卡之重大傷病資料，必須配合醫師卡才能讀取重大傷病代碼。

¹⁹¹罕見疾病納入重大傷病範圍，如經診斷為罕病並獲准核發重大傷病證明時，就醫該項罕病時可免除部分負擔，為保障罕見疾病患者的權益，只要是行政院衛生署公告的罕見疾病必用藥品，健保均會全數支付；即使少部分不在現有的藥品給付清單內，也可採專案申請的方式處理。資料來源：中央健康保險局，最後瀏覽日：2009/1/3

http://210.69.214.131/webdata/webdata.asp?menu=1&menu_id=4&webdata_id=805&WD_ID=19

http://www.nhi.gov.tw/webdata/webdata.asp?menu=1&menu_id=&webdata_ID=2265

有效期限內就醫者，其免部分負擔費用範圍如下：一、重大傷病證明所載之傷病，或經診治醫師認定為該傷病之相關治療。二、因重大傷病門診，當次由同一醫師併行其他治療。三、因重大傷病住院須併行他科診療，或住院期間依病情需要，併行重大傷病之診療。四、如因重大傷病住院，並於住院期間申請獲准發給該項重大傷病證明，其當次住院免部分負擔費用；如以住院期間之檢驗報告，於出院後才確定診斷提出申請者，施行該確定診斷檢驗之當次住院亦得免部分負擔費用。而其他一般疾病如感冒等，可能就無法申請重大傷病的給付；再者，掛號費、患者住院時的病房差額費用、美容費比如整形、住院時的伙食費、衛生用品等，都非健保給付的範圍，因此還是要民眾自行負擔。又其不再是將個別的罕病慢慢納入重大傷病範圍裡，使罕見疾病患者除了疾病本身及併發症的照護外，獲得的健保保障更多，例如：高雪氏症每次治療費用需要幾十萬元，甚至上百萬元、法布瑞氏症治療費用一人一年約需七百萬元，都因有健保給付而減輕了經濟弱勢者的龐大醫療費用負擔¹⁹²。九十三年十二月底，領有罕見疾病重大傷病證明人數約為四一六四人，全年醫療支出約為六.四億元，其中藥費占百分之六五點八，為保障罕見疾病患者的權益，只要是行政院衛生署公告的罕見疾病必用藥品，健保均會全數支付；即使少部分不在現有的藥品給付清單內，也可採專案申請的方式處理¹⁹³。

由於罕見疾病盛行率低，以致相關的診斷檢驗或藥品，可能不屬於健保醫療費用支付標準範圍，健保無法給付；不過，依據現在藥價基準的規定，對於中央衛生主管機關（行政院衛生署藥政處）核准專案進口，而未領有藥品許可證，且屬於孤兒藥（即罕見疾病用藥）者，可由健保局以個案處理方式，進行專案審查，經審查同意者即予以支付。同時，依據全民健康保險醫療費用協定委員會的協定結果，自九十四年起，醫院總額已將罕見疾病藥費列為專款項目，如有不足則由其他預算支用，藉以保障罕見疾病患者的就醫權益¹⁹⁴。

第二款 健保改革對於罕見疾病之影響

全民健康保險的醫療給付制度由原先的論量計酬，惟為免醫療資料的浪費，該採總額給付方式，然卻產生罕見疾病患者成為醫療院所拒收的對象¹⁹⁵，嗣於

¹⁹² 參中央健康保險局網站 新聞：「健保助重大傷病患者一臂之力 小小的政策 大大的幫忙 全健保助重大傷病患者一臂之力」。
http://www.nhi.gov.tw/webdata/webdata.asp?menu=1&menu_id=&webdata_ID=1509 最後瀏覽日：2009/1/3

¹⁹³ 資料來源：中央健康保險局 最後瀏覽日：2009/1/3
http://www.nhi.gov.tw/webdata/webdata.asp?menu=1&menu_id=&webdata_ID=1329

¹⁹⁴ 資料來源：中央健康保險局 最後瀏覽日：2009/1/3
http://www.nhi.gov.tw/webdata/webdata.asp?menu=1&menu_id=&webdata_ID=1368

¹⁹⁵ 民生報，20040721，罕病醫療費 健保特別預算支應保障罕病患權益健保局拍胸脯，記者詹建富／報導，a15 醫藥新聞。節錄內容：健保實施總額預算及醫院自主管理措施後，由於大多數罕見疾病用藥都屬高貴的孤兒藥，許多醫院都擔心會占去個別醫院的總額，導致病患被當成「人球」；

中央健康保險局將罕見疾病等重大傷病，獨立出來採用專款後，方便此爭議杜絕。

又本於九十七年，健保欲採行住院實施診斷關聯群（Tw-DRGs）¹⁹⁶支付方式，作為總額支付制度下的支付基準，其實施目的在於藉由醫院加強臨床路徑等管理，改善病人照護品質與療效，並獲得合理管理利潤，進而提高效率與品質，並可導正論量計酬下醫療浪費行為。然而，為了避免復生人球的排擠效應，對於重症個案的處理，健保局規劃「主診斷癌症、精神科、愛滋病、罕見疾病、先天性凝血因子異常及住院日超過三十天」等案件不納入 Tw-DRG 實施，仍維持現行論量計酬之支付方式，然目前仍未完全加以實施。

為鼓勵重大疾病治療用藥持續研發，提升保險對象疾病之照護及臨床醫療之可近性，以確保民眾用藥權益，健保局多採用藥價調整方式加以因應，惟鑑於罕見疾病患者之特殊性，並沒有將罕見疾病用藥及特殊品項列入的藥價調整¹⁹⁷。

由下圖 4-5 關於罕見疾病患者之醫療保障網，可以清楚的發現其結構，及各法規間所處之地位，在醫療給付有一大部分已由社會保險、社會福利等措施給付下，我國罕見疾病患者之醫療保障，似已臻完善。然而，卻有一疑問產生，全民健康法性質上為社會保險，在我國屬於強制納保，其給付不具有對價性，然罕見疾病患者之醫療費用高昂下，是否有可能會侵蝕此醫療體制？又對於同身為被保險人間給付的平等是否尚無疑？醫療資源分配過程中，應考量：由誰來作價值判

聯合報(地方版)，20040817，b02_19 高雄縣新聞，都是「總額給付」惹的禍？長庚醫院 病人球暴增重症與住院病患 紛紛從區域醫院轉向 醫療品質受衝擊，記者王紀青／鳳山報導。節錄內容：健保「總額給付」新制 7 月 1 日上路，醫療大餅採配額制，部分醫學中心、區域醫院與地區醫院基於所獲給付配額有限，不敢受理重症與住院病患，被拒絕流落在外的「人球」紛紛轉往高雄長庚醫院，致長庚急診量暴增，醫療品質...

民生報，2006 年 1 月 17 日，A11 版醫藥新聞，「新制開跑 重症病患恐成人球」記者薛桂文／專題報導，資料來源：http://www.irpma.org.tw/chinese/cgi/03_leaing_02_01_file.php?file=327

最後瀏覽日：2009/1/3

¹⁹⁶ Tw-DRGs 支付制度的特色是以住院病患之診斷、手術或處置、年齡、性別、有無合併症或併發症及出院狀況等條件，同時考量醫療資源使用的情形，將住院病患分為數百個不同群組，並採事前訂定給付價格，原則上同一群組個案採相同定額支付，費用超過上限臨界的部分以八折支付。其他已實施 DRG 之國家有美國、加拿大、澳洲、紐西蘭、德國、比利時、愛爾蘭、捷克、葡萄牙、西班牙、法國、挪威、瑞典、日本、新加坡，等，其中最早實施的美國，係自 1983 年就開始用於保險給付。健保局考量新支付制度對醫院之衝擊，採漸進導入方式，初期將醫院過去費用納入一定比例計算，分年漸進達成以 Tw-DRGs 支付之目標，對導入之項目，亦以科別為單位逐步納入，初步估算，第 1 年採用 Tw-DRG 支付方式之費用約占住院總費用之 10%。資料來源：中央健康保險局 最後瀏覽日：2009/1/3

http://www.nhi.gov.tw/information/news_detail.asp?menu=1&menu_id=&News_ID=669

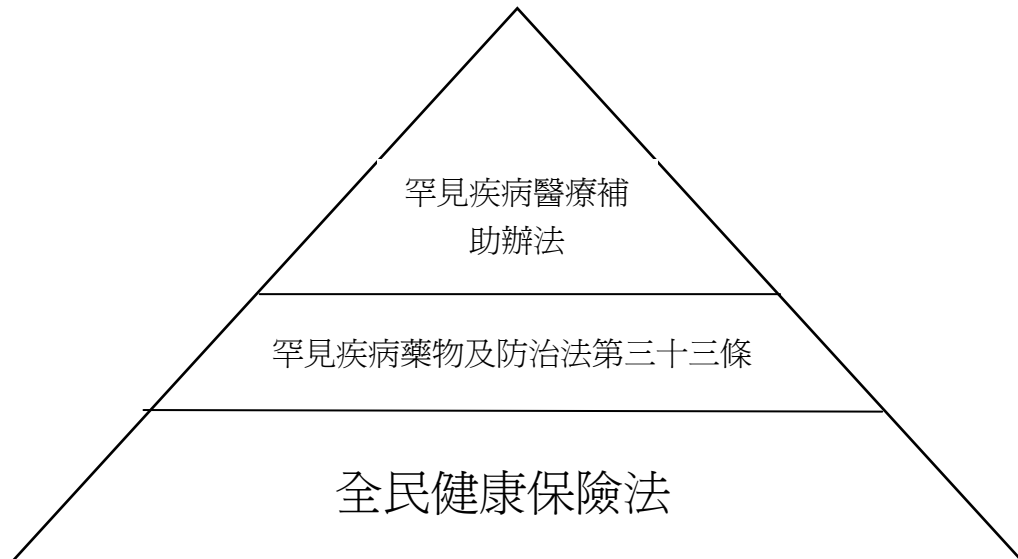
http://www.nhi.gov.tw/webdata/webdata.asp?menu=1&menu_id=&webdata_ID=2048

¹⁹⁷ 資料來源：中央健康保險局 最後瀏覽日：2009/1/3

http://www.nhi.gov.tw/information/news_detail.asp?menu=1&menu_id=&News_ID=699

斷？其標準為何？分配後結果為何？¹⁹⁸

圖 4-5：罕見疾病患者醫療保障釋義圖¹⁹⁹



吾人認為，罕見疾病患者所得到的醫療資源觀之，其似乎會影響到其他一般患者之資源，然以身為社會國為自許及社會連帶責任的體現，對於人民最低生存保障之給予，對於罕見疾病患者給予醫療上的合理差別待遇，其爭議較小，而我國全民健康保險法其性質雖為社會保險，雖全民健康保險法之構成員為人民但其實際操作上，卻與同採行社會保險體制作為人民醫療給予的國家不同，蓋其財源上有一大部分是由國家加以支付，且國家對於全民健康保險的控制力，不僅是處於一監督者的角色，更是一主導者²⁰⁰，故而，以國家考量及罕見疾病患者處於一相當弱勢的地位，其生存的急迫性高於一般患者許多，立法者於立法時應考量資源分配，給予弱勢者適切補助²⁰¹，縱現行將罕見疾病全數納入重大傷病適用，對於全民健康保險制度是否必然產生崩壞，仍有疑問，一來，除財源給付國家占不小比例外，二來，亦有專款方式以免侵蝕其他被保險人的醫療資源，如：九十七年醫院醫療給付總額及其分配(例如專款項目)，係依據全民健康保險醫療費用協定委員會(簡稱費協會)於九十七年一月十五日費協字第 0975900060 號公告辦

¹⁹⁸ 陳亭華，同註 46，頁 89。

¹⁹⁹ 參考 葉秀珍、曾敏傑、林志鴻合著，同註 63，頁 122-123，文字述敘所繪。

²⁰⁰ 郝鳳鳴，全民健保政府財政責任分配之探討，國立中正大學法學集刊，16 期，頁 1-41。同氏著 簡論全民健保監理制度民主化，國立中正大學法學集刊，10 期，頁 83-112。

²⁰¹ 陳亭華，同註 46，頁 82-89。

理。此屬醫療費用，係由健保之保險收入支應²⁰²。再者，雖罕見疾病患者之醫療費用昂貴，但其人口數甚少下，與一般發生率極高且人口數甚多疾病相較，兩者間之醫療費用是否必定罕見疾病較高？因此，對於罕見疾病患者之醫療給付應不會影響致全民健康保險制度的崩壞。

惟吾人認為，最大的爭點應在於「給付項目」的訂定上，蓋全民健康保險法給付項目爭議，不論是在一般疾病或是罕見疾病乃會產生之爭議²⁰³，關於給付項目除有賴相關經濟學者運用科學方法加以精算外，吾人認為從法律面可以加以規制使其更加完善之處在於：一、法律保留原則及法律明確性，亦言之，在法律授權上，給付項目範圍對於人民之基本權利甚鉅，其授權的來源應當明確，遵守法律保留原則；又鑑於文字的拘限性使然，給付項目的範圍，應當盡量符合法律明確性²⁰⁴，方避免爭議產生；二、信賴保護原則考量，給付項目係對人民之權利影響重大，且係對於人民有利事項之變重，於符合信賴保護要件下，關於給付項目範圍產生變動時²⁰⁵，應加以考量適用。

第三項 福利補助

第一款 納入身心障礙者範疇

身心障礙者保護法之立法係為維護身心障礙者之合法權益及生活，保障其公平參與社會生活之機會，結合政府及民間資源，規劃並推行各項扶助及福利措施²⁰⁶。於中華民國九十年十一月二十一日修正時，於本法第三條第十五款：「經中央衛生主管機關認定，因罕見疾病而致身心功能障礙者」將罕見疾病患者納入此法之法規範保障之主體範疇。

此法中規範了對於身心障礙者之差別待遇禁止²⁰⁷、宣導教育²⁰⁸、相關人員

²⁰² 此係筆者向行政院衛生署署長信箱詢問後，所得之回覆。

²⁰³ 本文所指係司法院大法官解釋第五二四號。

²⁰⁴ 關於法律明確性，可參見司法院大法官解釋第四三二號。

²⁰⁵ 關於信賴保護原則，參司法院大法官解釋第五二五號。

²⁰⁶ 參身心障礙者保護法第一條。又於新修正之身心障礙者權益保護法第一條中，則修正為「保障其平等參與社會、政治、經濟、文化等之機會，促進其自立及發展」，吾人認為新法之修正較現行法更為妥適，一來，針對身心障礙者保護之範疇擴張及於其政治、經濟、文化，增加社會之能見度及參與感，二來，不一昧的以保護為主，反以促進其自立發展，國家角色以身為輔助者功能立場，不僅可增加其自主性，增強其的自我之信心外，兼顧及人格權之維護外，不使其因「社會烙印」而處於弱勢者族群的刻板印象中，故而，吾人肯認將此法之立法目的加以修正。

²⁰⁷ 參身心障礙者保護法第四條。

²⁰⁸ 參身心障礙者保護法第五條。

之培訓²⁰⁹、人口普查²¹⁰、通報機制²¹¹外，於醫療復健²¹²、教育權益²¹³、就業促進²¹⁴、福利服務²¹⁵上亦設有非常的詳細的規範內容。爰罕見疾病患者為本法之適用對象，故而，以上之規定，於符合相關規定，當然得加以主張²¹⁶。

本法之規定可謂非常的詳實，惟鑑於本文之內容、目的及吾人能力有限下，僅將涉及罕見疾病患者醫療部分納入探討之範圍。

第二款 醫療資源整合²¹⁷

社會保險係基於社會互助、危險分攤及公共利益之考量，惟對於無力繳納保費者，國家應給予適當之救助，不得逕行拒絕給付，以符憲法推行全民健康保險，保障老弱殘廢、無力生活人民之旨趣²¹⁸。身心障礙者參加社會保險，為顧及其基本生存權之保障，針對其繳交保險費產生困難時，國家亦應予適當救助，故而，於本法中，規定，政府應視其家庭經濟狀況及障礙等級，給予一定補助。

惟令人不解者，在於舊法中係規定：「政府應視其家庭經濟狀況及障礙等級，補助其自付部分之保險費。但極重度及重度身心障礙者之保險費由政府全額負擔」；惟於新法中卻規定為：「政府機關應依其家庭經濟條件，補助保險費。前項保險費補助辦法，由中央主管機關定之」²¹⁹。新法之規定，似乎是排除了考

²⁰⁹ 參身心障礙者保護法第六條。

²¹⁰ 參身心障礙者保護法第八條。

²¹¹ 參身心障礙者保護法第十四條。

²¹² 參身心障礙者保護法第十七至十九條。

²¹³ 參身心障礙者保護法第二十至二十五條。

²¹⁴ 參身心障礙者保護法第二十六至三十七條。

²¹⁵ 參身心障礙者保護法第三十八至五十七條。

²¹⁶ 亦言之，在有法規範下，罕見疾病患者享有主觀之公權利得以之為據加以請求國家之作為，不再僅是單純之反射利益。此外，在司法院大法官解釋第五六九號中揭櫫之意旨可知，當涉及人民生命或重大權利遭到侵害時，縱在法規範無使人民有主觀公權利存在時，此時行政機關之裁量萎縮至零，國家(主管機關有)保護人民之義務而為裁量。

²¹⁷ 參身心障礙者保護法第十七條：

中央衛生主管機關應整合全國醫療資源，辦理嬰幼兒健康檢查，提供身心障礙者適當之醫療復健及早期醫療等相關服務。

各級衛生主管機關對於安置於學前療育機構、相關服務機構及學校之身心障礙者，應配合提供其所需要之醫療復健服務。

²¹⁸ 參司法院大法官釋字第四七二號解釋文。

²¹⁹ 參身心障礙者保護法第四十四條，今修正為身心障礙者權益保護法第七十三條。

量障礙等級，且排除了全額給付的可供預見性，蓋舊法之規定，輔以障礙等級，有一定的標準可供參酌，且對於極重度及重度身心障礙者之保險費已得預見政府的全額補助，然新法之規定，將此參酌基準加以刪除，無法否認在操作上，更具有彈性，然而，吾人認為，首先，在適用上，較不似舊法一般，有一可供參酌的標準，賦予主管機關訂定保險費補助辦法時，母法中，僅規定「政府機關應依其家庭經濟條件...」，而子法即主管機關訂定之補助辦法中，是否得將障礙情況納入加以參酌立法，或是全部依障礙情況為衡量標準，是否有違母法之嫌？再者，舊法中，有全額免繳保險費之可能，而新法之規定，倘主管機關之補助辦法，使得適用舊法得全免額保險費者，在新法規定下，反而，需要繳納保險費，且新法無過渡條款下，在適用信賴保護原則下，是否會產生爭議，尚需待實務觀察得知。故而，吾人認為，新法之規定上，並無創新，且有生更多爭議可能，充其量僅是主管機關的裁量空間擴大而已。

又身心障礙者保護法中於醫療保障部分中，特規定對於醫療資源之整合，一來，可達到資源的充分利用及使用上的有效性外，二來，可加強醫療體系間之聯繫及建構一完善的醫療網絡；此外，嬰幼兒之健康情況不如成人，辦理嬰幼兒之健康檢查，不僅可達到早期治療，再者，主管機關所設學前療育機構，亦可加強民眾之衛教知識，並整合相關醫療資源、社福網絡。

第四節 治療後期：醫療復健

為促使醫療復健²²⁰之保障更加健全，並為符合實際需求，身心障礙者保護法中，不單僅以醫療復健機構之設置為要，更加長遠著眼研究相關醫療復療及醫療輔助器具之獎勵及，相關之醫療研究發展機構與護理之家。

此外，為健全身心障礙者之醫療保障，身心障礙者保護法中可謂將全民健康保險法中未加以補助之且為罕見疾病患者所需之醫療費及醫療輔助器具納入補助之列²²¹。

觀諸身心障礙者保護法關於罕見疾病患者之醫療保障部分，吾人認為在實質意義上恐不大，蓋身心障礙者保護法中，關於醫療復健一節中之相關規定，於罕見疾病防治及藥物法中多已有規定，此二法在適用之體例上，罕見疾病防治及藥物法係專為罕見疾病患者所為特別立法，當然是當然是優先加以適用並無疑，惟在罕見疾病防治及藥物法無規定時，身心障礙者保護法是否當然得加以適用？其

²²⁰參身心障礙者保護法第十八條：

為加強身心障礙者之醫療復健服務及醫療復健輔助器具之研究發展，當地衛生主管機關應依據各類身心障礙者之人口數及需要，設立或獎勵設立復健醫療機構、醫療復健輔助器具之研究發展機構與護理之家機構。

²²¹參身心障礙者保護法第十九條：

身心障礙者醫療復健所需之醫療費及醫療輔助器具，尚未納入全民健康保險給付範圍時，直轄市、縣（市）主管機關應視其障礙等級補助之。

前項補助辦法，由中央主管機關會同中央衛生主管機關定之。

是否為「特別法優於普通法」中之「普通法」？亦言之，我國關於社會法中法規範中，在各個法中其適用的體例、順序為何？

再者，身心障礙者保護法中，對於罕見疾病患者而言，吾人認為將其納入此法規之保障主體之最大實質意義，在於身心障礙手冊及此法中關於教育、就業、福利服務中，反到是此法中關於醫療復健對於罕見疾病患者之保障實質上並不顯著，一來，在罕見疾病防治及藥物法中，已有相關規定，二來，罕見疾病患者在醫療使用上的特殊性，諸如，藥物之取得、輔助器具及營養食品之使用，不論在使用上的稀少性、不易取得性、獲取門檻高下，身心障礙者保護法中涉及醫療復健一節，可以說是「英雄無用武之地」。

故，吾人認為身心障礙者保護法中涉及罕見疾病患者之醫療保障部分中，除了身心障礙手冊之獲取使用外，可謂實效上並不彰顯，惟在教育、就業、福利保障上反而有較大的實質成效。

第五節 美國孤兒藥法案對我國啟發

第一項 目的差異性

美國對於罕見疾病立法由上一章節中，可以明白看出來該法規之制定係以藥物研發誘因為主，藉由提高藥物研發，使罕見疾病患者之取得藥物來源不至於潰乏，然而，美國整體醫療體系以市場為主要機制，其專門立法並無法配合其醫療體系，其醫療可近性上可謂不利，觀諸美國整體的醫療體系及罕見疾病藥物相關法規範，吾人認為美國的規定，其實仍是以自由經濟市場的限縮為主的社會立法模式，雖然已經使得藥物的研發開出了一條狹徑，但是，藥物取得的可近性仍是不易，對於某些病患而言，可謂是看得到吃不到的救命牛肉。

而我國之醫療體系以全民健康保險為主軸，性質上應偏向社會保險模式，對於藥物的取得上，於我國現行法規定下，除非是極為特例情況，否則藥物取得的可近性上，應該是較美國為便利！美國孤兒藥法，重在罕見疾病患者取得所需要之藥物；我國罕見疾病防治及藥物法則兼具有預防、發現、診斷、治療、追蹤及教育，提供一「全人」的對策及關懷²²²。故而，吾人認為在二者不同的立法目的上，身為學習他者的繼受法之國家，在參酌上應有一定程度的調整，而我罕見疾病防治及藥物法之立法堪稱值得讚許。

第二項 平等原則

美國七年市場獨佔權及市場機制，跨國製藥產業透過昂貴藥價獲取鉅利，且不當高價補貼下，美國政府與民間(保險公司、病患本身)負擔高額醫療支出。又各州政策、立法不同，形成罕見疾病患者權益與醫療資源在地區上之差異，之水平式不公平現象。

²²² 雷文玟，同註 126，頁 133。

由美國經驗中，吾人認為有以下幾點啟發：

一、國際法規間整合：

美國孤兒藥法案中為提高藥物研發誘因，從專利制度上著手，給予藥廠七年的特許實施權，又因為市場機制的控制下，內國藥廠雖能從本國法的規定中，獲得相當程度的利潤，但是，對於跨國製藥廠而言，倘已研發成功之藥物，進口至美國時，則不受七年特許實施權的限制，而回歸至美國專利法規定，此時，受到專利權的影響，對於跨國藥廠而言，取得之利潤應會較美國本土之製造者為鉅，對於美國本土藥廠而言，似會產生不平，對於誘因的成效仍有待斟酌，特許權實施之濫用？國外藥廠專利權將到期藥物在國內搶先註冊為罕見疾病，獲取獨占利潤²²³。由此得觀察到內國法之規定已不足以規範。故而吾人認為此類涉及人類生存最低限度之事，在國際間之合作討論之空間，不論是在私人或是國家間，宜有一定的溝通橋樑，方能使得立法的美意能夠更為彰顯。

二、水平式與垂直式分權整合：

美國是地方自治相當完善的國家之一，聯邦立法及地方立法間關係二者分別獨立互相輔助，然於罕見疾病議題上，各州、地方立法不同上，產生地區性的醫療給付上的差異性現象存在。

然而，我國在憲政體制上的設計，雖然亦有中央、地方分權的理念，亦有相關法規的制定，然而，在社會福利一環上，財政來源可說是產生最大分化點的要素，中央經費來源大於地方許多，又加上我國地方自治現況，似乎要產生如美國因中央、地方而生不平等現象存在機會，可謂微乎其微。但是，關於罕見疾病患者就醫權益地區性差異現象仍是存在，然其原因係在於交通、醫療院所、醫療設備而生的地區性差異。

美國與我國雖皆有醫療給付地區性差異現象，但其成因仍不相同，吾人認為雖然醫療給付地區性差異形成原因不同，但美國中央及地方間社會福利政策仍可供吾人加以借鏡學習，他山之石，可以攻錯，我國地方自治分權尚未完善下，如何避免發生，如美國各地方間社會福利不均等現象？在中央及地方，不論是垂直式或是水平式的分權，關於社會福利這一部分宜有必要整合調和。吾人認為，可由地方扮演第一線的角色，當第一線功能無法發揮時，中央方需介入。

第三項 租稅政策

美國在本法中規定租稅優惠，我國並無此規定，惟於「公司研究與發展及人才培訓支出適用投資抵減辦法²²⁴」、「公司研究與發展及人才培訓支出適用投資

²²³ 王慧綾，罕見疾病防治及藥物法立法過程，曾敏傑、陳莉茵主編，2002年12月，頁126。

²²⁴ 公司研究與發展及人才培訓支出適用投資抵減辦法

第五條：

公司投資於第二條所稱研究與發展之支出，在同一課稅年度內得按百分之三十抵減當年度應納營利事業所得稅額；支出總金額超過前二年度研發經費平均數者，超過部分得按百分之五十抵減當

抵減辦法審查要點」²²⁵、「生技新藥公司研究與發展及人才培訓支出適用投資抵減辦法」²²⁵及「生技醫藥產業委託國內醫藥研發服務公司從事研究與發展之支出適用投資抵減認定要點」中，針對人體試驗屬於研究與發展之支出得在同一課稅年度內按百分之三十抵減當年度應納營利事業所得稅額；支出總金額超過前二年度研發經費平均數者，超過部分得按百分之五十抵減當年度應納營利事業所得稅額；當年度應納營利事業所得稅額不足抵減者，得在以後四年應納營利事業所得稅額中抵減。唯此優惠不限於孤兒藥且必須委託國內醫藥研發服務公司執行方得適用²²⁶。

年度應納營利事業所得稅額；當年度應納營利事業所得稅額不足抵減者，得在以後四年度應納營利事業所得稅額中抵減之。

前項所稱前二年度研發經費平均數，指公司申報抵減年度前連續二課稅年度，經稅捐稽徵機關核定准予適用投資抵減之研究與發展支出金額之平均數。其因公司合併，合併後存續或新設公司於計算合併當年度之前二年度研發經費平均數時，應將消滅公司於合併前連續二課稅年度，經稅捐稽徵機關核定該二年度准予適用投資抵減之研究與發展支出金額併入計算。

同法第六條：

公司投資於第三條所稱人才培訓之支出，在同一課稅年度內得按百分之三十抵減當年度應納營利事業所得稅額；支出總金額超過前二年度人才培訓經費平均數者，超過部分得按百分之五十抵減當年度應納營利事業所得稅額；當年度應納營利事業所得稅額不足抵減者，得在以後四年度應納營利事業所得稅額中抵減之。

前項所稱前二年度人才培訓經費平均數，指公司申報抵減年度前連續二課稅年度，經稅捐稽徵機關核定准予適用投資抵減之人才培訓支出金額之平均數。其因公司合併，合併後存續或新設公司於計算合併當年度之前二年度人才培訓經費平均數時，應將消滅公司於合併前連續二課稅年度，經稅捐稽徵機關核定該二年度准予適用投資抵減之人才培訓支出金額併入計算。

²²⁵ 生技新藥公司研究與發展及人才培訓支出適用投資抵減辦法

第十條：生技新藥公司投資於第六條研究與發展之支出，得按百分之三十五，自有應納營利事業所得稅之年度起，抵減其應納營利事業所得稅額；當年度投資於第六條研究與發展之支出總金額超過前二年度投資於第六條研究與發展支出之平均數者，超過部分得按百分之五十抵減。

開始抵減年度應納營利事業所得稅額不足抵減者，得在以後四年度應納營利事業所得稅額中抵減之。

第一項所稱前二年度投資於第六條研究與發展支出之平均數，指生技新藥公司從事適用投資抵減支出年度前連續二十四個月之完整二課稅年度，經稅捐稽徵機關核定准予適用本投資抵減之研究與發展支出金額之平均數；其因公司合併，合併後存續或新設公司，於計算合併當年度之前二年度研發經費平均數時，應將消滅公司於合併前連續二十四個月之完整二課稅年度，經稅捐稽徵機關核定該二年度准予適用本投資抵減之研究與發展支出金額併入計算。

本辦法所稱有應納營利事業所得稅之年度，指生技新藥公司所得稅結算申報有應納營利事業所得稅額，或經稅捐稽徵機關核定有應納營利事業所得稅額之年度。

第十一條：生技新藥公司投資於第七條人才培訓之支出，得按百分之三十五，自有應納營利事業所得稅之年度起，抵減其應納營利事業所得稅額；當年度人才培訓之支出總金額超過前二年度人才培訓經費平均數者，超過部分得按百分之五十抵減。

開始抵減年度應納營利事業所得稅額不足抵減者，得在以後四年度應納營利事業所得稅額中抵減之。

第一項所稱前二年度人才培訓經費平均數，指生技新藥公司從事適用投資抵減支出年度前連續二十四個月之完整二課稅年度，經稅捐稽徵機關核定准予適用本投資抵減之人才培訓支出金額之平均數；其因公司合併，合併後存續或新設公司，於計算合併當年度之前二年度人才培訓經費平均數時，應將消滅公司於合併前連續二十四個月之完整二課稅年度，經稅捐稽徵機關核定該二年度准予適用本投資抵減之人才培訓支出金額併入計算。

²²⁶ 鄭師安，同註 54，頁 11。

我國是否需要如法泡製美國立法模式，美國以法律地位使罕見疾病藥物的法源拘束力模式，並以特別法單一立法，對於藥廠而言，彷彿吃了一顆定心丸般，而我國的立法模式，雖較無法看出直接租稅優惠，但是，實施之成效亦有同樣功能下，我國立法是否有必要將罕見疾病防治及藥物法納入此規定，其實並非無討論空間。

蓋納入該法範圍，對於法規範的使用者而言確較為一目瞭然，但是，是他法已可涵蓋範疇下，是否有必要如此特殊性的加以獨立出來，再為重行立法？吾人立場認為，首先，法源位階不同，我國之租稅優惠係以「法規命令」位階模式加以規定，而租稅優惠涉及藥物之研發，關乎罕見疾病患者之用藥權益甚大，在法律保留上，以法律位階加以規範似可突顯其重要性，故而，將租稅優惠納入罕見疾病防治及藥物法中尚非不得考慮。

第五章 罕見疾病相關法規範之檢討

第一節 治療前期：醫療前階段基因療法之採納²²⁷

罕見疾病患者之醫療保障上，由上章中所述，可以發現，我國相關法制面在事先的預防上，有優生保健法之規定以達到疾病的預防，而發現疾病時，則有罕見疾病藥物及防治法、全民健康保險法及身心障礙者保障法等規範之，不論在藥物的進口、取得、使用、流通，或是醫療費用的補助，教育、工作等方面皆有些許的碰觸到，但是，吾人認為，我國現行法制上，在涉及醫療保障上，仍以達到「用」為主，然於「用」之前的檢測或是其他新興療法上，仍處於能見度極低的情形。

於本章節中，吾人認為罕見疾病患者之醫療保障於現行法規範下，仍有以下尚需要加以注意之點：在醫療前階段上，新興醫療、檢驗方式，如基因療法，不僅在安全性、使用性上或是使用後有效性之持續治療上，皆處於一空白的狀態。

第一項 罕見疾病之檢測

罕見疾病多屬遺傳性疾病，和基因有極大的關係。藉由研究不僅可幫助確認罕見疾病的原因，亦具有治療的效果，因此，基因研究對於具遺傳性的罕見疾病患者而言是非常重要的。

基因檢測乃利用統計的方法預測其未來發病的機率，確定個人具有某種基因或是基因群。而統計數據是根據已發病或高危險群的家族來計算²²⁸，惟是否能正確預測發病倒仍待商榷，且是否能正確地預估患者未來可能發病的時間仍無法確定。又基因檢測²²⁹的項目包括一般人熟悉的新生兒和胎兒的疾病篩檢外，還

²²⁷ 范麗娟，同註 64，頁 1-7。

²²⁸ 關於基因檢測，於最近的一則新聞中有一實例：「Google 的布林透露自己是帕金森症高風險群」：Google 共同創辦人布林透露，他擔心自己可能罹患帕金森症，並說他可能會投入更多資金資助這類疾病的研究。這名在俄羅斯出生的網路億萬富豪，他的媽媽 10 年前就被診斷出罹患帕金森症，他說，最近接受的去氧核糖核酸檢驗顯示，他有較高的機率罹患這種疾病。現年 35 歲的他在個人部落格上撰文說，家族性帕金森症很罕見，但是他帶有已知與發生這類疾病有關的基因突變 G2019S。他寫道：「這個突變的確實影響還不完全清楚」，「不過卻明白顯示，我這一生發生帕金森症的機率比一般人高得多。」他還說，事先知道此事讓他「有機會對這類疾病的研究給予更多支持。」

資料來源：自由時報電子報 <http://www.libertytimes.com.tw/2008/new/sep/29/today-int2.htm> 最後瀏覽日：2009/1/3

²²⁹ 基因檢測中的確有許多的倫理議題值得探討，如用在種族身份認定的基因檢測可能引起的非議，以及在一篇有趣卻駭人聽聞的新聞短評中指出未來所有的首相在吃飯後不要遺留任何具有唾液的紙巾或是杯子在現場，會被有心之士取得其上的 DNA，從事不法的行為。該文中也指出已去世的美國總統雷根晚年罹患阿茲海默症，而基因研究已經找出此病與某特定基因變形有「高度相關」。如果雷根在尚未競選前就有人取得他的 DNA，預測其未來有罹患阿茲海默症的可能，那可否依此發現禁止其參選？隱含在基因檢測背後隱私權和工作權可能受侵犯的議題，也不禁讓

包括帶原者的篩檢、司法和種族身份的檢定，以及成年發病者遺傳性疾病的篩檢。

基因檢測對於尚未發病的成年罕見疾病患者，有助於確認是否具有某種疾病的基因，也有可能預估發病機率與可能的發病時間，以助於罕見疾病患者對其生活的控制。然礙於罕見疾病患者的罹病人數稀少，要正確地預測發病機率及發病的時間涉及特定的環境因素，故預測之正確性是非常困難。吾人認為可由國家統籌加以整合罕見疾病患者之發病人數，定期為長期的追縱。

此外，基因檢測的結果如果檢測錯誤，則可能延誤可能的治療。基因醫療和基因藥物可幫助罕見疾病患者恢復健康或維持正常生活。而基因醫療目前還未普及且費用昂貴，國內的基因醫療也大都集中在研究。有學者認為若是從公平正義的角度來看，政府每年投注十數億的經費到基因體醫療研究，且持續多年，那是否應確保這些研究成果能為全民所共享？甚至政府是否應特別制訂一政策來保護弱勢者的權益，特別是「弱勢中的弱勢」——罕見疾病患者的權益呢？特別是針對費用無法為一般人所負擔的基因醫療呢？²³⁰

第二項 罕見疾病患者需求政策²³¹

由上開論述中，可以發現基因檢測項目、正確的發病機率和確切的發病時間的預測對於罕見疾病患者之重要性，然而對於基因研究產出的公平分配之抉擇為何？誰為基因研究和基因醫療的最大受益者？國家每年花費甚多的資源關注基因醫療研究，不僅提昇本國在基因科技和基因醫療上的競爭力，然而研究之成果歸屬及利用上是否應明訂政策保障研究成果能為全民所共享？

罕見疾病患者雖處於「弱勢中的弱勢」，但其需要的並非是憐憫性或是殘補式的福利給與，而是有尊嚴、有組織、有法條依據的權益落實。藉由法規範的制約對於罕見疾病患者之權益保障較具有穩定性，故而有學者認為針對罕見疾病患者之權益，還應制訂以下相關之政策加以保護²³²：

1. 建立完整的資料庫，藉由設立專責單位或是相關機構統籌收集罕見疾病的個案運作；
2. 經費之提供：在研究經費上對從事罕見疾病發病時間與發病機率之研究；提撥固定比例的經費從事罕見疾病的檢測、醫療、藥物和食物的相關研究及基因醫療，基因藥物和食品的購買；此外，為促使大眾對於罕見疾病之認識，讓罕見疾病患者及其家屬都能公平地被對待，進而有更大的社會參與空間，推廣罕見疾病相關知識的教育，以破除社會對罕見疾病及

人擔心隱含在基因檢測背後強烈的歧視和偏見。

²³⁰ 范麗娟，同註 64，頁 3。

²³¹ 范麗娟，同註 64，頁 6。

²³² 范麗娟，同註 64，頁 7。

遺傳疾病的刻板印象和偏見；並提供教育經費補助鼓勵罕見疾病學生未來投入基因研究之相關生涯；

3. 目前相關單位已經在進行遺傳諮詢者的醫療專業知識在職訓練，未來宜加強累積關於罕見疾病患者及其家屬的社會及心理的本土基礎行為知識，並鼓勵具有行為科學訓練與人文關懷的社工師和心理師加入遺傳諮詢的行列，以確保遺傳諮詢的服務品質，；
4. 確保基因檢測資料的保密性，確保罕見疾病患者之工作權和隱私權；
5. 成立一監督團體保障罕見疾病患者相關之權益，並有權匡正政府的政策。

基因世代的來臨，基因療法研究對於罕見疾病患者之治療可謂是注入了一劑強心針，然而相對地也隱含著損害其權益之隱憂，此外，罕見疾病患者的權益、需求、和研究成果的公平分配也應列為考量。吾人認為藉由法規範之制定不僅能加強可預見性、穩定性外，更可加強監督功能，使得罕見疾病患者之權益不至遭受到損害。

又志願受檢之明文規定？於基金會版本有規定，不得強制檢查。惟於立法院審查時遭到刪除，其缺失在於未凸顯當事人同意、資訊自決權，及人格權之尊重。然侵入性醫療行為在當事人未同意下，可能生有刑法第二七七條傷害罪之問題，甚或是不當干預當事者之隱私，仍有依民法第一九五條第一項，請求負損害賠償²³³。

新生兒篩檢期以透過早期症狀發現疾病，早期治療以防止疾病的惡化，然而，尚需將成本效益因素納為實施的考量要素，此不僅涉及篩檢治療更涉及後繼照護所費，此研究中結論認為罕見疾病新生兒篩檢之潛在利益大於不做篩檢的成本效益，故而，對於罕見疾病新生兒篩檢持肯定的立場²³⁴。

告知義務及適當之諮詢，於基金會版本中，特設有醫事人員說明義務，然於正式條文中遭到刪除，惟兼及罕見疾病防治及藥物法第八、九條中，宜參酌其精神²³⁵，而認為醫事人員仍具有說明義務。

於罕見疾病防治及藥物法第十三條國際醫療合作代行檢驗項目，費用由中央主管機關補助，建議補助標準係以受檢之必要性，而非受檢結果，否則相關主治醫生為迴避可能於送國外檢驗結果非罕見疾病而預自我負擔費用之風險！又鑑於國內政府機關會計行政與國外檢驗單位之作業方式無法相容，使相關條文無法

²³³ 何建志，同註 137，頁 148。

²³⁴ 行政院衛生署九十年科技研究發展計畫，各國罕見疾病通報、轉介與照顧體系之比較研究及罕見疾病病例對照研究，計畫主持人：宋鴻樟；協同主持人：曾敏傑、胡務亮，研究人員：蘇鈺琦，頁 21、62。

²³⁵ 何建志，同註 137，頁 149。

有效落實。²³⁶

第二節 治療期：醫療資源運用

第一項 特殊需求

罕見疾病防治及藥物法於立法初期，將基金會版本中「帶因者」之刪除之合宜性？蓋帶有隱性遺傳病基因之人雖不會發病，帶有致病基因的人有可能會受到社會大眾無知而遭歧視²³⁷，對於本法的保障主體是否有必要加以擴張？吾人認為基因是一種潛在性的人格表徵，並非像是膚色、性別、種族等顯在性特徵一般容易辨識，故而，罕見疾病防治及藥物法未將帶因者納入保障範圍，尚非無虞，然而，對於帶因者之基因篩檢結果，或是其個人特徵的基本資料，在隱私權處理上仍需要為一定的保密，嚴守資訊隱私及電腦處理個人資料保護法第七條²³⁸規定，以防止產生對於基因歧視現象，及其個人自主醫學倫理原則，並引起醫療父權的爭議²³⁹。

又有學者認為本法第十條以獎勵預算之編列易受財政收支狀況影響而有相當程度之不確定性，建議在現行全民健保之支付制度中納入獎勵機制，較有成效²⁴⁰，惟吾人認為作為並不具有實質的效益，蓋獎勵方式是否能確實影響財政收支預算編列？誠有可議，預算之編列和國家財政習習相關，由全民健康保險法加以牽制，預算之編列之可行性，無法確定其實益。

又我罕見疾病防治及藥物法關於新藥之開發採取獎勵而非協助，重心放在藥物及特殊食品的流通，其有學者建議將藥物物流中心規劃完善即能使得罕見疾病病患家庭負擔減輕²⁴¹，在具體作法上：一、行政效率與流程：建立專業人員專業審核，避免不必要之繁複流程，建立藥物申請及確認檢驗補助自動化流程，以保障患者權益。二、藥物獎勵：對代理進口藥商應以適當的鼓勵與保障，對於無法進口孤兒藥，可由國內研究機構或藥廠研發製造，又政府應予免徵營業稅、關稅、營稅事業所得稅²⁴²。關於此部分，罕見疾病個案特殊營養品暨罕見疾病藥

²³⁶ 葉秀珍，罕見疾病防治及藥物法的未來發展-社會福利的觀點，罕見疾病社會立法紀念專輯，曾敏傑、陳莉茵主編，2002年12月，頁75。

²³⁷ 何建志，同註137，頁147。

²³⁸ 電腦處理個人資料保護法第七條：公務機關對個人資料之蒐集或電腦處理，非有特定目的，並符合左列情形之一者，不得為之：一、於法令規定職掌必要範圍內者。二、經當事人書面同意者。三、對當事人權益無侵害之虞者。

²³⁹ 陳亭華，同註46，頁44。

²⁴⁰ 葉秀珍、曾敏傑、林志鴻合著，同註63，頁128-129。

²⁴¹ 同註233，頁63。

²⁴² 同註142，頁145。

物流中心已設立專責人員負責提高患者權益，又於獎勵上，則已有成功案例²⁴³且成果豐碩，因此，吾人認為我罕見疾病防治及藥物法規定，涉及藥物之研發或許非其核心，然仍有其規定存在的價值，此外，於罕見疾病「防治」部分缺乏相關鼓勵條文與措施，未來宜增加此部分的具體獎勵²⁴⁴。

罕見疾病藥物及維生必需特殊營養食品之判別標準不宜侷限於「明確療效」，似可彈性放寬包括舒緩病症之效果²⁴⁵。其理由在於一來，避免疾病類別診斷上難易度不同，而有生生存權差別待遇之不公平現象；二來，有極大部分罕見疾病尚未了解其病因且診斷不易下，倘墨守法條的文義解釋「明確療效」則此條文恐有適用上的盲點，而有致得依此條文而受到保障之病患了無及。

再者，宜將「預防性」功能之藥物納入，而非僅限於「治療性」效果之藥物與特殊營養食品，故而，有助強化罕見疾病患者體質、生理機能，防止其病症更加惡化或演變成末期病症，亦也應納入。不僅可兼顧病患之生存權，亦從長遠角度上，可降低治療罕見疾病之醫療支出，減輕社會成本²⁴⁶。

罕見疾病防治及藥物法第三十三條未法制化醫療補助之預算門檻，易生排擠且不穩定。又藥物之進口流程，涉不同行政機關，宜由單一窗口以達到便民²⁴⁷。再者，重大傷病卡雖已修正為所有罕見疾病患者均得申請，在實務上有一現象即在心血管疾病之核定標準上較為寬鬆，惟於骨骼、基因與神經方面疾病，則較為嚴苛²⁴⁸！在修正重大傷病範圍時應邀集具備罕見疾病治療經驗等相關專科醫會商研議，以免造成同是罕見疾病患者，而生不平等之現象²⁴⁹，係依疾病類別加以界定致核定標準寬鬆不一而生差別待遇，雖將凡屬罕見疾病患者即取得重大傷病卡，但相對的，如何界定罕見疾病亦會生有爭議，在界定法定罕見疾病認定標準上宜周延考量「罕見性」、「遺傳性」、「治療困難性」，以求達到病患間之醫療公平性。

第二項 病人權利保障

孤兒藥是針對罕見疾病所製造的藥物，大多是慢性的或是對生命有威脅性

²⁴³ 上市生力軍 懷特兩項新藥獲美國 FDA 核准 2008-07-16 工商時報 杜蕙蓉／台北報導

²⁴⁴ 同註 142，頁 182。

²⁴⁵ 葉秀珍，同註 236，頁 74。葉秀珍、曾敏傑、林志鴻合著，同註 63，頁 122-123。

²⁴⁶ 葉秀珍，同註 236，頁 74-75。葉秀珍、曾敏傑、林志鴻合著，同註 63，頁 123。

²⁴⁷ 葉秀珍，同註 236，頁 76。

²⁴⁸ 重大傷病卡在核准之標準為：一、不濫用醫療資源。二、必須長期持續治療。三、屬高昂貴醫療費用之傷病。

²⁴⁹ 葉秀珍，同註 236，頁 77。

的，而此類藥物其價格大多是非常的昂貴。以歐盟(下簡稱為 EU)的立法為例²⁵⁰，不僅在提升孤兒藥物的發展外，也限制其花費，有一些 EU 的健康照顧體系(healthcare systems)擁有有效控制花費的治療，當其決定要運用專款時。當孤兒藥物是固定且無效率花費時，如何有效的花費是必需要考慮的因素，其中尤以孤兒藥是由公共健康服務時(public health services)²⁵¹。

此外，請求醫療的權利是由憲法賦予的，在德國及法國的憲法中，規定了法律的義務以協助個人遭受危難時，此亦可適用在對於因孤兒藥而受生命威脅的疾病上。又罕見疾病以基因性為主，其大多為慢性，會使生命衰竭且和減少預期生命。然而，因為無法確定其對於病人生命的威脅，病人的憲法上的權利，以其獲得最低限制的生活保障是必需的。然而，相對於我國，對於罕見疾病患者是否有無請求醫療之主觀公權利存在？在第二章中，對於罕見疾病患者之醫療保障憲法基礎中，吾人的結論是認為其憲法保障基礎應屬基本權利即生存權及健康權，二者具層次性作用，由生存權維持罕見疾病患者之生命存續，健康權維繫其生命的健全完整性，二者是缺一不可，但又非競合關係，又其既然屬基本權利便具有基本權利之功能，當有法規範存在上，國家不為其義務時，罕見疾病患者當可行使其權利請求權利是沒有問題的，但是，誠有疑問者，係當無法規範存在時，如何加以請求？則僅能透過法律的制定，立法的程序已已。

在罕見疾病患者之醫療，其具有相當跨部門的色彩，蓋不同醫學專科間之交流，健全會診制度促進專科間與醫院間之醫療合作。又城鄉差距及醫療資源之可近性差異，應建立各機關間連繫網絡在疾病之通報、轉診、諮詢、輔導之單一窗

²⁵⁰ EU 在增加其誘因上，包括了十年的市場特許實施權、減少執照費用、協助市場施用、直接的進入主要的生產在市場的授權下，又在一些國家，允許特定的研究補助。不論公共的資金是否支持孤兒藥供應，其實際上的爭議在於預算的影響、臨床的有效性、公平性的爭議，蓋支持孤兒藥物的機會成本是必需的，當病人罹患更多普遍的疾病時，花費有效性的治療是可獲得，是被否認治療的。

²⁵¹ 孤兒藥的特別保障爭議，大多在有效性及無其他的治療方法存在時，如何確保獲得治療，此外，採用無花費有效性的治療的機會成本。決定是否予以補助上，有關 EU 當局要求證明安全性、有效性、臨床及花費的有效性。

一、有效性：

在臨床的實驗上，一般正常的控制測試是經由嚴謹的過程，但是，卻不見得是適合用於孤兒藥的測驗上²⁵¹。對於慢性疾病在臨床證明孤兒藥物上，大多是短期代理的結果，而非是長期有效性的，又其間的關係是無法被證明的。

二、公平性：

在功利考量下，分配的公正性，全好或是公共利益是被放大處理的。反對說，認為，應限制健康預算，蓋孤兒藥物的分配將會使其他的健康照顧受到限制，或是採用專款的方式；又專利的誘因，使得利益的公平性上，比治療所獲得的價值是還要少的。

D.A Hghes, B. Tunnage and S.T. Yeo, *Drugs for Exceptionally Rare Diseases: do They Deserve Special Status for Funding?*, Advance Access publication 3 October 2005, at 833。

口機制²⁵²。

又如何集國家力量、社會、病患團體及社會大眾之力，有效運用經費及相關專責人力之整合。在法制面上：一、專業組織之健全：公開、專業、明確制度化、法制化。法明確性上保障範疇、對象、要件、程序、權利義務、責任歸屬、人力與資源調配²⁵³。二、強制性資訊公開透明化：由三方力量之結合，國家主管機關之監督、法律授權機關(如：教學醫院之優生保健中心)、志願性之公益團體，於合於資訊公開法及個人資料保護法之規定，防止資訊不對當，並健全醫療資源的使用效益，宜以法律規定，強制公開不涉及私人隱私及違背其他法律之資訊。三、預防政策、科際整合、跨部會工作取向(如：分工上之分配、責任、義務)、國際合作(如：跨國性之組織、整合性)醫療研究、資源的互享回饋等。

第三節 治療後期：長期照護之不足

狹義生存權包括醫療權、照護權，廣義之生存權尚及於就學權、就業權，希冀罕見疾病患者能自立更生，不必過度仰賴社會救助體系維生。為避免歧視，應建立一無障礙空間外，在實質上也應有一無歧視之友善社會環境²⁵⁴。病患生命尊嚴之維持，罕見疾病患者之照護權宜提供法制上的保障，並兼顧其家庭之照護負擔亦同時納入考量之核心，提供長期性、連續性之照護服務²⁵⁵。

又曾有研究所得問卷分析中，罕見疾病患者雙親之教育程度，不論疾病種類，均有一半以上患者雙親教育在高中職以下，而患者母親多為無職業者或是家管，即照護罕見疾病病患的重擔多由母親承擔，而減少了全家收入²⁵⁶。吾人認為，在罕見疾病患者之長期照護上，由上開資料分析中可知，對於病患家庭經濟收入來源或是照護的人力上，均呈現一種經濟上的不安全，亦即，雙親家庭中，病患家庭收入來源多僅由一人支撐，又其在教育程度上多於相對弱勢下，其經濟收入在通常情況下，亦非能足夠的支持其家庭，而無工作在家照護病患之家屬，不僅其工作生產力造成了浪費，且在醫療費用、一般日常生活開銷(如：食衣住行費用、社會保險費用等)尚需支付下，病患之家庭功能是否得以完善得予以支

²⁵² 葉秀珍，同註 236，頁 81。相關報導可見：聯合晚報，20050412，記者韋麗文/台北報導，04 話題新聞，罕病基金會聲明張家海外就醫不應個案求援，對於張家隔海要油一事，罕見疾病基金會和 ALD 病友發表聯合聲明指出，應該由專業對話，避免流於病家的單方面要求，而張家的要求最好透過審議委員會，讓罕病海外就醫制度化。目前國內罕見疾病的營養品和相關醫療費用補 ...。

²⁵³ 林志鴻，罕見疾病制度性風險保障機制之形成與展望，罕見疾病社會立法紀念專輯，曾敏傑、陳莉茵主編，2002 年 12 月，頁 136。

²⁵⁴ 葉秀珍，同註 236，頁 78-79。

²⁵⁵ 葉秀珍，同註 236，頁 77-78。葉秀珍、曾敏傑、林志鴻合著，同註 63，頁 131。

²⁵⁶ 同註 233，頁 53。羅一中，華人母親的人際義務-以罕見疾病兒童的家庭為例，國立中正大學心理研究所碩士論文，2003 年 7 月，頁 60。

助其照護所需，尚有疑問？然而，關於長期照護問題如何加以改善²⁵⁷？

何謂長期照護？可說是眾說紛紜，**Brody** 認為照護可是提一種或一種以上的服務，使性功能障礙民眾的健康及安寧幸福維持在最高的水準；**Winn** 則認為是一種範圍很廣的服務措施，可滿足缺乏自我照顧能力民眾長社會保護及醫療照顧需要。**Kane** 定義長期照護為提自我照顧能力的健康、個人、社會照顧的服務，服務的提供可能是連續性的，也可能是間歇性，但通常是持續一段長時間；**Weissert** 認為長期照護的目的，具有慢性身心障礙者均為其服務對象，對其提診斷、治療復健、支持及維持服務，而這些服務可在機構、非機構及家庭中提供；**Evashwick** 則認為長期照護係對暫時性或慢性功能障礙人口提一段長時間的健康、社會及住宿服務，使他們盡可能維持最高水準的自主生活功能²⁵⁸。由以上各學者的定義中，可以大略得知長期照護具有持續性、健康性為目的，提供無法自主為生活之人所為之照護。

於罕見疾病患者之醫療保障上，關於醫療的長期照護上，由全民健康保險法似乎長期持續可以涵蓋了就醫上所需的費用，然而，疏不知罕見疾病患者有極大多數仍以家庭為主要的活動區域，再加上某些病患無法為有效的自主照護下，依賴家人間的互助是極為常見的，然而，鑑於罕見疾病患者不論是在一般生活飲食、輔具利用等方面專業性的要求照護也是必要的，我國對於罕見疾病患者之醫療保障上，僅是著眼於現況、短期、即時性的療效，而忽略了罕見疾病患者有許多無有效的療效上，僅能依靠藥物疏緩疾病的惡化，於此情況下，病患之長期照護方為醫療照護的重點。

惟法規範面上僅以個人為思考，尚未注意到，其實針對罕見疾病患者立法保障時，應以整個家庭為思量的重點，蓋於罕見疾病患者之醫療長期照護一例中，吾人可以發現到，一個家庭中倘有一個罕見疾病患者，其實會涉及到其他家庭成員，不論是在經濟上收入、時間上利用或是家庭和諧等²⁵⁹，於思索罕見疾病患者之醫療保障在立法思考上，吾人認為似乎應以家庭為思考的主體，通盤檢討。

何謂以家庭為思考的主體？法律的演進史上，由家本位再到個人本位，若再以家庭為出發點，是否和法律的演進史產生矛盾，而有走回頭路之慮？吾人認為，二者在概念其實是炯然不同的，此處所謂以家庭為思考的主體，係著重於關於罕見疾病患者之醫療長期照護上，將病患個人及家庭視為一個互動連動的「生

²⁵⁷ 民生報，20051104，A15 醫藥新聞，家有罕病患 重擔難扛 安養補助 望各界伸援，記者張雅雯／報導，家有罕見疾病患者，除了沉重的藥費負擔，由於多數病友行動不便、無法自我照顧，也讓家屬幾乎沒有喘息的空間，他們對於安養機構有極大需求，但往往因經濟弱勢，被拒門外。罕見疾病基金會今年開始推動「安養照護補助計畫」...

²⁵⁸ 配合我國社會福利制度之長期照護政策研究，研究主持人：吳淑瓊、協同主持人：呂寶靜、盧瑞芬、研究員：徐慧娟、研究助理：簡加奇，行政院研究發展考核委員會編印，1998年5月，頁3。

²⁵⁹ 陳亭華，同註46，頁91。九十四年高雄市罕見疾病患者的家庭壓力源與因應之研究，高雄市政府社會局研究報告，頁40-41。

命共同體」，建構國家照護責任所欲達成目標的考量基礎。亦言之，在立法層次上，不再僅以病患個人需求為單一的決策依據，應將整個家庭納入思考的範圍。

惟有疑問者，係此想法之法理基礎為何？吾人認為在於「家庭權」概念之釐清及建構，關於家庭權之概念，有學者認為：「家庭權係一既傳統又現代的權利。家庭權係一非完全個人性質，卻需充分顧及家庭成員個人之權利。家庭權係一內國之基本權利，同時又跨國界具普世價值的人權」²⁶⁰，又其保障範圍為組成家庭權利、和諧家庭生活權利、維持家庭存續之權利及維持家庭親屬關係之權利，與本文有關者，應屬維持家庭存續之權利，在現行法制上設有對家庭之社會福利給付、租稅之優惠或義務之減輕、免除等，以達到家庭存續目的²⁶¹。

台灣目前關於長期照護大略上分為機構式、社區式及居家式三種，然而，其討論的主體多以老年人為主，對於需要長期醫療照護服務需求者，仍是以居家式為主²⁶²。照護工作現階段仍以家庭為主要單位，在人口結構改變影響，家庭結構勢必出現不同以往的面貌，家庭之照護功能也將會減弱²⁶³，此外，社會文化仍將照護者之角色加諸在婦女身上，女性倘需同時負擔照護和就業雙重角色時，對於受照護者或是照護者而言皆為一沈重的壓力，對於罕見疾病患者之照護若完全由家庭功能來加以支撐，恐已無法有效的達到其照護之目的，因此，有鑑於台灣家庭結構、照護功能不彰下，長期照護體系之建立也相形重要²⁶⁴。

又從福利多元主義角度觀之，福利多元主義(Welfare Pluralism)係指：「社會與衛生照護服務可從四種不同部門，即法定、志願、商業、非正式(家庭、親友、社區鄰里)獲得，政府減少在福利直接提的主控性角色，惟基於資源分配公平之角色，仍將是財務基礎的主要來源，…政府也應積極扮演規制性(regulative role)角色」，亦言之，國家由原本以經濟為主之生產者及掌控者地位，非經濟為主之資源，如：個人的家庭和社會網絡、從非營利部門或自助團體所獲得協助等，亦顯其重要，故而，政府、非營利、商業及非正式部門的合作關係，亦顯得更加的頻繁，而國家角色不再是服務供給的壟斷者，而應善用各部門資源、規制，使各

²⁶⁰ 李震山，憲法意義下之「家庭權」，中正法學集刊第十六期，頁 97；亦可見於氏著，多元、寬容與人權保障-以憲法未列舉權之保障為中心，元照出版，2007 年 9 月，頁 159-192。

²⁶¹ 李震山，同註 260，頁 74-75；同前揭氏著，多元、寬容與人權保障-以憲法未列舉權之保障為中心，頁 171。

²⁶² 李佩芳，我國實施長期照護保險之總體財務支出規模推估，國立中正大學社會福利研究所碩士論文，2003 年 8 月，頁 15-16。文中得知，於一九九五年時全民健保陸續擴展長期照護給付範圍，如：一九九五年辦理「安寧居家療護納入健保給付辦計畫」、於一九九六年辦理「呼吸器長期依賴病患居家與機構式照護服務」。又於二〇〇二年行政院經建會內政部提出了照護服務產業計畫中，將照護對象由中低收入失能者擴及至一般失能國民，採用使用者付費機制外，並鼓勵非營利團體及民間企業共同投入照護服務產業。

²⁶³ 李佩芳，同註 262，頁 20。

²⁶⁴ 李佩芳，同註 262，頁 21。

給者有效率運作²⁶⁵。

其中將福利制度分散化亦為可加以運用方式，分散化指：「中央政府的福利責任，分散至地方政府或各基層的社區或鄰里，除了強化地方政府的職能外，也著重其地方自治自主性，以符合地方需要」²⁶⁶。故而，有學者認為：「鑒於我國行政機關相關部門於長期照顧業務權責之重疊，以及社政與衛政應儘早整合中央行政機關之整併之技術面有其複雜度；但在地方政府，依據內政部發布「地方行政機關組織準則」之規定，地方政府應依該轄區人口數設立所規定之一級單位(局、室)，而不以業務類別為限。因此若地方政府行政單位在長期照顧業務方面有重疊之虞，地方政府可依法修正組織自治條例，先行正合長期照顧之主管部門與業務，做為整合社政、衛政之開端²⁶⁷」。

因此，福利體制將以普及式及殘補式融合為主，中央及地方分權外，亦更注重各業務之整合，政府及民間之提供及財源籌措，各級政府分工合作扮演管理者角色，確保制度之有效運作²⁶⁸。

又全民健康保險法中，雖對於慢性病床、居家照護、復健、預防有相關規定，但是，在無獨立的長期照護體制下，便會產生與急性醫療資源發生重疊現象²⁶⁹。此外，於財源及相關服務上，在體制上，分別分散於衛政和社政，在主要的財源支出上，仍以依賴病人及家屬自付為主，全民健保僅針對部份慢性病人和需醫療性居家照護病人提供部分給付；而在社會福利方面，則多以低收入為主要對象²⁷⁰。

由此可知，我國關於病患之長期照護上，仍僅以家庭為主要來源，又全民健康保險法中對於長期醫療照護有相當的規定，但其「長期」仍是以「長期性的救急」為主，罕見疾病患者在長期照護上仍無法由現行法制下，加以完善的涵蓋，不論在醫療專業性的不足外，家庭功能是否得有效發揮皆是一有待思索之處，罕見疾病患者家庭是影響病患長期照護所賴的支柱，在立法上似乎應將其納入未來制訂相關政策的考量。

於財源給付上，我國長期照護財源上仍以家庭為主，而全民健保僅針對慢性病人，及醫療性質的居家照護病人提供給付，又於社會福利一環(如：身心障礙)

²⁶⁵ 同註 258，頁 83。

²⁶⁶ 同註 258，頁 84。

²⁶⁷ 我國長期照顧法令制度規劃研究，受委託者：中華民國長期照護專業協會，研究主持人：吳肖琪，協同主持人：周世珍，研究助理：陳麗華、沈文君，我國長期照護制度規劃研究委辦案第四標，內政部委託規劃報告，2006 年 3 月，頁 176-177。

²⁶⁸ 同註 258，頁 191-193。

²⁶⁹ 李佩芳，同註 262，頁 21。

²⁷⁰ 李佩芳，同註 262，頁 22。

則限於以低收入為主要對象²⁷¹，我國成年失能者是沒有長期照相關法律保障的一群人²⁷²，因此，對於成年之罕見疾病患者而言，於現行法下確無法獲得完善的照顧。近年來有極大的聲浪建議制定「長期照護法」，以社會保險方式加以健全保障到老年生活之照顧。

長期照護宜獨立為一長期照護保險或是併入現行健康保險、年金保險中²⁷³？全民健康保險法係以滿足急性醫療服務為主，而長期照顧為保障照顧服務的需求，多屬慢性為主，其財源及需求上和全民健康保險皆不同下，且長期照護之費用廣義上，包含生活費、照顧費用及醫療費，不論是納入全民健康保險或是年金可能會影響其財務負擔而需調漲率或使醫療資源分配不均²⁷⁴，故宜著手規畫以長期照顧為主的法制，並整合相關社會保險法制，如國民年金法等。²⁷⁵

在財務支持策略大略為三：稅賦優待、長期照護津貼(allowanced)補貼、提供照顧者社會安全保障。勞務支持提供社區與居家照顧以支持家庭照顧者，如：居家照護(個人照顧、生活照顧、護理服務)、短期臨托(respite care)、諮商與支持、日間照護等。支持照顧者繼續工作包含：彈性工時、帶薪或留職停職照顧、照顧者支持團體、協助照顧者購買支持服務²⁷⁶。

未來長期照護度之財務面設計之有學者建議：一、明確界定需要性之制度性定義。二、給付範圍應涵蓋基本給付，提供普及式保障。三、重視預防原則，建立適當照護管理制度。四、採取居家優先原則，對於家屬照顧者給予支持。五、價格機制透明化，採行論人論月支付制度²⁷⁷。

又在立法論上，罕見疾病患者之醫療長期照顧上，首先應整合中央及地方政府之權責劃分上，其方式上有二種模式可加以採用，一：明文規定各目的事業主管機關權責範圍，針對罕見疾病患者之需要，主體規劃所需照顧，對涉及相關機

²⁷¹王正、周麗芳、曾蕃寬，長期照護財務建立之研究，行政院衛生署八十八年及八十九年度科技研究發展畫，國立中正大學，2001年。轉引至林坤志，企業員工長期照護需求調查之研究-以台電公司為例，國立中正大學社會福利研究所碩士論文，2004年2月，頁40。

²⁷² 同註 267，頁 167。

²⁷³ 於現在各國經驗中，主要分為三種型態：一、開辦強制性的長期照護社會保險，如荷蘭。二、納入即存健康保險，擴大給付範圍，又將範圍分為針對老人提供醫療照護(如：美國)及社會醫療保險之給付範圍涵蓋醫院與其他機構式長期照護(如：法國)。三、納入既存年金保險體制者，如瑞士。詳見於鄭文輝、鄭清霞、林志鴻、陳正芬、吳淑瓊，我國長期照護費用之推估及其相關因素之影響分析-2001-2046，收錄於 2004 長期護財務制度規劃，國家生研究院論壇，2004年8月，頁164。

²⁷⁴鄭文輝、鄭清霞、林志鴻、吳淑瓊，同註 272，頁 164-165。

²⁷⁵ 同註 267，頁 181-182。

²⁷⁶同註 258，頁 171-172。

²⁷⁷ 鄭文輝、鄭清霞、林志鴻、吳淑瓊，同註 272，頁 112、149。

關之業務全力配合，然而此立法模式之缺失在於無法巨細靡遺，恐會成產生掛萬漏一之現象；二為僅規定主管機關為中央或是地方，由其分別依權責負責其業務，此作為較具彈性，但未明定其權責為何下，有可能遭成雙方皆不作為²⁷⁸。故而，在組織的權責機關上，孰重孰輕仍是一可以開放討論空間。

然而，吾人認為關於「長期照護法」仍係以老年人為規畫的主體考量，是否完全的適用於罕見疾病患者的特殊需求仍有待檢驗，一來，保險的給付來源？二來，罕見疾病患者倘於剛成年便發病，且尚未成為被保險人下，該法對其而言，並無實益。於實務訪談研究中，發現縱現行制度下，政府有補助經費，仍不夠維持其經濟上支出，且各類資源分散，待政府資源整合²⁷⁹，因此，有病患家屬認為，希冀成立「社區家園」專門照顧罕見疾病的專業人員，將照顧責任由家庭轉至國家，並加強資訊提供²⁸⁰，此外，對於照護者應給予就業資助或培訓一技之長，在生活上由國家向銀行融借資金，且對於病患之復健需求及無障礙空間之設立²⁸¹。在迥異於老年人之長期照護需求下，是否將罕見疾病患者納入長期照護法之適用範圍內？關於罕見疾病防治及藥物法中是否宜加入長期照護專章？且現今受長期照顧之人而言，最缺乏即為需求評估制度，應以「需求性」為立法的考量²⁸²，因此，吾人認為在長期照護法遙遙無期下，又罕見疾病患者已有一部特定的法規加以規制下，將長期照護納入罕見疾病防治及藥物法中，是較為迅速之法，在內容上，除了針對罕見疾病患者之特殊性要求外，最重要的是將家庭權概念納入立法的思考之中。

第四節 其他

第一項 中央及地方相互輔助

觀諸，我國福利地方政府於社會福利的支出上，近年來有驚人的成長，然而，中央政府仍為主導的角色，不僅在相關法律規範立法上，在各級政府佔我國社會福利支出的分配比例上，及中央政府對地方政府的社會福利補助款方面也產生此情形，然而，揆諸我憲法均權制的設計，中央及地方應屬相互合作又互為獨立，但於，實際上地方在組織人力上不足，財源匱乏下，卻是以中央為主導²⁸³。罕見疾病防治及藥物法之訂定使得直轄市政府角色積極界入²⁸⁴！在社會福利支出

²⁷⁸ 同註 267，頁 95-96。

²⁷⁹ 同註 258，頁 40、42、56。

²⁸⁰ 同註 258，頁 49、55。陳亭華，同註 46，頁 103。

²⁸¹ 同註 258，頁 49、55。

²⁸² 同註 267，頁 176。

²⁸³ 王湧泉，徘徊在中央集權化與地方分權化的台灣社會福利體制，高雄應用科技大學學報第三十三期，2004 年，頁 181-184、189-190。

²⁸⁴ 同註 142，頁 14。

上，可說是中央及地方相互輔助的例子。

惟於罕見疾病患者之醫療保障上，其醫療支出給付上，於前面章節中，可以清楚的發現，全民健保保險法將罕見疾病全部納入重大傷病後，免除自行負擔費用，健保支出為給付來源的大宗，再加上，於罕見疾病防治及藥物法醫療補助辦法中，規定原則上將就醫所生之醫療費用，可得高達百分之七十之補助，又於特殊情況下，則得獲得全額的補助²⁸⁵，然而，吾人認為此辦法之規定似乎有其怪異之處，蓋於就醫時所生之醫療費用，大部分由病人所負擔之自行額部分，已經由具社會保險本質的全民健保²⁸⁶加以涵蓋承受，然而，復於本辦法中，由僅具行政規則性質之「罕見疾病防治及藥物法醫療補助辦法」中重申醫療費用得向中央主管機關申請，在此規定上，吾人認為有以下問題：

一、體例上：

全民健康保險法為社會保險，乃以眾人之力，運用保險原理設計，使風險降低的方式，而罕見疾病防治及藥物法醫療補助辦法以行政規則之姿，加以補助罕見疾病患者醫療給付來源上之健全性，亦言之，前法屬第一層的保障法源，而後規則係具有篩漏功能加以補充之。

此辦法如是規定，有使受法規範對象誤認為醫療費用之支出以中央主管機關支付為主，但實質上卻不然，罕見病患之就醫所生之醫療費用，應仍以健保支付為主要部分，其他，健保不給付部分，方需由病患申請後，向中央主管機關請求相關費用之補助。而且，有使人誤解主管機關對於罕見疾病患者之過度保障之嫌。

二、實質內容上：

此辦法將醫療費用限定於：一、對罕見疾病治療方式或遺傳諮詢建議，有重大影響之診斷費用。二、國內外研究證實，具相當療效，經普遍採用，或已進入多中心臨床試驗之治療、藥物及維持生命所需之特殊營養食品費用。

在第一種情形中，首先，關於重大影響之診斷費用為何？此乃一不確定法律概念，在法律文字運用上本有其侷限性，仍僅得由專責機關²⁸⁷即罕見疾病委員會加以認定判斷之。然而，重大影響之診斷費用，倘既非針對罕見疾病治療方式，亦非遺傳諮詢建議時，是非即非屬本法所得申請之客體？再加上，若此費用亦不在健保給付範圍內，對於病患之醫療補助是否會產生一重大的缺口？

又於第二種情形，「國內外研究證實，具相當療效，經普遍採用…」，吾人認

²⁸⁵ 參罕見疾病防治及藥物法醫療補助辦法第二、三、四條。

²⁸⁶ 可參司法院大法官解釋第四七二號解釋。

²⁸⁷ 關於不確定法律概念，在實務見解即司法院大法官解釋第四三二號、四九一號中有詳細的判定標準，該解釋中認為：一、需法條文字意義非難以理解。二、受規範者所得預見。三、可經由司法審查加以確認。

為藥物之治療，不同種族間有時會產生不同的藥物反應，本辦法之規定是認為需要國內及國外均證實具相當療效方可？或是僅國內或國外即可？倘採前者，二者均需符合，對於藥物於國內具療效，但於國外尚非經採用或不具療效時，是否即一概否認其醫療費用之補助？又採擇一適用時？是以國內或國外標準為主？則生有疑問。從法條文義解釋上，應採併行適用，但是，如上述所陳，對於僅於國內具療效之費用，則無法加以補助下，本辦法之立法意旨，似無法彰顯。吾人建議，爰揆諸藥物之安全性、使用的有效性及可能產生之種族差異性，僅限定於「國內」具相當療效即可。

後段情形則以「已進入多中心臨床試驗之治療、藥物及維持生命所需之特殊營養食品費用」為限，尚未進入臨床試驗之治療藥物...是否包含？又營養食品具治療性質是否變包含在內？

關於上開對於本辦法之評論，吾人認為，在解釋上宜以病患之健康權保障為最主要的依歸，亦言之，在未修法下，審查之主管機關，應以醫療費用之給付是否會涉及病患醫療費用之過分負擔，而影響其健康權之保障。

第二項 全球化對於社會福利影響

社會福利政策一直以來，都被認為屬於地區性、內國性質，然而，在全球化的概念下，社會福利政策不再僅僅是內國性的議題，其受到他國之影響亦加鉅，亦言之，社會福利政策的實行，受到國際間連動，欲討論或制定相關政策或是法律時，需以宏觀的角色加以考量規畫。

然而，何謂全球化？為何社會福利的發展會受到全球化的影響？學者 **Barrie Axford** 指出「全球化」概念的核心，是「這個世界正在進行一個前所未見的、緊密的連動(interconnectedness)與互賴(interdependence)過程」²⁸⁸。又 **Bob Deacon** 等學者所指出的：。「全球社會政策是超越國家之外的行動者推動的措施，它包括了全球性的社會再分配、全球性的社會規制、以及全球性的社會措施和／或賦權（empowerment），而且也包括超國家組織形塑各國社會政策的方式。」²⁸⁹ 由上述概念闡釋中，我們可以大略發現，在這全球化時代的決策環境遠較過去更為複雜，在為決策時需要加入不同層面的思考²⁹⁰：

1. 內部結構的問題—包含政治過程、資源、權力、利益、階級等的糾結，影響政策的制訂與推動；

²⁸⁸ Axford, B. (1995). *The Global System: Economics, Politics and Culture*. Cambridge: Polity. 轉引至古允文、薛承泰、林建成、林昭禎，全球化下的台灣社會與福利政策：兼論加入 WTO 的衝擊論文發表於『加入 WTO 之後政府部門應有因應策略研討會』，行政院研考會委託，台灣綜合研究院主辦，民國 90 年 12 月 20 日，頁 2

²⁸⁹ Deacon, B. (1997). *Global Social Policy: International Organization and the Future of Welfare*. London: Sage. 轉引至古允文、薛承泰、林建成、林昭禎，同註 287，頁 9。

²⁹⁰ Ramesh Mishra, (1999). *Globalization and the Welfare State*. Cheltenham: Edward Elgar. 轉引至古允文、薛承泰、林建成、林昭禎，同註 288，頁 11。

2. 組織層面的問題—包含國際性的政府與非政府組織、國際性的社會運動等，而這些國際組織與運動會與國內相對應的組織與運動相連結，也複雜化了決策的過程；
3. 民族國家的問題—立基在疆域上的主權概念已受到全球化的影響，資本主義世界體系的強制力正與日俱增，但全球民主的可能性仍遙遙無期。

對台灣而言，因其特殊的政經環境，在面對全球化的思微下，未來我國社福的發展可能受到以下影響²⁹¹，從法治面上有何應對方法：

一、政府財政困難，可能影響福利預算的成長：

國家給付行政是否處於一不安定的狀態，對於受利益之人民而言是否永處於一挨打的狀況而無其他的施力點，吾人認為應從給付行政的內容個案而定。先判斷是否得主張信賴利益，惟不符時視我國是否涉及人民憲法上最低限度生活保障，主張基本權的侵害之有無。然而，在需要個案認定下，不論是從行政成本效益或是司法上救濟所生的訴訴經濟，對於受到此給付行政之受益人可能會處於救濟上遙遙無期，故而，是否在相關法規上設立一固定的預算金額？仍是得加以考量之法²⁹²？

於罕見疾病患者之醫療保障給付上，除了大部分由全民健康保險制度給付外，亦有一部分由國家預算加以支付，於國家預算給付部分，應屬於給付行政範疇，當國家不為給付時，對於病患之生命、健康權可謂不小的影響，於此病患得否主張信賴利益？在積極要件上是否有信賴基礎、信賴表現、信賴是否值得保護？於消極要件上，國家所欲達到的公益是否大於人民主張之信賴利益？國家行為是否有顯然錯誤之基礎行為所造成？國家是否有預先保留廢止權？於個案中，判斷上開要件中，較有問題者，應該是信賴是否值得保護及公益間利益衡量？吾人認為，於個案中，病患之醫療所生之給付範圍，係信賴國家對人民之生存、健康之照護而生時，在利益衡量上，除非公益有亟大利益，否則，應為適當的退縮。

二、福利預算的緊縮加重排擠效應

福利預算的支出，在社會國理念下應較會產生一定程度的排擠，蓋人民要求國家的積極作為，各利益團體間、不同族群需求差異下，福利預算的支出勢必會產生厚此薄彼現象；又在全球化的影響，內國法之規定受到國際間組織或是規章之制約，政府的經費支出將會形成不同以往以內國為單一考量之情形，對於福利預算亦生排擠效應。

罕見疾病患者之醫療保障，在面對全球化可能造成的預算排擠效應下，是否

²⁹¹ 古允文、薛承泰、林建成、林昭禎，同註 288，頁 12-14。

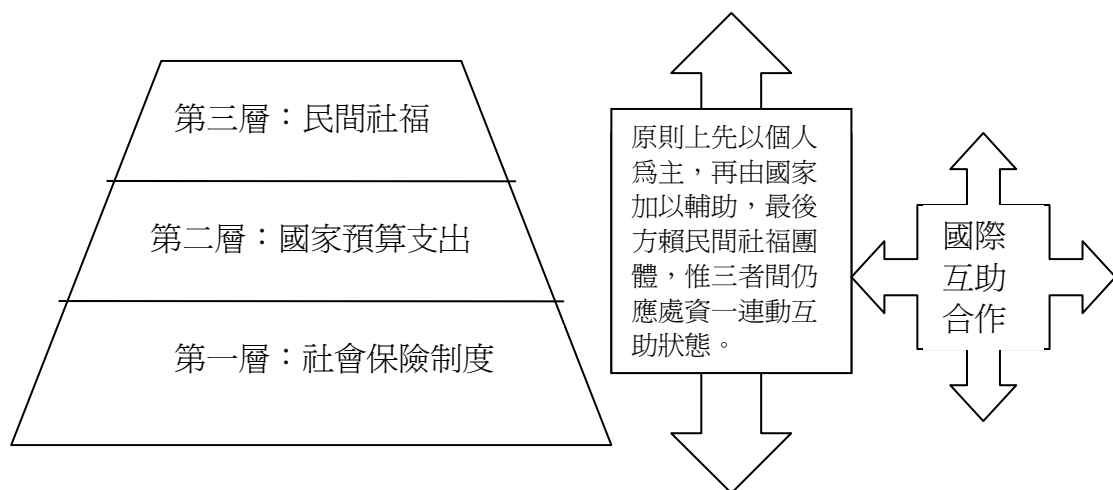
²⁹² 於憲法尚未修法前，關於教育上經費，設有一固定的比例規定，然於我國財政預算影響及彈性不足等因素下，便加以刪除此規定，涉及福利制度的預算經費是否宜類此規定？恐仍有待再斟酌。

必處於挨打狀態？從法規範面上，加以立法限定其最基本的保障範圍或是金額的支出，以維其醫療保障似乎為其可行之法，一來，明文立法可確定其預見性、法安定性，二來，亦可使得罕見疾病患者免於隨時會受到減縮醫療補助而生之惶恐中。

然而，全球化的經濟、政治、文化…影響使然，國家力量較已往更為式微，福利的提供將更依賴民間團體，但弔詭的是當民間社福團體面臨更大的挑戰，僅能仰賴申請政府的計畫性補助，在此循環下，有可能造成人民的權益受損，民間社福團體與國家間，關於社會福利之合作及關連，應為再加以檢討。

更甚者，於國家概念模糊化後，國與國的分際越模糊，福利的問題就越複雜。是以屬人主義為主或是屬地主義為主？他國的法律或是國際間互訂條約對於我國之影響層次、範圍？皆是因應全球化下需要納入思考的點，未來福利發展的主軸將不在於自由主義、保守主義和社會民主主義等典範的區分，而是在強調不同福利系統的垂直或是水平重整。²⁹³

涉及罕見疾病患者之醫療保障，吾人認為：宜採用類似世界銀行於老年退休經濟生活保障類似的形式加以整合，亦言之，以混合型的保障模型為主，不過度依賴任一保障方式，應加以整合各種形式的醫療保障資源。在具體作法上，吾人的基本構想如下圖所示。又有學者認為我國社會福利度未來的發展趨展：一、強調「權利與義務對等」之原則，規劃各類社會保險以保障國民之基本生活及健康。二、依循家庭自賴原則，為強化家庭照顧功能，也開始規劃家庭照顧者支持性服務方案。三、推動福利社區化，增加居家式服務和社區式服務的供給。四、結合民間力量，嘗試民營化²⁹⁴。



²⁹³ 古允文、薛承泰、林建成、林昭禎，同註 288，頁 9-12。

²⁹⁴ 同註 258，頁 199-203。

第三項 罕見疾病議題之國際化的視野

爲文於上開論述中認爲，罕見疾病議題不僅是一國醫療公衛政策，其牽涉之層面其實非常的廣。舉例來說：跨國藥物使用頻繁，不論是在智慧財產權保障之爭議，或是藥物安全性、未來研發上皆會產生一定程度的影響。

在涉及罕見疾病醫療保障上，有學者認爲罕見疾病研究無法有較大的突破之因，其中最主的問題所在是缺少科學家及國際性的政府間的合作。鑑於罕見疾病研究補助的有限性，研究者無法負擔在浪費時間或是金錢的加倍工作²⁹⁵。因此，宜整合協調國際間藥事相關法規協調合作²⁹⁶。

世界衛生組織(The World Health Organization, 簡稱 WHO)似乎樂於協調國際間合作，但現階段其仍主要將重心放於熱帶疾病(tropical diseases)上。國際組織驗需要有一共識的政策在研發罕見疾病上，此將會使得成本的浪費減少外，並且最大化人類的知識運及資金來源²⁹⁷。然而，關於罕見疾病之議題，倘僅由國家單方力量仍不足以支持，除了，建立國際間合作外，罕見疾病的研發仍有賴政府及企業團體的合作²⁹⁸。

²⁹⁵ Meyers, *supra* note 48, p101-104。

²⁹⁶ 如：歐盟於一九九八年簽署的 CADREAC(Collaboration Agreement between Drug Regulatory Authorities in European Union Associated Countries)，此目的在於建立一藥品安全、有效的國際標準。ICH(International Conference of Harmonization of Technical Requirements for the Registration of Pharmaceutical Products)的成立，也代表了國際藥品管理協調；又於智慧財產權上，PCT(Patent Contract Treaty)也加強了專利藥品的國際互議。

胡元佳、宋霖、邵蓉、王一濤，國內外藥事法規概況及其發展趨勢，社會藥學第七卷第十一期，2004 年，頁 891。

²⁹⁷ Meyers, *supra* note 48, p101-104

²⁹⁸ Arrigo Schieppati, Jan-Inge Henter, Erica Daina, Anita Aperia, *Why are rare diseases are an important medical and social issue?*, www.thelancet.com Vol.371, June 14,2008, p2039-2041

第六章 結論

經過前述各章中，對於罕見疾病患者之醫療保障，藉由美國之立法例及我國現行法規範之論述與研析後，罕見疾病患者之醫療保障上仍有些許待改善之處。罕見疾病患者之醫療保障是否有過度優惠？我國醫療體制上乃以全民健康保險制度為主，以維護全體國民的健康權上保護，於醫療資源的有限性下，在有限的資料分配，發揮醫療效能的最大化，可謂其最大的目的，然而，在此資源有限的命題下，罕見疾病患者之醫療公平性其實是有疑問的，對其醫療保障上，倘僅單純的依靠全民健康保險之機制，吾人認為是不足的！

醫療保障網絡如何健立？在為文前述中，從法規面上，就現行法中相關爭議及缺失，淺見提出了一些許的評論，然而，如何加以強化此醫療保障網，並健立一可長久的穩健制度，才是治本之法。本文以罕見疾病患者之相關法規範著手，以醫療保障為命題之核心，從憲法健康權角度，兼論平等原則，再就罕見疾病相關法規範逐一討論，輔以美國立法例經驗中，提出對於我現行法制之批漏，並提出未來發展方向之檢討與建議，作為相關立法上參酌建議。

一、社會正義及平等原則在醫療保障制度上適用

落實社會權的保障而設計的社會政策與社會福利制度，在將權利的保障予以規範時，則必須有符合正當性與合理性的理論基礎與衡量標準，這個理論基礎便是「社會正義」。但是社會正義的範圍與定義也因著不同的觀點與角度而有所不同，但是由於社會正義著重於社會資源的分配，故也有人稱做「分配正義」(distributive justice)。因此大體而言，當代中西學政治哲學家對社會正義理論的探討，係以分配正義為核心，並建構法律正義為普遍性原則。

社會資源分配的依據大同小異。基本上社會正義在社會福利的實施原則以需求、權利、功績、應得與平等作為公平分配的基準，具有高度的同質性與共識，不論是學者的研究結果，或是社會福利研究領域與政策的制定過程，這幾項共同認定的標準，都是涵蓋個人權利與社會平等層次的探討，特別是需求、平等、權利是進一步分析資源公平分配的基本核心概念。

然而由於現實社會中存在的先天或後天不一致，因此在權利的背後，則必須有社會正義的原則來使社會中權利能盡量達到某種程度的一致，或說是讓社會中最弱勢的族群也得以享有最大的利益。

「全民健保」，其核心之本質實為一套財務機制，藉由這套財務機制，使一社會中原無力就醫者得以就醫。因之，全民健保之真正對象，不在於經濟收入佳、健康情況良好，應付全民健保的所謂財務危機，宜擴大民眾參與、強化協商機制，主管當局尤須發揮領導作為，在結構化的架構之下，使包括政府、健保局、醫界、雇主、大眾在內的健保利害關係人均能在公平的原則之下，承擔一定之健保財務責任。

但是，吾人認為從社會正義及公平分配上，對於罕見疾病患者之醫療保障之正當性倘無疑慮，然而，若考量到全民健保其他被保險人及罕見疾病患者間之保

障支出來看，罕見疾病患者不僅在獲得給付上較一般被保險人多出了許多外，且其醫療費用支出金額，是否有可能使得其他被保險人共同仰賴之制度造成崩潰？又在醫療資源的分配正義上，是否有違平等原則？關於，前者，吾人認為，在無實際數據，縱罕見疾病患者之醫療費用昂貴，但其人口稀少下，其支出總數上，不見得會較如一般慢性疾病，如心血管疾病高，蓋其生命多較一般慢性疾病短，且人數少下，是否對於健保制度產生極大的衝擊，仍有待考究；而針對後者，醫療資源分配正義上，吾人認為全民健康保險為一社會保險，其與私人醫療保險相較並不具有對價性，又關於健保給付項目上，本已經專責機關加以精算後，方得出是否為給付範圍，且罕見疾病患者之醫療費用支出上，係採用專款方式，非和一般疾病同納入總額計算，故而，在醫療分配正義上，似已較有穩定的立基點。

二、我現行法之缺憾及微調

雖賦予醫事人員之通報義務，惟吾人認為無通報期間的限制，其實質性及時效性上是否有其實益存在，誠屬可疑。再者，通報制度之建立，吾人認為不僅可使得病患獲得適當之醫療外，對於研究發展及預防，亦產生一指標性方向，通報制度不僅能促進相關疾病的研究發展及治療外，更甚者，能加以歸納分析，某些特殊疾病之帶病因子的成因，有助於預防疾病發生。

又當中央主管機關接獲上開報告或發現具有罕見遺傳疾病缺陷者，經病人或其法定代理人同意，得派遣專業人員訪視，告知相關疾病之影響，並提供護理諮詢²⁹⁹。此規定係為顧及病患個人之隱私權而為之規定，尚屬合宜之立法，惟吾人認為在生命權保障的絕對性上，是否法定代理人不同意下，均無法為之？倘病患之法定代理人無正當理由不為同意時，對於病患之生命權影響可謂不小，故而，吾人認為應以先派遣專業人員訪視，告知相關疾病之影響，由病人或其法定代理人同意，是否需要後續的協助或提供護理諮詢後，本條文宜修正為「當中央主管機關接獲上開報告或發現具有罕見遺傳疾病缺陷者，應派遣專業人員訪視，告知相關疾病之影響，經病人或其法定代理人同意，並提供護理諮詢」。

吾人認為，首先，身心障礙者保護法在適用上，較不似舊法一般，有一可供參酌的標準，賦予主管機關訂定保險費輔助辦法時，母法中，僅規定「政府機關應依其家庭經濟條件...」，而子法即主管機關訂定之輔助辦法中，是否得將障礙情況納入加以參酌立法，或是全部依障礙情況為衡量標準，是否有違母法之嫌？再者，舊法中，有全額免繳保險費之可能，而新法之規定，倘主管機關之補助辦法，使得適用舊法得全免額保險費者，在新法規定下，反而，需要繳納保險費，且新法無過渡條款下，在適用信賴保護原則下，是否會產生爭議，尚需待實務觀察得知。故而，吾人認為，新法之規定上，並無創新，且有生更多爭議可能，充其量僅是主管機關的裁量空間擴大而已。

又觀諸身心障礙者保護法關於罕見疾病患者之醫療保障部分，吾人認為在實質意義上恐不大，蓋身心障礙者保護法中，關於醫療復健一節中之相關規定，於罕見疾病防治及藥物法中多已有規定，此二法在適用之體例上，罕見疾病防治及

²⁹⁹ 參罕見疾病防治及藥物法第八條。

藥物法係專為罕見疾病患者所為特別立法，當然是當然是優先加以適用，並無疑，惟在罕見疾病防治及藥物法無規定時，身心障礙者保護法是否當然得加以適用？其是否為「特別法優於普通法」中之「普通法」？亦言之，我國關於社會法中法規範中，在各個法中其適用的體例、順序為何？

再者，身心障礙者保護法中，對於罕見疾病患者而言，吾人認為將其納入此法規之保障主體之最大實質意義，在於身心障礙手冊及此法中關於教育、就業、福利服務中，反到是此法中關於醫療復健對於罕見疾病患者之保障實質上並不顯著，一來，在罕見疾病防治及藥物法中，已有相關規定，二來，罕見疾病患者在醫療使用上的特殊性，諸如，藥物之取得、輔助器具及營養食品之使用，不論在使用上的稀少性、不易取得性、獲取門檻高下，身心障礙者保護法中涉及醫療復健一節，可以說是「英雄無用武之地」。

故，吾人認為身心障礙者保護法中涉及罕見疾病患者之醫療保障部分中，除了身心障礙手冊之獲取使用外，可謂實效上並不彰顯，惟在教育、就業、福利保障上反而有較大的實質成效。

三、其他建議

罕見疾病患者之醫療保障一環，於我國現行法規或是醫療體制上已經建立了相當完善保護網，但是，在基因檢測、行政機關審查之監督、長期照護、國際間法規整合或是中央及地方垂直水平的社會(醫療)福利有效的結合，亦是需要加以改善。吾人提出幾點建議，僅供參考：

1、基因檢測

罕見疾病患者特殊性使然，基因療法對於其而言，可說是唯一希望，因此，在其審查批准上，倘已符合相關的行為流程且經罕見疾病患者之同意後，應得實施，又所生之傷害，醫療研究人員若已行合理的安全措施，醫療研究人員應可免責；但於試驗時，除非是已確定無相當療效外，仍應加以持續，否則對於受試驗之病患健康應生傷害。

然而，醫療給付補助是否及於此部分治療前期的人體試驗或是基因檢測？多係由罕見疾病及藥物審議委員會審議決定，其審議決定攸關罕見疾病患者之生存權重大，其審查過程及審議所依循標準³⁰⁰？及判斷有誤時，而致罕見疾病患者遭受損害時，有無事後的救濟或是責任歸屬為何？按筆者向行政衛生署署長信箱所得之洽詢，其回覆罕見疾病及藥物審議委員會審議內容採形式審查為主，然而，此作法將會使得需要依照實質內容判斷是否給予補助之病患產生保障不足之現象，又此委員會運作之過程並無其「行為法」監督之，當人民權益產生侵害時，如何救濟之？採行政程序法之一般救濟途徑，循訴願、行政訴訟在時效上是否無法救急？在社會法領域上是否宜建立其獨有的救濟機制，是需要考慮的。

³⁰⁰ 究竟依醫事審議委員會專業委員會的立場判斷？或是病患立場？病患的主治醫生？

2、長期照護

長期照護是對具有長期生活功能障礙或生病無法自我照顧的人，能提供一段持續性的協助，幫助他們改善或恢復正常生活，包含：日常生活活動的照顧：例如準備食物、清潔、交通接送、購物、洗澡、漱洗、更衣、上廁所、移動、餵食等。環境改善方案：環境評估、裝修、輔具設備提供等，讓功能障礙者更容易增進活動能力。環境改善方案：環境評估、裝修、輔具設備提供等，讓功能障礙者更容易增進活動能力。

基於民眾對於長期照護需求日益增加，而國內長期照護服務呈現多元發展，各機構服務名稱不一致使得民眾辨識不易，加上社會資源與照護機構等等彼此間缺乏連結，導致長期照護之家庭照顧者負荷沈重（無論是經濟、體力、情緒或顧能力等），故而，便有長期照顧管理中心之設立，其目的在於對長期照護相關人、事、物之資源整合管理，提供民眾『單一窗口』服務，確保個案能得到適的期照護服務。**1.單一窗口、多元服務。2.跨越衛政與社政的隔閡。 3.結合政府與民間的資源。**

目前我國長期照護的相關服務其實相當多元，機構及服務的類別已於上節介紹過。相關照顧資訊收集，資訊的取得可以透過專業人員（如醫院的醫師、護士、出院準備護士、居家服務單位、社會工作人員等等）、政府行政單位（如社會局、衛生局）、相關民間團體等。或是可以請教有類似經驗的親友，有關的照顧技巧與經驗。

然而，對於礙於我國長期照護法制上之缺口，使得相關之權利義務，諸如：機構之合法性、專業人員之培訓及資格認定、政府之補助及給付、受照護者權益遭到侵害時救濟等，可說是處於一三不管地帶，尙未有明文之規定。此外，我國關於長期照護在學理上之探討多以老人生活為主，然對於其他需要受到長期照護之主體則無太多的討論，其中，罕見疾病患者其多屬無法完全有效治癒患者，長期照護對其重要性不下於老人生活，故而，吾人認為將罕見疾病患者之長期照護加以法制化有其必要性。

又於身心障礙者權益保護法(即舊法：身心障礙者保護法)中，於第五十、五十一、七十一條等³⁰¹，均是對於身心障礙者相關類似長期照護之立法，然而，

³⁰¹ 身心障礙者權益保障法：

第五十條：直轄市、縣（市）主管機關應依需求評估結果辦理下列服務，以協助身心障礙者獲得所需之個人照顧：一、居家照顧。二、生活重建。三、心理重建。四、社區居住。五、婚姻及生育輔導。六、日間及住宿式照顧。七、課後照顧。八、其他有關身心障礙者個人照顧之服務。

第五十一條：

直轄市、縣（市）主管機關應依需求評估結果辦理下列服務，以提高家庭照顧身心障礙者之能力：

一、臨時及短期照顧。

二、照顧者支持。

三、家庭托顧。

四、照顧者訓練及研習。

五、其他有助於提昇家庭照顧者能力及其生活品質之服務。

前條及前項之服務措施，中央主管機關及中央各目的事業主管機關於必要時，應就其內容、實施方式、服務人員之資格、訓練及管理規範等事項，

令人不解在於似乎實際成效上不大，吾人認為其身心障礙者權益保障法之實施成效不彰之因，在於：一來，主管機關分立，權責不明，蓋此法中有許多係交由地方辦理，然於我國地方上財政收支不均，地方資源不足，且劃分之職責不明，明確性不足或有重疊模糊空間，二來，雖法條文字多採用「應」，看似屬強行規定，實際上無相對的監督機制，縱不為仍無所謂，在上開二者，無法為及不為下，身心障礙者權益保障法的地位，確實彷彿有花園中搖曳生姿散步的美麗孔雀。故而，若要將罕見疾病患者長期照護一事，立法明文，吾人認為其方法如下：

一、簡便版：

直接由身心障礙者權益保障法下手，亦言之，針對吾人認為上述缺失，加以增設監督機制，然有一瓶頸在於如何權衡中央及地方自治間之責任和分權？而且，亦會有資源不均問題，使得罕見疾病患者產生地區性的不平現象出現，故而，吾人並不傾向此方式。

二、整合罕見疾病防治及藥物法：

吾人認為，便是將罕見疾病患者之相關權益均整合規定成一部法典，一來，較有聚焦之效，二來，適用上較為簡便，再者，現行罕見疾病防治及藥物法目前實行成效已有一定的成果存在，在推行上較不會產生阻力，惟吾人不諱言，此作法將會與本法之立法之目的相違。

三、長期照護保險法：

目前有學者已大力推行所謂的長期照護保險法，惟對於罕見疾病患者而言，

訂定辦法管理之。

第七十條：

身心障礙者經濟安全保障，採生活補助、日間照顧及住宿式照顧補助、照顧者津貼、年金保險等方式，逐步規劃實施。

前項年金保險之實施，依相關社會保險法律規定辦理。

第七十一條：

直轄市、縣（市）主管機關對轄區內之身心障礙者，應依需求評估結果，提供下列經費補助，並不得有設籍時間之限制：

- 一、生活補助費。
- 二、日間照顧及住宿式照顧費用補助。
- 三、醫療費用補助。
- 四、居家照顧費用補助。
- 五、輔具費用補助。
- 六、房屋租金及購屋貸款利息補貼。
- 七、購買停車位貸款利息補貼或承租停車位補助。
- 八、其他必要之費用補助。

前項經費申請資格、條件、程序、補助金額及其他相關事項之辦法，除本法及其他法規另有規定外，由中央主管機關及中央目的事業主管機關分別定之。

直轄市、縣（市）主管機關為辦理第一項第一款、第二款、第六款、第七款業務，應於會計年度終了前，主動將已核定補助案件相關資料，併同有關機關提供之資料重新審核。但直轄市、縣（市）主管機關於申領人申領資格變更或審核認有必要時，得請申領人提供相關證明文件。

不符合請領資格而領取補助者，由直轄市、縣（市）主管機關以書面命本人自事實發生之日起六十日內繳還；屆期未繳還者，依法移送行政執行。

是否採用社會保險機制得加以有效控管？且已如上開章節中所陳，罕見疾病患者之長期照護不單純是個人問題，而是整個家庭結構議題，倘採用社會保險機制加以處理，無法否認可能要注意是否會產生全民健康保險法中財力不足之人，無法繳交保費的情況出現。

3、國際間法規整合或是中央及地方垂直水平的社會(醫療)福利有效的結合

國際間法規整合研究乃一非常龐大的工程，或須僅得由國際間醫療組織成員(如：世界衛生組織等)加以協調合作，但在涉及國際法下，坦白說，其困難度非常的大。又中央及地方社會(醫療)福利整合，中央不應存在老大哥的想法，應尊重地方自治，以從旁輔助方式加以監督提供不足之資源，並需注重各地方間均衡發展。

參考資料：

中文文獻：

- Susan Sontag, “Illness as metaphor AIDS and its metaphors”(疾病的隱喻),刁曉華 譯,大田出版有限公司,2000,初版。
- 林坤志,企業員工長期照護需求調查之研究-以台電公司為例,國立中正大學社會福利研究所碩士論文,2004年2月。
- 王永慈,建構2010年社會福利發展理念,2010年社會發展策略社會福利研究報告,行政院研究發展考核委員會,2003年1月。
- 王湧泉,徘徊在中央集權化與地方分權化的台灣社會福利體制,高雄應用科技大學學報第三十三期,2004年。
- 王慧綾,罕見疾病防治及藥物法立法過程,曾敏傑、陳莉茵主編,2002年12月。
- 古允文,薛承泰,林建成,林昭禎,全球化下的台灣社會與福利政策:兼論加入WTO的衝擊論文發表於『加入WTO之後政府部門應有因應策略研討會』,行政院研考會委託,台灣綜合研究院主辦,民國90年12月20日。
- 石元康,當代自由主義理論,聯經,1995年。轉引至郭文正,2000年,「由生存權保障論我國年金保障制度之建構」,國立政治大學社會學系研究所碩士論文。
- 行政院衛生署九十年度科技研究發展計畫,各國罕見疾病通報、轉介與照顧體系之比較研究及罕見疾病病例對照研究,計畫主持人:宋鴻樟;協同主持人:曾敏傑、胡務亮,研究人員:蘇鈺琦。
- 何建志,防治罕見疾病的相關法律問題,罕見疾病社會立法紀念專輯,曾敏傑、陳莉茵主編,2002年12月。
- 吳嘉苓,台灣病患權益運動初探,台灣的社會福利運動,蕭新煌、林國明主編,巨流圖書有限公司,2001年8月。
- 我國長期照顧法令制度規劃研究,受委託者:中華民國長期照護專業協會,研究主持人:吳肖琪,協同主持人:周世珍,研究助理:陳麗華、沈文君,我國長期照顧制度規劃研究委辦案第四標,內政部委託規劃報告,2006年3月。
- 李佩芳,我國實施長期照護保險之總體財務支出規模推估,國立中正大學社會福利研究所碩士論文,2003年8月。
- 李建良,基本權利理論體系之構成及其思考層次,人文及社會科學集刊第七卷第一期,1997年3月。
- 李惠宗,憲法要義,元照出版,2004年10月出版第2刷。
- 李震山,多元、寬容與人權保障-以憲法未列舉權之保障為中心,元照出版,2007年9月。
- 李震山,論憲法未列舉之自由權利之保障-司法院大法官相關解釋之評析,

- 憲法解釋之理論與實務，第三輯，中央研究院，2002年9月初版。
- 李震山，憲法意義下之「家庭權」，中正法學集刊第十六期，頁97；亦可見於氏著，多元、寬容與人權保障-以憲法未列舉權之保障為中心，元照出版，2007年9月。
 - 林志鴻，罕見疾病制度性風險保障機制之形成與展望，罕見疾病社會立法紀念專輯，曾敏傑、陳莉茵主編，2002年12月。
 - 林明昕，「健康權-以國家之保護義務為中心」，法學講座32期，2005年3月。
 - 林明昕，原住民地位之保障作為「基本權」或「基本國策」？，憲政時代，第29卷第3期，2004年1月。
 - 林明鏘，論基本國策，現代國家與憲法，1997年。
 - 林芸芸，健康指標之探討，公共衛生第9卷第3期，1982年。
 - 胡元佳、宋霖、邵蓉、王一濤，國內外藥事法規概況及其發展趨勢，社會藥學第七卷第十一期，2004年。
 - 范麗娟，基因與遺傳諮詢-重視罕見疾病患者的特殊需求，發表於「醫弱勢與社會工作學術研討會」，2004年5月28日。
 - 郝鳳鳴，全民健保政府財政責任分配之探討，國立中正大學法學集刊，16期，頁1-41。
 - 郝鳳鳴，簡論全民健保監理制度民主化，國立中正大學法學集刊，10期。
 - 郝鳳鳴，我國社會法之現況與展望，輔仁法學第15期，1996年6月。
 - 配合我國社會福利制度之長期照護政策研究，研究主持人：吳淑瓊、協同主持人：呂寶靜盧瑞芬、研究員：徐慧娟、研究助理：簡加奇，行政院研究發展考核委員會編印，1998年5月。
 - 國民健康局九十二年度科技研究發展計畫，罕見疾病防治與藥物法施行成效之評估與改進研究，計畫主持人：曾敏傑，研究人員：楊家裕。
 - 張原風、張淑卿，罕見疾病患者立法保護之研析，社會福利政策及立法，立法院法制局編印，2002年6月15日。
 - 張笠雲，醫療與社會醫療社會學的探索，巨流圖書公司，1998年3月。
 - 許慶雄，社會權論，眾文圖書公司，1992年5月。
 - 許慶雄，憲法入門，月旦出版，1993年。
 - 陳秀容，社群的互動與人權：關於社群權利的一種思考，政治社群，陳秀容、江宜樺主編，中研院中山人文社會科學研究所專書，1995年11月。
 - 陳秀容，近代人權觀念的轉變：一個社會生態觀點的分析，人文及社會科學刊九卷二期，中央研究院中山人文社會科學研究所，1997年。
 - 郭明政，社會安全制度與社會法，翰蘆圖書出版有限公司，1997年11月。
 - 陳亭華，同註46，頁91。九十四年高雄市罕見疾病患者的家庭壓力源與因應之研究，高雄市政府社會局研究報告。
 - 陳亭華，醫療資源分配倫理之探討-罕見疾病者家庭之困境與權利，國立中正大學社會福利研究所碩士論文，2002年2月5日。

- 陳慈陽，基本權核心理論之實證化及其難題，1997 年 6 月。
- 陳新民，中華民國憲法釋論，2002 年 10 月四版第三刷。
- 陳新民，論社會基本權利，憲法基本權利之基本理論(上)，元照五版，1996 年 6 月。
- 吳全峰、黃文鴻，「論醫療人權之發展與權利體系」，月旦法學雜誌 148 期，2007 年 9 月。
- 鄧衍森，從國際人權法論健康權之法理基礎與實踐方式，東吳大學法律學報第 11 卷第 1 期，1998 年 1 月。
- 陳聰富，醫師的行政管制(下)，月旦法學教室第六十七期，2008 年 5 月。
- 曾妙慧，社會安全與社會保險，華泰文化事業公司，2002 年 12 月。
- 曾敏傑、陳莉茵主編，罕見疾病社會立法紀念存輯，2002 年 12 月，江綺雯委員提案說明部分，。
- 黃昭元，車速限制與行為自主權，月旦法學教室第 5 期，2003 年 3 月。
- 溫信學，從社會正義觀點探討外籍與大陸配偶健康權之保障，社會科學學報 13 期，1995 年，。
- 葉秀珍，罕見疾病防治及藥物法的未來發展-社會福利的觀點，罕見疾病社會立法紀念專輯，曾敏傑、陳莉茵主編，2002 年 12 月。
- 葉秀珍、曾敏傑、林志鴻，各國罕見疾病相關法案之比較研究，2002 年。
- 鄭文輝、鄭清霞、林志鴻、陳正芬、吳淑瓊，我國長期照護費用之推估及其相關因素之影響分析-2001-2046，收錄於 2004 長期護財務制度規劃，國家生研究院論壇，2004 年 8 月。
- 鄭師安，歐美及我國促進孤兒藥研發相關法規之簡介，科技法透析，2005 年 2 月。
- 羅一中，華人母親的人際義務-以罕見疾病兒童的家庭為例，國立中正大學心理研究所碩士論文，2003 年 7 月。

外文文獻：

- Ackiron, Evan, *The Human Genome Initiative and the Impact of Genetic Testing and Screening Technologies: Note and Comment : Patents for Critical Pharmaceuticals: the AZT Case.*, American Journal of Law & Medicine (17 AM. J. L. and Med. 145)
- Arno, Peter S. , Bonuck, Karen , Davis, Michael , *Rare Diseases, Drug Development , and AIDS: The Impact of the Orphan Drug Act* , Montefiore Medical Center / Albert College of Medicine, Bronx, New York; /Cleveland State University
- DiMasi, Joseph A. , Hansen, Ronald W. , Grabowski, Henry G. , *The price of innovation : new estimates of drug development cost.* , Journal of Health economics 22 , 2003

- Haffner, Marlene E. , *Orphan Drugs: The United States Experience* , Drug Information Journal, Vol, 33, 1999
- Haffner, Marlene E. , *U.S. Legislative Policy Regarding the Development and Regulation of Treatment Products for Rare disorders* , 載於九十年十二月三日於台北舉辦罕見疾病及孤兒藥國際學術研討會
- Helfer, Laurence R. , *International rights Approaches to Intellectual Property: Toward a Human Rights Framework For Intellectual Property* , The Regents of the University of California U.C. Davis Law Reviews(40 U.C. Davis L. Rev. 971) , March,2007 , at 973
- Hghes, D.A , Tunnage, B. , Yeo, S.T. , *Drugs for Exceptionally Rare Diseases: do They Deserve Special Status for Funding?* , Advance Access publication 3 October 2005
- Holovac, Mary Ann , *A balancing act in the United States Drug Industry : pioneer and generic drugs, the Orange Book, marketing protection and the US consumer* , World Patent Information 26(2004)
- Lunn, Mitchell R., Stockwell, Brent R. , *Chemical Genetics and Orphan Genetic Diseases* , Chemistry & Biology, Vol. 12,October 2005
- Mae, Thamer , Brennan, Nial , Semansky, Rafael , *A Cross-national Comparison of Orphan Drug Policies: Implications for the U.S. Orphan Drug Act.* , Journal of Health Politics, Policy and Law, volume 23.
- Meyers, Abbey S. , *Orphan Drugs: The Current Situation in the United States, Europe, and Asia* , Drug Information Journal, Vol, 31, 1997
- Morgan, Sarah L. , Baggott, Joseph E., *Medical Foods: Products for the Management of Chronic Diseases* , Nutrition Reviews,Vol. 64,No11
- Mueller, Charles , *The regulatory status of medical foods and dietary supplements in the United States.* , Nutrition Vol.15 , NO.3 , 1999
- Rawls, John , *A Theory of Justice* , Cambridge, Mass. :Belknap Press of Harvard Univeristy Press,1972
- Reichert, Janice M. , *Clinical development of therapeutic medicines : a biopharmaceutical versus pharmaceutical product comparison.* , Drug Information Journal , Vol.35 , 2001
- Rohde, David Duffield , *The Orphan Drug Act: An Engine of Innovation? At What Cost?* , The Food and Drug Institute, Food and Drug Law Journal, 55 Food Drug L.J.125, 2000
- Rothstein, Mark A. , Epps, Phyllis Griffin , *Ethical and legal implications of*

- pharmacogenomics* , Macmillan Magazines Ltd , volume 2, 2001, march
- Scharf, Susan F. , *Orphan Drugs: The Question of Products Liability*, Boston University School of Law. American Journal of Law & Medicine. 1985 10Am. J. L. and Med.491.
 - Schieppati, Arrigo , Henter, Jan-Inge , Daina, Erica , Aperia, Anita , *Why are rare diseases are an important medical and social issue?* , www.thelancet.com Vol.371, June 14,2008
 - Scott, Drusilla L. , Alder, Susan , Usui, Etsuko, Lui, Karolyn , *Orphan Drug program/Policies in Australia, Japan, and Canada* , Drug Information Journal,Vol.35, 2002
 - Towse', Adrian , Kettler, Hannah · *Advance price or purchase commitments to create markets for treatments for diseases of poverty: lessons from three polices.* , Bulletin of the World Health Organization , April 2005, 83(4)
 - Young, Donna ,*Proposal ties financial incentives to development of drugs for neglected diseases*, Am J Health-Syst Pharm, Vol 63 Apr. 15, 2006

其他：

網路資料：最後瀏覽日：2009/1/3

- 中央健康保險局 <http://www.nhi.gov.tw>
- 行政院衛生署國民健康局 <http://www.bhp.doh.gov.tw/>
- 罕見疾病個案特殊營養品暨罕見疾病藥物流中心 <http://www.rfdlmc.tw>
- 罕見疾病基金會 <http://www.tfrd.org.tw/>
- 法源法律網 <http://db.lawbank.com.tw/FLAW>
- 中天電視網：<http://www.ctitv.com.tw/new>
- 世界新聞網 <http://www.worldjournal.com>
- 自由時報電子報 <http://www.libertytimes.com.tw>
- 東森新聞報 <http://www.ettoday.com/>
- 雅虎新聞網：<http://tw.news.yahoo.com>
- U.S Medicare 網站：
<http://www.medicare.gov/MedicareEligibility/Home.asp?dest=NAV|Home|GeneralEnrollment#TabTop>
- U.S Food and Drug Adminstration 網站
<http://www.fda.gov/orphan/grants/info.htm>
- <http://www.cfsan.fda.gov/~lrd/fr961129.html>
- http://en.wikipedia.org/wiki/Amyotrophic_lateral_sclerosis
- <http://www.cms.hhs.gov/home/medicaid.asp>
- http://www.house.gov/waxman/issues/health/orphan_drugs.htm
- http://www.hf123.com/health%20human%20right-implement_to_become

a world brand.htm

新聞報紙：

- 中國時報，余政道， 2000 年 2 月 16 日，第十五版時論廣場，「罕見疾病患者 又被忘了是否他們人數太少、選票太少 才排除在健保德政外」
- 民生報，20040721，罕病醫療費 健保特別預算支應保障罕病患權益健保局拍胸脯，記者詹建富／報導，a15 醫藥新聞
- 民生報，20051104，A15 醫藥新聞，家有罕病患 重擔難扛 安養補助 望各界伸援，記者張雅雯／報導
- 民生報，2006 年 1 月 17 日，A11 版醫藥新聞，「新制開跑 重症病患恐成人球」記者薛桂文／專題報導，資料來源：
http://www.irpma.org.tw/chinese/cgi/03_leaing_02_01_file.php?fild=327
- 聯合晚報，20050412，記者韋麗文/台北報導，04 話題新聞
- 聯合報(地方版)，20040817，b02_19 高雄縣新聞