

國立交通大學

科技法律研究所

碩士論文

論罕見疾病藥物健保給付之現狀及改革
方案

The Reality and Recommendations for
The Reimbursement Policy of Rare Diseases in the
National Health Insurance Program

研究生： 宋純儀

指導教授：陳鈺雄 副教授

中華民國一〇六年八月

論罕見疾病藥物健保給付之現狀及改革方案

The Reality and Recommendations for The Reimbursement Policy of Rare Diseases in the National Health Insurance Program

研 究 生：宋純儀 Student: Chun-Yi, Sung

指導教授：陳鈺雄 Advisor: Chih- Hsiung, Chen

國立交通大學
科技法律研究所
碩士論文

A Thesis

Submitted to Institute of Technology Law
School of Law
National Chiao Tung University in partial Fulfillment of the
Requirements
for the Degree of
Master in
Technology Law

August 2017
Hsinchu, Taiwan, Republic of China

中 華 民 國 一 〇 六 年 八 月

論罕見疾病藥物健保給付之現狀及改革方案

學生：宋純儀

指導教授：陳鈺雄 副教授

國立交通大學科技法律研究所碩士班

摘要

藥物是否得以認列為罕見疾病用藥、以及健保是否給付等，多取決於以科學醫療效益作為評估指標的專家審查會議，而罕病常遇到參與小型試驗人數太少、數據不完整以及療效不明確、罕病多是慢性的退化過程等困難，如未重視不同疾病族群與資源需求導致之差異而僅以單一事前審查判斷，便有可能對健康人權形成侵害。本文欲從國際上規定、英國及印度法院判決、我國司法院大法官解釋及學者意見觀察之，論述罕病患者請求健保給付為健康權所保障。

其次，藥價保險支付是個複雜的政治問題，涉及一連串醫療科技、科學證據、成本和其他因素。缺乏單一及被普遍接受的健康收益閾值（health gain threshold）是我國當前評估健康介入以及衛生資源分配的一大障礙。期待我國健保支付制度改革，結合成本效益分析訂出明確閾值，也就是逐漸形成共識得到一個人年或一個健康人年(QALY)約要花費多少錢是能被全民健保制度接受的，日本學者對於高價新藥給付條件的不同觀點可供台灣學習，以兼顧健保資源有限及罕病藥物給付之權利保障。

而我國二代健保規劃理念之一即為擴大社會多元化參與健保政策，如何使全民健保的政策制定更符合民主的原則，成為各界關注的問題，本文將一併介紹我國二代健保修法前後及英國 NICE、加拿大 CADTH 有關病人參與之制度，望能提昇病人及病友團體的實質參與，能透過參與決策過程，讓病人行使其最基本權利，實踐人道主義精神。

本文亦透過質性研究方法，實際深度訪談相關機構人員之內容列出我國罕見疾病藥物健保給付之現況及修改建議，望能將學術理論及實務結合，研究出更符合我國實務層面的修改建議。

The Reality and Recommendations for The Reimbursement Policy of Rare Diseases in the National Health Insurance Program

Student: Chun-Yi, Sung

Advisor: Dr. Chih-Hsiung, Chen

Institute of Technology Law
National Chiao Tung University

ABSTRACT

Whether drugs are recognized as a rare disease medication, and whether health insurances reimburses the drugs, often depend on the mechanisms of scientific and medical expert review meetings. The policymaking for rare diseases is often based on insufficient evidence such as small number of small trials, incomplete data, unclear efficacy, and chronic degeneration process, etc. If we do not pay attention to the minority of disease groups and only make judgments by single factors, the decisions might violate the human rights of the minor disease groups. This article intends to protect the right to health insurance from the collection of relevant international laws, the British and Indian court judgments, the interpretation of the Judge of the Court of Justice, and the opinions of the scholars.

Medicinal insurance reimbursement is a complex political issue involving a range of medical technology, scientific evidence, costs and other factors. The lack of a single and universally accepted health gain threshold is a major obstacle to the current assessment and the allocation of health resources. We hope the Taiwan's health insurance system will change to set a clear threshold based on a cost-benefit analysis approach, that is, the decision-makers will gradually achieve a consensus on the acceptable range for the yearly expense by a person or a healthy person (QALY). The views of new drugs reimbursement policy from some Japanese scholars are referential for Taiwan to make a better healthcare system which can balance the use of limited public health resources and the sufficient access to drugs for rare disease patients.

One of the main ideas of the second-generation NHI is to expand the social diversity participation policy into the NHI. How to make the policies of NHI more in line with the principles of democracy is the primary concern. This research will analyze the impact of before-and-after implementation of health insurance policies in United Kingdom's NICE, Canada's CADTH, especially in the aspects that involving patient's participation. In hope that it can improve patients and patient's relatives' experience by substantially involving them in the decision-making process, as such, patients can exercise the most of their basic human rights.

This research also adopts a qualitative research method through intensive interviews with relevant institutions and staffs to understand the current situations in reimbursing rare disease drugs, and proposes suitable reformative recommendations. We hope that by combining academic theory and practice, the outcome of this research will provide significant contribution into our country's healthcare system policy.



誌謝

總算走到了這步，能夠完成這篇跨領域的論文，始料未及。過程中一度要換題目，但感謝自己的堅持，回首看來，莫名的感動。

謝謝指導教授陳鈺雄老師的支持及指導，即使這個題目及領域對老師來說並不是那麼熟悉，但老師仍然盡力相助，給予許多意見，謝謝老師耐心的陪伴。謝謝口試委員張兆恬老師和張啟仁老師的撥冗指教，尤其是張啟仁老師，能夠認識您是我的福氣！感謝您在論文背景、甚至後續工作上的指點及推荐。

謝謝罕見疾病基金會的獎學金授與認可，及基金會洪組長的協助，原來這個社會有這麼為罕見疾病不辭辛勞奔走的一群人，令人動容。謝謝交大科法所給予過協助的教授、所辦助理、同學們，能夠在交大科法所，覺得很榮幸。

謝謝家人們無怨無悔的包容與愛，即便研究所從來不是家人的期許，過程及結果也不如您們的預期，懺悔我的自私，也沒有達成您們的期待。非常感謝我的父母，仍然接納女兒的任性及規畫，讓我能夠存有這份堅持，走自己的路。

最後，感恩我生命的導師-大成就明師 妙禪師父，能夠來到交大、完成論文、走出交大，一路上沒有您的引領，無法達成！是您保護著我、教導生命的真實義，及人生所為何來。研究所生涯，因為有了明確的方向，在是非對錯、好好壞壞裡，不致迷茫，一步一步能秉持最究竟的信念，踏實走過、脫胎換骨。願能早日實踐生而為人的最大意義，幫助最多世人！謹以此篇論文獻給我的師父。感恩同修們的陪伴與護持，你們是家人，新竹生活有你們是最棒、最溫暖的後盾，點點滴滴都不會忘，祝福我們一起牽手回到永恆的家，早日大圓滿，利益十方。

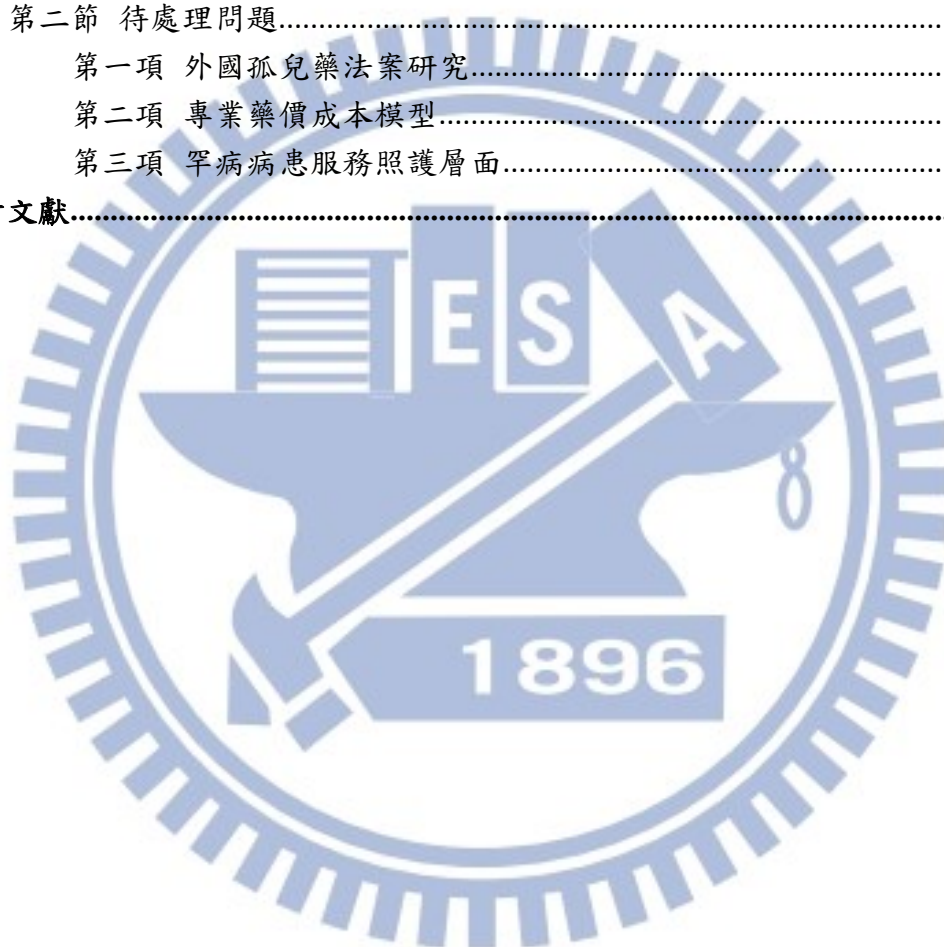
本論文感謝 財團法人罕見疾病基金會 提供
第十八屆罕見疾病博碩士論文獎助學金

目錄

摘要.....	iii
ABSTRACT.....	iv
誌謝.....	vi
目錄.....	vii
第壹章 緒論	1
第一節 研究背景.....	1
第一項 罕病列健保程序無下文，患者生命無法等待.....	1
第二項 我國健保的本質為社會保險.....	2
第一款 全民健保之憲法規範效力.....	2
第二款 國家於全民健保扮演之角色.....	3
第三款 罕見疾病之定義.....	4
第四款 我國罕見疾病患者之困境與現況.....	4
第五款 分配正義.....	6
第二節 研究目的.....	7
第三節 研究範圍與限制.....	7
第四節 文獻回顧.....	8
第五節 研究方法.....	8
第六節 研究架構.....	9
第貳章 罕見疾病藥物納入健保給付之權利	10
第一節 醫療人權下之健康權保障.....	10
第一項 國際上規定.....	10
第二項 健保給付應考量社經條件對健康平等之影響.....	11
第三項 案例比較.....	13
第四項 我國憲法規定.....	18
第五項 小結.....	20
第二節 納保標準之政策分析.....	20
第一項 英國.....	20
第二項 日本學者提出的建議.....	22
第三項 小結.....	24
第參章 實證研究下我國現狀及修改建議	25
第一節 我國罕病納保程序之分析.....	25

第一項 行政程序冗長.....	25
第二項 罕見疾病藥物申請辦法徒有法令卻未盡落實.....	26
第三項 共擬會大部分組成為醫院經營者.....	27
第四項 藥物支付無固定標準，仍以財務衝擊為考量.....	29
第二節 我國罕病代表參與健保共同擬訂會議現況.....	30
第一項 修法前.....	30
第二項 修法後.....	31
第三項 質性訪談觀察.....	32
第一款 病友參與仍需自發性積極.....	32
第二款 病友團體的選擇要有一套標準作業流程.....	33
第三款 公民會議之實踐仍有一段距離.....	33
第肆章 罕藥健保收載之審議式民主及公民參與	36
第一節 審議式民主及公民參與.....	36
第一項 審議式民主要件.....	36
第二項 公民參與之要素.....	38
第二節 英國 NICE 之學習經驗.....	39
第一項 評議委員會.....	39
第二項 公民會議.....	39
第三項 公民會議案例：國民保健服務（NHS）是否要以較優惠價格給 付孤兒藥.....	40
第一款 會議過程.....	41
第二款 會議結論.....	41
第四項 病人參與程序.....	42
第一款 主題選擇（the scope）.....	43
第二款 評議（Appraisal）.....	43
第三款 提交書面意見（Written submissions）.....	44
第四款 提名病人專家（Nomination）.....	44
第五款 HTA 評估報告（The Assessment Report）.....	44
第六款 評議諮詢資料（The Appraisal Consultation Document）	45
第七款 最終評議決策（The Final Appraisal Determination）	45
第三節 加拿大 CADTH 之學習經驗.....	46
第一項 公眾參與.....	46
第二項 病人意見.....	46
第四節 針對我國之修改建議.....	48
第一項 補助辦法之落實.....	48
第二項 加速成立第三方公正機關 NIHTA.....	48
第三項 藥物給付標準成立試辦計畫.....	49

第四項 共擬會之組成需達成實質平等.....	49
第五項 病人參與學習國外經驗.....	49
第伍章 結論	51
第一節 程序原則.....	51
第一項 獨立性.....	51
第二項 公開性.....	51
第三項 利益衝突.....	52
第四項 民主參與.....	52
第五項 審查標準採多因素衡量.....	52
第二節 待處理問題.....	53
第一項 外國孤兒藥法案研究.....	53
第二項 專業藥價成本模型.....	53
第三項 罕病病患服務照護層面.....	53
參考文獻.....	54



第壹章 緒論

第一節 研究背景

第一項 罕病列健保程序無下文，患者生命無法等待

2013 年 9 月，桃園 6 歲的葉小弟罹患了罕見的「非典型性溶血尿毒」，每 1 至 2 週必須施打一針二十一萬元的特殊藥劑，當時收治葉小弟的林口長庚醫院緊急發文給衛福部國民健康署，希望將該病列為罕見疾病，以支應葉小弟的長期醫藥費，但當時國健署尚未正式公告非典型溶血尿毒症候群為罕見疾病，葉小弟因病情嚴重不幸過世，引發社會關注¹。

2014 年 6 月，新北市一名新生女嬰莉婕罹患同樣的罕見疾病，必須靠一針二十一萬元的昂貴藥劑自費治療，莉婕無法及時施打藥劑治療，撐了二十八天後病逝。葉小弟事件衛生福利部當時承諾「儘速」納入健保給付，家屬氣憤質疑，去年政府說要將這項罕病列入健保給付，但時至今日仍沒有下文²。

2015 年 6 月，一歲十個月的強強（化名）因腦部出血不斷出血，腦壓升高，醫師必須暫時移除他的頭蓋骨，才能讓腦壓降下來。強強是第十三凝血因子缺乏血友病患者，疾病罕見但無法納入法定罕見疾病，雖有救命藥，但須專案申請藥物輸台，跑行政流程就要二周，且藥物昂貴無健保給付。北榮血友病中心主任徐會棋表示，已為強強向衛福部申請罕病專案，希望儘快通過審核，爭取足夠藥物和健保給付³。

從以上三例可看出，罕見疾病患者若無健保給付，家屬將面臨昂貴的醫藥費，疾病雖罕見但無法納入法定罕見疾病。罕見疾病病患數少、市場小、研發成本高，加上市場獨占期沒有競爭者，藥價可以訂很高。雖有救命藥，但大多數都在國外，需跑專案輸台，有藥求不得，讓患者和家屬獨自面對日益嚴重的病情和心理壓力。罕見病患是一群迫切需要國家照顧與社會關懷的弱勢族群，在全民健保上應如何從權利面、政策面、程序面來保障弱勢之基本人權，是本文所欲研究的。

¹ 《公告罕病前夕 葉小弟病重過世》，蘋果日報，
<http://www.appledaily.com.tw/realtimenews/article/new/20131128/300433/>（最後點閱日期：2016/12/29）

² 《健保不給付 罕病童相繼喪命》，自由時報，<http://news.ltn.com.tw/news/life/paper/784765>
（最後點閱日期：2016/12/29）

³ 《等藥救命！1 歲童罹罕見血友病》，人間福報，<http://www.merit-times.com/NewsPage.aspx?unid=403289>（最後點閱日期：2016/12/29）

第二項 我國健保的本質為社會保險

在一個利潤動機的台灣社會中，人數稀少的罕見疾病患者，便長期受到漠視，故又有「醫療孤兒」之稱，許多悲劇也在此結構下不斷重複上演。因此，將罕見疾病照護法制化，確保病患與生俱來的生存權和醫療權，便成為罕見疾病防治及藥物法最主要的立法意旨所在。

台灣自民國八十四年三月起實施全民健康保險，初期大部分醫療費用採論量計酬制，醫療費用的申報依據健保支付標準以及藥價基準。民眾因為就醫的經濟障礙被去除，醫療需求大幅增加，而醫療院所為因應價格控制也樂於以量制價，兩方面交互影響造成醫療費用成長率居高不下，也因此，當要求中央健康保險局擴大給付的對象與範圍時，於是只能面對預算大餅的限制，無法對於社會所罕見的疾病患者予以照顧。所以政府為使醫療費用能被控制在合理的範圍之內，全民健康保險已逐步著手進行改革，其中最顯著的，就是以論病例計酬取代論量計酬來分配費用，以增加醫療院所的責任。全民健康保險是社會福利的一環，罕見疾病患者，為社會上之極少數、更為極度弱勢，更具有免除部份醫療負擔之合理性與正當性⁴。

我國健保的本質為社會保險，其目的在透過個人間的互助，用以協助特定個人因疾病或傷害，所致無法承擔的高額醫療費用，以避免因此危及特定個人的生存與生命品質，其立意崇高，也反映以集體力量照護特殊需求者的精神。全民健康保險的社會互助精神，就是由較健康的人幫助弱勢多病的人，高所得的人幫助低收入的人，避免因病而貧，少數使用高額有價的醫療費用，有了健保的大力支持，方能延續無價的生命。

第一款 全民健保之憲法規範效力

我國憲法前言宣示以增進人民福利為制憲目的，憲法第 155 條及增修條文第 10 條第 8 項亦規定國家應實施並重視社會保險。以憲法第 155 條之社會保險制度為例，有認為屬「制度性保障」⁵，亦有學者認為，憲法上之一切國家目標，對所有之國家權力而言，應具法律上之拘束力，除了在權力運作時不可牴觸外，更應積極促進並維護⁶。多數見解則認為，憲法第 155 條規定之社會保險制度，屬於社會國原則之一，應非僅屬單純之方針條款，而係一種課予立法者取向於保護社會弱勢族群之「憲法委託」，如何立法雖屬立法裁量範圍，但仍為「義務規定」⁷。

⁴曾敏傑、陳莉茵主編，罕見疾病社會立法紀念專輯，頁 10（2002 年）

⁵陳新民，憲法基本權利之基本理論（上），元照出版社，5 版，頁 114（2002 年）

⁶許育典，憲法，元照出版社，4 版，頁 420-422（2010 年）

⁷李惠宗，憲法要義，元照出版社，5 版，頁 699（2009 年）

依大法官釋字第 550 號解釋理由書謂：「憲法第 155 條所稱國家為謀社會福利，應實施社會保險制度，係以實施社會保險制度作為謀社會福利之主要手段。而社會福利之事項，乃國家實現人民享有人性尊嚴之生活所應盡之照顧義務，……」可看出在全民健保為「社會保險制度」架構下，自屬國家落實該制度以照顧人民之義務，此制度應為憲法賦予國家以立法方式制定該政策或制度，以履行國家實現社會保險之義務。故而，其效力非僅止於所謂「方針條款」，毋寧應具有對國家行為之法拘束力，至少係具有「憲法委託」之規範效力⁸。

惟憲法的規定雖然提供社會保險與全民健保明確的依據與架構，但並不代表，若無憲法規定，國家就能免除該項義務。釋字第 485 號：「促進民生福祉乃憲法基本原則之一，此觀憲法前言、第一條、基本國策及憲法增修條文第十條之規定自明。」國家推行民生福祉，屬於憲政秩序不變的基本價值，其意義尤甚於憲法條文，不論憲法條文或者國家政體如何更動，均無損憲法基本原則、基本價值的最高地位。國家推行民生福祉，建構社會安全，已屬現代國家面對社會利益衝突、階級對立所必然採行的緩解機制，不待憲法規定。民生福祉對於社會安全憲法條文的意義，即在提昇實證法成為憲法不變規範基礎，表彰國家的目的與價值⁹。

健保法的立法目的在於落實憲法對全民健保的規範意旨，也落實國家對國民的健康照護。健保法既然落實全民健保、屬於社會保險的一環，當然內含社會保險的理念。在釋字第 472 號中，大法官透過對憲法基本國策的解釋，認為健保法的立法目的，係基於憲法第一五五、一五七條以及憲法增修條文第十條第五項。換言之，除健保法第一條所規定的「增進全體國民健康，提供醫療保健服務」之外，現行健保制度屬性既為社會保險，也具有社會救助特性；制度的目的，既為實現「所得重分配¹⁰」，也為「醫療資源合理分配¹¹」¹²。

第二款 國家於全民健保扮演之角色

我國全民健保之財源同時來自保費與租稅，國家在社會保險法律關係中依然扮演公權力主體的角色，屬於制度承擔者，立於被保險人間社會連帶、風險分攤機制的對立面。國家一方面為社會保險之承擔者，另一方面以租稅挹注社會保險財務，藉由社會保險制度同時履行其他社會福利政策或經濟政策任務。我國健保應屬一「混合式」制度，其以風險分攤自助互制機制為主幹，透過政府保費補助揉合各個不同政策目的之單向性給付，以達全民均能加入風險分攤團

⁸許崇賓，全民健保法第二代財務改革之芻議，法令月刊，62 卷 9 期，63 頁（2011 年）

⁹張道義，全民健保與社會保險，月旦法學雜誌，第 179 期，頁 146（2010 年）

¹⁰釋字第 472 號，吳庚大法官協同意見書

¹¹釋字第 472 號解釋理由書

¹²同註 9

體，獲得基本醫療照顧之目的¹³。

第三款 罕見疾病之定義

在美國，凡是境內罹病人數少於二十萬人的疾病，都屬於罕見疾病；在日本則界定疾病人數少於五萬人者屬於罕見疾病。而依我國罕見疾病防治及藥物法對於罕見疾病的定義為：係疾病盛行率在中央主管機關公告基準以下(萬分之一)或因情況特殊，經罕見疾病及藥物審議委員會審議認定，並經中央主管機關指定公告者。前項「情況特殊」：係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，經罕見疾病及藥物審議委員會認定者。考量醫療資源有限，目前罕見疾病及藥物審議委員會審議認定參考原則包含：罕見性、遺傳性及診治的困難性等三項指標。但排除癌症、人為外在因素或後天因素所造成之疾病或傷害，例如：事故傷害、食物中毒及因腫瘤所引起之相關疾病…等。

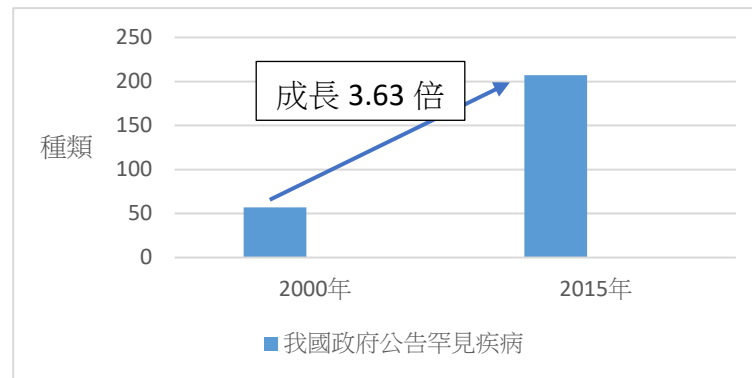
第四款 我國罕見疾病患者之困境與現況

罕見疾病在臨床上(clinical)會遇到的困境包括未知的病史、稀少的科學文獻、全球少量有臨床經驗的研究員、不確定的知識及技術、因罹病人數少在醫學上所遇到的資料數不足。治療成本高、對於病患及家屬或照護者都是高負擔、預算的限制、機會成本、產能損失等，都是罕病患者所遇到的經濟上困境。

根據罕病法規定，疾病納入罕病後，罕藥還需取得查驗登記，才可納入健保。申請列入罕見疾病流程需半年、進入罕藥認定及查驗登記申請需兩年，還需進入健保新藥收載流程經共同擬訂會議討論通過，才能申請到健保給付，曠日廢時，患者生命迫在眉睫，無法承受。而依罕藥專案申請辦法，罕病患者及家屬承受心理及經濟壓力大，實無力負擔專業的申請文件及繁複的行政流程。而二代健保不允許無罕藥許可證之藥物取得健保給付，惟罕病因罹病人數少，藥廠申請藥證不敷成本，全部藥拿到許可證有困難，拿到許可證後若要取得健保給付，還需經全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂會議決定，而該會議委員們組成比例懸殊，大多為醫院經營者，只以利益為考量。另外醫療補助辦法未落實，空有母法而無法執行，皆為我國罕見疾病患者所遇到之困境與現況。罕見疾病患者若無健保給付，家屬將面臨昂貴的醫藥費，疾病雖罕見但無法納入法定罕見疾病，雖有救命藥，但申請過程冗長，有藥求不得，讓患者和家屬獨自面對日益嚴重的病情和心理壓力。

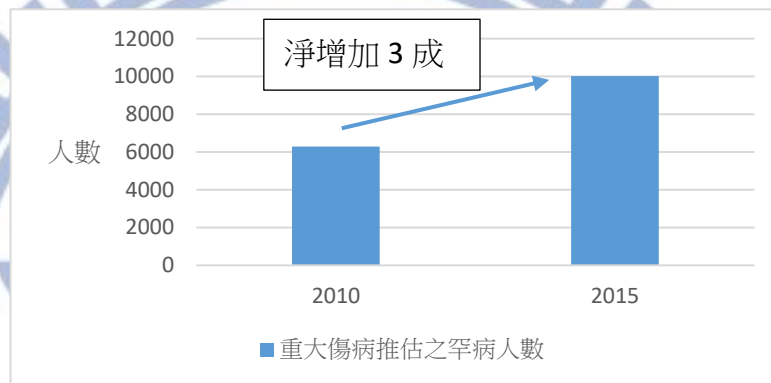
¹³ 孫迺翊，論社會保險制度之財務運作原則—兼評中央與地方政府關於健保保費補助之爭議問題，政大法學評論，第一〇一期，頁42（2008年）

【圖一】政府公告罕見疾病-種類



(資料來源：衛生福利部國民健康署)

【圖二】罕見疾病-人口

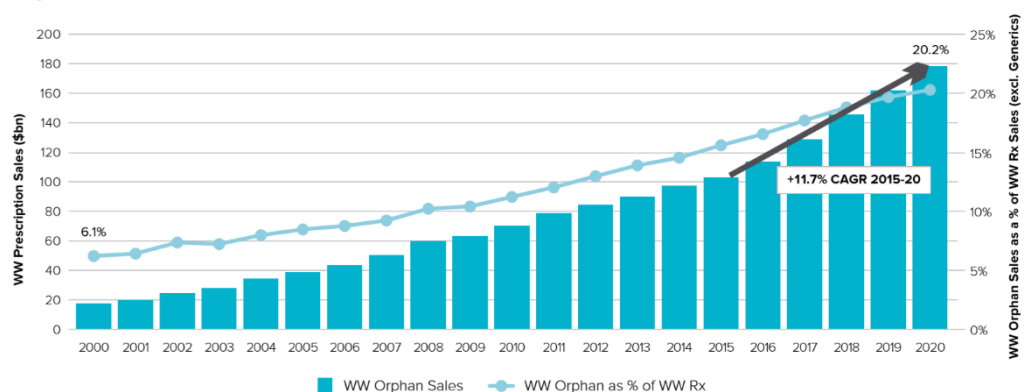


(資料來源：衛生福利部中央健康保險署)

【圖三】全球孤兒藥銷售量市場

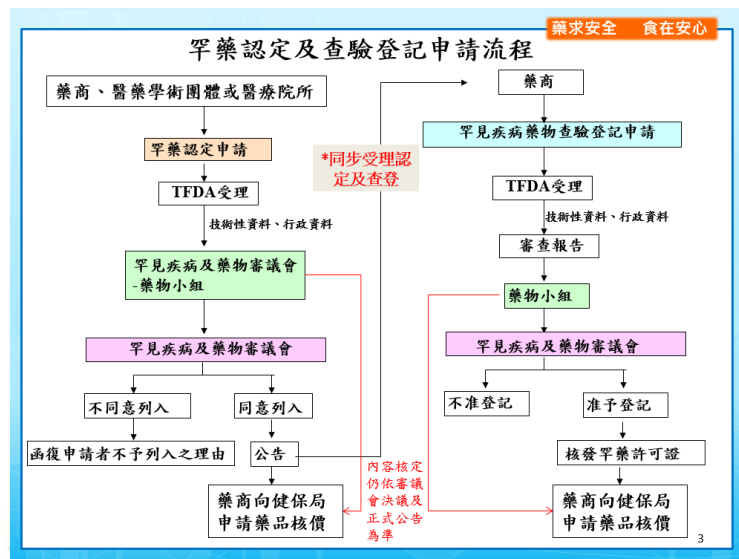
Worldwide Orphan Drug Sales & Share of Prescription Drug Market (2000-2020)

Source: EvaluatePharma* 30 September 2015



(資料來源：Orphan Drug Report 2015, EvaluatePharma)

【圖四】罕藥認定及查驗登記申請流程



（資源來源：衛福部食品藥物管理署 藥品組）

罕病法實施至今，政府公告罕見疾病種類共有 210 種；而國內罹患罕見疾病之人數，依照國民健康署的罕見疾病通報個案，為 10,430 人。若依據健保署重大傷病人數之推估，罕病人數則自 2010 年的 6,293 人增加至 2016 年的 10,302 人，罕見疾病人口淨增加約 3 成，顯示罕病患者的用藥需求持續成長。另外，公告之罕病藥物品項為 93 種，每年有超過千名之罕病患者使用；營養品部分目前共有 40 種、100 品項。（本資料更新至 2016.5.10）

第五款 分配正義

分配正義要求社會收入的分配形式能夠符合正義原則¹⁴。對於罕病患者而言，從成長到成年都必須不斷接受大量醫療資源，可是在成年之後投入社會工作，對社會的整體貢獻有限。以分配正義原則檢視，國家透過特別立法之方式，照顧這群弱勢族群的正當性基礎在哪？其與分配正義之實現有何實質關連¹⁵？

在面臨高價醫療給付時，常遇到幾個倫理問題：

1. 高額成本的公平性(aggregate cost and fairness):
資源有限，無法給所有病人。決定給付的公平性為何？
2. 低成本效益(low cost effectiveness):
同樣的成本可以用在更有益處的治療上，及維持一個病人更長的生命¹⁶

但本文認為，基於國際法上人權法案、兩公約確立的醫療健康人權認為人人有權享有身體和心理健康所能達到的最高標準、我國健保的本質為社會保

¹⁴ 謝世民，合理契約與分配正義，歐美研究，第 29 期，卷 4，1999 年 12 月，頁 73-76

¹⁵ 論我國罕見疾病醫療資源分配的制度與法律問題，廖學能，頁 14（2008）

¹⁶ David Hunter and James Wilson, Hyper-expensive treatments, Nuffield Council on Bioethics, 10

險，及國外比較法上近期開始有許多被拒絕醫療給付的病例皆受司法審查而被認為拒絕給付之決定是不合理的等等原因，國家提供罕病患者所需的藥物與營養品，雖然相較於其他病患的花費高出甚多，但卻只是為了維持其「基本生存」的必要而已。國家為了落實人性尊嚴，在憲法上必須有效維持國民起碼的生存與健康，資源雖有限，至少在罕藥納入健保的程序、給付標準上能更加謹慎、落實審議式民主，達成不歧視，而非僅以資源有限為理由，罔顧弱勢族群的人權保障。

另外，《罕見疾病防治及藥物法》即在保障罕病健保資源不足的缺漏，若該法在補助辦法上亦未盡落實，不就失去當時立法目的？而取不到健保給付的罕病病患面對龐大的醫藥費也只能束手無策，求助無門。從憲法第八條的人身自由與第十五條的生存權等規定，加以關連解釋予以導出生命之完整性與不可侵犯性，所以「生命權」應該是值得憲法保障的基本權利¹⁷。

第二節 研究目的

從上述圖表數據可看出，罕見疾病的種類及罹患人數近 5~10 年有大幅成長，全球孤兒藥銷售量也不斷增加，孤兒藥正值開發熱潮。然而，我國罕病法雖針對罕藥設下基本保障，但罕病治療藥物要獲得健保的給付，仍需經漫長的審查流程，及全民健保共同擬訂會議討論需有共識始能獲得健保給付。罕見病患是一群迫切需要國家照顧與社會關懷的弱勢族群，現今的法規範、健保支付制度及標準、共同擬訂會議讓公民能實質參與等問題應如何完善始能保障弱勢之基本人權，是本文所欲研究的，期待透過本研究及比較法的經驗，提出修法之相關建議。

第三節 研究範圍與限制

本文欲從罕見疾病藥物健保給付之法律權利實體面、程序面著手，以我國健保給付法規面及病人公民參與的影響與檢討為主。礙於篇幅及所學領域有限，本文未涉及罕見疾病病人服務照護層面、外國孤兒藥法規之研究、及專業的藥價成本模型計算，未盡完善之處，期待有更多後續延伸研究，再深入討論。

¹⁷ 蔡維音，「人權尊嚴」作為人類基因工程之基礎法律規範理念，唐山出版社，2003 年 6 月，頁 78-81

第四節 文獻回顧

近來，學者在健康權及全民健康保險上之討論有不斷增加之趨勢。學者鄧衍森認為健康權之實現與滿足，仰賴締約國之條約義務，其結果必然影響健康權之完全國際化保障¹⁸；學者吳全峰對於國際法醫療人權上之發展及體系有清楚精闢的論述¹⁹，針對全民健康保險給付機制之健康人權困境，認為健保局對於給付範圍之審查應納入健康之社會決定因素²⁰；在公民參與方面，社會學學者黃國明、陳東升積極在台推動審議民主的理論與台灣的實踐經驗²¹，學者陳東升負責召集成立「公民參與組」，領導一個各領域學者所組成的研究團隊，著手研究如何提昇民眾參與全民健保政策的管道與能力，對我國健保納入公民參與之推動具有重要貢獻。而學者孫迺逸所指導的研究生論文中亦針對全民健保藥物收載之公民參與有深入淺出之論述²²。

然，針對我國「罕見疾病」之健保給付及公民參與尚無相關研究及文章，國際上關於罕病納保的判決亦不多。罕見疾病患者人數相對少，是一群迫切需要國家照顧與社會關懷的弱勢族群，基於我國健保保險具社會保險精神，及2016年11月我國罕病基金會受邀至聯合國發表演說，雖最後因政治因素受阻，然此歷史一刻代表台灣也將成為未來聯合國推展罕病疾病全球發展策略與模式，重要的參考與依據。本文希望彌補此一缺憾及精進我國罕病發展，墊基於學者在健康權及健保公民參與上之研究，加上病友團體代表及罕藥委員會委員之實務觀察與建議，望能供政府及罕病病患作為參考。

第五節 研究方法

本文在研究方法上，採取文獻分析法、實證研究之質性研究法兩大研究法。第一，以文獻分析法整理我國法規、國際公約與相關法規，進行文獻回顧外，並就其他國家之藥價成本考量及公民參與相關法制進行比較。第二，本研究為求能深入了解實務界對於罕病健保給付及公民參與之看法，除了以文獻分析法搜集相關資料作初步問題分析之途徑進行重點歸納，提出實證訪談問題之

¹⁸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，第十一卷第一期，頁72（1998）

¹⁹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，頁142-145（2007）

²⁰吳全峰，從經濟社會文化權利國際公約論健康人權與健康平等一兼論全民健康保險給付機制之健康人權困境，蘇宏達、陳淳文編，《中華民國施行聯合國兩權利公約的意義：接軌國際，深化民主》，頁225-226（2013）

²¹林國明，國家、公民社會與審議民主：公民會議在台灣的發展經驗，台灣社會學第17期，頁163（2009）

²²陳奕安，論全民健康保險之藥物給付項目收載制度——以病人程序保障與公民參與為中心，政大法研所碩士論文，頁145（2015）

重點大綱；另外採「質性研究法」，以半結構式質性訪談方法訪問病友代表團體組長及研究單位理事長。第三，綜合文獻分析法與質性訪談結果作綜合整理與分析，進一步結合前述法規與文獻探討提出檢討與建議。

質性訪談(qualitative interview)乃一種為特殊目的而進行的談話－研究者與被訪問者，主要著重於受訪者個人的感受(perception of self)、生活與經驗(life and experience)的陳述，藉著彼此的對話，研究者得以獲得、了解及解釋受訪者個人對社會事實(social reality)的認知²³。本文受訪者資料如下表所示：

身分代碼	職稱與經歷
A	病友代表團體組長
B	教授、研究單位理事長、罕藥委員會委員、健保專家小組組員

第六節 研究架構

首先本文從罕見疾病患者所遇到的困難出發，在第二章「罕見疾病藥物納入健保給付之權利」中，先列出國際法規定之醫療人權保障，說明健保給付應考量社經條件對健康平等之影響，並列出英國及印度之案例比較，及我國憲法如何規範，試提出司法審查的建議；後半段介紹成本效益下英國及日本之藥價比較法，希望我國可以他國經驗做為借鏡，訂定一套公平、合理且適合台灣的藥物經濟評估指南。

第三章「罕藥健保收載之審議式民主及公民參與」中，先說明審議式民主及公民參與之概念及要件，接著介紹英國國立健康及臨床卓越研究院(National Institute of Health and Clinical Excellence，以下簡稱NICE)之經驗、是否給付孤兒藥用之一公民會議實際案例、及加拿大藥品及醫療科技評估機構(Canada Agency for Drugs and Technologies in Health, CADTH)之經驗，望能藉由外國比較法提供我國在公民參與及病人證據上之法規參考。

第四章「我國現狀及修改建議」中，以實際深度訪談相關機構人員之內容列出我國罕見疾病藥物健保給付之現況及修改建議，望能將學術理論及實務結合，研究出更符合我國實務層面的修改建議。

第五章為「結論」，將本研究作總結，並期待台灣罕病的體系與模式整體能更提昇，除了造福台灣病友、甚至還能造福全世界更多的罕病病友。

²³林金定、嚴嘉楓、陳美花，質性研究訪模式與實施，身心障礙研究，第3卷第2期，頁122(2005)。

第貳章 罕見疾病藥物納入健保給付之權利

第一節 醫療人權下之健康權保障

醫療屬基本人權之一環，健康權作為一項基本人權，屬於社會權的範疇。但醫療人權非常廣泛且學界間仍無定論，近年來與之相關之國際條約相繼出現，學者之討論及國外判決也將醫療人權保障內容更具體化。試列出國際公約、國外判決，我國大法官解釋，論述罕病患者請求健保給付為健康權所保障。

第一項 國際上規定

健康權之保障，多份國際文件上皆有提及。自 1948 年世界人權宣言（Universal Declaration of Human Rights, UDHR）第二十五條規定：「人人有權享受其本人及其家屬為維持最高可達到之健康與幸福標準所需之生活程度，舉凡衣、食、住、醫藥及必要之社會服務均包括在內²⁴……」健康人權之觀念便逐漸獨立。世界衛生組織憲章（Constitution of the World Health Organization）在前言確認此可達到的最高標準不分種族、宗教、政治、信仰、社經地位，並主張健康之定義為「生理、心理、社會之完適狀態（health is a state of complete physical, mental and social wellbeing）」而非僅指疾病之排除。後 1966 年經濟、社會與文化權利國際公約（International Covenant on Economic, Social and Culture, ICESCR）第十二條第一項規定，本公約締約各國承認人人有權享有身體和心理健康所能達到的最高標準²⁵。之後幾項國際公約例如消除對婦女一切形式歧視公約（Convention on the Elimination of All Forms of Discrimination against Women, CEDAW）第十二條、兒童權利公約（Convention on the Rights of the Child, CRC）第二十四條等分別闡釋了相關健康權利。

然健康權的定義在醫療人權內容大幅擴充後，仍不甚明確。聯合國遂於 2000 年於經濟社會暨文化權利委員會（Committee of Economic, Social and

²⁴ Universal Declaration of Human Rights, Article 25. (1) 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.

²⁵ International Covenant on Economic, Social and Cultural Rights, Article 12. 1. The States Parties to the present Covenant recognize the right of everyone to the enjoyment of the highest attainable standard of physical and mental health

Cultural Rights, CESCR) 第 14 號一般意見書 (General Comment NO.14)，對醫療人權之內容及架構做更進一步之界定，並強調最高生理與心理健康標準應將其視為整合性權利 (inclusive right)²⁶。而該意見書進而以五部分共計 65 段，對經濟、社會與文化權利國際公約 (International Covenant on Economic, Social and Culture, ICESCR) 第 12 條關於健康權的規定，分別從規範內容 (第一部分)、締約國的義務 (第二部分)、違反行為或事例 (第三部分)、國家層面的貫徹執行 (第四部分) 和締約國以外的其他行為人義務 (第五部分)，作了詳細闡述，係目前聯合國對醫療人權所作出較完整闡釋權利內容之國際文件。

健康權之實現與滿足，仰賴締約國之條約義務，其結果必然影響健康權之完全國際化保障。然而因人權是一先驗的概念、是否得到保障在國際法上是可以評估的、以及人權理念已影響了多數國家之政策與立法，我們已能肯定人權國際化保障提昇了個人在國際法之地位，並且影響了國家在國際法上的作為義務²⁷。

而我國健保的本質為社會保險，其目的在透過個人間的互助，用以協助特定個人因疾病或傷害，所致無法承擔的高額醫療費用，以避免因此危及特定個人的生存與生命品質，其立意崇高，也反映以集體力量照護特殊需求者的精神，在給付界定上亦應受健康人權之保障。

第二項 健保給付應考量社經條件對健康平等之影響

病人醫療人權包含社會基本權所發展出來的受益權 (衛生保健請求權、醫療救助請求權及緊急醫療請求權)，及基於憲法客觀價值與人權所發展出來的防禦權 (病人之自主決定權、平等權及隱私權等權利)²⁸。

依據 2011 年修正之全民健保法第五十三條第三款，保險人就使用經事前審查，非屬醫療必要之診療服務或藥物，不予保險給付。因此事前審查一旦被

²⁶ Paragraph 11 of the CESCR General Comment NO.14, "The Committee interprets the right to health, as defined in article 12.1, as an inclusive right extending not only to timely and appropriate health care but also to the underlying determinants of health, such as access to safe and potable water and

adequate sanitation, an adequate supply of safe food, nutrition and housing, healthy occupational and environmental conditions, and access to health-related education and information, including on sexual and reproductive health. A further important aspect is the participation of the population in all health-related decision-making at the community, national and international levels."

²⁷ 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，第十一卷第一期，頁 72 (1998)

²⁸ 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，頁 142-145 (2007)

拒絕，對保險對象權益影響十分重大。對於無法獲得給付之保險對象而言，當醫師認為其有醫療上需要，但事前審查卻造成獲得健保給付之限制時，將對保險對象醫療照護及財務上權益形成嚴重影響²⁹。

就罕見疾病而言，我國雖有罕見疾病防治及藥物法和罕見疾病醫療補助辦法等規定，能補助全民健康保險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、居家醫療照護器材費用，然而，若罕見疾病患者所需的醫療費用能由全民健保給付，始能根本減輕罕病患者家庭的經濟壓力。又，臨床試驗是否得以通過進行、藥物是否得以認列為罕見疾病用藥、以及健保是否給付等，多取決於以醫療效益作為評估指標的專家審查會議，而罕病常遇到參與小型試驗人數太少、數據不完整以及療效不明確、罕病多是慢性的退化過程等困難。若健保局之審查標準完全以科學、成本效益分析等價值判斷，而未重視不同疾病族群與資源需求導致之差異，便有可能對健康人權形成侵害。

吳全峰教授認為³⁰，健保局對給付範圍之審查，基於以下幾點，應納入健康之社會決定因素：第一、依公民與政治權利國際公約及經濟社會文化權利國際公約施行法第4條³¹及第8條³²之規定，政府機關自應負擔義務從健康人權保障之觀點，對全民健保給付機制進行檢視。第二、依人權事務委員會（Human Rights Committee）第18號一般意見書第12點之規定，所有權利均須同時接受消極平等與實質平等之檢視³³。故全民健保給付審查決定亦應將構成實質歧視

²⁹ 雷文玫，司法審查健保給付決策的正當性及其界限？——全民健保高科技診療項目判決分析，2010 行政管制與行政爭訟，中央研究院法學研究所 專書，頁 135（2011）

³⁰ 吳全峰，從經濟社會文化權利國際公約論健康人權與健康平等——兼論全民健康保險給付機制之健康人權困境，蘇宏達、陳淳文編，《中華民國施行聯合國兩權利公約的意義：接軌國際，深化民主》，頁 225-226（2013）

³¹ 兩公約施行法第4條：「各級政府機關行使其職權，應符合兩公約有關人權保障之規定，避免侵害人權，保護人民不受他人侵害，並應積極促進各項人權之實現。」

³² 兩公約施行法第8條：「各級政府機關應依兩公約規定之內容，檢討所主管之法令及行政措施，有不符兩公約規定者，應於本法施行後二年內，完成法令之制（訂）定、修正或廢止及行政措施之改進。」

³³ Paragraph 12 of the CPPR General Comment No. 18, "While article 2 limits the scope of the rights to be protected against discrimination to those provided for in the Covenant, article 26 does not specify such limitations. That is to say, article 26 provides that all persons are equal before the law and are entitled to equal protection of the law without discrimination, and that the law shall guarantee to all persons equal and effective protection against discrimination on any of the enumerated grounds. In the view of the Committee, article 26 does not merely duplicate the guarantee already provided for in article 2 but provides in itself an autonomous right. It prohibits discrimination in law or in fact in any field regulated and protected by public authorities. Article 26 is therefore concerned with the obligations imposed on States parties in regard to their legislation and the application thereof. Thus, when legislation is adopted by a State party, it must comply with the requirement of article 26 that its content should not be discriminatory. In other words, the application of the principle of non-discrimination contained in article 26 is not limited to those rights which are provided for in the Covenant."

之社會決定因素納入考量。第三、國外亦有相關判決支持健保給付決定應將社會決定因素納入分析。而在下段本文將會一一列出介紹。

各國關於罕病納保的判決不多，本文主要介紹英國、印度的例子。英國健康保險制度是我國所參考的對象之一，英國政府主要是透過國家健康暨臨床卓越研究院（National Institute for Health and Clinical Excellence，簡稱 NICE）之藥物經濟評估，來衡量藥品之成本效益，提供建議給衛生當局做決策。NICE 為一獨立機構，執行醫療科技評估，包含臨床及成本效益評估、經濟評估（QALY），根據科技評估的結果提供新科技、藥品之指引。然，英國近期也有幾件判決，法官認為在科學成本效益分析之外，亦應考量平等、不歧視等因素；除此之外，印度有簽署經濟、社會與文化權利國際公約（International Covenant on Economic, Social and Culture, ICESCR），有責任實踐國際上的法律義務，於 2014 年即有關於罕病患者相關判決，一併介紹如下。

第三項 案例比較

一、Eisai Ltd v. NICE³⁴

（一）案例事實

本案原告 Eisai 公司是一間藥廠，被告是英國國家健康暨臨床卓越研究院（National Institute for Health and Clinical Excellence，以下簡稱 NICE），利益第三人是阿茲海默社群（Alzheimer's Society, AS），英國具領導地位的醫療研究慈善團體。原告和利益第三人基於以下三點挑戰了 NICE 的審查小組（appeal panel）在 2006 年做的基於醫療證據、成本效益分析，而拒絕在臨床指引（clinical guideline）中建議採用 AChEIs（抗化劑、抑制因子）作為阿茲海默症之治療項目，並導致國民保健服務（National Health Service，以下簡稱 NHS）拒絕保險給付的決定：（1）程序不平等（2）單一的審查標準所帶來的歧視效果（3）特定決定的不合理性。同時法院也必須決定一位阿茲海默症患者是否值得一天 2.5 英鎊的藥價成本。

（二）高等行政法院判決

1. 程序不平等

原告認為，NICE 在作決策過程雙方程序參與需要高度的公平與透明，而原告有權利要求揭露、檢查 NICE 所決策的一切。而 NICE 的評估委員會（Appraisal Committee）中只有兩位成員有充分執行的適用模型（fully-executable versions of the Model），因此他們依賴其他專家對模型的建議。而原告很適合做充分執行模型的受告知代表。被告認為，NICE 不揭露充分執行模型的決定，並非程序不平等。

³⁴ (Eisai Ltd) (Alzheimer's Society & Shire Ltd, Interested Parties) v. National Institute for Health and Clinical Excellence2 ('NICE') [2007] EWHC 1941 (Admin)

法院認為，原告有權提供重要資訊和回饋，因為原告很清楚知道政策所做成的結果，與評估委員會的成員是同等的地位。而原告吸引了評估委員會的注意去考量系統運作的穩固性、分析的敏感度、資訊的正確度和可靠性等等。而原告的確挑戰了原本模型的有效性及其假性、特性和技術。總而言之，原告有更足夠的資訊可以作出明智的回應和給出適當的建議，雖然原告不能運作模型、測試模型的穩固性和正確度並用不同的假設作敏感度分析，但仍然能夠在資源正確度的需求上作出建議和平衡，NICE 的模式應揭露，讓原告有參與權。

2. 單一審查標準所帶來的歧視效果

原告認為 NICE 定義阿茲海默症嚴重程度的嚴格準則是不合理的。利益第三人阿茲海默社群 (Alzheimer's Society, AS) 提出被告在審查小組 (appeal panel) 或是臨床指引 (clinical guideline) 上皆無遵守反歧視法而違法。阿茲海默社群 (AS) 認為，NICE 的最終評議決策 (Final Appraisal Determination, FAD) 未能顧及到國務內閣需特別賦予平等機會給員工和其指引。較上位的治療閾值 (treatment threshold) 使具高度教育的人不利，較低的閾值限制了那些學習障礙者、語言能力較低弱之人、或是不同文化背景、母語之人。

高等行政法院認為 NICE 之決定並不應被視為單純之醫學專業判斷，NICE 作為國家行政機關應負擔必要之職責消除歧視並促進平等機會；因此，該指引由於缺乏具體評估不給付 AChEIs 之決定是否可能實質限縮阿茲海默症病患平等機會並帶來歧視性影響，亦忽視對阿茲海默症病患之照護者 (caregiver) 可能帶來之經濟衝擊，而被認為違反 1995 年之身心障礙歧視法之規範。

3. 特定決定的不合理性

(1) 無累計利益 (No cumulative effect)

原告主張，模型和成本效益評估是基於一個錯誤的和非理性的假設，即接受 AChEI 治療的患者在六個月的治療後沒有獲得額外的益處。雖然 NICE 接受在六個月內獲得任何益處將被保留，但它假設半年後患者不會獲得任何額外的臨床益處，因此該模型沒有包含進一步的過渡期，它也沒有進行敏銳分析，以評估不同的過渡期截止週期的影響之分析。原告進一步爭論，六個月後臨床益處就會終結這樣的假設是不合邏輯的。

審查小組 (appeal panel) 認為許多臨床試驗也沒有累計利益的結論與證據、臨床指引 (clinical guideline) 是不一致的。根據臨床指引 (clinical guideline) 第 4.3.4 條規定：「委員會指出，適用於結果長期有效的抑制劑例如生活品質和延後時間至養老院之證據而言，是被限制和大大沒有定論的。」 (The committee noted that the evidence available on the long term

effectiveness of the inhibitors on outcomes such as quality of life and delayed time to a nursing home placement was limited and largely inconclusive) 因此無替代方案的假設被作成是錯誤的。審查小組 (appeal panel) 未能提出適當的證據結論是不可能符合指引的。

(2) 對數據不合理的依賴

原告指出，審查小組的證據中只有一項研究 (AD2000) 沒有證明長期益處，還有其他的研究指出一些益處但審查小組沒有適當地評估該證據，而未能讓 AD2000 研究在審查委員會中扮演重要的理由根據。最後法官參考審查委員會中史蒂芬教授的意見，認為這份數據分析並非不合理，也並非對研究有不合格的承認。審查小組的認定並非不合理。

(3) 照護者利益

利益第三人阿茲海默社群 (Alzheimer's Society, AS) 在聽證程序中認為模型並沒有包含有效藥物治療的照護者利益，一個不通常的照護者成本並非正式地包含在成本效益分析科技裡。審查委員會的史蒂芬教授解釋，所有的數據都有考量照護者的壓力和疾病的嚴重程度，並指出真正的爭點是相對性，例如不同的病患族群和照護者。他解釋，委員會很清楚知道疾病照護者的巨大負擔。委員會對於照護者壓力和財務狀況清楚知道且敏銳，但必須確保在病人和照護者利益之間的平衡。法官最後認為，審查小組的決定並非不合理。

(4) 照護者成本

在特定疾病上的照護成本證據是非常稀少的。在聽證中，NICE 指出它已考量進照護者高成本並作出縝密分析，所有的成本調查都建立在可能的平均成本，適當分配在那些支付特別高成本的病人上。因此法院認為不能說基於證據的數據是不合理的。

(三) 結論

法院認定臨床指引 (clinical guideline) 是歧視性的，指示 NICE 必須修正該指引，以確保它在反歧視立法下遵從責任及義務。

二、Otley, R v. Barking & NHS³⁵：

(一) 案例事實

本案是英國 2007 年的判決。該案原告原本有轉移性直腸癌，後來轉成肝癌的第二期腫瘤，原告的姐姐在網路上發現了一種非 NHS 標準處方之生物藥品 (biological drug) Avastin 的存在。Avastin 的效果是抑制血管腫瘤的生

³⁵ R (On the Application of Victoria June Otley) v. Barking & Dagenham NHS Primary Care Trust, [2007] EWHC 1927 (Admin).

長，用化學療法以延緩其生長，或者可能多達 14% 的情況縮小它們足以允許切除，想要申請用 Avastin 治療肝癌。但 NICE 認為，Avastin 在比較臨床表現數據與成本效益分析上均無適當證據證明有其正面功能，無法說服他們 Avastin 的使用可以有效地延長原告的生命或是符合成本效益的使用，遂否決其申請。

（二）法院判決

法院認為審查小組（panel）的決定不合理。第一，審查小組對 Avastin 藥物組成的質詢並不相關；第二，原告其他在 NHS 標準處方下的其他治療並無有益處且可適用的；第三，審查小組並沒有考量雖然渺茫但可能延長原告數個月生存之重要機會；最後，在關鍵分析文件上以公平觀點的例外準則而言，原告的案子是一個例外。

根據原來的政策，原告如果在治療初期沒有任何改善，那她微弱可以延長數個月生存之重要機會就會喪失。但醫生提出來的療程並不是基於需要分散風險在其他病人身上、或需要思考資助全人類健康的影響任何的合理性觀點。因此，審查小組在分析上雖然資源分配是個因素，但它不能被做為一個決定性的因素。

（三）結論

法院認為 NHS 之判斷，在未考量 Avastin 在治療初期可能延長原告數個月生存之重要機會之前提下，便在治療前階段率以否決給付，顯然忽略該行政決定所應依據之重要事項應包括平等機會，而撤銷 NICE 之不給付決定。

三、Mohd. Ahmed v. Union of India³⁶

（一）案例事實

請求人是一個印度德里七歲的小男童，他罹患了溶酶體貯積（Gaucher Disease, which is Lysosomal Storage Disorder）的罕見疾病。請求人是家裡第四個小孩，前三個兄弟姐妹都因同樣的罕見疾病過世，而爸爸是拉三輪車的，沒有錢負擔每月、終生、奢侈的治療費用。而因為治療該罕見疾病的藥物適用於印度，中央政府和德里政府在憲法第 21 條下皆有義務提供給相同處境的孩童和病人免費的治療。本案爭點是，出身貧窮家庭患有罕見疾病的孩子是否有權得到免費的醫療？尤其該治療被預知療效是好的，且很有可能引導孩子到正常的生活。請求人的律師聲稱不能提起財務拮据的抗辯，聯邦政府和德里政府認為因為有限的資源及該罕病是終身且病患的情況是慢性的，他們不能資助小男童的治療。

（二）法院判決

聯合國人權理事會的第二任健康權特別報告員（Special Rapporteur on the right) Anand Grover 認為，印度有簽署經濟、社會與文化權利國際公

³⁶ Mohd. Ahmed(Minor) v. Union of India and others.(2014, April 17). W.P.(C) 7279/2013, decision of the High Court of Delhi.

約 (International Covenant on Economic, Social and Culture, ICESCR)，有責任實踐國際上的法律義務，而印度政府失於適用公共利益政策於提供藥物給罹患罕見疾病例如溶酶體貯積 (Gaucher Disease) 的患者和家庭，這是政府違反保障健康權的義務。

雖然政府的資源有限，但如同印度最高法院於 Paschim Bangal Khet Mazdoor Samity and Others 案中所述，地方政府不能因為在財政緊縮的考量下就避開健康權的憲法義務。即使在 State of Punjab & Ors. vs. Ram Lubhaya Bagga 案中，印度最高法院承認地方政府的財務資源並非無上限，但法院仍然闡明錯誤採取醫療設備相關政策違反了憲法。在本案，不管是中央政府或是德里政府都沒有適用任何符合罕見疾病藥物給付公共利益的政策。法院認為，在權力分立下，它不能命令議會要執行對罕見疾病、孤兒藥或公共利益的立法。法院引述經濟社會暨文化權利委員會 (Committee of Economic, Social and Cultural Rights, CESCR) 第 14 號一般意見書 (General Comment NO. 14) 第 43(d) 段規定健康權的核心為必要藥物的提供，而第 52 段載明一個國家若失於適用或實踐確保每人健康權的國家公共政策，即違反了實踐健康權的義務。法院承認一個國家的財務資源並非無上限，然而法院認為，政府不能因為財務資源不足就決定不保障慢性和罕見疾病的病人。法院認為，健康權的核心義務是不可侵犯的 (non-derogable)，雖然最小核心不容易定義，但至少需包含維持最小舒適生活的人性尊嚴 (includes at least the minimum decencies of life consistent with human dignity)。

不可避免地，法院作出了地方政府有義務提供藥物，包含罕見疾病的決定。由於健康是在印度地方政府的管轄權內，法院指示德里政府需履行憲法義務提供免費的藥物。法院關於地方政府不論財務資源需以可負擔的價格提供必要藥物的不可侵犯核心之決定，涉及了巨大的病人權利和印度健康權之間的緊張。雖然本案法院並沒有思考病人權和健康權之間的緊張，法院藉由判決也已確定了印度政府有促進以可負擔價格提供必要藥物之不可侵犯核心義務。

(三) 結論

本判決指出了任何政府賦予的病人藥物權利實踐若阻擋了貧窮病患擁有必要罕病藥物的取得，即是違反了政府以可負擔價格提供病人藥物的義務。沒有任何政府可以藉由宣稱它無法支付罕見及慢性疾病來逃避保障社會弱勢的健康權利取得³⁷。

四、小結

³⁷ Alice Diver · Jacinta Miller Editors, *Justiciability of human Rights Law in Domestic Jurisdictions*, p108-110

依照英國法院及印度法院判決，可知基於醫療證據、單一的審查標準成本效益分析認為治療初期沒有成效、國家財務資源緊縮等因素即認定拒絕保險給付提供必要藥物，違反了健康權的最小核心保障，甚至有可能具有歧視性的影響效果，國家行政機關應負擔必要之職責消除歧視並促進平等機會。

第四項 我國憲法規定

如上所述，國際文件及國外判決上多有闡述人民健康權之保護。而在我國人民健康權之保護，在憲法上之基礎，多位學者有不同論述。林明昕教授認為，健康權具有「個人」利益之性質，應可列入憲法第 22 條概括條款之保護範圍，而予以保護³⁸；李震山教授認為，依憲法增修條文第 10 條第 5、7、8、9、12 項之規定，可以推出所謂「健康權」。司法院大法官亦於其解釋中提及維護國民健康（釋字第 414 號解釋）、維護國民身心健康（釋字 476 號解釋）、增進民族健康（釋字第 472 號解釋）。基於國家有保障人民身體健康權之義務，亦可藉由憲法第 22 條之媒介功能，將基本國策保障未列舉的健康權功能充分發揮³⁹。陳新民教授則認為，憲法第十五條規定之生存權，若能擴張到個人生命、健康範疇等議題，則不妨作為健康權之憲法依據⁴⁰。憲法增修條文第 10 條也增列了健康權保護的相關規定。

而在民國 101 年，釋字第 70 一號解釋【長期照護醫藥費列舉扣除額差別待遇案】協同意見書中，羅昌發大法官闡釋了健康權在我國憲法上的評價。羅大法官說明了健康權包含自由權（freedoms）以及受益權（entitlements），以及兩者的內涵。並列出了聯合國經濟、社會、文化權利國際公約（International Covenant on Economics, Social and Cultural Rights, ICESCR）及聯合國經濟、社會、文化權利委員會於西元 2000 年通過有關健康權的「一般意見」（General Comment）之規定，並說明如下：

「我國憲法雖未於任何章節直接明文規定『健康權』，然『經濟、社會與文化權利國際公約』對健康權之宣示及其所界定的內涵，已經成為國際公認之標準，並且已經成為普世價值。並且我國已透過『公民與政治權利國際公約及經濟社會文化權利國際公約施行法』，施行該公約。雖該施行法在我國國內屬於法律位階，然在我國法律體系內納入並執行國際人權公約，亦可證明我國對於該等人權公約所承認之人權價值（包括對健康權之保護），有明確且直接之肯定我國雖非前揭公約之締約國，然此並不影響該等國際文件所承認之各項人權及價值之普世性質，以及其

³⁸ 林明昕，健康權——以「國家之保護義務」為中心，法學講座，32 期，頁 29（2005）

³⁹ 李震山，憲法中基本權利保障規範間之關係，台灣本土法學雜誌，49 期，頁 131（2003）

⁴⁰ 陳新民，論社會基本權利，憲法基本權利之基本理論（上），元照，頁 110-111（1999）

⁴¹ 陳聰富，醫療法：第一講一病人醫療人權的實踐議題，月旦法學教室，第 64 卷，頁 33-34（2008）

得以做為解釋我國憲法基本權利內涵之重要考量依據。我國憲法第二十二條亦規定：『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。』此應可作為健康權保障的基礎。至於該條所稱『保障』，自應視健康權的具體內涵，決定其程度。例如，人民應立即且完全享有權利以拒絕未經其同意下的醫療處置或醫學實驗。且雖然國家並無立即的義務對人民提供長期照護服務，然人民應立即享有不受歧視的接近利用健康保護體制以達成最高健康標準之權。至於國家提供健康照護，由於屬漸進的義務，故人民在憲法第二十二條之下的『保障』，並不包括立即的請求；而僅能包括在此健康照護體制下，不被歧視或遭受恣意的差別待遇⁴²。」

由此可知，羅昌發大法官認為我國雖非兩公約之締約國，然此並不影響該等國際文件所承認之各項人權及價值之普世性質，以及其得以做為解釋我國憲法基本權利內涵之重要考量依據。我國憲法第二十二條應可作為健康權保障的基礎，人民應立即享有不受歧視的接近利用健康保護體制以達成最高健康標準之權。國家對於維持人民最高健康標準的義務，雖無法均立即實現，但最少有若干核心義務應立即實現；包括國家的「保護」義務，以確保平等接近利用由醫療機構或維持生命與健康之服務者所提供的醫療以及健康有關的服務；確保人民享有不歧視待遇等。

學者吳全峰教授進一步認為，在 ICESCR 規範傳統健康人權之架構中，因其係採消極條款（目的在禁止歧視），故僅重視民眾不因可任意歸類之因素（如經濟社會地位等非關醫療之因素）影響其平等接受醫療照護之權利（屬形式平等（formal equality）之規範），對於法律制訂與政策推行上是否應考慮公平與正義之價值因素（屬實質平等（substantive equality）之規範）則少有觸及；而此亦導致健康平等之概念在傳統健康人權之架構下，僅侷限於醫療照護（物質因素）之公平分配（equal distribution），而忽略社會決定因素對於健康之平等分配（fair distribution）之影響。因此，若武斷地將醫療照護提供之不歧視視為健康平等之充要條件，不僅將忽視兩者內涵之實質性差異，亦將導致健康平等保障之盲點。因此，在健康人權之體系架構中，健康平等與不歧視之概念應做適度之區隔，社會決定因素在健康人權體系下之地位亦應做明確處理，以避免無意中導致嚴重之健康人權侵害⁴³。

健康權雖尚未明文規定於我國憲法，然而從大法官協同意見書可看出，國際公約之人權價值應可作為解釋我國憲法之重要依據，因此，若健保局之審

⁴² 釋字第70一號解釋【長期照護醫藥費列舉扣除額差別待遇案】羅昌發大法官協同意見書，頁 8-9

⁴³ 吳全峰，從經濟社會文化權利國際公約論健康人權與健康平等-兼論全民健康保險給付機制之健康人權困境，p6

查標準完全以科學、成本效益分析等價值判斷，而未重視不同疾病族群與資源需求導致之差異，便有可能對健康人權形成侵害，此應受我國憲法所保障，人民應享有不受歧視的接近健康權利。依學者意見可判斷我國大法官對健康權應是採 ICESCR 規範的形式平等，目的在禁止歧視。

第五項 小結

有鑑於國際相關公約、國外相關判決及我國憲法所承認其人權普世價值得以做為解釋我國憲法基本權利內涵之重要考量依據，可得知全民健保是否給付罕見疾病藥物，不應全然基以刻板的成本效益分析及醫學初步證據，全民健保給付審查決定亦應將構成實質歧視之社會決定因素納入考量，乃符合「等者等之，不等者不等之」之實質平等原則。

雖全民健康保險法有特別編列預算為罕見疾病用藥給付，但同為國家健康福利衛生法政策，罕見疾病防治及藥物法於此作為全民健康保險法的特別立法，仍受全民健保財政赤字影響；在立法者於此高度授權交由行政機關為決定之情況下，若主管行政機關動輒以財政考量作為指定公告之準據，將罔顧罕病患者之生存照護等國家目標，立法行為亦顯係以授權行為遁逃憲法委託之意旨，有悖於憲法要求⁴⁴。

而確認了罕見疾病病患具有法律上不受歧視的權利後，罕見疾病由於它的特殊性，各國在納入健康保險上的政策及考量也有所不同，下文將介紹各國不同納保標準之政策。

第二節 納保標準之政策分析

第一項 英國

英國於 1948 年實施「國民保健服務」(National Health Services) 的醫療照護制度，其主要精神為提供全民免費的醫療服務(free at the point of use)，以及強調就醫之公平性，因此在此精神之下，全體國民就醫時不必付費(藥費及牙科費用除外)。藥品從 EMEA (歐盟醫藥品機構，European Medicines Agency) 或 Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency(藥品組，MHRA)得到市場許可之後，由 MHRA 決定藥品是否

⁴⁴ 健保刪除罕見疾病用藥的相關問題(一)，保成學儒法政網，
<http://www.paochen.com.tw/OnlinePublicationsDetail/2/123> (最後點閱時間：2016/10/23)

為處方藥或非處方藥。若為非處方藥，則不納入給付，若為處方藥，衛生部則委託 the National Institute of Health and Clinical Excellence (NICE) 進行藥品經濟評估，以供衛生部考量藥品是否納入給付之用。

NICE 為一獨立機構，不受制於任何部門、機構、組織，執行醫療科技評估，包含臨床及成本效益評估、經濟評估 (QALY, Quality adjusted life year)。而根據科技評估的結果提供新科技、藥品之指引。政府控制藥品費用的方法主要是透過 NICE 之藥物經濟評估，來衡量藥品之成本效益，以固定的成本效果閾值 (ICER threshold) 作為新藥給付的量化標準 (英國 NICE 以 £ 20,000-30,000/QALY 作為 threshold)，提供建議給 NHS 或衛生當局做決策。NICE 在發展準則時必須以科學證據為基礎：提出準則建議前，應先評估每項醫療介入的有效性與成本效益，並發布八項基本原則：

1. 臨床及大眾健康效益 (clinical and public health effectiveness)
2. 成本效益性 (cost effectiveness)
3. 個別選擇性 (individual choice)
4. 罕見病況 (rare conditions)
5. 回應公評 (responding to comments and criticism)
6. 避免歧視及促進醫療平等 (avoiding discrimination and promoting equality)
7. 民眾健康的特定議題 (particular issues for NICE guidance on public health)
8. 降低健康不平等 (reducing health inequalities)

另外，NICE 已全面發展有實證醫學根據的臨床指引 (clinical guidelines)，以逐漸減少無效的治療。而英國政府早已投入一些研究經費來作為開發罕見藥物；醫師可根據臨床診斷提供病患獲得未批准之藥物；進行孤兒藥認證申請時，藥品可能存在安全、品質、產品功效問題或以非道德的方式收集資訊，在這情況下，製造商須負責持續監控上市後藥品的詳細資料；為了小藥廠能回收成本，提供小型的藥品市場的新藥查驗登記費用降低方案。由 EMA 所提供的孤兒藥研發經費，每年約 6 百萬歐元 (約台幣 2 億 2 千 8 百萬元)⁴⁵。

運用實證資料及經濟評估方式是一般常被用來作為醫療科技評估的方法，也通常被用以支援藥物給付決策，但此種一般性評估方式，可能無法完全涵蓋所有重要的價值及對病人的影響。以罕病用藥為例，就英國、蘇格蘭、瑞典、法國等四個國家，分析罕藥給付決策時，哪些「其他狀況」會被考量而影響決策，經分析歸納分成 15 類，其中最常見的考量是疾病本質 (Nature of the

⁴⁵ 洪雯菊、林金定，歐盟罕病藥物供給、研發政策法規與藥品市場現況分析，身心障礙研究，第 12 期，第 2 卷，頁 72 (2014)

Disease)、對病人造成的負擔 (its Burden on the Patient)、罕見程度 (Considerations Based on Rarity)、無法可治疾病之需求 (Unmet Need)、藥物創新程度 (Treatment Innovativeness)⁴⁶。此種分類方式值得我國學習。

而 NICE 近年來在新藥價值核價上，有一些新思維及發展：

1. 將較寬的社會效應(Wider Social Effect)納入決策考量，意指：未給予病人該項醫療，相對給予治療，社會得到的負向結果，包括喪失的生產力及增加的社會成本等，通常使用 QALY lost(QALY shortfall)以量化之。比如，若延長生命的同時未相對增加生活品質，例如某些嚴重的慢性病，使病人正常活動嚴重受限，因為延長生命沒有相對增加生產力，則會產生負面的社會效應，。
2. NICE 認為，絕對的疾病負擔(Absolute Burden of Illness)可做為測量社會衝擊的向度之一，因其可反映疾病影響病人投入會的程度以及病人的早期死亡情形。
3. 未來在彈性決策方面的新方向 (Flexible Decision-Making .New Approach)：考量以下因素，成本效益閾值(ICER)可於 2 萬~5 萬英鎊間彈性調整：
 - (1) 疾病負擔(Burden of Illness)。
 - (2) 社會影響(Wider Social Effect)。
 - (3) 生活量表無法反映的其他因素(HRQoL Inadequately Captured)。
 - (4) 科技創新程度(Innovative Nature of Technology)。
 - (5) 國民健康保險之目標(Non-Health Objectives of the NHS)⁴⁷。

為整體考量健康效益，NICE 評議委員會(Appraisal Committee)可接受「疾病末期延長生命的治療」評議標準可與一般人不同，目前於裁量時也尚在學習是否依個案接受較高的 ICER⁴⁸。

第二項 日本學者提出的建議

雖然英國透過 NICE 之藥物經濟評估，來衡量藥品之成本效益，以固定的成本效果閾值(ICER threshold)作為新藥給付的量化標準，值得學習。然而，單一固定的 ICER threshold 存在許多重大的挑戰，例如單一 ICER threshold 顯然不適用於所有的疾病領域，即使少數國家已經對於癌症領域新藥設立較高的 ICER threshold，但近來還是有越來越多的亟需的新藥仍因為超過 ICER threshold 太多而無法被給付。另外單一 ICER threshold 亦僅能反映

⁴⁶ 行政院所屬各機關出國報告，2014 年國際醫療科技評估學會 (HTAi) 第 11 屆年會會議報告，頁 15

⁴⁷ 同前註，頁 19

⁴⁸ 同前註，頁 19

藥品本身和對照品的經濟效益比較，卻無法反映到預算規模以及給付者的預算限制。若新藥的 ICER 一旦高於閾值是否就將拒之門外，不論高出多寡？這樣的決策是否缺乏彈性和靈活度？對於罕見疾病和常見疾病用藥，此標準是否一體適用？面對以上的問題，如何在成本效益分析和預算限制間取得一個平衡，變成一個很重要的課題。

日本東京大學教授 Professor Isao Kamae 提供了一種可行的解決方案，就是以藥品成本效益分析再加上該治療領域的預算因素，以建立一個 ICER threshold 上限，只要該藥品的 ICER threshold 不超過這個上限，都應該考慮被給付。Professor Kamae 也引用理想氣體方程式 $PV=K$ （常數）來闡述這個概念，在固定單位預算 $K=B$ （總預算）/ N （治療人數）下， λ （ICER）和 ΔE （benefit）呈現反向分布。在這樣的分布下即使 λ （ICER）超過固定的 λ_0 （ICER threshold），仍然有被給付的可能。Professor Isao Kamae 結合成本效果閾值和預算衝擊（budget impact），提出一個新的決策準則（Kamae's law），讓具有高 ICER 且病人族群較小的新藥（例如：治療罕病的孤兒藥、癌症用藥）有被健保採納的機會。Kamae 進行一連串的公式推導，試著找到 ICER 與預算之間的關係。由推導出的等式（Kamae's Law）來看，ICER 最大值與預算成正比、使用的群體人數成反比，如此可畫出拒絕區與接受區。最後的結論是，Kamae 認為單一閾值的決策方式並不適合日本，而由 Kamae's Law 可知高 ICER 與群體人數成反比，如罕見疾病用藥及癌症的治療，比時效率提升的值亦可為較小值就可讓此類藥或治療進入給付項目⁴⁹。如此的動態 ICER 概念雖然需要更多的驗證和討論，但確實提供了尤其是對於高價新藥給付條件的不同觀點⁵⁰。

日本隨著醫療支出的快速增加，如何實現長期的可持續發展仍是日本面臨的巨大挑戰。在當前的環境下，日本需要應對三方面的挑戰：第一，如何實現患者利益最大化；第二，應用盡可能少的資源實現可持續發展，具體途徑包括鼓勵應用成本效果分析、促進研發和鼓勵應用大數據生成新的證據；第三、引導社會與個人的健康選擇，幫助人們選擇健康的生活方式、獲取適宜的醫療衛生服務⁵¹。

⁴⁹ 衛生福利中央健康保險署出國報告，2016 年國際醫療科技評估協會年度會議（HTAi Annual Conference）之出國報告，頁 19

⁵⁰ Budget Impact Issues in Decision-Making，社團法人台灣藥物經濟暨效果研究學會學會會訊，http://www.taspor.org.tw/epaper_02.php?id=24（最後點閱時間：2016/11/07）

⁵¹ 國際衛生技術評估協會第 13 屆年會專題報導，衛生技術評估簡訊，2016 年第 2 期，<http://chta.shmu.cn/upload/%E6%96%B0%E9%97%BB%E5%85%AC%E5%91%8A/%E5%B7%A5%E4%B>
[D%9C%E7%AE%80%E8%AE%AF/gzjx_201602.pdf](http://chta.shmu.cn/upload/%E6%96%B0%E9%97%BB%E5%85%AC%E5%91%8A/%E5%B7%A5%E4%B)（最後點閱時間：2017/4/9）

第三項 小結

藥價保險支付是個複雜的政治問題，涉及一連串醫療科技、科學證據、成本和其他因素。必須考量成本與效果之間平衡的問題。在有全民健保的先進國家中，例如：加拿大、英國等，通常都會計算出各種疾病治療的成本效果，以便訂定一個閾值(threshold)來評估及促進新科技的合理引進使用。明確地定義、測量及比較出成本與效果之間的關係，做出每一單位成本的邊際效果，以訂出各種治療行為的優先順序，就能選擇最適當的方式讓病患經過治療後的健康結果極大化⁵²。雖然各國的政治、情況不盡相同，但我國可以他國經驗做為借鏡，如同加拿大、英國等，訂定一套公平、合理且適合台灣的藥物經濟評估指南。

缺乏單一及被普遍接受的健康收益閾值(health gain threshold)是當前評估健康介入以及衛生資源分配的一大障礙，雖然以 per QALY gain 等相同尺度為比較基礎的閾值(threshold)，則可協助衛生資源分配決策，閾值不過是衛生決策的參考因素之一，且在具有不同負擔的疾病間，需要不同的閾值。然而，無論從技術或理論層面上來看，目前沒有充分的數據可以提供單一通用於不同疾病間與不同處置間的單一 ICER threshold，以實證資料來看，若以民眾端或病人端訂定處置或介入的成本效益閾值，其可能遠低於目前健康保險給付的價值，且若選擇單一閾值，則可能導致潛在的預算控制與資源分配不合理的問題⁵³。學者亦認為，健保局未公開訂出高低閾值，交由藥事小組依慣例默契決定，標準缺乏明確性、一致性、透明性。藥事小組決策仍重視健保整體財務衝擊，而目前國內學界僅發展出經濟評估方法，但倫理、社會考量方法尚未形成準則⁵⁴。

期待我國健保支付制度改革，結合成本效益分析訂出明確閾值，也就是逐漸形成共識得到一個人年或一個健康人年(QALY)約要花費多少錢是能被全民健保制度接受的，日本學者對於高價新藥給付條件的不同觀點可供台灣學習，以兼顧健保資源有限及罕病藥物給付之權利保障。

⁵² 同註 33，頁 129

⁵³ 譚家惠 博士 / 台灣大學健康政策與管理所 博士後研究員，20104 年華夏論壇與會心得分享，社團法人台灣藥物經濟暨效果研究學會，http://www.taspor.org.tw/epaper_02.php?id=18 (最後點閱時間：2016/11/5)

⁵⁴ 何建志，醫療科技評估與正義 Health Technology Assessment and Justice 簡報檔

第參章 實證研究下我國現狀及修改建議

第一節 我國罕病納保程序之分析

在了解理論後，本文將結合實證研究之質性訪談，論述我國罕病納入健保之程序面分析如下：

第一項 行政程序冗長

根據《罕見疾病藥物申請辦法》規定，罕病藥物藥廠必須先向食藥署檢具資料，由食藥署召開「罕見疾病及藥物審議會」藥物小組會議審查，過關後再由食藥署提到國健署每3個月召開一次的「罕見疾病及藥物審議會」大會審議，通過後才可向健保署申請給付認定。

二代健保幾乎不允許專案進口，必須要取得藥證才可以申請，而罕病在取得藥證上又會遇到許多困難，等取得藥證後才能進入全民健保的共同擬定委員會進行審查，整個程序需耗費兩三年。

A：「它的問題在於過程很長。那罕見疾病的藥又特別明顯是因為……我給你看一個資料……因為它要先申請是罕見疾病的用藥，然後，才會變成，進去健保裡面，去審議它的價錢。所以跟一般的藥又不一樣。一般的藥，只要就是，列為合准上市，它就可以申請健保給付，所以呢，原本我們是希望說，罕見疾病可以快一點用到藥，所以當初我們用《罕病法》是希望說，它要先申請列入公告的罕見疾病用藥，就變成是罕藥的認定先申請，申請之後會進入這個罕見疾病審議委員會裡面，它有藥物小組，還有一個是大委員會。然後，都通過以後才會列入。列入以後呢，就會公告它是罕藥，這個時候才會認定它是罕見疾病的藥物，可是這個時候呢還沒有到健保給付喔！這個時候呢有一種是它如果沒有藥證，就會變成用專案進口進來。因為罕見疾病要申請藥證有時候又沒那麼容易，因為藥證要符合很多條件，很多時候都是要用台灣當地的一些 data，那台灣很多的藥是國外開發的，它可能還沒有台灣當地的那個實驗的數據，所以它不見得可以很快地申請到藥證。那如果沒有的話，我們的《罕病法》是可以用專案進口的方式讓它進來，那專案進口進來的話，一個是走申請藥證的，一樣是走藥物審議委員會跟大委員會，才可以；那另外一種是，它還沒有藥證，直接先申請，是允許可以申請的。可是，最近幾年，健保這邊呢，它不讓沒有藥證的直接來申請，這個幾乎已經走不通了，所以等於它要走這個再走這個才能申請。所以一般的藥，它只要走就是，許可證就可以去申請了，然後它又不用經過這個，這個是罕病罕藥才有的，它只要經過 TFDA 就直接

可以申請過了。所以你可以看到，結果反而罕病、罕藥會更冗長，對。那原本我們是希望它認定罕病罕藥的，可以省去，它審查可以快審，然後它，可以少掉很多的，就是，費用。因為它核發藥物的認證的時候，是需要很多的費用的，那藥廠就要付很多的費用，因為他們的，一般我們認定藥廠進口的這個藥是要賺錢的，才會有一些費用要支付，那我們當初是想鼓勵藥廠進口這些藥，因為是來救命的，然後我們可以加快審查，結果沒想到，它看起來的流程是更長，**通常都要兩三年才能完成這個程序**，然後進入健保。以前是我們到這裡，專案認定後，就可以進去了。那現在呢，健保現在不是用那個共擬會來審議嗎？就是有二代健保後不是用共擬會來審查？以前一代的時候是不用共擬會的，一代的時候是健保局會有專家，罕藥這邊通過以後，他們會認為罕藥這邊已經有很多專家在審了，所以健保認定呢就沒有這麼多的考慮條件，其實專案進口後，就大概健保會給付，藥就可以用得到了。那新的共擬會，他們幾乎不同意，就是用專案進口的進來，所以就是一定要拿到藥證，才能夠，進來討論。所以現在就是會發生這樣的問題。可是你回推來看，現在罕藥沒有付，健保沒有付的，並沒有那麼多，只是這個流程要非常地久，」

第二項 罕見疾病藥物申請辦法徒有法令卻未盡落實

《罕見疾病防治及藥物法》上路已 16 年，但該法第 33 條健保未能給付之醫療補助尚未落實，已接連造成 2 名病兒等不到藥而過世的悲劇，病友團體推動之醫療補助辦法亦非長久之計。至今徒有法令卻未盡落實，主要是審查的條件嚴峻，申請的病家不多，且多遭主管機關打回票，雖有補助規定，但罕病藥物費用高，專案申請的門檻高，也經常有延遲核定的情況，不夠善意，主要都是經費和預算的問題。另外，法令空有殼但母法沒有子法執行，醫療補助辦法修完也尚未落實。

A：「罕病法 33 條，這樣講好了，其實罕病法是 2000 年公告的，然後現在已經 16 年了，這麼多年來呢，**其實有很多東西沒有真的在做**，那基金會有一直 PUSH 政府要去落實啦，那我們一直 PUSH 之後，政府最近在推行了一個罕見疾病的研究補助辦法，還有一個醫療補助辦法，可是醫療補助辦法要把這個加進去，**這個修完之後都還沒有落實**，然後還有一個第 8 條，第 8 條也是這次過的，要去做一個生育關懷，或者是，其實最早是要去訪視及提供相關的照護諮詢，然後這個，從立法之後，都沒有做過（笑）所以最近國健署也為了這個第 8 條有成立子法，就是規定要去落實第 8 條，也是今年才公佈這個子法，可是我看公開招標委辦都還沒有人接，所以不知道什麼時候才會落實。因為我們當初立這個罕病法其實就是，像國外有孤兒藥法，很大的不同是，我們有很多這個預防的，或是這個照護的，不是只有做鼓勵藥物的研發而已，那台灣要做研

發這塊，可能還沒有辦法真的做到很好，所以那塊在沒得救之前，我們還是要他們的生活照顧得好，這也是我們基金會一直要做的很多方案的部分……33條有一個部分是：『健保未能給付之診斷及治療』，現在不是說如果健保無下文，應該33條要補上來，那，33條也一直沒有相關的支出，因為他們就是一直想說，健保有就好了啊，那也是因為這次AHUS的個案健保一直沒有過，剛才講的很冗長的程序，到最後送到健保審查的程序，然後它的原因是，最根本，因為他們沒有拿到license，然後另外一個是它的藥價真的太貴了，反正最後健保就是沒有過，那沒有過呢，按照健保33條，是不是健保沒有過那33條應該要來付呢？那以前一直都沒有，那前兩個個案等不到已經走了，那第三個案已經快等不到幾乎已經快不行了，那我們那時就去張羅錢，叫他們先救人，基金會會負責。那這條一定要走出一條路來，因為他一直說健保會付健保會付，那這個就是一個很明顯的例子，是健保沒付而且人就快走了，你再不開啟這條路來，後面的人還是沒有一條路可以走……也因為這個個案，我們就衝出這條辦法，這個是罕見疾病醫療補助辦法，它有一個附表，如果國外已經有查驗登記了，然後第一年沒有data，從50%開始，然後每年一直下降，如果你一直再不送審，本土的研究資料的話，就會一直遞減，那如果有送的話，就會遞增。那它還是有一個上限，它最高補助到80%，然後每個月最高是50萬……自費還是需要很大一筆費用，也就是說雖然我們走出了一條路，但它也不是長久之計，所以最終我們還是會希望可以到健保這邊來。目前第8條還沒有執行，其他的都還在討論階段。訂完母法後，還需要修訂相關子法才可以執行。第8條的子法已經公告了，因為十幾年有第8條但沒有子法，所以一直都沒有子法去執行，空有殼但母法沒有子法執行。這次修法是這個加進去嘛，所以他應該再去修這個補助辦法，那，還在討論中。所以為什麼沒辦法落實，因為它的子法還沒有配合母法修正過來啊。我們現在一個很大的問題，基金會跟罕病法是一起長大的，可是你去看政府的團隊，他不曉得換了幾代，因為主要主管罕見疾病的是衛生福利部嘛，以前是國健署，以前是局嘛，那他從上面的署長局長，到下面的副的，然後組長科長承辦員，不知道改了N代了，所以他們沒有從整個立法的概念跟精神，另外一個是他們中間一直輪替的時候，沒有掌握到精髓。我們立這個特別法的目的不就是為了特別照顧這群？」

第三項 共擬會大部分組成為醫院經營者

全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂會議之實質組成大部份為保險醫事機構服務提供者，即為醫院經營者。我國健保是量出為入，委員們大部分都仍以利益、點值為考量。

A：「我們會去聽他們審議會的錄音，他們是要公開的，我看一下……這是第二

屆共擬會的一個組成，他大概譬如說，被保險人、專家，然後政府機關，然後雇主代表，然後很大的一個比例是在這裡，保險醫事機構服務提供者。那看起來，保險醫事服務提供者，他們其實才是利益關係人不是嗎？醫事服務提供者其實，我覺得他應該是專業的醫療人員，可是，來參加的都是，醫院的經營者，那最後錢會拿到誰手上？也是這些經營者，所以等於說，他們其實是在裡面在看誰拿的錢多少，很多都是在搶錢、瓜分看怎麼樣。所以如果你有機會去聽錄音檔，你就可以聽……所以他背後是有一些利益的關係的，那當然，無可厚非的，他們會站在他們的立場，可是假設我們需要去制定一個這樣的付費，哪個藥要不要付，因為他是擬定一個要不要支付的事，那更多是不是應該，其實是專業的、對病人著想的、或對整個體制作一個考量，而不是是想要來分健保資源的人來，可是很難，因為這些人占了一大半的，很多幾乎都是他們可能會拿到錢的人，其實他們才是真正的利益關係者。然後反而有一個是，被保險人代表，就是你我們大家嘛，那他們很擔心的就是病人們不懂，然後只會來哭、來鬧，有時候我們聽到的是這樣的訊息，所以蠻……整個組成是比較偏醫院經營的利益的，所以他們會常考慮到的是說：『會不會影響到點值？會不會影響到醫院最後能拿到多少錢。』所以我們就會很擔心這樣的機制有沒有辦法好好地去看，或者說去看到，因為我們健保當初是希望這個體制能去照顧負擔不起、付不了錢、沒辦法救命的很辛苦的一群人。那也很多次都討論到，感冒要不要付，感冒花很多錢可是感冒一般人可以付得起喔，可是如果省下來是不是可以救更多自己付不起的人，可是很難，因為感冒的人大家都有可能，大家可能都會反對。這樣變成，反而很多是家裡救不了的人，就會沒得救了，因為健保也會考量他的錢太貴，這是一個社會價值及公平，是不是公平不知道，可是你要有一個社會保險更大的成分在裡面這樣子，這就是我們遇到的一些困難。所以你去看這個新藥可不可以納入健保給付，他就會要求提供一些資料，那這些資料大部分都是 CDE 他們會去整理的，醫藥品查驗中心，叫 HTA 啦，裡面很多會去審查藥價是多少，或是技轉怎樣，或是財務衝擊怎麼樣，通常都會看財務衝擊，所以他們也會去看到說，財務衝擊到底會不會對整個健保有影響，那無可厚非因為大家也不希望健保倒掉嘛，只是說可能在整個審查的觀點要更 Open-mind，有時候委員真的只看他們的總額、點值會不會被因為這樣影響到，那就真的是，只是站在他們的利益去考量這樣子……」

B：「他們完全是以……以今天所有的錢有多少來支付，但是他們上面有個健保會，會先分好今年有多少錢，在這個總額之下要去區分……所以有沒有審查標準，我們當然就是說，以我們覺得可以支付，我們就支付，然後支付多少錢，我們也建議，那個審議會建議，那到時候再提讓 PBRs 去決定，所以戰場在 PBRs，最主要是醫院代表。那醫院有分以營利為目的，社團法

人財團法人，本來就是以營利為目的。」

第四項 藥物支付無固定標準，仍以財務衝擊為考量

我國健保給付缺乏單一及被普遍接受的健康收益閾值（health gain threshold），共擬會依慣例默契決定，標準缺乏明確性、一致性、透明性，決策大多仍重視健保整體財務衝擊。

B：「沒有什麼固定標準，沒有 icer threshold，我們持家是量入為出，可是我們國家健保是量出為入，我今年要花多少錢，我就去收人家多少錢，當我收的錢，人的那塊是被政府綁架的時候，我所要出去的那一塊就變得很亂，所以健保會那塊很亂，我們管不到。那塊大餅我今年花到幾千億要用在哪塊，講好以後各自去使用，人數要怎麼去區別這是一個很嚴重的數學問題，你要預估我們人數有多少、疾病有多少、他的 expected life、life expectancy 有多少、藥物有多少還有他的錢有多少要預付多少錢，意思就是說我今年要花多少錢在這些人身上在這個疾病我要得到多少，然後那一塊再乘上你的藥物，那你才能得到多少錢，有這麼多的錢要怎麼去區分這是一個很大的問題，我們分到這些錢後要怎麼對這個藥價去做審查。所以會造成說醫院經營者會看到很多藥物的給付就像 bar chart，這邊比較少我可不可以移一點過來，所以會造成一個問題說健保不一定會以 data 為準，我最主要的目的是要拿到錢！罕病是 minority 再 minority，每年十一月健保會去決定搶那個錢。那罕病的藥跟其他的藥標準是不是一樣，我的人生比你痛苦那政府是不是應該要去照顧這些人？如果是以健保的觀點來看政府是需要的，所以罕病罕藥應該要分開來，甚至要高估，我個人是這樣認為。台灣的健保基本上就是一個社會主義的制度，那這些人更應該要被照顧到，國家有錢的話。可是現在的氛圍是國家沒錢的時候，哪些人會應該被放棄，可能是罕病這些人。因為大家總是會有一個迷思，就是罕病的人的 productivity 很低，所以他對國家是沒貢獻的。理論上國家是要照顧這些人的，但是國家應該要有一個政策是對於罕病或是對於婦女在懷孕時的 screening 是要強制的。」

A：「如果沒有標準，就看委員要不要同理了，最好還是要有一個合理的方式會比較好一點啦，然後可以再參考一些特殊狀況。就是要有一定的標準，然後再考量一些特殊狀況。總體的給付可以有一個類似監督，可以確保他們可以不要那麼……太依個人性去作一個考量點。看是不是有一個監督或是審查他們的決議是不是比較合理。錄音裡面其實會錄到一些很不應該被聽到的話（大笑）但現在沒有什麼救濟管道。」

第二節 我國罕病代表參與健保共同擬訂會議現況

二代健保改革的核心價值其中之一即為擴大社會多元化參與健保政策，於審議、協議重要事項前，應先蒐集民意，必要時，並得辦理相關之公民參與活動。行政院二代健保規劃小組曾經就個別公民如何參與健保決策，進行如公民會議和審議式民調等與模式的試驗和政策建議。然在罕見疾病及藥物審議會，機制不夠完備，亦甚少辦理相關之公民參與活動。

在我國衛福部健保署於出席 2015 年世界孤兒藥研討會(World Orphan Drug Congress Asia 2015)的出國報告中提到：「病人意見納入給付決策參考是近年來的國際趨勢，病人倡議團體也在各個與醫療科技評估相關的國際會議中努力發聲。組長受邀參加最後一天的亞太地區病友團體聯盟成立大會，由病友團體的合作及分享可以想見，不久的將來，病友團體代表參加共同擬訂會議是不可避免的。本署應事先在病友的教育訓練上學習英國 NICE 之作法預為規劃⁵⁵。」

第一項 修法前

民國 100 年，健保署修正二代健保法第四十一條⁵⁶，在新藥給付決定過程中加入病友團體可受邀列席新藥給付共同擬定會議，對新藥給付案表示意見。因為病人的聲音一向被摒除在外，此修正案通過，讓病友團體獲得一線曙光，病人意見終於獲得重視，在健保法中有了明文規定。但非常遺憾，健保署因為考量病人的公民素質訓練未臻成熟，為了避免影響會議效率，因此病人意見由醫療提供者代為傳遞；這項毫無道理的歧視，讓病友團體再次失望，所謂修正法條加入病人意見的參與，無非僅只是流於形式罷了。

在「藥物給付項目及支付標準訂定流程」中，當有新藥及新藥材建議案件於衛生福利部提出申請時，會交由國家醫藥科技評估 HTA (Health Technology Assessment) 進行評估，於 42 天完成新藥評估報告送交健保署，進入審議階段。接下來會有藥物專家諮詢會議，給予收載及藥價之建議。接著健保署會公開議程及醫療科技評估報告，7 天後舉行藥物給付共同擬定會議，決定是否給付或有條件給付、決定藥品單價等。病友、病友團體的意見收集截止日則是在藥物給付共同擬定會議舉行前 14 天。

而在這個流程中，最讓病友與病友團體詬病的是，雖然在健保署的官網上

⁵⁵衛生福利部中央健康保險署，2015 世界孤兒藥研討會(World Orphan Drug Congress Asia 2015)，出國報告，頁 7(2015)

⁵⁶ 全民健康保險法第四十一條：「由保險人相關機關、專家學者、被保險人、雇主、保險醫事服務圖供者等代表共同擬定，並得邀請藥物提供者及相關專家、病友等團體表示意見。」

有一區塊稱為「病人意見分享」，上頭列有新案件與上傳意見的截止日期，但是並不會主動通知病人、病友團體新藥與新藥材建議案件，病人、病友團體若要知道是否有自身有關的新藥建議案件，則必須自行每週上網檢查，健保署面對病人、病友團體態度仍屬被動⁵⁷。

病人、病友團體的意見收集有兩種，一個是健保署官網的「病人意見分享」，另一個則是由病友團體提報病友證據。病人意見分享的立意是好的，可是點入意見分享的頁面後，有關新藥的基本資料，包括新藥的中文、英文名稱，還有一個「認識產品」，但是所謂的認識產品，其實只是一個罕見臨時碼。不管從中英文名稱，或者臨時號碼，完全無法辨識是屬於哪一個疾病的藥物或藥材，更無法從中得知新藥物的作用與適應症等等。如果連新藥物是什麼都不知道，那麼又如何進行評估、反對或支持呢？

相隔四年之後，健保署於民國 104 年跨出第一步，啟動了「推動病人意見納入給付決策計畫」，並於 4 月 10 日建置「病人意見分享」線上平台。因應此平台的建立，許多機構、組織開始針對病人或病友團體舉辦訓練課程，指引如何撰寫病人意見、蒐集病友證據，期望能在共同擬定會議中發生作用，也為未來參與共擬會做充分的準備。病人意見目前有兩種方式可提供給健保署：一種是病人直接在「新藥及新醫材病人意見分享」平台上，以簡問總答的方式撰寫；另一種則是由病友團體蒐集病友資料，以譚延輝博士的「病友團體提供病友證據模板」為基準，彙整成書面文件，以郵寄方式寄給健保署⁵⁸。

第二項 修法後

在民國 105 年 4 月 21 日衛生福利部中央健康保險署召開全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂會議，但違反相關辦法及會議議事規範規定，也沒有事先告知委員，就邀請病友團體在其他會議室觀看實況轉播，引發委員爭議造成流會⁵⁹。於同年 8 月，病友權益終於大躍進！健保署宣布，8 月 1 日起健保新藥會議將首度開放病友團體與會，病友團體將有 10 分鐘時間說明對疾病的

⁵⁷ 何元印 執行秘書 / 社團法人中華民國乳癌病友協會，「病友團體如何準備病友證據之教育訓練課程」心得，社團法人台灣藥物經濟暨效果研究學會，

http://www.taspor.org.tw/epaper_02.php?id=28（最後點閱時間：2016/11/23）

⁵⁸ 伍淑瓊 主任 / 社團法人中華民國乳癌病友協會「病友團體如何準備病友證據之教育訓練課程」心得，社團法人台灣藥物經濟暨效果研究學會，

http://www.taspor.org.tw/epaper_02.php?id=28（最後點閱時間：2016/11/23）

⁵⁹ 罕病新藥給付會議 擬開放病友與會，中央社新聞，

http://www.ibmi.org.tw/client/NewsDetail.php?REFDOCTYPID=0o4dd9ctwhtyumw0&REFDOCID=0o6bkiwz34vjc5sj&Page_Num=1（最後點閱時間：2016/11/21）

需求，並和專家學者互動，將是亞洲首個推行該制度國家。根據現行規定，新藥、新醫材是否納入健保，得由健保署、醫界與專家學者等共同召開「全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂會議」討論，但受影響最大的病友如對於藥物有意見、需求，只能透過書面提出，引發病友團體不滿。公告「全民健康保險促進病友參與藥物納入健保給付決策作業要點」後，明定病友團體可列席健保新藥會議，將有 10 分鐘時間可提出對新藥、新醫材的需求，盼儘早納入健保給付。藥廠、醫療院所如要建議藥物納入健保，也得在送審資料中提供 300 字內易於閱讀的產品簡要說明，確保病友也能了解和自己切身相關的新藥資訊，才能參考並提出意見⁶⁰。

衛生福利部中央健康保險署於 105 年 7 月 22 日發布訂定「全民健康保險促進病友參與藥物納入健保給付決策作業要點」，並自一百零五年八月一日生效，落實提升程序正義與促進健保資源合理分配。根據此要點，健保署有權利將意見分享平台蒐集的資訊做為醫療科技評估之參考資料，或進行彙整提供於健保給付決策會議。而再次建議之藥物個案，健保署於召開藥物共同擬訂會議討論該個案前，將以正式書面函文邀請於意見分享平台有對該藥物表達具體意見之病友團體指定代表二名到會列席表達意見，此次修法著實為病人、病友權益之一大躍進！

第三項 質性訪談觀察

衛生福利部中央健康保險署發布新要點後，是否真正落實提升程序正義，透過質性訪談觀察如下所述：

第一款 病友參與仍需自發性積極

A：「那個辦法是第一次審議沒有通過，第二次才會被邀請，然後是他只能有一個代表進去，而且不是邀請，是申請，所以你必須要去 follow，miss 掉沒有去申請就沒有了。因為他也不知道該找誰，他們可能也有一點困擾這樣子。罕病現在還沒遇到一次沒過才上第二次的，通常沒那麼快，排那個議程都很久才會排到一次，它大概二個月才開一次，它是藥品跟醫療服務啦，兩個共同擬定會議輪流開，那藥品大約是雙月會開，譬如說二四六，那十二月沒有罕病的討論案，而且要第一次沒過第二次才可以去，不是每次有罕病的議題我都可以去……它也只是讓我們列席，讓我們多一些機會去表達，很多東西像我剛講的，如果是用很數據性的數字去呈現，你是看不到這個病人對於藥的期待，還

⁶⁰ 亞洲第一 新藥納健保聽病友意見，中央通訊社新聞，
<http://www.cna.com.tw/news/ahel/201607250362-1.aspx>（最後點閱時間：2016/11/21）

有病人在這個疾病過程中的辛苦，我們如果不是身在其中是很難想像他們的日子是怎麼過的，那你如果可以讓他來表達他的狀況是怎麼樣的，或者是甚至他假設有參與臨床試驗，那他這個藥有吃過、有用過，那他可以表達說這個藥他使用前、使用後對他生活的改變，那委員就可以更加了解這個藥對病人的幫助，那他值不值得花這個錢去幫助他，這個是非常第一手的資料，需要病人自己陳述的。那我想這樣的陳述還是可以多一點給委員他們。委員他們會怕病人去那邊哭哭啼啼，所以病友代表要去訓練適當的代表、有機會去陳述意見的人，可人更理性、更有條理的，有幫助到委員作決策的一些資訊可以出來，可能會比較客觀、理性、有幫助的。病友團體也是希望多一點自我成長，假設我們去找代表陳述，我們也都會先跟他好好地講、溝通，然後協助他整理，因為一定要親身經驗過的人才能講得很具體，可是要找到那個適當、有條理會表達的人很重要……我們都會 follow 一個叫做『病人分享平台』，它都會提早 announce 說有什麼樣的藥要提前進入審查，他在裡面會希望病人可以分享一些用藥經驗，那如果它第二次再 announce 就要找人了，除了請他進病友平台外，也要開始訓練他自我陳述。」

第二款 病友團體的選擇要有一套標準作業流程

B：「需要的是 SOP，他們選了幾個象徵性的病友團體，不講話的還是沒用。我覺得不是病友團體的問題，而是他選擇的病友團體。病友團體誰出錢？病人我如果有錢我只要有藥給我就不用加入病友團體，都是藥廠！藥廠透過醫生來管理這個病友，那這樣懂了吧？我藥廠講很多話，但我不能講，為什麼？我要賺錢啊。可是我賺這些錢我有一部分就移到，我 sponsor 這個團體，我自己不出面，我找一個醫生來出面，這個醫生專門來開我藥的這個病友團體，台灣大部分都是這樣，你有沒有聽過病友團體還可以吃尾牙的？他們每年固定的盈餘就放到這個基金會，這個時候，大部分醫生跟藥廠是站在同一線上，然後呢病人一定都是聽醫生的，我醫生要開藥給你有兩種選擇，一種是健保，一個是藥廠，我要不要聽醫生的，我聽醫生的。所以唯一只有病人去自動自發成立的病友團體，真正要發聲的才叫病友團體，請問有哪幾個？罕病基金會的錢也是從政府拿出來，因為我們是相對弱勢的所以請政府拿錢出來。所以要有很好的 SOP，從根作起，病友團體的組成應嚴加管制，你任何一個組織都要錢。」

第三款 公民會議之實踐仍有一段距離

A：「我們現在的情況，就算弄了公民會議，最後還是共擬會作決定，就像 HTA

他作了很多數字也是參考嘛，還是共擬會他們那些人的角度在做討論 final 作決議啊，以目前的機制來看還是他們在作決定啊，他們的腦袋還是最後的關鍵。當然我們會希望這些聲音進去後，委員們可以更同理，而不是一味地用一樣的腦袋去思考事情。以前的健保就是一塊大餅，就是那些經營者在分啊，很難把他們屏除啊。那二代健保就是要有更多的聲音進來，那這樣你的組成又非常地關鍵。我不知道如果是要讓更多的聲音進來，那為什麼這群人的比例會這麼高？專家也是最近才增加成 9 人喔，還不到一年內才增加的，之前才 4 個人而已，就是為了稀釋它的比例，大家一直吵才增加到 9 人。可是納進了會不會用，不是我說的算，是要醫生說我會不會用到才可以，那他們是利益關係人其實要避免，可是我用的時候其實不是我說了就可以用，那這些人其實是在賺這些人的錢，被保險人其實是利益關係人，我不是健保給付後我就可以拿到藥，需要醫生開藥我才會拿到啊。而且他們很猛喔，你去聽錄音帶都是他們的意見很多，專家學者很多都請假無法出席，所以他們就扣掉了，那這邊是一定會來，主管單位又一定會有委託人嘛。所以我們建議是，這邊可不可以有一個可以調整的空間。」

B：「公民會議啊，很 ideal 的想法，我的感覺是這樣啦，台灣離公民會議的建制還很遠。我開一個里民大會，跟我最有關係的才有可能為自己而出聲，你會覺得這個很遠。而且通常會站出來講的，都是花很多錢，會得到疾病又要花很多錢的那些人，通常都是相對弱勢的。他連一天都沒辦法過得好好的，怎麼可能會去什麼公民會議？那你會被邀請去參加公民會議很簡單只有一件事情：你是被帶著走的。誰會願意來帶著這些病人來出現呢？就是藥商。所以從根作起也就是說，我們要有一個組織，我們可能需要一個基金會，這個基金會政府不能出錢、藥商不能出錢，那請問你誰要出錢呢？社會。你要找個一個政府不能介入、藥商不能介入的基金會來 organize 這個病友團體。問題就是說，台灣的民主是不是真的民主？公民會議也不是啊。台灣交際應酬比較多，我覺得離這條路很遠，要不要作？要作？很難做！這會牽涉到台灣是個什麼樣被管理的制度，也就是華人的國家裡 public opinion 要發生的最好的方式和被管理的方式是不是 equivalent to copaysion? 我認為不是。中國人需要有一點點法西斯的管理方法，這個國家才會好。要把英國那個制度全部丟到台灣來做，中間有很大的 gap，我覺得是 education！我們的教育沒有公民會議教育，我們有公民與道德的教育，其實倒不如講公民道德與威權教育。所以這個好不好要不要做？當然好！只是我比較站在實際層面，怎麼做啊？我總覺得台灣是從根部爛起，我們的教育真的是失敗的。台灣連公民教育都沒有做，要怎麼到公民會議？這些方法都很好，可是我從來不認為台灣的公民教育在全世界是排在前面的，你如果根本的教育不好，不用談這些，這些是形而上的東西。我是比較悲

觀的，台灣要走上這條路，教育不改這條路是行不通的。這個公民會議基本是希望大家的 opinion 能夠公開發聲，我們也來做啊台灣也來做啊？你來想想看嘛共擬會議是不是公民會議？我們在 TFDA 裡面的審查會議、我們在健保署裡面的專家審查會議也是往這個方向，只是說我們叫專家不叫公民。可是今天科長坐下來：「這個案子喔國家給了多少錢，這個案子不過我們不好交待。」然後就走了。你有空去查一下 TFDA 藥物審查投票小組的 SOP，他們不是兩個同等票的時候主席可以加入，而是兩個正反意見差一票的時候主席得以讓他平衡，然後由上面幫他決定，所以對一個正方一個反方，相對是不公平的，這是台灣很黑暗的地方。當教育對於 public affair awareness 增加時，這種事就會迎刃而解。快不快？不快，但就要一步一步做。可以左右到政府的不能靠公民要靠專家，這些專家不能是御用學者，要跟他持相反意見，所以已經在金字塔上面的那些人就要好好地改變那條路。」



第肆章 罕藥健保收載之審議式民主及公民參與

第一節 審議式民主及公民參與

所謂審議式民主的核心觀念，主要透過公民之間在理性、反思以及公共判斷（public judgement）的條件下，共同思索公共的問題以及公共議題的解決方案。換言之，它試圖解決一個重要的問題：如何建構出一種在各方皆有意願理解彼此價值、觀點及利益的前提下，共同尋求公共利益以及各方均可接受方案，並重新評估界定自己利益及觀點的可能性，以真正落實民主的基本價值⁶¹（Bohman, 1996）。

以寬廣的定義來說，審議民主所指的是：「民主的政策決定應該建立在公共審議的實質過程，在其間，支持或反對法律與政策的主張，都應從它們是否能夠增進公民的共善或政治社會的正義這樣的角度來提出論證」（Christiano 1997:243）。或如 Jon Elster(1998a:8)所做的界定，審議民主包含兩部分。一是，所有受到決策所影響的公民或其代表，都應該能夠參與集體決定，這是審議民主的「民主」部分；二是，集體決定，是抱持理性與無私態度的參與者，經由論理的方式來形成，這是審議民主的「審議」部分⁶²。

審議式民主是討論的政治，認為正當性的決策，來自於自由且平等的公民（或其代表）進行討論，討論須以提出彼此可接受且一般可得知的理由進行，且討論以達成拘束所有參與者的共識為目標，該共識在未來能夠被繼續挑戰⁶³。審議式民主之所以民主，不僅是由於民主正當性在討論的過程中形成，更由於審議可以促進公民參與、公民社會的相互尊重以及降低決策錯誤⁶⁴。

第一項 審議式民主要件

審議式民主，根據美國國家生物倫理委員會的主席 Gutmann 和 Thompson 的見解，歸納出三項進行審議的條件⁶⁵：

一、互惠性（reciprocity）：指公民應該要尋求能夠相互接受的方法，來化解道德上的歧見（moral disagreement），由於公民必須提出符合互惠性的理

⁶¹ 陳俊宏，永續發展與民主：審議式民主理論初探，東吳政治學報，第九期，頁 104(1998)

⁶² 黃國明、陳東升，公民會議與審議民主：全民健保的公民參與經驗，台灣社會學第六期，頁 68(2009)

⁶³ AMY GUTMANN & DENNIS THOMPSON, WHY DELIBERATIVE DEMOCRACY? 3 (Princeton : Princeton Univ. Press, 2004).

⁶⁴ *Id.* at 8-10.

⁶⁵ AMY GUTMANN & DENNIS THOMPSON, DEMOCRACY AND DISAGREEMENT 2 (Cambridge : Harvard Univ. Press, 1996).

由，他們因此能超越自利的狹隘思考，並能夠在不改變其道德觀的情況下，對持不同道德價值者表示尊重⁶⁶。

二、公眾性 (publicity)：指公民或官員正當化其政治行動的理由必須是公開的，接近前述理由所必要的資訊也必須是公開的。公開的目的，在於確保理由是互惠性的⁶⁷。

三、責任性 (accountability) 是指每位公民應該對其他參與討論的公民負責，這也就是討論為何要附理由的用意所在⁶⁸。

除此之外，Gutmann & Thompson 也提出三項審議的主要內容：基本自由、基本機會、平等機會⁶⁹。

而審議式民主有三大主張⁷¹：

一、充分公開的資訊

公共政策的討論應透過審議式民主的模式來進行。如果民眾是在一個全然盲目或是沒有資訊的狀態，則民眾的參與即變成無謂的爭辯。所以審議式民主強調的第一個程序是充分公開的資訊，這個充分公開的資訊，必須要包含不同的觀點。

依比較制度而論，丹麥的公民會議 (Consensus Conference) 值得我們參考。「公民會議」是丹麥所開發出來的民眾參與制度，同時也是全世界第一個採取公民會議制度的國家。丹麥曾辦過十幾次的「公民會議」，辦過基因食品、複製人倫理的問題，參與的民眾都會拿到一本一般民眾可以了解基因科技的可閱讀、可了解的資料，而這樣的資料是由丹麥科技委員會 (Danish Board of Technology, DBT) 寄到每一家戶，每一家戶都可以獲得這樣的資訊。DBT 認為，公民不能只被看做是資訊與專家知識的接收者，更主張公民能做科技評估做出重要且有用的貢獻。這是為何丹麥在科技評估上如此重視深度的公民參與之原因⁷²。

二、平等相互尊重的原則

審議式民主認為，民眾與專家之間知識權力不對等的「對話」，應該加以取消。民眾與專家，在審議式民主程序中，關於議題設定和討論過程，沒有優劣高下之分，沒有誰是比較優勢，而被賦予重要優先的位置。這個原則在處理科技風險、科技不確定性，是非常重要的一個面向⁷³。

三、一個雙向溝通的過程

⁶⁶ *Id.* 2-3.

⁶⁷ *Id.* 7-8.

⁶⁸ *Id.* 8.

⁶⁹ *Id.* at 7-9.

⁷⁰ 張兆恬，民主審議作為一項生醫研究倫理原則－國際人權、美國法及台灣經驗之考察，中華國際法與超國界法評論，第八卷第二期，頁 20-21 (20112)

⁷¹ 陳東升，清華大學社會研究所演講：「審議民主的理論與台灣的實踐經驗」，頁 9

⁷² 胡中瑋，科技溝通與審議式民主-美國密蘇里州幹細胞修憲投票經驗為例，法律與生命科學，第 2 期，頁 24-25 (2007 年 7 月)

⁷³ 同註 51，頁 25-26

審議式民主程序中，民眾必須要提出一個對方在某程度可接受的論點，對於該論點必然使民眾須反省自己的主張與見解有什麼樣的限制？專家長久以來以專業知識進行思考，而專業所看不到的盲點，在與民眾知識作對話溝通時，便會顯現出來。在這個溝通過程中，民眾會擴充專家知識對於科技不確定的理解，而民眾亦可擴充自己對於科技的了解。這個是一個雙向溝通過程，也可能變成正向回饋的溝通過程⁷⁴。

第二項 公民參與之要素

依照《公共行政字典》，「公民參與」意指「公民於政策制定過程中的參與⁷⁵」。一九八〇年代中期以來，審議民主(deliberative democracy)的理念逐漸受到民主理論的關注，在這同時，許多強調公共討論的公民參與模式，也在歐美國家相繼發展出來。晚近，審議民主的理念與實作，也飄洋過海來到台灣。在審議民主的擴散風潮中，尤其值得關注的是公民會議(consensus conference)的發展。公民會議是起源於丹麥的公民參與模式，邀請一般公眾針對爭議性的政策，聆聽多元觀點，進行知情討論，經由說理的過程形成集體意見，供決策參考。公民會議在 2002 年首度由學者引進台灣，實驗性地用於討論全民健保議題⁷⁶。

基於審議式民主理念的公民參與模式主要有公民會議(citizens council; consensus conference)、公民陪審團(citizens jury)、審議式民調(deliberative polling)、審議日(deliberation day)、願景工作坊(scenario workshop)等，台灣的二代健保規畫小組除使用前述參與模式提供人民就政策提供其觀點的機會外，更曾綜合公民會議與審議式民調兩種模式，進行「法人論壇」⁷⁷。行政院二代健保規劃小組從 2002 年 1 月起，由學者陳東升負責召集成立「公民參與組」，領導一個各領域學者所組成的研究團隊，著手研究如何提昇民眾參與全民健保政策的管道與能力。學者林國明指出，雖然審議式民主的公民參與模式種類繁多，但仍有下列三個共同要素⁷⁸：

1. 知情討論：參與的程序必須提供充分資訊，讓參與者能夠明智地判斷各種論點。
2. 相互瞭解的溝通：參與者之間必須能夠進行對話，互相說理。
3. 形成結論：以書面陳述共識與差異、表決記錄或意見調查的方式，形成參與者對解決方案的集體意見。

⁷⁴ 同註 51，頁 26

⁷⁵ WILLIAM FOX & IVAN H. MEYER. PUBLIC ADMINISTRATION DICTIONARY 20(1995)

⁷⁶ 林國明，國家、公民社會與審議民主：公民會議在台灣的發展經驗，台灣社會學第 17 期，頁 163(2009)

⁷⁷ 陳奕安，論全民健康保險之藥物給付項目收載制度——以病人程序保障與公民參與為中心，政大法研所碩士論文，頁 145(2015)

⁷⁸ 林國明，審議式民主實踐的多元模式，台灣民主季刊，第 4 卷第 3 期，2007 年 9 月，頁 194

第二節 英國 NICE 之學習經驗

1999 年英國成立「國立健康及臨床卓越研究院」(National Institute of Health and Clinical Excellence, 以下簡稱 NICE)，是一個以提供國家醫療健康照護政策為指引的獨立機構，也是一個有多年經驗並發展出一套有系統論述的政策諮詢機構。NICE 在發展準則時，需要經過兩種評估：一是科學價值判斷 (scientific value judgement)，檢視準則的品質和科學證據的確定性。以嚴謹的科學證訂定準則時，須包括四個範疇：科技評估 (technology appraisals)、臨床準則 (clinical guidelines)、臨床介入過程 (interventional procedures) 及民眾健康 (public health)。二是社會價值判斷，特別是牽涉到醫療資源分配的問題時⁷⁹。

第一項 評議委員會

NICE 自 1999 年起就開始邀請病人、照護者和民眾代表加入評議委員會 (appraisal committee)，病人或病人專家代表之資格須經過核可並視不同的醫藥科技議題而被邀請到會議中提供意見，使發展醫療科技指引的過程也能納入病人觀點。

第二項 公民會議

當藥物或醫療器材等給付不再只侷限於臨床療效與價格的考量，尚且包括資源配置是否符合公平正義，以及民眾對價值 (value) 的判斷等因素，NICE 在這方面的做法是請公民會議來協助解決這一部份的問題，並同時進行社會價值 (social value) 的研究⁸⁰。NICE 的決策思辯過程不只根據科學證據 (scientific judgment)，根據社會價值進行判斷 (social value judgment) 也是同樣的重要。在某些具有爭辯性的議題，僅靠評價委員會的專家經驗判斷不足以回答時，可以藉由公民會議 (citizen council) 來蒐集社會價值的資料⁸¹。

NICE 所發展的準則或建議都會諮詢專家及獨立公正的委員會，包括醫療衛生專家學者、利害關係人 (stakeholders)、病人和民眾均可共同參與，目前已有超過數千人參與 NICE 準則的發展，如：NICE 所組成的公民會議 (citizens Council) 是英國第一個完全由公眾組成的諮詢團體。NICE 在公民

⁷⁹ 同註 76，頁 573

⁸⁰ 陳怡如、余玗瑾、陳詠宸、吳慧敏，醫療科技評估過程中之病人與民眾參與，當代醫藥法規，第 23 期，頁 3 (2012)

⁸¹ 管元浩、蔡秉磐，ICER Forum 研討會心得，社團法人台灣藥物經濟暨效果研究學會，http://www.taspor.org.tw/epaper_02.php?id=27

會議中納入與醫藥專業不同背景之 30 位民眾參與，並詢問這些代表們有關倫理（ethical）方面的議題，希望能藉由這樣的過程，使得一般大眾對於 NICE 案件審議有多一層的認識，更期待因為納入「一般健康民眾」的意見，使得決議過程能夠更中立，亦即旨在統合大家對「資源分配與正義」的定義。另一方面，公民會議則提供了他們於審議案件相關的社會與倫理面的看法。從公民會議與會人士的社會背景結構，我們可以了解 NICE 為了要滿足社會大眾對於公共資源分配的期待所進行的努力。

NICE 認為，使病人和公眾參與 NICE 過程成功的秘訣包括：

1. 落實 NICE 的政策與承諾
2. 相關人士與不同領域的一般民眾參與評估過程並提出意見
3. 公開透明的諮詢過程
4. 公開透明的徵人過程（recruitment process）
5. 維護所有參與者角色的平等以及達到資訊分享⁸²

第三項 公民會議案例：國民保健服務（NHS）是否要以較優惠價格

給付孤兒藥⁸³

西元 2004 年 11 月，公民會議被要求提供建議是否國民保健服務（NHS）應該要以較優惠價格給付罕見疾病。此次共有 27 位不同職業的成員一起與會，會議舉行 3 天。作為結論，其中有 16 位的會議成員認為在特定條件下，國民保健服務（NHS）應該要額外費用給付罕見疾病；4 位成員認為 NHS 不管多優惠的價格都應該要給付罕見疾病；7 位成員認為 NHS 不應該要以優惠價格給付罕見疾病，但應該決定是否用同樣的成本效益評議作為其他給付。

公民會議認為 NHS 在決定以優惠價格給付罕見疾病應該考量的主要準則如下：

- 疾病的嚴重程度
- 是否此治療除了僅穩定狀況外，還能提供健康收益
- 是否疾病狀況是威脅到生命的

⁸² 同前註，頁 4

⁸³ NICE citizens council report, Ultra orphan drugs, <https://www.nice.org.uk/get-involved/citizens-council> (last visited: 2016/11/28)

第一款 會議過程

此次會議進行三天，有 27 位反映不同年齡、性別、社經地位的人士來與會。當 NICE 需要建議時會邀請公民會議提供自己的觀點。會議同時也會有公正第三方組織、有聽證機會的成員、專家證人一起來協助。會議的結論會被納入 NICE 的報告中。

會議第一天首先跟大家介紹為何有公民會議、如何運作；接著介紹罕見疾病及所遇到的兩難，從公共及企業的觀點來看為什麼政府要投資開發這些孤兒藥？關鍵的倫理和經濟爭點是什麼？最後小組討論。第二天首先請專家證人作案例分析、接著分小組討論、從公共利益的角度來看資源分配。第三天會議成員會就問題做出回應及最後結論。

在每一天都會有小組辯論時間，針對一些特定的問題作票選，最後將結果量化分析成為長條圖，供 NICE 作參考。問題如下：

- 罕見度不應為較優惠價格的理由。其他要件例如疾病的嚴重應該是更重要的？
- 個人從 NHS 所得到的治療不應受罹病人數影響？
- 如果治療是有效的，NHS 應該提供給將因此受益的病人？
- 當資源有限時，花大量金錢在單一病人，是不公平的？
- 在投資孤兒藥時應該要由中央的資助這樣地方的信託才不會面臨資金的負擔？
- 罕見病患應該要準備一部分的註冊這樣證據的有效度未來才能更精確？
- 罕見病患家屬不應被要求與其他常見疾病病患作不同的治療以作交換？
- 長期下來，即使花費是高的和利益群小，我們還是在對待罕見疾病上有很大的收穫？

在第二天早上，為了帮助大家作決策，也列出了很多論點，針對付額外費用給付孤兒藥「贊成」方的正面論點、負面論點；「反對」方的正面論點、負面論點，將所有可能的論點一併表列，讓辯論決策能更全面。

第二款 會議結論

在最後一天早上，會議成員就是否付優惠價格給付孤兒藥做出了票選，標準及結果如下：

標準	分數
疾病嚴重程度	41
是否此治療除了僅穩定狀況外，還能提供健康收益	41
是否疾病狀況是威脅到生命的	29
如果病人拿不到藥的其他花費成本	18
有效證據的健全度	14
是否有替代治療	8
地方信託基金的可能影響	7
研究可能的附加利益	2
診療需要的時間	2

作為結論，超過半數以上的會議成員認為在特定條件下，國民保健服務（NHS）應該要以較優惠價格給付罕見疾病。

長期以來，我國一直缺乏這種機構與機制，二代健保在推動過程上，雖強調審議式民主與公民參與，但立法院所通過的二代健保法，僅接受「科技評估小組」，雖然在方向上是踏出了一步，但無論功能、組成與定位，均無法與 NICE 相提並論。十五年來，衛生署一直迴避對待健保預算的分配問題，但這是一個必須及早面對的嚴肅問題。只要涉及「分配正義」與「程序正義」引發激辯時，國家就愈需要 NICE 這種獨立機構。台灣的健保即將進入討論健保預算分配的新階段，因此為了排除外界、特別是政治力的介入，在政策上也應考慮成立類似 NICE 這種獨立機構的必要性⁸⁴。

民主政治之基石之一是責任政治，審議民主公民的參與是作為「代議」而非取代。在現今的代議民主體制中，代替人民制訂法令的是民意代表和政府首長，其權利來自於選舉所賦予的正當性，而公民參與是要修正代議民主的不足，使人民能更積極、直接地影響政策。公民參與所產生的結論，雖然不具有法定拘束力，但因為呈現社會的重大關切、核心價值和多元觀點，也顯現了民意對具有爭議性政策所持的立場，因此，對保障民主正當性和決策品質的行政機關來說，極具參考價值。而政府機關必須負起說明的義務，與社會團體和立法部門，就結論之主張，進行溝通⁸⁵。

第四項 病人參與程序

NICE 相當重視病人參與及病人證據，NICE 相信病友與照顧者參與健康照顧的決策制定過程是相當重要的，來自病友與照顧者團體的所有實證與建議都稱為病人證據（patient evidence），這類的證據在醫療科技評估指引的發展上

⁸⁴ 同註 76，頁 574

⁸⁵ 行政民主之實踐：全國型議題審議民主公民參與，行政院研究發展考核委員會，頁 130

相當重要，因為那表示病人與照顧者所關切的問題在決策制定過程中，都被考量到。為了幫助病友參與決策，NICE 有特別成立一個「病友參與小組 PIU (Patient Involvement Unit)」提供病友團體在參與 NICE 過程中必要的協助與支持。本文將介紹 NICE 如何將病人證據應用在醫療科技評估⁸⁶。

第一款 主題選擇 (the scope)⁸⁷

英國官方會提供一份預定的主題清單，給 NICE 作為參考。病友團體會收到 NICE 所寄的草案資料，內容包含所有參與的職權範圍、職權項目和主題清單。在此階段，病友與照顧者團體會被徵詢：

- 是否願意參與評議過程？
- 是否仍有其他團體需要被加入或是排除，名單是否有錯誤？

收到評議建議後，NICE 即召開評議主題選定會議 (scoping workshop)，各種回覆建議包括病人建議都會被仔細討論，最後由官方依各界建議來選定進行評定的項目。主題訂定後，NICE 會建議各個參與團體至多推薦兩位代表與會，每一個團體都會被邀請，包括病友與照顧者團體、醫療照顧專業、產業界、學術界，以及衛生署與官方代表。

在此階段，病友與照顧者團體會被建議：

- 與團體內部討論，推薦最合適的與會代表；
- 向 NICE 提名該團體的與會代表；
- 參與會議並且做好參與發言的準備。

第二款 評議 (Appraisal)⁸⁸

在評議開始之初，病友與照顧者團體會收到確定信，確認評議正式開始進行，並且邀請團體代表在評議過程中擔任一個正式的被諮詢者。

在此階段，病友與照顧者團體會被徵詢：

- 是否想要參與評議過程？
- 簽署一份保密協定同意書，並且寄回給 NICE

⁸⁶ 健康科技評估多媒體宣系列(5)--NICE 病人參與，HTA 頻道，國家醫療科技評估中心，
http://nihta.cde.org.tw/About/channel_more?id=22 (最後點閱時間：2017/2/2)

⁸⁷ Guide to the processes of technology appraisal- Selection of technologies，
<https://www.nice.org.uk/process/pmg19/chapter/selection-of-technologies> (last visited Aug. 7,2017)

⁸⁸ Guide to the processes of technology appraisal- The appraisal process，
<https://www.nice.org.uk/process/pmg19/chapter/the-appraisal-process> (last visited Aug. 7,2017)

第三款 提交書面意見 ((Written submissions) ⁸⁹

代表們會被邀請提出書面意見，內容可能包括對病人生活影響程度的證據，以及不同醫療科技所造成的影響。各個團體代表所提出書面意見，將會被彙整成為評估報告的部分內容，並且會發送給第一階段評議委員會的所有與會成員，在會後也會被公佈在 NICE 的官方網頁上。在此階段，病友與照顧者團體代表需要備妥書面意見書並且在時間截止前寄給 NICE。

第四款 提名病人專家 (Nomination) ⁹⁰

除了團體代表可以參與 NICE 的評議過程，團體亦可提名推薦病人專家參與評議委員會議，這是確保病人的觀點與聲音能夠被委員會聽見的重要契機。病人專家被借重的是其個人的知識與經驗，而不是因為他們代表了某一個團體，因此視為病人專家，而不是團體代表。

在此階段，病友與照顧者團體應該：

- 在截止日之前提名所推薦的病人專家；
- 提供給所推薦的病人專家有關的資訊與支持，並且確認他們有意願參與第一階段評議委員會議；
- 協助所推薦的病人專家進行參加評議委員會議的事前準備，尤其是要確認病人專家以備妥個人聲明資料。

NICE 希望推荐的病人專家都能樂於答覆問題、有意願提出討論議題、能夠分享自己的經驗。

第五款 HTA 評估報告 (The Assessment Report) ⁹¹

與會代表完成簽署保密協定同意書，並且寄回給 NICE 的與會代表，將會收到一份 HTA 的評估報告，並且擁有對評估報告提出建議與評論的權利。NICE 所有提供給與會代表的資料文件，都將被嚴格保密，直到 NICE 將其公佈在官網上才解密。

⁸⁹ Guide to the processes of technology appraisal- The Appeal ,

<https://www.nice.org.uk/process/pmg19/chapter/the-appraisal-process> (last visited Aug. 7,2017)

⁹⁰ Guide to the processes of technology appraisal- Patient access schemes and flexible pricing ,
<https://www.nice.org.uk/process/pmg19/chapter/the-appraisal-process> (last visited Aug. 7,2017)

⁹¹ Guide to the processes of technology appraisal- Reviews ,
<https://www.nice.org.uk/process/pmg19/chapter/the-appraisal-process> (last visited Aug. 7,2017)

在此階段，病友與照顧者團體應該：

- 在截止日之前寄回對評估報告的建議與評論。

第六款 評議諮詢資料 (The Appraisal Consultation Document) ⁹²

第一階段評議委員會議之後，代表們將會收到委員會作出的暫時建議文件，又叫做評議諮詢文件，與會代表同樣可以針對其內容提出建議。

在此階段，病友與照顧者團體代表會被要求：

- 在截止日之前寄回對評估報告的建議與評論，如此一來，該代表將可被考慮邀請參加下一階段的評議委員會。

第七款 最終評議決策 (The Final Appraisal Determination) ⁹³

在第二階段的評議委員會議中，對評議諮詢文件的所有建議，都將一併被考慮與檢視，諮詢者將不再參與這個會議。會後代表們將會收到委員會議對 NICE 所做出的最終建議，稱之為「最終評議決策」。如果對最終評議決策做出的建議無法認同，可以思考是否有充足的理由提出申訴，與會代表會收到一份「醫療科技評估過程—申訴人指引」，說明提出申訴的流程。

在此階段，病友與照顧者團體代表會被要求：

- 是否同意最終評議決策所做出的建議；
- 如果不同意，請確認是否有權提出申訴，若有，NICE 會在截止日前糾正任何申訴申請；
- 如果同意所做出的建議，但是仍想要對某些實質錯誤進行修正，可以在截止日前，透過信件、電郵等方式提出，NICE 政策執行部 (Guidance Executive) 將會決定是否對此進行修改。

如果沒有提出異議，最終評議決策將會被公佈在 NICE 官網上，成為 NHS 所使用的指引。

每一個參與評議過程的病友或照顧者團體，無論是病友或照顧者個人，或是團體的共識決議（包括病友/照顧者團體、為病友發聲的志願團體），都可以提出書面意見。NICE 非常重視各界對待評議醫療科技的看法與聲音，一直希

⁹² Guide to the processes of technology appraisal- Glossary ,
<https://www.nice.org.uk/process/pmg19/chapter/the-appraisal-process> (last visited Aug. 7,2017)

⁹³ Guide to the processes of technology appraisal- Glossary ,
<https://www.nice.org.uk/process/pmg19/chapter/the-appraisal-process> (last visited Aug. 7,2017)

望能夠找到一個簡捷且平衡的觀點，足以代表大部分病友與照顧者對醫療科技的見解。包括疾病的狀況、醫療科技對於改善病人症狀與提升生理和心理狀態上所帶來的影響，並且也希望能瞭解如果少了這些醫療科技，將對病人生活造成什麼影響。病人證據可以提供相當重要的資訊，包括正向與負面的觀點，而不僅僅是一些個人的見證而已⁹⁴。

第三節 加拿大 CADTH 之學習經驗

加拿大藥品及醫療科技評估機構(Canada Agency for Drugs and Technologies in Health, CADTH)成立於1989年，為加拿大聯邦政府、省政府及特區政府共同資助的獨立非營利機構，主要目的為整合加拿大全國各地之醫療科技評估作業(Health Technology Assessment, HTA)。藉由整合藥品、醫療器材及健康照顧系統之相關文獻資料，提供可信賴、具實證基礎的資訊予健康照護的決策者，使醫療科技得以合理使用⁹⁵。

第一項 公眾參與

Canadian Drug Expert Committee(CDEC)委員會負責對 Common Drug Review(CDR)的案件進行評議，委員會由1位主席及11~14位委員組成，其中含2位民眾代表(public members)，可提供消費者觀點，但不代表特定區域、利益團體或組織並具有投票權。而其餘委員為醫師、藥師、臨床流行病學家、醫療經濟學家等領域之專業人士⁹⁶。CEDAC 每月召開一次會議，其組成包括11位藥物治療專家及2位民眾代表，委員之名單、專業背景、著作亦公布在網站上，委員們都必須遵守嚴格的利益迴避條款，而其所需具備的資格、提名方式、產生方式等亦訂有完整的規定，會議後一個星期必須將決議寄給廠商同時登上網。20~25頁的 overview report 也必須出版，藥品使用建議也必須以民眾能看得懂得語言書寫刊出，以反映出透明性⁹⁷。

第二項 病人意見

自2010年5月起 CDR 審議流程納入病人之意見，CADTH 會將各資訊公告

⁹⁴ 病友/照護者團體為何邀請病友與照顧者參與醫療科技評估，國家醫療科技評估中心，<http://nihta.cde.org.tw/ReadFile/?p=SRule&n=e091bb23-928e-4d0e-a914-5e12ba29f1e4.pdf>（最後點閱時間：2017/2/2）

⁹⁵ 行政院及所屬各機關出國報告，參訪加拿大衛生部、CADTH 及 PMPRB 出國報告書，頁8（2007年）

⁹⁶ 陳怡如，余均瑾、陳詠宸、吳慧敏，醫療科技評估過程中之病人與民眾參與，當代醫藥法規，第23期，頁2（2012年）

⁹⁷

於網頁中，病友團體需上網登錄相關資訊，確認後 CADTH 會以 mail 提醒登錄之病友團體；而 CDR 審查收案起 15 個工作天內，病友團體可提出相關之意見，以供各委員會在開會時參考。如果評估團隊察覺涉及病人很重要的醫療結果時 (patient-important outcome, PIO)，就會在制定 protocol 時確認病友團體參與的議題。病友團體參與主要是透過填寫「Template for Submitting Patient Input to the Common Drug Review at CADTH」，上傳至網路或是傳真到 CADTH，評估團隊就會將資訊整理完成。對於 CADTH 的評估團隊，病友團體的參與可有助於對病人健康結果的了解，以利於藥物評估的計畫擬定，最後也會將資訊放入 CDR 的臨床或經濟評估報告中。對 CDEC 而言，除了臨床或是經濟結果，納入病友團體的意見可以所作於慎重的進行評論。目前 CADTH 在病人參與的部分，僅限於病友團體。病患個人或是家屬所提交的報告並不會被接受，如果病人想要參與提交，CADTH 則是鼓勵病人參與病友團體，將自身的經驗提供給病友團體後，再由病友團體進行提交⁹⁸。2 位民眾代表在 CEDAC 有投票權，但不得代表任一特定地區、利益團體或機構，以鼓勵民眾參與。以審查一致性而言，約有 50% 案例不會建議使用，有 48% 是條件下使用，僅少數無限制下通過建議。而 CADTH 下具政策裁議性質之藥品諮詢小組 (ACP) 則可對於 CDR 之審核流程、送件指引文件做建議，並可參加 CEDAC 會議做列席觀察員。

此外，為提升審查之客觀性及公信力，訂有利益衝突規範 (Conflict of Interest Guidelines for CDR)，所有參與藥品審查過程的人員均須填報、以避免因家庭、職業或財務之可能關聯影響審查的公平性或客觀性，對於曾接受廠商或相關組織之利益 (如：受邀演講、組成研討會、受雇於藥商、接受研究經費資助或教育資助等) 亦需自行揭露及迴避相關案件。

此外，在討論中也論及如何評量 CDR 制度是否成功？CADTH 的看法是下列幾項指標：(1) 將 18 個省/區域之流程功能整合為一個流程。(2) 建立了高品質的系統性回顧流程。(3) 建議採用或不採用某藥之理由是公開資訊，任何人都可上網獲得。(4) 與利害關係人都有充分溝通，並有正式對 CDR 表現的評估。(5) 所有流程都有持續改善的措施。(6) 績效指標為：大於 90% 案件必須符合目標時程；CEDAC 建議與各省 drug plan 決定應有將近 95% 是一致的⁹⁹。

⁹⁸ 同註 72，頁 3

⁹⁹ 同註 72，頁 3

第四節 針對我國之修改建議

第一項 補助辦法之落實

《罕病法》第 33 條訂定健保給付空窗期的補助方案，規定：「中央主管機關應編列預算，補助罕見疾病預防、篩檢、研究之相關經費及依全民健康保險法未能給付之罕見疾病診斷、治療、藥物、支持性與緩和性照護及維持生命所需之特殊營養食品、居家醫療照護器材費用。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。前項補助經費，得由菸品健康福利捐之分配收入支應或接受機構、團體之捐助。」《罕病法》33 條雖有補助規定，但罕病藥物費用高，專案申請的門檻高，也經常有延遲核定的情況，不夠善意，主要都是經費和預算的問題。健保給付當然是罕病患者最主要的協助，不過當治療藥物未納入健保給付之前，盼政府落實《罕病法》第 33 條補助方案，協助患者度過最危急的時刻，以免病家因付不出龐大的醫藥費用而喪失救命契機。

第二項 加速成立第三方公正機關 NIHTA

依質性訪談觀察，我國全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂會議委員們大部分都仍以利益、點值為考量，在健保藥物給付上容易犧牲罕見疾病患者權益，若能有一公正第三方機關協助新藥收載之評估，將提昇實質平等。

2013 年衛生福利部參考國際上各國醫療科技評估相關組織之功能及定位，並考量實際運作之可行性，規劃分階段逐步整合衛生政策、醫療服務、資源合理配置等科技評估項目，成立「國家醫療科技評估中心 -National Institute for Health Technology Assessment, Taiwan (NIHTA)」籌備辦公室¹⁰⁰（以下簡稱 NIHTA）。NIHTA 做為獨立於政府及民間的公正第三方 HTA 專業機構，相當於英國的 NICE。獨立的國家級醫療科技評估中心，其主要目的雖為提供健保局在執行各項醫療服務給付時的參考，但其組織並不隸屬於中央健保局與其他相關衛生研究單位，在國際醫療衛生領域中，臺灣堪稱亞洲第一¹⁰¹。臺灣的 NIHTA 在全民覆蓋的健保制度下，設定為一公正第三方單位，以協助健保署及其他單位進行新藥等收載評估為目的，因此評估結果提供決策者的參考價值較高。NIHTA 評估報告雖然不像英國 NICE 的報告可以對 NHS 直接做出建議，但是多年

¹⁰⁰ 國家醫療科技評估中心官網，<http://nihta.cde.org.tw/About/>

¹⁰¹ 「國家醫療科技評估中心」籌備辦公室成立---落實二代健保醫療資源有效運用，102 年衛生福利部新聞，<http://www.mohw.gov.tw/fp-2640-23768-1.html>（最後點閱時間：2017/8/8）

來與健保署的合作過程所建立的互信機制，HTA 評估報告已經成為健保藥事小組 DBC 與共同擬定會議 PBRs 的重要決策參考文件。

惟 NIHTA 籌備處已經成立四年了，一直掛在 CDE 之下，僅為新藥審查做服務，其實 HTA 不是只有為了新藥在做審查，還有很多其他的發揮空間，盼政府能加速成立，公正整合科技評估及資配合理分配。

第三項 藥物給付標準成立試辦計畫

目前我國在藥物經濟評估缺乏單一及被普遍接受的健康收益閾值（health gain threshold）是當前評估健康介入以及衛生資源分配的一大障礙。雖然英國透過 NICE 之藥物經濟評估，來衡量藥品之成本效益，以固定的成本效果閾值（ICER threshold）作為新藥給付的量化標準，值得學習。然而，單一固定的 ICER threshold 存在許多重大的挑戰，例如單一 ICER threshold 顯然不適用於所有的疾病領域。可學習日本以藥品成本效益分析再加上該治療領域的預算因素，以建立一個 ICER threshold 上限。因為罕病罹病人數相對少，比較好算 ICER 值，可先以罕見疾病成立試辦計畫，該試辦計畫之運作及評估結果再推廣至其他新藥給付的量化標準。

第四項 共擬會之組成需達成實質平等

二代健保對新藥的審查越來越嚴苛，尤其是健保署設置的「藥物給付項目及支付標準共同擬定會議」，當中無論是成員結構、表決制度、還有與會人員對罕病是否了解，加上所有的審查皆以成本效益為考量下，都是導致罕藥遲遲無法獲得健保給付的原因。宜再重新修訂全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂辦法條文和全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂會議議事規範之內容，讓共擬會真正符合審議式民主精神，並保障病人權益。可學習加拿大，訂有利益衝突規範，委員們都必須遵守嚴格的利益迴避條款，以反映審查的公平性、客觀性及透明性。

第五項 病人參與學習國外經驗

在比較法下，可看出英國和加拿大對於病人參與的程序保障是很多層次的，從前階段的醫療科技評估即納入病友與照顧者團體的所有實證與建議，委員們都必須遵守嚴格的利益迴避條款，而其所需具備的資格、提名方式、產生方式等亦訂有完整的規定。而公民會議的實際案例，也可看出長期以來，我國一直缺乏這種機構與機制，二代健保在推動過程上，雖強調審議式民主與公民參

與，但立法院所通過的二代健保法，僅接受「科技評估小組」，雖然在方向上是踏出了一步，但無論功能、組成與定位，均無法與 NICE 相提並論，還有很多進步的空間。

相較於外國制度，我國對於病人意見參與之保障仍顯不足，病友團體僅可列席健保新藥會議，以 10 分鐘時間可提出對新藥、新醫材的需求。本文提出改善建議如下：

- (一) 可學習英國特別成立一個「病友參與小組」，提供病友團體在參與提供意見過程中必要的協助與支持。
- (二) 並非只有在藥物共同擬訂會議上才納入病人意見，可學習英國於前階段的醫療科技評估中，病人與照顧者所關切的問題在決策制定過程中，都可以被考量到。



第伍章 結論

第一節 程序原則

罕見疾病患者在制度上、權利上常處弱勢。罕見疾病患者若無健保給付，家屬將面臨昂貴的醫藥費，疾病雖罕見但無法納入法定罕見疾病，雖有救命藥，但申請過程冗長，有藥求不得，讓患者和家屬獨自面對日益嚴重的病情和心理壓力，而我國現行健保制度屬性既為社會保險，也具有社會救助特性，應更加檢視在健保資源分配及制度上是否落實社會保險精神。

作為總結，本文在罕見疾病藥物健保給付之改革方案提出幾項程序原則如下：

第一項 獨立性

依質性訪談觀察，我國全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂會議委員們大部分都仍以利益、點值為考量，在健保藥物給付上容易犧牲罕見疾病病患權益，若能有一公正第三方機關協助新藥收載之評估，將提昇實質平等。臺灣的 NIHTA 在全民覆蓋的健保制度下，設定為一公正第三方單位，以協助健保署及其他單位進行新藥等收載評估為目的，因此評估結果提供決策者的參考價值較高。獨立的國家級醫療科技評估中心，其主要目的雖為提供健保局在執行各項醫療服務給付時的參考，但其組織並不隸屬於中央健保局與其他相關衛生研究單位，使國內醫療科技評估制度能更完備發展。

第二項 公開性

審議式民主其中之一主張即為公開透明的資訊，而 NICE 亦認為，使病人和公眾參與 NICE 過程成功的秘訣包括公開透明的諮詢過程。我國健保給付缺乏單一及被普遍接受的健康收益閾值 (health gain threshold)，共擬會依慣例、內部默契決定，標準缺乏明確性、一致性、透明性，決策大多仍重視健保整體財務衝擊。

第三項 利益衝突

建議我國新修訂全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂辦法條文和全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂會議議事規範之內容，讓共擬會真正符合審議式民主精神，並保障病人權益。可學習加拿大，訂有利益衝突規範，委員們都必須遵守嚴格的利益迴避條款，以反映審查的公平性、客觀性及透明性。所有參與藥品審查過程的人員均須填報，避免因家庭、職業或財務之可能關聯影響審查的公平性或客觀性，對於曾接受廠商或相關組織之利益（如：受邀演講、組成研討會、受雇於藥商、接受研究經費資助或教育資助等）亦需自行揭露及迴避相關案件。

第四項 民主參與

審議式民主是討論的政治，認為正當性的決策，來自於自由且平等的公民（或其代表）進行討論，討論須以提出彼此可接受且一般可得知的理由進行，且討論以達成拘束所有參與者的共識為目標，該共識在未來能夠被繼續挑戰。審議式民主之所以民主，不僅是由於民主正當性在討論的過程中形成，更由於審議可以促進公民參與、公民社會的相互尊重以及降低決策錯誤。英國國立健康及臨床卓越研究院（National Institute of Health and Clinical Excellence，以下簡稱 NICE）之經驗、是否給付孤兒藥用之一公民會議實際案例、及加拿大藥品及醫療科技評估機構（Canada Agency for Drugs and Technologies in Health, CADTH）之經驗，望能藉由外國比較法提供我國在公民參與及病人證據上之法規參考，落實我國二代健保強調的審議民主精神。

第五項 審查標準採多因素衡量

成本效益下英國及日本之藥價比較法，望我國可以他國經驗做為借鏡，訂定一套公平、合理且適合台灣的藥物經濟評估指南。期待我國健保支付制度改革，結合成本效益分析訂出明確閾值，也就是逐漸形成共識得到一個人年或一個健康人年（QALY）約要花費多少錢是能被全民健保制度接受的，日本學者對於高價新藥給付條件的不同觀點可供台灣學習，以兼顧健保資源有限及罕病藥物給付之權利保障。

第二節 待處理問題

礙於篇幅及所學領域有限，本文未涉及罕見疾病病人服務照護層面、外國孤兒藥法規之研究、及專業的藥價成本模型計算，未盡完善之處，期待有更多後續延伸研究，再深入討論。

第一項 外國孤兒藥法案研究

有關國外罕見疾病相關法規比較、專利保護、市場獨占銷售權、政府補助方案、納保原則，有待後續研究。

第二項 專業藥價成本模型

評估藥物治療的成本及效果等成本效益分析，屬藥物經濟學領域，如何計算出最適合我國健保關於罕病明確給付閥值，有待專業研究者後續討論。

第三項 罕病病患服務照護層面

跟其他先進國家相比，我國的「罕見疾病防治及藥物法」獨具特色，因為立法內容結合了罕病防治與罕藥法，堪稱世界首見。立法的目的是為了防治罕病的發生，且能及早偵測、診斷，進而協助病人取得罕病適用藥物，以及維持生命所需的特殊營養食品，並獎勵與保障該藥物及食品的供應、製造和研究發展。本文主要針對健保給付部分，在特殊營養食品專案申請、病患照護服務、居家醫療照護器材租賃、國內確認診斷檢驗、營養諮詢、緊急醫療費用、國外醫療照護體制等，有待後續研究者補充。

西元 2016 年底，台灣罕病照顧成就獲國際重視，獲邀至聯合國演說，且深獲歐洲及世界各國罕病組織稱許，被認為應獲得「歷史性的肯定」。全民健康保險是社會福利的一環，罕見疾病患者，為社會上之弱勢。我國罕病法雖針對罕藥設下基本保障，但罕病治療藥物要獲得健保的給付，仍需經漫長的審查流程，及全民健保共同擬訂會議討論需有共識，能實質納入及保障到病人及病友代表團體的聲音始能獲得健保給付。程序上、實體上，環環相扣。聯合國也將成立「罕見疾病 NGO 委員會」，望台灣罕病的體系與模式整體能更提昇，除了造福台灣病友、甚至還能造福全世界更多的罕病病友。

參考文獻

中文專書

1. 曾敏傑、陳莉茵主編，罕見疾病社會立法紀念專輯，頁 10（2002 年）
2. 陳新民，憲法基本權利之基本理論（上），元照出版社，5 版，頁 114（2002 年）
3. 許育典，憲法，元照出版社，4 版，頁 420-422（2010 年）
4. 李惠宗，憲法要義，元照出版社，5 版，頁 699（2009 年）
5. 蔡維音，「人權尊嚴」作為人類基因工程之基礎法律規範理念，唐山出版社，2003 年 6 月，頁 78-81
6. 吳全峰，從經濟社會文化權利國際公約論健康人權與健康平等——兼論全民健康保險給付機制之健康人權困境，蘇宏達、陳淳文編，《中華民國施行聯合國兩權利公約的意義：接軌國際，深化民主》，頁 225-226（2013）
7. 雷文政，司法審查健保給付決策的正當性及其界限？——全民健保高科技診療項目判決分析，2010 行政管制與行政爭訟，中央研究院法學研究所 專書，頁 135（2011）
8. 陳新民，論社會基本權利，憲法基本權利之基本理論（上），元照，頁 110-111（1999）
9. 行政民主之實踐：全國型議題審議民主公民參與，行政院研究發展考核委員會，頁 130

英文專書

1. Alice Diver · Jacinta Miller Editors, Justiciability of human Rights Law in Domestic Jurisdictions, p108-110
2. WILLIAM FOX & IVAN H. MEYER. PUBLIC ADMINISTRATION DICTIONARY 20(1995)

中文期刊雜誌

1. 許崇賓，全民健保法第二代財務改革之芻議，法令月刊，62 卷 9 期，63 頁（2011 年）
2. 張道義，全民健保與社會保險，月旦法學雜誌，第 179 期，頁 146（2010 年）
3. 孫迺翊，論社會保險制度之財務運作原則——兼評中央與地方政府關於健保保費補助之爭議問題，政大法學評論，第一 0 一期，頁 42（2008 年）
4. 謝世民，合理契約與分配正義，歐美研究，第 29 期，卷 4，1999 年 12 月，頁 73-76
5. 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，第十一卷第一期，頁 72 (1998)
6. 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，頁 142-145 (2007)
 7. 林國明，國家、公民社會與審議民主：公民會議在台灣的發展經驗，台灣社會學第 17 期，頁 163(2009)
 8. 林金定、嚴嘉楓、陳美花，質性研究訪模式與實施，身心障礙研究，第 3 卷第 2 期，頁 122 (2005)
 9. 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，第十一卷第一期，頁 72 (1998)
 10. 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，頁 142-145 (2007)
 11. 林明昕，健康權——以「國家之保護義務」為中心，法學講座，32 期，頁 29 (2005)
 12. 李震山，憲法中基本權利保障規範間之關係，台灣本土法學雜誌，49 期，頁 131 (2003)
 13. 陳聰富，醫療法：第一講—病人醫療人權的實踐議題，月旦法學教室，第 64 卷，頁 33-34 (2008)
 14. 吳全峰，2013，〈從經濟社會文化權利國際公約論健康人權與健康平等—兼論全民健康保險給付機制之健康人權困境〉，蘇宏達、陳淳文編，《中華民國施行聯合國兩權利公約的意義：接軌國際，深化民主》，頁 197-250，台灣：台灣民主基金會。
 15. 洪雯莉、林金定，歐盟罕病藥物供給、研發政策法規與藥品市場現況分析，身心障礙研究，第 12 期，第 2 卷，頁 72 (2014)
 16. 陳俊宏，永續發展與民主：審議式民主理論初探，東吳政治學報，第九期，頁 104(1998)
 17. 黃國明、陳東升，公民會議與審議民主：全民健保的公民參與經驗，台灣社會學第六期，頁 68(2009)
 18. 張兆恬，民主審議作為一項生醫研究倫理原則—國際人權、美國法及台灣經驗之考察，中華國際法與超國界法評論，第八卷第二期，頁 20-21 (20112)
 19. 胡中瑋，科技溝通與審議式民主—美國密蘇里州幹細胞修憲投票經驗為例，法律與生命科學，第 2 期，頁 24-25 (2007 年 7 月)
 20. 林國明，國家、公民社會與審議民主：公民會議在台灣的發展經驗，台灣社會學第 17 期，頁 163(2009)
 21. 林國明，審議式民主實踐的多元模式，台灣民主季刊，第 4 卷第 3 期，2007 年 9 月，頁 194
 22. 陳怡如、余玓瑾、陳詠宸、吳慧敏，醫療科技評估過程中之病人與民眾參與，當代醫藥法規，第 23 期，頁 3 (2012)

英文期刊雜誌

1. David Hunter and James Wilson, Hyper-expensive treatments, Nuffield Council on Bioethics, 19-20 May 2011
2. AMY GUTMANN & DENNIS THOMPSON, WHY DELIBERATIVE DEMOCRACY? 3 (Princeton : Princeton Univ. Press, 2004).
Id. at 8-10.
3. AMY GUTMANN & DENNIS THOMPSON, DEMOCRACY AND DISAGREEMENT 2 (Cambridge : Harvard Univ. Press, 1996).

碩博士論文

1. 論我國罕見疾病醫療資源分配的制度與法律問題，廖學能，清大科技法律研究所碩士論文，頁 14(2008)
2. 陳奕安，論全民健康保險之藥物給付項目收載制度---以病人程序保障與公民參與為中心，政大法研所碩士論文，頁 145(2015)

研究報告

1. 行政院所屬各機關出國報告，2014 年國際醫療科技評估學會 (HTAi) 第 11 屆年會會議報告，頁 15
2. 衛生福利中央健康保險署出國報告，2016 年國際醫療科技評估協會年度會議 (HTAi Annual Conference) 之出國報告，頁 19
3. 衛生福利部中央健康保險署，2015 世界孤兒藥研討會(World Orphan Drug Congress Asia 2015)，出國報告，頁 7(2015)
4. 行政院及所屬各機關出國報告，參訪加拿大衛生部、CADTH 及 PMPRB 出國報告書，頁 8 (2007 年)

中文網站

1. 《公告罕病前夕 葉小弟病重過世》，蘋果日報，
<http://www.appledaily.com.tw/realtimenews/article/new/20131128/300433/> (最後點閱日期：2016/12/29)
2. 《健保不給付 罕病童相繼喪命》，自由時報，
<http://news.ltn.com.tw/news/life/paper/784765> (最後點閱日期：2016/12/29)
3. 《等藥救命！1 歲童罹罕見血友病》，人間福報，<http://www.merit-times.com/NewsPage.aspx?unid=403289> (最後點閱日期：2016/12/29)
4. 健保刪除罕見疾病用藥的相關問題(一)，保成學儒法政網，
<http://www.paochen.com.tw/OnlinePublicationsDetail/2/123> (最後點閱時間：2016/10/23)

5. Budget Impact Issues in Decision-Making, 社團法人台灣藥物經濟暨效果研究學會學會會訊, http://www.taspor.org.tw/epaper_02.php?id=24 (最後點閱時間: 2016/11/07)
6. 國際衛生技術評估協會第 13 屆年會專題報導, 衛生技術評估簡訊, 2016 年第 2 期, http://chta.shmu.cn/upload/%E6%96%B0%E9%97%BB%E5%85%AC%E5%91%8A/%E5%B7%A5%E4%BD%9C%E7%AE%80%E8%AE%AF/gzjx_201602.pdf (最後點閱時間: 2017/4/9)
7. 譚家惠 博士 / 台灣大學健康政策與管理所 博士後研究員, 20104 年華夏論壇與會心得分享, 社團法人台灣藥物經濟暨效果研究學會, http://www.taspor.org.tw/epaper_02.php?id=18 (最後點閱時間: 2016/11/5)
8. 何元印 執行秘書 / 社團法人中華民國乳癌病友協會, 「病友團體如何準備病友證據之教育訓練課程」心得, 社團法人台灣藥物經濟暨效果研究學會, http://www.taspor.org.tw/epaper_02.php?id=28 (最後點閱時間: 2016/11/23)
9. 伍淑瓊 主任 / 社團法人中華民國乳癌病友協會「病友團體如何準備病友證據之教育訓練課程」心得, 社團法人台灣藥物經濟暨效果研究學會, http://www.taspor.org.tw/epaper_02.php?id=28 (最後點閱時間: 2016/11/23)
10. 罕病新藥給付會議 擬開放病友與會, 中央社新聞, http://www.ibmi.org.tw/client/NewsDetail.php?REFDOCTYPID=0o4dd9ctwhtyumw0&REFDOCID=0o6bkiwz34vj5sj&Page_Num=1 (最後點閱時間: 2016/11/21)
11. 亞洲第一 新藥納健保聽病友意見, 中央通訊社新聞, <http://www.cna.com.tw/news/ahel/201607250362-1.aspx> (最後點閱時間: 2016/11/21)
12. 管元浩、蔡秉磬, ICER Forum 研討會心得, 社團法人台灣藥物經濟暨效果研究學會, http://www.taspor.org.tw/epaper_02.php?id=27
13. 健康科技評估多媒體宣系列(5)--NICE 病人參與, HTA 頻道, 國家醫療科技評估中心, http://nihta.cde.org.tw/About/channel_more?id=22 (最後點閱時間: 2017/2/2)
14. Guide to the processes of technology appraisal- Selection of technologies, <https://www.nice.org.uk/process/pmg19/chapter/selection-of-technologies> (last visited Aug. 7, 2017)
15. Guide to the processes of technology appraisal- The appraisal process, <https://www.nice.org.uk/process/pmg19/chapter/the->

- appraisal-process (last visited Aug. 7, 2017)
16. Guide to the processes of technology appraisal- The Appeal ,
<https://www.nice.org.uk/process/pmg19/chapter/the-appraisal-process> (last visited Aug. 7, 2017)
 17. Guide to the processes of technology appraisal- Patient access schemes and flexible pricing ,
<https://www.nice.org.uk/process/pmg19/chapter/the-appraisal-process> (last visited Aug. 7, 2017)
 18. Guide to the processes of technology appraisal- Reviews ,
<https://www.nice.org.uk/process/pmg19/chapter/the-appraisal-process> (last visited Aug. 7, 2017)
 19. Guide to the processes of technology appraisal- Glossary ,
<https://www.nice.org.uk/process/pmg19/chapter/the-appraisal-process> (last visited Aug. 7, 2017)
 20. Guide to the processes of technology appraisal- Glossary ,
<https://www.nice.org.uk/process/pmg19/chapter/the-appraisal-process> (last visited Aug. 7, 2017)
 21. 病友/照護者團體為何邀請病友與照顧者參與醫療科技評估，國家醫療科技評估中心，<http://nihta.cde.org.tw/ReadFile/?p=SRule&n=e091bb23-928e-4d0e-a914-5e12ba29f1e4.pdf> (最後點閱時間：2017/2/2)
 22. 「國家醫療科技評估中心」籌備辦公室成立---落實二代健保醫療資源有效運用，102 年衛生福利部新聞，<http://www.mohw.gov.tw/fp-2640-23768-1.html> (最後點閱時間：2017/8/8)

英文網站

1. NICE citizens council report, Ultra orphan drugs, <https://www.nice.org.uk/get-involved/citizens-council> (last visited: 2016/11/28)