

出版年:民 89

研究生:陳志昇

論文名稱:醫界孤兒--罕見疾病患者權益之探討

指導教授:吳嘉苓、林樂群

學位類別:碩士

校院名稱:國立臺灣大學新聞研究所

語文別:中文

關鍵字:罕見疾病、醫療人權、資本主義下之醫療體系、病患權益、病人自助團體、醫療權益運動

[摘要]

在二十世紀的尾聲，罕見疾病的問題逐漸在台灣社會中發酵，許多的罕見疾病患者，不再隱藏於社會的角落，他們逐漸走出來，告訴政府、社會大眾以及醫界，病患們在社會制度與環境下，所面臨的歧視與不公平。他們說自己是醫界孤兒，在面臨疾病的身心煎熬之餘，病患們期盼的不只是社會上以同情為出發點的對待，而是一種人權的尊重。所謂的罕見疾病，顧名思義就是罹患率極低，相當少見的疾病，國內對於罕見疾病尚未有明確之定義，所以根據美國孤兒藥品法案（The Orphan Drug Act）給予界定，凡於美國境內罹病人數少於二十萬人的

疾病皆屬罕見疾病。由於罕見疾病患者的稀少，除了高度重視人權與人道之已開發國家外，極少受到政府及醫學界的關心及研究。同時也因為大部份的罕見疾病是屬於 DNA 異常的隱性遺傳性疾病，需要高科技及龐大經費投入才能成功的發現病因，並找出治療的藥品與食品。國內較常見之罕見疾病包括苯酮尿症、楓糖尿症、黏多醣症、高血氨症、有機酸血症、高雪氏症、威爾森氏症、高胱胺酸症等(財團法人罕見疾病基金會，1999)。

在台灣，由於罕見疾病患者的人數稀少，所需要的醫療技術與藥品的研發，又需要耗費許多的金錢與人力，在資本主義的體系之下，醫界與藥商都缺乏研發與製造的意願，因為，即使投入了大批的人力物力，也只能幫助極少數的病患，根本無利可圖；加上目前的健保給付制度，採取「論量計酬」的方式，醫院或醫師，花費比照顧一般病患更多的時間與精力，換來的，卻是不成比例的回報，因此，無論醫院，甚至醫師大多不願投入罕見疾病患者的治療，使他們成為醫界孤兒。從政府的角度來看，照顧大多數人的健康，應該是責無旁貸。罕見疾病百分之八十源自於遺傳，病患人數不會快速增加、擴散，對於大多數的民眾並沒有立即的威脅性。在面對這些極少數的罕見疾病患者，執政者往往抱持著一種家長主義式的心態；似乎在行有餘力之時，才想到這群弱勢的病患，以一種同情的態度來給予協助。但是罕病患者

認為，他們需要的是公平的對待，而非施捨與憐憫，他們要爭取與一般疾病平等的就醫權益。因此，罕見疾病患者的醫療人權問題，應該重新思索與檢討。

資本主義的體系下，許多的制度或措施，往往是以經濟利益掛帥，即使在面對醫療保健，或是社會福利時，也不例外。由於利之所趨，生產孤兒藥的利潤薄弱，藥商不但在生產、引進上興趣缺缺，醫療組織也是以營利為導向，不願投注人力、財力，在罕見疾病的醫療服務提供方面。從前，衛生主管機關因為罕見疾病患者人數少、聲音小，無法形成壓力團體，對罕病患者的照顧，並未加以高度重視，採取「沒有政策」的作法。使得罕病患者，成為了政府不疼、醫院不愛的「醫界孤兒」；有藥沒得用、有病沒得治，導因於國家並未善用政策改變資本主義下的醫療體系。

為了改善罕見疾病患者的處境，罕見疾病基金會在民國 88 年 6 月成立了，它是由國內 20 餘種罹患與生俱來的遺傳性代謝疾病、遺傳性器官病變，還有許多迄今病因不明的罕見疾病病友、家屬、醫療從業人員及社會善心人士共同發起成立，期望經由團隊運作，能使以往被長期忽略、遺忘的罕見疾病問題獲得社會及政府的關心與重視，以爭取病患基本的就醫權、生存權及社會福利與醫、藥給付，增進罕見疾病患者應有的權益，進而推動醫療保健體系的制度化、提升相關醫學

與研究水準，以合理改善我國罕見疾病患者的生活品質及生命尊嚴（張輕安，1999）。

罕見疾病基金會不僅扮演著協助病患與家屬的角色，也成為積極活躍的病患權益運動團體，把制度或法令的改善視為重要工作，積極投入病患權益運動的工作，不只是在改善個別病患問題，達成「治標」的工作外，未來更企圖達成「治本」的目標，著手於病患的就醫、就學、就養方面的提昇。目前已經通過的「罕見疾病防治及藥物法」，可以算是一大進程，罕見疾病基金會成功扮演了社會運動團體的角色，為病患爭取醫療資源方面，也不使病患的希望落空，病患自助團體的功能發揮良好，成為一個穩定運作的病人自助團體。

法案通過之後，罕見疾病仍有許多值得去深思的議題，除了一般媒體所經常提及的醫療層面之外，本論文進一步地去探討罕見疾病患者，在其他方面所面臨的問題，例如：工作權的保障、受教權的爭取等等。目前，執政者對於罕見疾病的觀念，尚為薄弱，僅僅用人道同情的角度觀之，認為只是一個單純的醫療問題，只需解決病患就醫方面的困境即可，對於病患就養、就學、就業方面的政策，則付之闕如，面對罕見疾病，政府各單位權責劃分不清，彼此之間缺乏整合，對罕見疾病患者的照顧自然不足。甚至，有部分政府官員認為，罕見疾病只是少數家族的遺傳疾病，對大部分人並無影響，無須大費周章，耗用大批

人力物力去照顧這群極少數的病患及家庭。但實際上，罕見疾病的風險存在於每個家庭中，任何人都有機會生出這樣的孩子，所以罕病問題，應該以公共衛生的議題觀之，目前一般民眾，甚至執政當局仍有待培養這樣的觀念。

遺傳專科醫師表示，只要有人類存在，世世代代都會有罕見疾病的問題，防治的措施不可忽視，例如，重度的地中海型貧血患者，從出生到二十歲，必須要花費四千萬元的醫療費用，但是若能夠加強預防的措施，不但可以減少社會成本的浪費，更可以預防更多不幸的悲劇發生。

筆者期盼能夠藉此論文，喚起社會大眾以及政府機關對於罕見疾病問題的重視與瞭解，不再僅以人道同情為出發點，來看待罕見疾病患者，思考環境制度上的歧視與不友善，給他們更多的機會，使他們不會成為社會的負擔，更享受做為一個公民應有的待遇與生存的權利。