



附 錄 一

罕見疾病社會立法大事紀

87年	日 期	事 件
	87.07.01	國大代表湯火聖召開建立完善「罕見疾病兒童醫療體系」座談會
	87.10.16	國大代表湯火聖召開「罕見疾病有關問題」第二次座談會

88年	日 期	事 件
	88.06.07	行政院衛生署召開「罕見疾病藥物法（草案）」說明會
	88.06.21	行政院衛生署公告第一階段罕見疾病用藥品項及申請流程，增列17項藥品。
	88.07.08	罕見疾病基金會第一屆第三次董事會決議籌組「罕見疾病立法小組」，由曾敏傑執行長、王慧綾律師負責。
	88.09.06	罕見疾病基金會立法小組第一次會議
	88.09.18	罕見疾病基金會立法小組第二次會議訂定法案架構
	88.10.10	余政道委員提出罕病法草案
	88.10.16	罕見疾病基金會立法小組第三次會議完成基金會版草案
	88.10.30	罕見疾病基金會立法小組第四次會議
	88.11.02	提出罕見疾病基金會版之「罕見疾病法草案」（根據基金會立法小組三/四次會議修正）
	88.11.05	林耀興委員（厚生會）為行政院衛生署「罕見疾病藥物法」提案召開記者會及公聽會
	88.11.11	立法院第1140號，委員提案第2711號由立法院江綺雯等34位立委擬具之「罕見疾病法草案」提出表決
	88.11.11	余政道委員舉行「罕見疾病法草案」記者會

88.11.17	立法院第1140號，委員提案第2716號由立法院余政道等34位立委擬具之「罕見疾病法草案」提出表決
88.12.04	江綺雯委員舉行「讓小天使平安快樂的長大---催生罕見疾病法」記者會。
88.12.09	行政院衛生署公告第二階段罕見疾病適用藥品名單及其適應症，增列38項藥品，計為55項。
88.12.13	罕見疾病基金會對「罕見疾病法」草案提出補充意見
88.12.16	環衛社福委員會併案審查「罕見疾病防治及藥物法」
88.12.22	環衛社福委員會召委蕭金蘭委員召集，江綺雯、賴勁麟、余政道、王雪峰、謝啓大委員及關心本案的委員助理暨衛生署副署長楊志良、藥政處處長胡幼圃、保健處處長陳再晉等人協調溝通，彙整成「罕見疾病防治及藥物法草案協商版」。
88.12.30	靳曾珍麗、江綺雯、侯惠仙等二十六位委員針對依身心障礙保護法第三條相關規定核發身心障礙手冊予罕病病患，進行臨時提案。
88.01.12	行政院發文要求罕病基金會提供「罕見疾病藥物法（草案）」之意見，以供衛生署進行修訂「罕見疾病藥物法（草案）」。

89年	日期	事 件
	89.01.03	環衛社福委員會就罕見疾病防治及藥物法審查完竣
	89.01.11	罕見疾病防治及藥物法草案正式進行黨政協商
	89.01.12	罕見疾病防治及藥物法草案黨政協商版本完成連署，排入議程，逕付立法院會二、三讀
	89.01.14	立法第四屆第二會期第十七次會議正式三讀通過「罕見疾病防治及藥物法」，共制訂三十七條。
	89.02.09	總統明令公告「罕見疾病防治及藥物法」
	89.04.14	「罕見疾病防治及藥物法施行細則（藥物部份）」（草案）



89.04.17	及「罕見疾病藥物專案申請辦法」(草案)討論會議 「罕見疾病防治及藥物法施行細則」(草案)、「行政院衛生署罕見疾病照顧服務補助辦法」(草案)討論會。
89.04.20	「罕見疾病藥物供應、製造、研究發展獎勵辦法(草案)」討論會
89.05.08	行政院衛生署發出「落實罕見疾病防治及藥物法施行細則及關辦法」新聞稿
89.05.16	「罕見疾病藥物查驗登記審查準則(草案)」討論會
89.07.11	公告「罕見疾病及藥物審議委員會設置要點」
89.07.31	公告「罕見疾病藥物供應製造及研究發展獎勵辦法」
89.08.01	公告「第三階段罕見疾病適用藥品名單及其適應症」,新增藥品2項,共計57項。
89.08.07	公告實施「罕見疾病藥物查驗登記審查準則」
89.08.08	公告「罕見疾病防治衛生教育與宣導實施方案(草案)」討論會
89.08.08	公告「罕見疾病藥物專案申請辦法」
89.08.09	「罕見疾病及藥物審議委員會」第一次會議
89.08.09	公告「罕見疾病盛行率標準」為年盛行率萬分之一以下,「第一階段罕見疾病病名」共計22種。
89.08.09	公告「罕見疾病之特殊營養食品品目及適應症」共計15項
89.08.09	公告「罕見疾病個案(含疑似病例)報告流程」、「罕見疾病個案(含疑似病例)報告單」、「罕見疾病醫療補助申請、審核流程」及「罕見疾病醫療費用申請補助彙總表」。
89.09.08	「罕見疾病防治衛生教育與宣導實施方案(草案)」討論會
89.10.29	罕見疾病基金會與台北市政府衛生局合辦「罕見疾病防治及藥物法」座談會。
89.10.31	行政院衛生署辦理「罕見疾病防治及藥物相關法令」研習會

89.11.04	罕見疾病基金會與台北市政府衛生局合辦「罕見疾病防治及藥物法」說明會。
89.11.06	「罕見疾病及藥物審議委員會」第二次會議
89.11.22	召開「研商罕見疾病照顧相關事宜會議」
89.12.07	公告修訂「罕見疾病病名」，共計39大項，57種病名。
89.12.19	公告新增「罕見疾病病名」3項，共計42大項，60種病名。
89.12.20	衛生署辦理各醫學中心及區域教學醫院等相關業務人員之「罕見疾病防治及藥物相關法令」研習會。
89.12.26	公告增列「罕見疾病之特殊營養食品品名及適應症」2項，合計17項。

90年	日 期	事 件
	90.01.18	公告增列「罕見疾病適用藥物名單」1項，合計58項。
	90.02.15	「罕見疾病及藥物審議委員會」第三次會議
	90.03.15	公告增列「罕見疾病病名」6項，共計48大項，69種病名。
	90.03.22	公告增列「罕見疾病適用藥物名單」1項，合計59項。 並將「罕見疾病適用藥物」修訂為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物」。
	90.03.23	公告增列「罕見疾病之特殊營養食品品名及適應症」1項，合計18項。
	90.04.02	召開「研商罕見疾病個案（含疑似病例）追蹤管理作業」會議
	90.04.17	召開「研商成立罕見疾病藥物物流中心」會議
	90.04.20	「罕見疾病及藥物審議委員會」第四次會議
	90.05.28	召開研商「罕見疾病藥物物流中心-推動小組」第一次會議
	90.06.12	公告增列「罕見疾病病名」1項，共計49大項，70種病名。
	90.06.22	江綺雯立委舉辦「從台南『紅孩兒事件』看魚鱗癬患者



		醫療困境」公聽會
90.07.10	公告增列「罕見疾病病名」1項，共計50大項，71種病名。	
90.08.03	「罕見疾病及藥物審議委員會」第五次會議	
90.08.28	罕見疾病基金會邀請學者專家、病患團體及醫事人員代表，召開「罕見疾病防治及藥物法」修法座談會	
90.09.14	公告增列「罕見疾病之特殊營養食品品名及適應症」1項，合計19項。	
90.10.11	公告新修訂之「罕見疾病個案（含疑似病例）報告單」乙份	
90.10.18	公告增列「罕見疾病病名」5項，共計55大項，76種病名。	
90.10.31	衛生署國民健康局召開「罕見疾病防治及藥物法」修法會前會，以廣納各界意見，作為日後修法之參考。	
90.11.06	「罕見疾病及藥物審議委員會」第六次會議	
90.12.13	公告增列「罕見疾病病名」7項，共計62大項，83種病名。	
90.12.18	公告新增適用3項「罕見疾病防治及藥物法」之藥物許可證	

91年	日期	事件
	91.01.31	衛生署國民健康局召開「罕見疾病防治及藥物法」修法會議，此次會議決議之修正條文內容，將提送審議委員會進行審議。
	91.02.22	「罕見疾病及藥物審議委員會」第七次會議，並針對91.01.31當日之修法會議內容，進行審議。
	91.03.30	立法院第1140號，委員提案第3876號由立法院余政道等31位立委針對政府應予協助罕見疾病患者之醫療給付，並準用「全民健康保險法」第三十六條規定，免除自行負擔部份，特擬針對「罕病法第三十三條」修正草案提出表決。
	91.04.02	立法委員江綺雯等三十三人擬具「罕見疾病防治及藥物法修正草案」於立法院院會一讀，送衛生環境及社會福

		利委員會審查。
91.04.09		公告增列「罕見疾病之特殊營養食品品名及適應症」3項，合計22項。
94.04.12		公告增列「罕見疾病病名」1項，共計63大項，84種病名。
91.05.24		衛生環境及社會福利委員會併案審查罕見疾病防治及藥物法修正案。
91.06.18		「罕見疾病及藥物審議委員會」第八次會議
91.08.06		公告增列「罕見疾病病名」5項，共計68大項，89種病名。
91.09.01		衛生署公告之罕見疾病全數納入全民健保重大傷病保障範圍
91.10.03		「罕見疾病及藥物審議委員會」第九次會議
91.11.13		公告增列「罕見疾病病名」10項，共計78大項，99種病名。
91.12.01		全民健康保險局公告首批免事前專案審查之罕見疾病用藥
91.12.02		公告增列「罕見疾病之特殊營養食品品名及適應症」18項，合計40項。



附 錄 二

衛生署「罕見疾病藥物法」(草案)說明會會議紀錄

- ☐ 會議時間：八十八年六月七日
- ☐ 出席單位：經濟部工業局、財團法人罕見疾病基金會、中華民國製藥發展協會、中華民國開發性製藥研究協會、台大醫學院附設醫院、台灣區製藥工業同業公會、三軍總醫院、成功大學附設醫院、財團法人彰化基督教醫院、高雄醫學院附設中和紀念醫院、高雄榮民總醫院、林口長庚醫院、省立桃園醫院
- ☐ 列席單位：中央健康保險局、生物技術開發中心、保健處、藥政處
- ☐ 會議結論
 - 一、 本次會議將草案條文逐條討論，各界建議詳如「意見分析表」。
 - 二、 希望衛生署對罕見疾病能有整體規劃，不僅在罕見疾病藥物方面給予獎勵，其他相關措施如醫師的訓練、優生保健及教育推廣等，亦希望能齊頭並進。
 - 三、 衛生署將廣納各界意見，藉由集思廣益之力量，將草案內容修正的更加完善。
- ☐ 罕見疾病藥物法（草案）說明會意見分析表

修正條文 (88.06.07)	原條文 (88.03.19)	修正意見及說明	本處說明
第一章 總則 第一條 (立法目的) <u>為促進罕見疾病患者取得與使用合適之藥物，並獎勵與保障罕見疾病藥物之供應、製造及研發，以提供病患之照護，特制訂本法。</u> 本法未規定者，依其他有關法律之規定。	第一章 總則 第一條 (立法目的) 為獎勵與保障罕見疾病藥物之研發、製造及供應，確保罕見疾病患者取得並使用合適之藥物，以落實社會衛生福利政策，特制訂本法。 本法未規定者，依其他有關法律之規定。	◎ 應改為確保罕見疾病患者取得適用藥物，因而獎勵廠商生產或進口。(88.06.07) ◎ 條文主要在藥物供應，對其他社會衛生福利政策並無著墨之處 (88.06.07)	
第二條 (主管機關) 本法主管機關為中央衛生主管機關。	第二條 (主管機關) 本法主管機關為中央衛生主管機關。		
第三條 (範圍及定義) 本法所稱罕見疾病，係指疾病發生率或盛行率在主管機關訂定公告之標準以下者，或因情況特殊經主管機關指定公告者。 本法所稱罕見疾病藥物，係指本法提出申請，用於預防、診斷、治療罕見疾病，並經主管機關核准及公告之藥物。	第三條 (範圍及定義) 本法所稱罕見疾病，係指疾病發生率或盛行率在主管機關訂定公告之標準以下者，或因情況特殊經主管機關指定公告者。 本法所稱罕見疾病藥物，係指本法提出申請，用於預防、診斷、治療罕見疾病，並經主管機關核准之藥物。	◎ 罕見疾病盛行率與相關規定應由中央衛生主管機關每半年定期公告之。 ◎ 罕見疾病藥物名單應由中央衛生主管機關每半年定期公告之。 ◎ 疾病定義與範圍應有明確訂定。 ◎ 藥事法第六條中藥品定義是「足以影響人類身體結構及生理機能者」，而非只有用於預防、診斷、治療。(88.06.07) ◎ 罕見疾病要用盛行率或發生率來規範？其比例為多少？在條文中沒有明確指出。以數字來定訂標準，若比例範圍太廣，會導致資源移轉到非真正罕見疾病之患	◎ 施行細則中將明訂有關罕見疾病藥物事項及公告時間。 ◎ 本法採用疾病發生率及盛行率之定義在公告以下者，並公告罕見疾病藥物名單。 ◎ 因修法不易，因此在母法中通常只訂定較一般性之通則，其他於實行細則中再行訂定。 ◎ 若非罕見疾病之治療藥物，無法適用本法。(88.07.06)



修正條文 (88.06.07)	原條文 (88.03.19)	修正意見及說明	本處說明
		者。(88.06.07) ◎ 若已經核准為罕見疾病藥物，但衛生署未來沒有公告此疾病為罕見疾病，是否就不適用？(88.06.07) ◎ 過去罕見疾病之盛行率需廠商舉證提供，常造成認知不同的爭議，若能由政府每半年公告較佳。(88.06.07) ◎ 罕見疾病之比例應先經研究估算，以作為評估罕見疾病人口之依據及財政支出的參考資料。(88.06.07) ◎ 目前國內已有許可證但因藥價太低，且用量少，廠商不願意生產者，是否能包含在此法之範圍內？(88.06.07)	
第二章 罕見疾病藥物委員會組織及任務 第四條 (委員會之設置) 主管機關為審議罕見疾病藥物有關事項，應設罕見疾病藥物審議委員會，以下稱委員會。 委員會委員，由政府機關、產業代表與醫藥學者專家、社會人士組成，其中委員名額，至少應有四分之三以上為專業人士。其組織規程，由主管機關定之。	第二章 罕見疾病藥物委員會組織及任務 第四條 (委員會之設置) 主管機關為審議罕見疾病藥物有關事項，應設罕見疾病藥物審議委員會，以下稱委員會。 委員會委員，由政府機關、產業代表與醫藥學者專家、社會人士組成，其中委員名額，至少應有四分之一以上為專業人士。其組織規程，由主管機關定之。	◎ 委員會應增加消費者。 ◎ 委員會應增加罕見疾病社團代表，並訂定人數。 ◎ 應增加委員會中，醫藥專業人士之比例。(88.06.07)	◎ 社會公正人士可包括消基會、消保會推薦人士及法界等相關人士。 ◎ 本法第四條已明訂委員會組成需有社會人士參與，並於第五條說明必要時得徵詢罕見病患代表之意見。

修正條文（88.06.07）	原條文（88.03.19）	修正意見及說明	本處說明
第五條（委員會之任務） 前條委員會之任務如下： 一、關於罕見疾病藥物認定及相關規範之審議事項。 二、關於罕見疾病藥物研究發展之諮詢事項。 三、關於罕見疾病藥物國際合作之協助與諮詢事項。 四、其他有關罕見疾病藥物之相關事項。 前項審議事項，於必要時得徵詢學者專家或罕見疾病病患代表之意見。	第五條（委員會之任務） 前條委員會之任務如下： 一、關於罕見疾病藥物之審議事項。 二、關於罕見疾病藥物研究發展之諮詢事項。 三、關於罕見疾病藥物國際合作之協助與諮詢事項。 四、其他有關罕見疾病藥物之相關事項。 前項審議事項，於必要時得徵詢學者專家或罕見疾病病患代表之意見。	◎ 建議修改為「審查罕見疾病藥物之申請案件，罕見疾病之種類歸屬。」；並建議增列：罕見疾病藥物使用情形之追蹤。 ◎ 建議第二項「得」修為「應」。 ◎ 罕見疾病該由誰來訂定及公告。（88.06.07） ◎ 委員會之任務在審議事項上所扮演的角色為何，是否指藥物之查驗登記？如果是，該委員會之成員包括產業代表及社會人士等是否合適？（88.06.07） ◎ 罕見疾病用藥之安全問題是否適用藥害救濟法？（88.06.07） ◎ 罕見疾病藥物是否不經過現有之藥物審議委員會之審查？（88.06.07） ◎ 參考其他國家之做法，不應另設立一個新的審查程序及機構，而是沿用原有之正常程序，以保障藥物之安全性，但應予以簡化及減免審查成本。（88.06.07） ◎ 在現有之藥事法及實行細則中，已有方法可使藥物之審查流程加速，為何不從修改其內容著	◎ 在十二條第一項中對藥物使用情形，需以年報方式陳報，可作為藥物使用的追蹤。 ◎ 審議事項應指所有罕見疾病相關事項。（88.06.07） ◎ 罕見疾病藥物委員會主要目的是審查該藥物是否屬於罕見藥物範圍，藥物審議委員會則負責藥物之查驗登記。（88.06.07）



修正條文 (88.06.07)	原條文 (88.03.19)	修正意見及說明	本處說明
		手，而要另外立法？(88.06.07)	
第三章 罕見疾病藥物查驗登記、許可及管理 第六條 (得申請查驗登記為罕見疾病藥物情形) 資料齊全且符合作左列條件之一者，得申請查驗登記為罕見疾病藥物： 一、藥物之主要適應症符合第三條第一項所稱之預防、診斷或治療罕見疾病者。 二、非屬第三條第一項所稱罕見疾病之藥物，經委員會評估認定該藥物確有助於該疾病之醫療，而其製造或輸入於我國確有困難者。 三、具相同適應症且本質類似之罕見疾病藥物新申請案，如其安全性與有效性等確優於已核准之類似藥物者。 四、經其他國家已核准之藥物，且其適應症符合第三條所稱罕見疾病者。	第三章 罕見疾病藥物查驗登記、許可及管理 第六條 (得申請查驗登記為罕見疾病藥物情形) 資料充分且符合作左列條件之一者，得申請查驗登記為罕見疾病藥物： 一、藥物之主要適應症符合第三條第一項所稱之預防、診斷或治療罕見疾病者。 二、非屬第三條第一項所稱罕見疾病之藥物，經委員會評估認定該藥物確有助於該疾病之醫療，而其製造或引進於我國確有困難者。 三、具相同適應症且本質類似之罕見疾病藥物新申請案，如其安全性與有效性等確優於已核准之類似藥物者。 四、經其他國家已核准之罕見疾病藥物，且符合第三條第一項所稱罕見疾病者。	◎ 第二款建議「...，然製造或引進該類藥物於我國確有困難，得依本法申請適當補助者。其評估方法由中央衛生主管機關訂定之」。 ◎ 建議增加二項，包括（一）藥品行政監督之規定與（二）新藥之安全性，有指定監視期間觀察必要性，參酌藥事法第四十五條增列：製造、輸入罕見疾病藥物應依藥事法規定，向中央衛生主管機關申請查驗登記，經核准發給許可證後，始得製造或輸入。基於維護健康及確保藥物安全與醫療效能之原因，中央衛生主管機關得重新評估，必要時並得撤銷之。經核准製造或輸入之藥物如為新藥，主管機關得指定期間，監控其安全性，並公佈其成果予消費者知悉。 ◎ 第二款是否指具突破性(Breakthrough)療效之藥物，應有較詳細說明。(88.06.07) ◎ 條文內容應避免不屬於罕見疾病藥物	◎ 依本法第一條第二項說明，本法未規定者，依其他有關法律之規定。對其藥品行政監督之規定與及新藥之安全性，可依藥物法等法規定。 ◎ 第四款「且符合第三條第一項所稱罕見疾病者。」應刪除，以免與第一款重複。(88.06.07)



修正條文 (88.06.07)	原條文 (88.03.19)	修正意見及說明	本處說明
		之其他藥物有搭便車之嫌，使資源分配被移轉。 (88.06.07) ◎ 第二款之「引進」應改為「輸入」。 (88.06.07)	
第七條 (查驗登記申請程序) 主管機關為辦理罕見疾病藥物之查驗登記，應就審查規範、申請規費及其他相關作業，訂定審查辦法。 依前條第一項第四款提出申請之廠商，應取得該經其他國家核准之罕見疾病藥物申請者知委託書或同意函，向主管機關提出申請，或由我國主管機關與該國主管機關於必要時採互惠之雙邊協議認定之。	第七條 (查驗登記申請程序) 主管機關為辦理罕見疾病藥物之查驗登記，應就審查規範、申請規費及其他相關作業，訂定審查辦法。 依前條第一項第四款提出申請之廠商，應取得該經其他國家核准之罕見疾病藥物申請者知委託書或同意函，向主管機關提出申請，或由我國主管機關與該國主管機關於必要時採互惠之雙邊協議認定之。	◎ 「互惠雙邊協議」是否會因政治因素而影響藥的引進，建議刪除此句。 ◎ 查驗登記程序應簡化，減少過多的行政程序，甚至予以減免。 ◎ 互惠雙邊協議是否不需要廠商之委託書或同意函。 (88.06.07)	◎ 「互惠雙邊協議」是指對雙方罕見疾病患者之互惠原則 ◎ 查驗登記係在保障患者用藥安全，然可作適度簡化。 ◎ 第二項應重新檢討，是否應刪除。(88.06.07)
第八條 (非營利用罕見疾病藥物之申請) 個人或病人非營利用罕見疾病藥物之申請，應依專案申請方法為之。 前項專案申請辦法，由主管機關定之。	第八條 (非營利用罕見疾病藥物之申請) 個人或病人非營利用罕見疾病藥物之申請，應依專案申請方法為之。 前項專案申請辦法，由主管機關定之。	◎ 建議可由政府或健保局代理進口，以免造成病患或醫師之困擾。 (88.06.07) ◎ 除了個人或病人以外，醫院或民間公益團體是否可納入？ (88.06.07)	
第九條 (臨床試驗之要求) 主管機關認為必要時，得要球申請查驗登記之罕見疾病藥物	第九條 (臨床試驗之要求) 主管機關認為必要時，得要球申請查驗登記之罕見疾病藥物	◎ 目前國內臨床試驗 protocol 已有公開，建議刪除此款。 ◎ 建議若是十大先進	◎ 目前國人申請罕見疾病藥品之簡化辦法已於88.06.17公告。 ◎ 條文內容沒有規定



修正條文 (88.06.07)	原條文 (88.03.19)	修正意見及說明	本處說明
進行臨床試驗，並對臨床試驗之申請內容及結果予以適當之公開說明。	進行臨床試驗，並對臨床試驗之申請內容及結果予以適當之公開說明。	國認定為孤兒藥者，亦可免除臨床試驗。 ◎ 在先進國家已有臨床試驗之罕見疾病藥物，應簡化病患之申請進口手續，並准予或協助病患 ◎ 參加國外臨床試驗。 ◎ 罕見疾病藥之臨床試驗困難，是否能刪除？(88.06.07)	一定要作臨床試驗，可是情況而定，且有臨床試驗資料才能保障用藥之安全性及有效性。 (88.06.07)
第十條 (規費減免及簡化流程) 主管機關為照顧罕見疾病患者，得減免罕見疾病藥物查驗登記之沈請及審查等費用，並簡化相關查驗登記之流程，其辦法由主管機關定之。	第十條 (規費減免及簡化流程) 主管機關為照顧罕見疾病患者，得減免罕見疾病藥物查驗登記之沈請及審查等費用，並簡化相關查驗登記之流程，其辦法由主管機關定之。		
第十一條 (許可及其撤銷) 主管機關發現罕見疾病藥物查驗登記申請者所提供之書證資料，有不合規定或虛偽不實者，應不予許可為罕見疾病藥物。其已許可者，應依其違反情節及其他有關法律之規定，命其補正、罰鍰或撤銷其許可。	第十一條 (許可及其撤銷) 主管機關發現罕見疾病藥物查驗登記申請者所提供之書證資料，有不合規定或虛偽不實者，應不予許可為罕見疾病藥物。其已許可者，應依其違反情節，命其補正、罰鍰或撤銷其許可。	◎ 若資料不實應不被許可為罕見疾病藥物，則無補正之需要。罰鍰應列出金額。(88.06.07)	◎ 補正是指經核准後才發現資料不實。罰鍰會再考慮列出金額或取消。(88.06.07)
第十二條 (回收及其註銷許可) 經依本法申請許可	第十二條 (回收及其註銷許可) 經依本法申請許可	◎ 申請人數與使用數量，協會恐無法做到。	◎ 有包含

修正條文 (88.06.07)	原條文 (88.03.19)	修正意見及說明	本處說明
上市之罕見疾病藥物，應由申請者以年報方式，載明其使用數量及人數，並使用者之不良反應及其他相關報告等資料，陳報主管機關。 <u>使用者及相關單位應配合辦理年報事項。</u> 資料顯示該罕見疾病藥物有危害人體健康並經認定者，主管機關得要求申請者回收該罕見疾病藥物。必要時並應註銷該藥物之許可。	上市之罕見疾病藥物，應由申請者以年報方式，載明其使用數量及人數，並使用者之不良反應及其他相關報告等資料，陳報主管機關。 資料顯示該罕見疾病藥物有危害人體健康並經認定者，主管機關得要求申請者回收該罕見疾病藥物。必要時並應註銷該藥物之許可。	◎ 對業經核准上市之罕見疾病藥物，應由申請該藥物之使用單位以年報方式，記載其使用數量及人數... ◎ 是否包含醫療院所單獨向衛生署申請之國內未領有許可證的專案進口罕見疾病用藥。	
第四章 罕見疾病藥物之鼓勵及保障 第十三條（獎勵研發） 主管機關為落實本法立法目的，應訂定並執行獎勵罕見疾病藥物之供應、製造及研究發展，其辦法另定之。	第四章 罕見疾病藥物之鼓勵及保障 第十三條（獎勵研發） 主管機關為落實本法立法目的，應訂定並執行獎勵罕見疾病藥物之製造及研究發展，其辦法另定之。	◎ 應有清楚定獎勵研發之藥物，並確實惟罕見疾病藥物。 ◎ 此處只有對生產之鼓勵，但我國目前作迫切之需求應透過進口供應，這部分似乎獎勵不足，誘因不夠。 (88.06.07)	◎ 本法於第十六條說明獎勵辦法另定之。將有清楚規定獎勵研發之藥物。
第十四條（經費） 前條罕見疾病藥物製造及研究發展之獎勵經費，由主管機關編列預算補助之。 前項之獎勵經費，得接受相關單位或團體之捐助。	第十四條（經費） 前條罕見疾病藥物製造及研究發展之獎勵經費，由主管機關編列預算補助之。 前項之獎勵經費，得接受相關單位或團體之捐助。	◎ 進口孤兒藥應予以免稅，另引進或研發孤兒藥之績優藥商應予實質鼓勵，如全年度營業額之若干百分比予以免稅。	◎ 進口時海關及研發優惠等稅部分應可予以免稅，營業部分的稅，則需財政部同意。
第十五條（特許保障） 依本法申請查驗登記經許可之罕見疾病藥物，主管機關得於	第十五條（特許保障） 依本法申請查驗登記經許可之罕見疾病藥物，主管機關得於	◎ 同類藥物之定義不明。(88.06.07)	◎ 同類藥物之定義會再實行細則中明確訂定。 (88.06.07)



修正條文 (88.06.07)	原條文 (88.03.19)	修正意見及說明	本處說明
五年內，限制其同類藥物之申請。	五年內，限制其同類藥物之申請。		
第十六條（特許保障之解除） 有下列情形之一者，主管機關得撤銷申請者依前條取得之特許保障，並許可其他藥物之查驗登記申請為罕見疾病藥物： 一、新申請取得已經查驗登記核准為罕見疾病藥物之所有權人之授權同意書。 二、新申請者舉證其申請之藥物較已許可具有臨床之優越性，並經審查通過者。 已許可為罕見疾病藥物之申請者，無法供應該藥物之需求，或售價顯不合理，並經主管機關認定者。	第十六條（特許保障之解除） 有下列情形之一者，主管機關得撤銷申請者依前條取得之特許保障，並許可其他藥物之查驗登記申請為罕見疾病藥物： 一、申請取得已經查驗登記核准為罕見疾病藥物之所有權人之授權同意書。 二、新申請者舉證其申請之藥物較已許可具有臨床之優越性，並經審查通過者。 已許可為罕見疾病藥物之申請者，無法供應該藥物之需求，或售價顯不合理，並經主管機關認定者。		
第十七條（病患社會福利） 為照顧我國罕見疾病患者，主管機關應編列預算，補助全民健康保險依法未能給付之罕見疾病藥物費用。 前項補助辦法，由主管機關定之。	第十七條（病患社會福利） 為照顧我國罕見疾病患者，主管機關應編列預算，補助全民健康保險依法未能給付之罕見疾病藥物費用。 前項補助辦法，由主管機關定之。	◎ 此為社會福利之一環，亦應保障弱勢族群之權利，故建議應加入「全額」補助。 ◎ 醫療院所應依健保核准採購罕見疾病藥物，不得以任何理由向廠商要求折扣，此類藥品用量少且利潤有限。 ◎ 加速審查流程及健保核價之合理性。 ◎ 為照顧我國罕見疾病患者，中央衛生主管機關得編	◎ 本法包含範圍為罕見疾病藥物，其他如醫療性奶粉目前於保健處有經費補助。 ◎ 健保局對於給付問題另有討論。

修正條文（88.06.07）	原條文（88.03.19）	修正意見及說明	本處說明
		列預算，補助全民健康保險未能給付之罕見疾病藥物費用，補助辦法另訂之。 ◎ 過去健保幾付之申請程序繁瑣，需病患提供十國藥價資訊等，應再簡化其程序。（88.06.07） ◎ 醫院庫存藥物之成本應由誰來支付。 ◎ 醫療奶粉是否可列入？因在優生保健法中只能照顧道學齡前幼童。（88.06.07） ◎ 健保局核價方法長無法補貼到廠商引進過程之差價，會造成廠商引進意願降低。（88.06.07）	
第十八條（公告之義務） 主管機關應隨時公告核准為罕見疾病藥物之相關資料，其經撤銷者，亦同。	第十八條（公告之義務） 主管機關應隨時公告核准為罕見疾病藥物之相關資料，其經撤銷者，亦同。		
第十九條（施行細則之訂定） 本法施行細則，由主管機關訂之。	第十九條（施行細則之訂定） 本法施行細則，由主管機關訂之。	◎ 公告施行細則前，希望亦徵詢廠商意見。	◎ 本處同意。
第二十條（施行日） 本法自公佈日施行。	第二十條（施行日） 本法自公佈日施行。		
		◎ 依消費者保護法第二十四條及同法施行細則第二十	◎ 標示與包裝在藥事法第七十五條已有規定，不需新



修正條文 (88.06.07)	原條文 (88.03.19)	修正意見及說明	本處說明
		五條之規定，企業經營者應就商品為標示或說明，為保障消費者之權利，使其在購買前及使用時均得閱讀標示之內容，故建議新增標示及包裝相關規定	增此條。
		◎ 衛生署應對罕見疾病有全盤之政策，而非只是訂定罕見疾病藥物法，其他如醫師、優生保健法及教育之層次應一併考慮。 (88.06.07)	

◎此一會議為針對行政院版「罕見疾病藥物法」(草案)提出前，所召開的說明會，其目的在於廣納社會各界意見，使該草案能更加充實完整。

附 錄 三

罕見疾病基金會立法小組討論中 「罕見疾病法」之初步內容

壹、開會時間：民國八十八年九月十八日（立法小組第二次會議）

貳、地點：財團法人罕見疾病基金會會議室

參、小組成員：曾敏傑（罕見疾病基金會執行長）

王慧綾（罕見疾病基金會委任律師）

胡務亮（台大醫院小兒部醫師）

楊秀儀（長庚大學醫務管理系助理教授）

雷文玫（中原大學財經法律系助理教授）

林志鴻（中正大學社會福利系助理教授）

何建志（台灣大學法律系研究所博士班）

黃舒梵（台大法律系計畫研究助理）

鍾芳樺（台大法律系計畫研究助理）

肆、討論曾敏傑教授擬具「罕見疾病法」之初步內涵

一、罕見疾病之界定及其界定機制

二、罕見疾病議題之最高審議機制、產生方式、及其權責。

三、新生兒篩檢之法制化

經費來源

主辦機關

篩檢內容





強制或自願設計

公費或自費（或綜合）

四、優生保健諮詢中心之法制化

設立標準

人員編制（醫師、營養師、諮詢人員、社工師）

經費補助

工作內容（治療、教育、追蹤、產前診斷）

五、醫事相關人員培育公費化（或獎勵化）

六、公共護士在防治體系中之角色（一般嬰兒三歲前普訪、病兒定期訪視）

七、醫院在防治體系中之角色

評鑑？獎勵？

八、強制通報制度之設計

九、病患隱私權之保障

十、病患之福利

奶粉、藥品之補助、篩檢補助、自願結紮

應予補助、墮胎補助

十一、病患之義務

登記列管、婚育通報、接受優保諮詢

十二、孤兒藥研發、生產、進口獎勵機制

十三、罕見疾病用藥強制納入健保

（未納入前應依本法補助之）

十四、主管機關應定期宣導民眾認識



附錄四

罕見疾病基金會對「罕見疾病法」草案之補充意見

壹、為何需要「罕見疾病法」，而非「罕見疾病藥物法」？

行政院衛生署在立法方向上，建議先行通過行政院版「罕見疾病藥物法」草案，俟後再另修正優生保健法。本基金會認為該建議並不可行，其理由如下：

一、罕見疾病不限於遺傳性疾病

罕見疾病病患約有百分之八十為重大遺傳性疾病病患。至於其餘百分之二十病患，非屬遺傳性疾病患者（或醫學上尚未確定是否屬遺傳性疾病），優生保健法對此種病患無從著力。然而無論是否為遺傳性疾病，罕見疾病病患面臨的醫療困境相同，因此需要有「罕見疾病法」解決其問題。

二、罕見疾病之預防及治療，宜建立完整體系

「罕見疾病法」草案，無論本會版（江綺雯委員版本）或余政道委員版本，實質內容包括罕見疾病防治及藥物取得兩大部分。合併配套規劃將使法案內容更周延，並突顯照顧罕見疾病病患之立法精神。

三、罕見疾病法與優生保健法並行不悖

優生保健法規範三大病類，包括遺傳性疾病、精神疾病及傳染性疾病，惟該法之措施以結紮及人工流產為主，未能針對各病類建立完整之防治體系。目前精神疾病之防治有「精神衛生法」規範，傳染性疾病有「傳染病防治法」及「後天免疫缺乏症候群防治條例」，本會主張針對動遺傳性疾病連同其他罕見疾病另訂立「罕見疾病法」。



貳、罕見疾病立法可能增加之政府支出

本會認為「罕見疾病法」立法可能增加之政府支出應有限，理由如下：

- 一、草案中關於政府補助篩檢、結紮、人工流產之費用（第二十三條），目前衛生署已有補助；
- 二、草案中關於罕見疾病藥物及醫療性食品之補助（第二十三條），衛生署已經執行多年。惟衛生署依據優生保健法只能補助嬰幼兒之醫療性食品，因此罕見疾病法之立法將增加青少年或成人病患所需醫療性食品之補助費用，且罕見病患數量稀少，該金額應屬有限。
- 三、罕見疾病防治機構之設置，係延續現行優生保健諮詢中心制度。雖罕見疾病法之立法將增加營養師、遺傳諮詢人員及社工人員之編制，但係針對現有五家優生保健諮詢中心酌增人員，該費用應屬有限。
- 四、至於國際醫療合作（第十三條）及其他獎勵措施（第二十六條及第二十七條）之費用，政府得視國家財政狀況編列適當預算補助。

參、本會對「罕見疾病法」草案條文之意見

第一章：總則

1. 立法目的（第一條）：余政道委員版「罕見疾病法」草案（以下簡稱余版）之立法目的較周詳。本會建議採用余版文字。
2. 關於罕見疾病定義（第二條）及主管機關（第三條），本會尊重衛生署之意見。

第二章：罕見疾病審議委員會

1. 本會堅持罕見疾病審議委員會成員應有「罕見疾病病患或家屬代表」（第五條），因為罕見疾病事物，醫病雙方均應表達其意見。尤其病患及其家屬長年與疾病奮戰，

對於疾病的了解不遜於醫事人員。

2. 本會認為病患（或家屬）申請指定為罕見疾病，以罕見疾病藥物之專案申請兩者，應讓病患（或家屬）及申請人有陳述意見的權利（第六條）。罕見疾病千差萬別，縱然審議委員也未必能了解每種疾病及其醫療需要，故宜允許利害關係人到場陳述說明。

第三章：罕見疾病之檢查與治療

1. 優生保健諮詢中心（第七條）：

- （1）本會建議刪除本會版草案中「參酌地區分佈」等字，以免阻礙有意願投入罕病防治醫院之參與。
- （2）本會認為辦理罕見疾病通報、診斷、治療及研究之機構，究竟延續目前「優生保健諮詢中心」，或另命適當名稱，宜尊重衛生署之意見。
- （3）本會建議醫療團隊中再增列「心理治療師及復健人員」。

2. 罕見遺傳性疾病高危險群之檢查（第九條）：

為使罕見遺傳性疾病高危險群之檢查確實可行，本會同意斟酌衛生署之意見做適當之修正。

3. 國際醫療合作（第十三條）：

本會建議本條第一項及第二項之「優生保健諮詢中心」更改為「醫療機構」。此乃因為中央主管機關有義務設置優生保健諮詢中心（或其他名稱），配置完整醫療團隊，從事缺乏市場利益的罕見疾病醫療工作，但不應因此排斥其他醫療機構亦設有專科醫師診斷或治療罕見疾病。

4. 罕見疾病資料庫（第十五條）：

如果本條文引起侵害病患隱私權之爭議，本會不堅持本條文。



第四章：罕見疾病藥物之特殊措施

- 1、本會建議罕見疾病藥物查驗登記事項參考行政院版「罕見疾病藥物法」之內容。惟院版第十五條對「明知為未經許可之罕見疾病藥物而...供應...轉讓」者處以刑罰。惟目前專案進口之藥物係供特定病患使用，其他病患臨時需用藥往往向有藥的病患調度支應，救命之舉竟為違法行為，並不合理。本會建議適當修正院版第十五條之文字。
- 2、關於特許保障（第二十條）期間，本會版及余版草案保障五年，而行政院版保障十年。本會認為美國、歐盟等授與藥商七年至十年之獨佔特許，係為獎勵藥商研發新藥。反觀我國罕見疾病藥物均為進口，獎勵罕見疾病藥物供應之重點在於降低因查驗登記所生之成本，而非讓進口商享有十年之獨占利益。因此本會建議特許保障為五年，但仍應尊重衛生署之意見。

第五章：罕見疾病防治之輔助及推廣

- 1、本會建議本會版草案第二十三條第一項第一款增加「醫療器材」為補助項目。例如：地中海型貧血患者每日施打十小時以上排鐵劑，需要施打排鐵劑所需之器材。
- 2、「罕見遺傳性疾病病患及其家屬之遺傳性疾病防治教育」（第二十四條），係為預防罕見遺傳性疾病在同一家族重複發生的悲劇，本會認為此係罕見疾病防治之重要措施，應予以強力支持。
- 3、關於罕見疾病病患權益及防治教育之辦理（第二十五條），本會企盼衛生主管機關能協調其他政府部門及民間資源辦理維護病患權益及教育宣導等事項，因為衛生主管機關明瞭罕病病患因疾病所生之特殊需求。如因該條文涉及其他機關權責恐延滯法案之審議，本會亦可接受作適當修正。

附 錄 五

罕見疾病防治及藥物法草案各版本條文對照

審查會通過條文	行政院提案	江委員綺雯等提案 余委員政道等提案	說明
罕見疾病防治 及藥物法	罕見疾病藥物法	罕見疾病法	明定法案名稱
協商通過 第一條 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患，協助及維持生命所須之特殊營養食品，並獎勵與保障該藥物及食品之供應、製造與研究發展，特制定本法。 本法未規定者，適用其他有關法律之規定。	行政院提案： 第一條 為加強罕見疾病藥物之供應，保障罕見疾病病人之權益，特制定本法；本法未規定者，適用藥事法及其他有關法律之規定。	委員江綺雯等提案： 第一條（立法目的） 為加強照顧罕見疾病患者，及早診對治療罕見疾病並防治其發生，特制定本法。 委員余政道等提案： 第一條 為防治罕見疾病之發生，及早診斷治療罕見疾病，加強照顧罕見疾病病患，協助病患取得罕見疾病適用藥物、醫療性食品及器材，並獎勵與保障該藥物、醫療性食品及器材之供應、製造及研究發展，特制定本法。 本法未規定者，適用其他有關法律之規定。	行政院提案說明： 本法之立法目的及本法與其他法律間之適用順序。 江委員等提案說明： 揭示立法目的。 余委員等提案說明： 一、明定立法目的。 二、本法涵蓋罕見疾病之預防保健；醫療照護；藥物、食品及醫療器材之取得；及獎勵、特許保障等四大面向，期全面照顧罕見疾病病患。
協商通過 第二條 本法所稱主管機關：在中央為行政院衛生署；在直轄市為直轄市政府；在縣（市）為縣（市）政府。	行政院提案： 第二條 本法所稱主管機關為行政院衛生署。	委員江綺雯等提案： 第三條（主管機關） 本法所稱主管機關，在中央為行政院衛生署；在直轄市為直轄市政府；在縣（市）為縣（市）政府。	行政院提案說明： 本法之主管機關。 江委員等提案說明： 明訂本法之主管機關。 余委員等提案說明： 明定主管機關。



		委員余政道等提案： 第三條 本法主管機關為中央衛生主管機關。	
協商通過 第三條 本法所稱罕見疾病，係指疾病盛行率，在中央主管機關訂定之公告標準以下，或因情況特殊，經中央主管機關指定公告。 本法所稱罕見疾病藥物，係指依本法提出申請，經中央主管機關公告，其主要適應症用於預防、診斷、治療罕見疾病者。	行政院提案： 第三條 本法所稱罕見疾病，係指盛行率在主管機關公告標準以下之疾病，或因情況特殊經主管機關指定公告者。 本法所稱罕見疾病藥物，係指經主管機關公告，其主要適應症用於預防、診斷或治療罕見疾病之藥物。	委員江綺雯等提案： 第二條（罕見疾病之定義） 本法所稱罕見疾病，係指疾病發生率或盛行率，在罕見疾病審議委員訂定之公告標準以下，或因情況特殊，一般醫療保健體系無法妥善照顧，經主管機關指定公告者。 委員余政道等提案： 第二條 本法所稱罕見疾病，係指疾病發生率或盛行率，在主管機關訂定之公告標準以下者，或因情況特殊，經主管機關指定公告者。 本法所稱罕見疾病藥物、醫療性食品及器材，係指依本法提出申請，經主管機關公告，用於預防、診斷、治療罕見疾病者。	行政院提案說明： 一、第一項參考日本藥事法之立法例，規定罕見疾病之定義。至其盛行率上限，美國訂為全國病患人數在二十萬人以下者；澳洲為二千人（約佔人口總數的萬分之一）；歐聯（European Union）（草案）為人口數的萬分之五；日本為五萬人（約人口總數的萬分之三點五），未來主管機關公告盛行率上限時，將參考上開立法例，因應我國實況酌予規定。 二、第二項規定罕見疾病藥物之定義。 江委員等提案說明： 明訂罕見疾病之認定標準與依據。 余委員等提案說明： 明定罕見疾病、罕見疾病藥品、食品與醫療器材之範圍及定義。
協商通過 第四條 中央主管機關為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	行政院提案： 第五條 主管機關為審議罕見疾病藥物有關事項，應設罕見疾病藥物審議委員會（以下簡稱委員會）；其組織及會議，依主管機關之規定。 委員會委員，由政	委員江綺雯等提案： 第五條（罕見疾病審議委員會之組織） 罕見疾病審議委員會暨委員九至十五人，任期二年，期滿得連任之，其中一人為主任委員，均由主管機關遴聘之。 前項委員會之委	行政院提案說明： 一、參考歐聯罕見疾病藥物法（草案）第四條，於第一項規定主管機關應設罕見疾病藥物審議委員會，協助審議罕見疾病藥物有關事項；其組織及會議則依主管機關之規定。

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。	府機關代表、醫藥學者專家及社會公正人士擔任之；其醫藥學者專家之人數，不得少於三分之二。	員，由政府機關、學者專家及罕見疾病病患代表組成，其中學者專家與罕見疾病病患及家屬代表不得少於三分之二。 罕見疾病審議委員會之組織規程由中央主管機關另定之。	二、第二項規定委員會委員之產生方式及其專業領域。 江委員等提案說明：為求委員會成員之專業與社會代表性，明訂其組成。 余委員等提案說明：一、明定設立罕見疾病審議委員會。 二、明定該委員之組成及組織規程。
保留 第五條 委員會任務如左： 一、罕見疾病之認定及防治事項。 二、罕見疾病藥物認定之審議。 三、罕見疾病藥物審查登記之審議。 四、罕見疾病藥物之補助與研發之審議。 五、罕見疾病檢查、治療或國際合作計劃之審議，及有關協助與諮詢事項。 六、罕見疾病藥物以外特定疾病藥物之審議。	行政院提案： 第六條 委員會之任務如下： 一、罕見疾病藥物查驗登記之審議。 二、罕見疾病藥物認定之審議。 三、罕見疾病藥物研發之諮詢。 四、罕見疾病藥物國際合作之協助與諮詢。 五、罕見疾病藥物以外特殊疾病藥物之審議。 六、其他有關事項。 委員會執行前項任務，必要時得徵詢其	委員江綺雯等提案： 第四條（罕見疾病審議委員會與執掌） 為處理本法有關罕見疾病事項，中央主管機關應設置罕見疾病審議委員會，其執掌如下： 一、關於罕見疾病發生率或盛行率標準之訂定事項。 二、關於罕見疾病之認定事項。 三、關於罕見疾病藥物及醫療性食品之認定及相關規範之審議事項。 四、關於罕見疾病藥	行政院提案說明： 一、第一項規定委員會之任務。 二、第二項規定委員會因執行任務之必要，得徵詢其他學者專家、相關產業或罕見疾病病人代表之意見。 江委員等提案說明：明訂罕見疾病事務應經由委員會之組織審議。 余委員等提案說明：明定罕見疾病審議委員會之任務。



七、其他有關事項。 委員會執行前項任務，應徵詢其他相關學者專家、產業或罕見疾病病人代表之意見。	他學者專家、相關產業或罕見疾病病人代表之意見。	物、醫療性食品及器材之補助、研究發展之審議事項。 五、關於新生兒遺傳性疾病篩檢項目之審議事項。 六、關於罕見疾病檢查、治療及就養等相關協助與諮詢事項。 七、國際合作計劃之審議。 八、其他罕見疾病之相關規範事項。 委員余政道等提案： 第五條 前條之委員會任務如左： 一、關於罕見疾病之認定及相關規範之審議事項。 二、關於罕見疾病藥物、醫療性食品及器材之認定及相關規範之審議事項。 三、關於罕見疾病藥物、醫療性食品及器材之研究發展、國際合作之協調與諮詢事項。 四、關於罕見疾病檢查、治療之國際合作計劃之審議，及有關協助與諮詢事項。 五、其他有關罕見疾病之相事項。 前項事項之審議，應徵詢學者專家及罕見疾病病患代表之意見。 委員江綺雯等提案： 第六條（審議之程序） 罕見疾病審議委員	江委員等提案說明： 明定利害關係人之程序權利。
---	--------------------------------	---	------------------------------------

		會為下列事項審議時，利害關係人得請求到場陳述意見，利害關係人之請求及建議除顯無理由，不得拒絕： 一、疾病發生率或盛行率在主管機關公告標準以上，因情況特殊，一般醫療保健體系無法妥善照顧，有指定為罕見疾病必要者； 二、依本法第十八條申請非營利用罕見疾病藥物輸入或使用。 前項第一款之利害關係人係指該疾病之病患，法定代理人及家屬；前項第二款之利害關係人係指申請人。	
協商通過 第六條 中央主管機關得委託辦理罕見疾病之防治與研究。		委員余政道等提案： 第六條 主管機關應設專責機構辦理罕見疾病之防治與研究。	余委員等提案說明： 明定專責機構之設置。
		委員江綺雯等提案： 第七條（優生保健諮詢中心） 中央主管機關應參酌地區分布自行設置或委託醫療機構設置優生保健諮詢中心，辦理罕見疾病之通報、診斷、治療與研究。 優生保健諮詢中心應有專職人員編制及經費，並配置涵蓋醫師、營養師、遺傳諮詢人員、社會工作人員等成員之醫療團隊。	江委員等提案說明： 明定優生保健諮詢中心之職掌及專業人員配置。



		優生保健諮詢中心 之組織管理辦法由中 央主管機關訂定之。	
協商通過 第七條 醫事人員發現罹患第 三條所稱之罕見疾病 患者，或因而致死之 屍體，應向中央主管 機關報告。		委員余政道等提案： 第八條 醫事人員發現本法第 二條所定之患者，或 因而致死之屍體，應 於七日內，向主管機 關報告。	余委員等提案說明： 明定醫事人員通報義 務。
保留 第八條 主管機關接獲報告或 發現具有罕見遺傳疾 病缺陷者，必要時由 優生保健諮詢中心派 遺專業人員訪視，告 知相關疾病之影響。		委員江綺雯等提案： 第八條（罕見疾病之 通報） 醫事人員發現疑似罹 患依本法第二條公告 之罕見疾病之患者， 應立即通知優生保健 諮詢中心，並應告知 患者獲得相關檢查與 治療之途徑，並得轉 介至優生保健諮詢中 心。 優生保健諮詢中心 應定期整理罕見疾病 資料，呈報主管機 關。	江委員等提案說明： 為使罕見疾病患者儘 速獲得適當之醫療， 明定醫療人員發現罕 見疾病之通報義務。
		委員江綺雯等提案： 第九條（罕見遺傳性 疾病高危險性群之檢 查） 有左列情形之一者。 主管機關應立即通知 其接受遺傳學或其他 必要之檢查，逾期未 接受檢查者，由優生 保健諮詢中心派遣專 業諮詢人員告知其相 關疾病之影響。 一、四親等內之血親 患有依 本法第二條 公告之罕見遺傳疾 病，或帶有罕見遺傳	江委員等提案說明： 明定有需要進行檢查 之遺傳性疾病高危險 群。

		性疾病基因，因而本人有患病或帶因之可能性者。 二、疑似因罕見遺傳性疾病而流產之胎兒或死亡之人，其四親等內之血親。 三、接獲報告或發現疑似患有罕見遺傳性疾病者。 四、疑似罹患其他經罕見疾病審議委員會認定有檢查必要，且經主管機關公告之疾病之人。 前項所列之人亦得主動前往優生保健諮詢中心請求檢查。	
		委員余政道等提案： 第七條 主管機關應通知左列之人，於限期內至指定之醫療機構，免費接受遺傳學或其他必要之檢查，逾期末接受檢查者，應由前條之專責機構或委託之醫療機構派遣專業諮詢人員訪視，明確告知相關疾病之影響： 一、接獲報告或發現疑似具有罕見疾病遺傳缺陷者。 二、三親等以內為本法第二條所定之病患者。 三、其他經主管機關認為有檢查之必要者。 前項所列之人，亦得主動前往主管機關指定之醫療機構，請求免費定期檢查。	余委員等提案說明： 明定免費強制檢查之對象及範圍。



		委員江綺雯等提案： 第十條（遺傳性疾病篩檢） 中央主管機關必要時得進行新生兒遺傳性疾病篩檢。 遺傳性疾病篩檢實施辦法由中央主管機關訂之。	江委員等提案說明： 新生兒篩檢法制化。
		委員余政道等提案： 第十一條 主管機關對罹患本法第二條所定之患者，應通知其至指定之醫療機構免費接受必要之檢查或治療。	余委員等提案說明： 明定罕見疾病患者接受免費治療、檢查之權利。
		委員江綺雯等提案： 第十一條（強制檢驗之禁止） 為預防、診斷及治療罕見疾病所為之醫學檢查或篩檢，不得強制實施。	江委員等提案說明： 明文規定不得強制檢驗，以免侵害人權。
		委員江綺雯等提案： 第十二條（醫事人員之說明義務） 為預防、診斷及治療罕見疾病所為之醫學檢查及篩檢，醫事人員於執行前後應提供適當之說明或諮詢服務，並告知當事人其健康、社會與法律權益上之可能影響。	江委員等提案說明： 明定醫事人員之說明義務。
協商通過 第九條 本法所定之機關、機構及人員從事第七條、第八條業務處理時，應注意執行之態度與方法，尊重病患		委員江綺雯等提案： 第十四條（人格權之保障） 本法所定機關、機構及其人員於從事罕見疾病相關事務之處理時，應注重執行之方	江委員等提案說明： 明定罕見疾病事務之處理不得侵害病患及帶因者之人格權。

之人格與自主，並維護其隱私與社會生活之經營。		法與態度，尊重罕見疾病病患及帶因者之人格與自主，並維護其隱私、家庭和諧與社會生活之經營。	
保留 第十條 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。 前項獎勵經費，由中央主管機關編列預算補助之，並得接受相關單位或團體之捐助。		委員江綺雯等提案： 第二十七條（醫療機構之獎勵及人才培育） 主管機關應獎勵各級醫療機構從事罕見疾病防治工作，並依科學技術基本法規定培育相關人才，補助委託機構執行罕見疾病防治工作所須之人力及經費，並定期資助相關之研究。 前項獎勵經費，由主管機關編列預算補助之，並得接受相關單位或團體之捐助。	江委員等提案說明： 明定醫療機構之獎勵及人才培育。
		委員余政道等提案： 第九條 醫事人員執行本法防治工作有績效者，主管機關及其服務機構應予獎勵。	余委員等提案說明： 明定對執行本法績效卓著者之獎勵。
保留 第十一條 主管機關應辦理罕見疾病之防治教育與宣導，並由機關、學校、團體及大眾傳播媒體協助進行。		委員江綺雯等提案： 第二十四條（罕見遺傳性疾病防治教育） 主管機關應提供罕見遺傳性疾病病患及其家屬適當之遺傳性疾病防治教育。 委員余政道等提案： 第十條 主管機關應辦理罕見疾病之防治教育及宣導，並由機關、學校、團體及大眾傳播媒體協助進行。	江委員等提案說明： 明定主管機關應提供罕見遺傳性疾病防治教育。 余委員等提案說明： 明定主管機關辦理罕見疾病之義務與方式。



保留 第十二條 符合本法第三條所稱之罕見疾病患者，準用全民健康保險法第三十六條之規定。			協商條文新增
保留 第十三條 主管機關得委託醫療機構，從事罕見疾病之檢驗及治療。		委員余政道等提案： 第十二條 主管機關得委託公私立醫院及研究單位，從事罕見疾病之檢驗及治療。	余委員等提案說明： 明定主管機關得委託公私立醫院或研究單位，進行罕見疾病檢驗及治療。
協商通過 第十四條 具備左列證明文件，經委員會審議通過，中央主管機關得協助至國外進行國際醫療合作： 一、依本法第十條或第十三條規定之醫療機構或研究機構證明書、申請書與診療計劃書。 二、其他國家醫院或研究機構之證明書或同意書。 三、病患同意書。 四、其他必要之證明文件。 前項醫療合作為代行檢驗項目者，得由第十條或第十三條規定之醫療機構或研究機構逕行辦理，其所須之費用中央主管機關應予適當之補助。		立委江綺雯等提案： 第十三條（國際醫療合作） 優生保健諮詢中心為即時提供罕見疾病之檢查、診斷或治療，於必要時得尋求國際醫療合作解決方案。 優生保健諮詢中心得向主管機關申請補助前項國際醫療合作方案。	江委員等提案說明： 明定罕見疾病之醫療得經由國際合作解決之。
		委員余政道等提案： 第十三條 具備左列證明文件，經委員會審議通過，得向主管機關申請至國外進行國際醫療合作，接受免費檢驗及醫療： 一、依本法第十一條或第十二條規定之醫療機構、公私立醫院或研究機構證明書、申請書與診療計劃。 二、其他國家醫院或研究機構之證明或同意書。 三、病患同意書。 四、其他必要之證明	余委員等提案說明： 明定國際醫療合作申請要件及審議期限。

		文件。	
		委員江綺雯等提案： 第十五條（罕見疾病資料庫） 中央主管機關應建立罕見疾病資料庫。病患及帶因者之個人資料非於執行本法必要範圍內或經當事人書面同意者，不得蒐集及利用。	江委員等提案說明： 明定中央主管機關應訂定資料庫。
協商通過 第十五條 除本法另有規定外，罕見疾病藥物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。	行政院提案： 第四條 除本法另有規定外，罕見疾病藥物經主管機關查驗登記，並發給藥物許可證，不得製造或輸入。		行政院提案說明： 罕見疾病藥物製造，輸入之條件限制。
協商通過 第十六條 符合左列條件之一者，得申請查驗登記為罕見疾病藥物： 一、藥物之主要適應症用於預防、診斷或治療罕見疾病。 二、其他國家核准之藥物，其主要適應症用於預防、診斷或治療罕見疾病。 申請查驗登記應備之書證資料、審查之程序及相關事項，由中央主管機關定之。	行政院提案： 第七條 有下列情形之一者，得申請罕見疾病藥物查驗登記： 一、藥物之主要適應症用於預防、診斷或治療罕見疾病。 二、其他國家核准之藥物，其主要適應症用於預防、診斷或治療罕見疾病。 申請查驗登記應備之書證資料、審查之程序及相關事項，由中央主管機關定之。	委員江綺雯等提案： 第十六條（罕見疾病藥物之要件） 符合左列條件之一者，中央主管機關應依職權或依申請認定為罕見疾病藥物： 一、藥物之主要適應症符合預防、診斷或治療第二條所稱之罕見疾病者。 二、經其他國家已核准之藥物，且其適應症符合第二條所稱罕見疾病者。 中央主管機關為辦理前項認定登記，應就審查規範、流程及其他相關事項，訂定審查辦法。	行政院提案說明： 一、第一項規定得申請罕見疾病藥物查驗登記之情形。 二、有關申請查驗登記應備之書證資料、審查之程序及其他相關事項，授權由主管機關定之。爰為第二項規定。 江委員等提案說明： 明定罕見疾病藥物之要件。 余委員等提案說明： 明定得申請查驗登記為罕見疾病藥物、食品及醫療器材之情形。



		委員余政道等提案： 第十四條 符合左列條件之一者，得申請查驗登記為罕見疾病藥物、醫療性食品及器材： 一、藥物之適應症與醫療性食品及器材之標示符合本法第二條所稱之預防、診斷或治療罕見疾病者。 二、非屬本法第二條所稱罕見疾病之藥物、醫療性食品及器材，經委員會評估認定該藥物、醫療性食品及器材有助於該疾病之醫療，而其製造或輸入我國確有困難者。 三、具相同適應症或作用，具本質類似之罕見疾病藥物、醫療性食品及器材新申請案，如其安全性與有效性等確優於已核准之類似藥物、醫療性食品及器材者。 四、經其他國家已核准之藥物、醫療性食品及器材，其適應症或標示說明符合第二條所稱罕見疾病者。	
		委員余政道等提案： 第十五條 主管機關為辦理罕見疾病藥物、醫療性食品及器材之查驗登記，應就審查規範、申請規費及其他相關作業，訂定審查辦法。 依前條第四款提出申請之廠商，應取得經其他國家核准之罕	余委員等提案說明： 明定查驗登記申請程序。



		見疾病藥物、醫療性食品及器材申請者之委託書或同意函，向主管機關提出申請，或由我國主管機關與該國主管機關於必要時採互惠之雙邊協議議定之。	
協商通過 第十七條 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。	行政院提案： 第八條 申請罕見疾病藥物查驗登記者，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。	委員江綺雯等提案： 第十九條（臨床試驗之協助） 中央主管機關對於罕見疾病藥物為通過查驗許可所須之臨床試驗及其他測試，應提供藥商必要之諮詢及建議。	行政院提案說明： 為保障病人用藥安全，規定申請罕見疾病藥物查驗登記者，主管機關於必要時，得要求進行臨床試驗並踐行一定程序。
		委員余政道等提案： 第十七條 主管機關認為必要時，得要求申請查驗登記之輸入罕見疾病藥物、醫療性食品及器材進行臨床試驗，並對臨床試驗之申請內容及結果予以適當之公開說明。	江委員等提案說明： 關於罕見疾病藥物因病患人數不足而難以進行臨床試驗，明定中央主管機關應協助解決。 余委員等提案說明： 明定臨床試驗要件及公開說明義務。
協商通過 第十八條 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	行政院提案： 第九條 罕見疾病藥物依本法查驗登記發給許可證者，其許可證有效期間為十年。有效期間內，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	委員江綺雯等提案： 第二十條（特許保障） 依本法認定為罕見疾病藥物並經查驗登記取得藥物許可證者，主管機關應於五年內限制其同類藥物就同一適應症之查驗登記。 前項許可證所有人於前項所定特許時間內擬停止製造或輸入罕見疾病藥物者，應於停止之六個月前通	行政院提案說明： 一、第一項規定罕見疾病藥物經查驗登記發給許可證應予保障。 二、第二項規定罕見疾病藥物保障期滿，得辦理展延，每次以五年為限。展延期間，同類藥物得申請主管機關查驗登記。 三、原列為罕見疾病藥物者，如該適應症不再符合罕見疾病定義，其許可證之延



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，應於停止日年六個月以書面通知中央主管機關。	期間，同類藥物得申請中央主管機關查驗登記。 罕見疾病藥物依法查驗登記發給許可證後，如經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。	知中央主管機關。 委員余政道等提案： 第二十四條 依本法申請查驗登記許可之罕見疾病藥物、醫療性食品及器材，主管機關得於五年內，限制其同類藥物、醫療性食品及器材之申請。	展，應依藥事法有規範規定辦理，爰為第三項規定。 江委員等提案說明： 明定罕見疾病藥物之特許保障，以提供經濟誘因。 余委員等提案說明： 明定特許保障。
協商通過 第十九條 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	行政院提案： 第十條 有下列情形之一者，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罕見疾病藥物之新申請案，其安全性或有效性等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主管機關認定顯不合理。 依前項第二款至第四款規定經主管機關查	委員江綺雯等提案： 第二十一條（特許保障之解除） 有下列情形之一者，主管機關得撤銷藥物許可證所有人依前條取得之特許保障，並許可其他藥物之查驗登記： 一、新申請者取得罕見疾病藥物之藥物許可證所有權人之同意者。 二、具相同適應症且本質類似之罕見疾病藥物新申請案，其安全性或有效性等確優於已許可之類似藥物者。 三、罕見疾病藥物之藥物許可證所有人或其提供者，無法即時供應該藥物之需求者。 四、罕見疾病藥物售價經中央主管機關認	行政院提案說明： 一、第一項規定主管二、機關得不受前一條第一項規定之限制，受理其他同類藥物查驗登記申請並發給許可證之情形，以保障罕見疾病病人權益。 三、依前項第二款至第四款規定經主管機關查驗登記發給許可證者，亦宜予以保障，爰為第二項規定。 江委員等提案說明： 明定撤銷特許保障之條件，以避免特許保障妨礙罕見疾病病患取得適用藥物。 余委員等提案說明： 明定特許保障之撤銷要件。

關查驗登記發給許可證者，適用前條之規定。	驗登記發給許可證者，適用前條之規定。	定顯不合理。 委員余政道等提案： 第二十五條 有下列情形之一者，主管機關得撤銷其依前條取得之特許保障，並許可其他藥物、醫療性食品及器材之查驗登記： 一、新申請者取得已經查驗登記核准為罕見疾病藥物、醫療性食品及器材之所有權人之授權同意書。 二、新申請者舉證其申請之藥物、醫療性食品及器材較已許可者具有臨床之優越性，並經委員會通過者。 三、已許可之罕見疾病藥物、醫療性食品及器材者，無法提供足夠之需求，或售價顯不合理，經委員會認定者。 四、其他重大事項，經委員會認定者。	
協商通過 第二十條 罕見疾病藥物未經查驗登記或有前後第一項第三款、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	行政院提案： 第十一條 罕見疾病藥物未經查驗登記或有前後第一項第三款、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。 前項專案申請應備之書證資料、審查之	委員江綺雯等提案： 第十八條（非營利用罕見疾病藥物之申請） 罕見疾病病患及其家屬、醫療機構及醫事相關學會及相關基金會得依專案申請輸入或使用非營利用罕見疾病藥物。 前項專案申請辦法，由中央主管機關定之。	行政院提案說明： 一、幫助罕見疾病病人取得合適之藥物，於一定條件下，允許政府機關、醫療機構、罕見疾病病人與其家屬及相關基金會、學會、協會，得專案申請主管機關許可，爰為第一項規定。 二、第二項規定專案申請應備之書證資料，審查之程序及其



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、審查之程序及其他相關事項，由中央主管機關定之。	程序或其他相關事項，由主管機關定之。	委員余政道等提案： 第十六條 個人或病人非營利用罕見疾病藥物、醫療性食品及器材之申請，應依專案申請方式為之。 前項專案申請辦法，由主管機關定之。	他相關事項，由主管機關定之。 江委員等提案說明： 明定罕見疾病藥於查驗登記許可前得經專案申請非營利之使用。 余委員等提案說明： 明定非營利用罕見疾病藥物、食品及醫療器材之申請書。
協商通過 第二十一條 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。	行政院提案： 第十二條 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，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。	委員余政道等提案： 第二十條 經依本法申請許可上市之罕見疾病藥物、醫療性食品及器材，應由申請者以年報方式，載明其使用數量及人數，並使用者之不良反應及其他相關報告等資料，陳報主管機關。使用者及相關單位應配合辦理年報事項。	行政院提案說明： 罕見疾病藥物出現危害反應之回收及其許可證之廢止。 委員余政道等提案： 明定年報之辦理及註銷許可要件。
協商通過 第二十二條 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。	行政院提案： 第十三條 經依本法核准上市或專案申請之罕見疾病藥物，應由主管機關編列年報，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。	資料顯示該罕見疾病藥物、醫療性食品及器材有危害人體健康並經認定者，主管機關得要求申請者回收該罕見疾病藥物、醫療性食品及器材，必要時並應註銷其許可。	行政院提案說明： 一、第一項規定已核准上市或專案申請之罕見疾病藥物，應由主管機關編列年報，載明相關事項及資料。 二、第二項規定藥商及專案申請者配合辦理義務。
		委員余政道等提案： 第二十一條 主管機關應設立單一窗口，專責辦理罕見疾病藥物、醫療性食品及器材之進口輸入與供應。	余委員等提案說明： 明定單一窗口之設立與執掌。

協商通過 第二十三條 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。	行政院提案： 第二十四條 非罕見疾病藥物依藥事法規定製造或輸入我國有困難，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。	委員江綺雯等提案： 第二十八條（罕見疾病藥物規定之準用） 非藥物，但提供改善罕見疾病病狀、病患生理結構或生理機能所須之特殊營養成分或具有特定保健功效者，由中央主管機關認定為醫療性食品。本法第六條、第十七條至第十九條、第二十二條、第二十三條及第二十六條關於罕見疾病藥物之規定，於醫療性食品準用之。	行政院提案說明： 雖非罕見疾病藥物，惟依藥事法規定製造或輸入我國有困難，且經委員會審議認定有助於特殊疾病之醫療者，得準用本法有關查驗登記及專案申請之規定。 江委員等提案說明： 醫療性食品準用罕見疾病藥物之規定。
協商通過 第二十四條 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。	行政院提案： 第十四條 罕見疾病藥物之許可及其撤銷、廢止，主管機關應定期公告之。	委員江綺雯等提案： 第二十二條 中央主管機關應定期公告認定為罕見疾病、罕見疾病藥物之相關資料，其經撤銷者，亦同。 委員余政道等提案： 第二十九條 主管機關應按月公告核准為罕見疾病藥物、醫療性食品及器材之相關資料，其經撤銷者，亦同。	行政院提案說明： 主管機關應定期公告罕見疾病藥物許可及其撤銷、廢止之相關資料。 江委員等提案說明： 明定罕見疾病相關資料之公告義務。 余委員等提案說明： 明定公告之義務。
協商通過 第二十五條 依本法申請查驗登記、臨床試驗、許可證之核准、展延或專案申請者，應繳納審查費、登記費或證照費；其費額，由中央主管機關定之。	行政院提案： 第二十五條 依本法申請查驗登記、臨床試驗、許可證之核准、展延或專案申請者，應繳納審查費、登記費或證照費；其費額，由中央主管機關定之。	委員江綺雯等提案： 第十七條（罕見疾病藥物查驗登記之簡化及規費減免） 為協助罕見疾病病患取得罕見疾病適用藥物，中央主管機關應制定辦法減免罕見疾病藥物查驗登記之申請及審議等費用，	行政院提案說明： 本法相關規範之收取；其費額，並授權由主管機關定之。 江委員等提案說明： 明定簡化藥物查驗登記流程，俾罕見疾病病患儘速取得適用藥物。 余委員等提案說明：



		並簡化相關檢驗登記之流程。	明定規費減免及簡化查驗流程。
		委員余政道等提案： 第十八條 主管機關為照顧罕見疾病病患，得減免罕見疾病藥物、醫療性食品及器材查驗登記之申請及審查等費用，並簡化相關查驗登記之流程，其辦法由主管機關定之。	
協商通過 第二十六條 擅自製造、輸入未經許可之罕見疾病藥物者，或明知未經許可之罕見疾病藥物，而販賣、供應、調劑、運送、寄藏、牙保、轉讓或意圖販賣而陳列者，依藥事法第八十二條、第八十三條規定處罰之。	行政院提案： 第二十六條 擅自製造、輸入未經許可之罕見疾病藥物者，或明知未經許可之罕見疾病藥物，而販賣、供應、調劑、運送、寄藏、牙保、轉讓或意圖販賣而陳列者，依藥事法第八十二條、第八十三條規定處罰之。		行政院提案說明： 未經許可之罕見疾病藥物，依其情形分屬藥事法所稱禁藥或偽藥，則其擅自製造、輸入，或明知未經許可之而販賣、供應、調劑、運送、寄藏、牙保、轉讓或意圖販賣而陳列者，仍依藥事法相關規定予以處罰。
協商通過 第二十七條 違反第十七條規定者，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。	行政院提案： 第十六條 違反第八條規定者，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。		行政院提案說明： 罕見疾病藥物違反臨床試驗相關規定之處罰。
協商通過 第二十八條 申請罕見疾病藥物查驗登記或展延登記，提供不時之書證資料者，處新台幣二萬元	行政院提案： 第十七條 申請罕見疾病藥物查驗登記或展延登記，提供不時之書證資料者，處新台幣二萬元	委員余政道等提案： 第十九條 主管機關發現罕見疾病藥物、醫療性食品及器材查驗登記者所提供之書證資料，有	行政院提案說明： 申請罕見疾病藥物查驗登記或展延登記而提供不實書證資料者處罰。 余委員等提案說明：

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。	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；涉及刑事責任部分，移送司法機關辦理。	不符合規定或虛偽不實者，應不予許可為罕見疾病藥物、醫療性食品及器材。其已許可者，應依其違反情節及其他有關法律之規定，命其補正、罰鍰或撤銷許可。	明定許可及其註銷。
協商通過 第二十九條 違反第二十條第一項規定，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。	行政院提案： 第十八條 違反第十一條第一項規定，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。		行政院提案說明： 將專案申請之罕見疾病藥物充作營利用途者之處罰。
協商通過 第三十條 違反主管機關依第二十一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。	行政院提案： 第十九條 違反主管機關依第二十二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。		行政院提案說明： 違反主管機關限期回收有害罕見疾病藥物命令之處罰。
協商通過 第三十一條 違反第二十二條第二項規定，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。	行政院提案： 第二十條 違反第十三條第二項規定，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，主管機關得不予許可。		行政院提案說明： 違反配合編列年報相關義務之處罰。
協商通過 第三十二條 本法所定之罰鍰，由	行政院提案： 第二十一條 本法所定之罰鍰，由	委員余政道等提案： 第二十七條 依本法所處罰鍰，經	行政院提案說明： 罰鍰之處罰機關及其強制執行。



中央主管機關處罰之。前項罰鍰經限期繳納，屆期不繳納者，移送法院強制執行。	主管機關處罰之。前項罰鍰經限期繳納，屆期不繳納者，移送法院強制執行。	催告後逾期仍未繳納者，由主管機關移送法院強制執行。	余委員等提案說明： 明定強制執行要件及程序。
協商通過 第三十三條 中央主管機關得獎勵罕見疾病藥物之供應、製造及研究發展；其獎勵對象、方式及被獎勵者應遵行事項之辦法，由中央主管機關定之。	行政院提案： 第二十二條 主管機關得獎勵罕見疾病藥物之供應、製造及研究發展；其獎勵對象、方式及被獎勵者應遵行事項之辦法，由主管機關定之。	委員江綺雯等提案： 第二十六條（罕見疾病藥物之獎勵） 中央主管機關應獎勵罕見疾病藥物之供應、製造及研究發展；其獎勵辦法，由中央主管機關定之。 委員余政道等提案： 第二十二條 主管機關應訂定辦法獎勵罕見疾病藥物、醫療性食品及器材之供應、製造及研究發展；其辦法，由主管機關定之。 委員余政道等提案： 第二十三條 前條罕見疾病藥物、醫療性食品及器材之供應、製造及研究發展之獎勵經費，由主管機關編列預算補助之。	行政院提案說明： 為鼓勵罕見疾病藥物之供應、製造及研究發展，規定主管機關應訂定獎勵辦法予以獎勵。 江委員等提案說明： 明定罕見疾病藥物之供應、製造及研發應予獎勵。 余委員等提案說明： 明定罕見疾病藥物、食品及醫療器材之供應、製造及研究發展獎勵辦法。 余委員等提案說明： 明定獎勵經費之來源。
保留 第三十四條 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藥物與維持生命所須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。 前項補助經費，得接受相關單位或團體	行政院提案： 第二十三條 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藥物費用。前項補助之方式、內容及其他相關事項之辦法，由主管機關定之。	委員江綺雯等提案： 第二十三條（醫療費用之補助） 下列事項全民健康保險制度未給付者，主管機關應編列預算補助： 一、預防、診斷及治療罕見疾病所需之費用，包含產前及產後篩檢、罕見疾病藥物、醫療性食品、手術及優生保健諮詢等	行政院提案說明： 一、為落實社會衛生福利政策，第一項規定主管機關應編列預算，補助全民健康保險法未能給付之罕見疾病藥物費用。 二、第二項規定相關補助辦法，由主管機關定之。 江委員等提案說明： 明定主管機關補助罕見疾病之醫療費用。

之捐助。		費用； 二、罕見遺傳性疾病病患及第九條第一項所訂之人工結紮及人工流產費用。 前項補助之範圍，金額及相關辦法，由主管機關另訂之。	
		委員余政道等提案：第二十八條 為加強照顧罕見疾病病患，主管機關應編列預算，補助全民健保法未能給付之醫療及罕見疾病藥物、醫療性食品及器材費用，其補助辦法，由主管機關定之。前項補助經費，得接受相關單位或團體之捐助。	余委員等提案說明：明定病患費用之補助及經費來源。
		委員江綺雲等提案：第二十五條 (罕見疾病病患權益及防治教育之辦理) 主管機關應協助相關政府部門與民間資源，辦理以下事項： 一、視罕見疾病病患身心發展狀況，解決其就醫、就學、工作、保險等需求。 二、罕見遺傳性疾病病患及其家屬之遺傳性疾病教育： 三、罕見疾病病患團體之支援及輔導。 四、罕見疾病防治宣導及醫事專業教育。 委員余政道等提案：第二十六條 以詐欺	江委員等提案說明：明定主管機關協調辦理其他罕見疾病防治項目。 余委員等提案說明：明定違反本法規定之處罰。



		或其他不正當行為領取本法給付或虛偽之證明、報告、陳述及申報有關費用者，處其領取之費用二倍罰鍰，其涉及刑責者，移送司法機關辦理。	
協商通過 第三十五條 罕見疾病病患維持生命所需之特殊營養食品，得參照法有規關規定管理之。	行政院提案： 第二十六條 本法施行細則，由主管機關定之。		
協商通過 第三十六條 本法施行細則，由中央主管機關定之。		委員江綺雯等提案： 第二十九條 本法施行細則，由主管機關定之。	行政院提案說明： 本法施行細則之訂定機關。 江委員等提案說明： 明定本法施行細則由主管機關定之。
		委員余政道等提案： 第三十條 本法施行細則，由主管機關定之。	余委員等提案說明： 明定施行細則之訂定。
協商通過 第三十七條 本法自公佈日起六個月施行。	行政院提案： 第二十七條 本法自公佈日起六個月施行。	委員江綺雯等提案： 第三十條 本法自公佈日施行。 委員余政道等提案： 第三十一條 本法自公佈日起施行。	行政院提案說明： 本法之施行日期。 委員江綺雯等提案： 明定本法自公佈之日起施行。 余委員等提案說明： 明定施行日期。

◎ 資料來源：立法院公報 第八十九卷 第九期 院會紀錄

◎ 附註說明：當時罕病基金會版之草案內容即為江綺雯立委版本大致相同，故不再重複表列，特此說明。

◎ 余委員政道等提案連署情形

提案人：余政道、王雪峰、沈富雄

連署人：邱垂貞、林政則、邱太三、彭紹瑾、謝敏人、營志宏、蘇煥智、黃義交、
翁金珠、劉文雄、蔡中涵、周雅淑、鄭朝明、蔡煌瑯、許添財、范巽綠、
張俊雄、黃明和、蔡明憲、陳忠信、王拓、洪秀柱、陳昭南、林文郎、
林忠正、黃爾璇、賴士葆、朱立倫、洪奇昌、林豐喜、陳其邁

◎ 江委員綺雯等提案連署情形

提案人：江綺雯、楊瓊瓊、靳曾珍麗、郭素香

連署人：黃敏惠、陳學聖、廖婉汝、宋熙光、李炆峰、關沃暖、林重謨、洪性榮、
林宗男、林政則、劉政鴻、洪讀、廖風德、周正之、李顯榮、李鳴皋、
李正宗、楊吉雄、徐中雄、李嘉進、楊文欣、陳忠信、范揚盛、張福興、
候惠仙、陳進丁、章仁香、穆閏珠、朱鳳芝、吳清池



附 錄 六

「罕見疾病防治及藥物法」草案朝野協商紀錄

壹、時間：八十九年一月十一日下午四時

貳、地點：立法院第六會議室

參、主持人：蕭委員金蘭、余委員政道、郝委員龍斌

肆、協商代表：黃委員昭順、江委員綺雯、曾委員永權、蔡委員豪、鄭委員龍水、陳委員振盛、賴委員勁麟、林委員志嘉、黃委員明和、陳委員昭南

伍、協商結論：

一、第三條、第五條、第八條、第十一條、第十三條、第三十三條均修正如附件。

二、第十九條第一款同意書修正為授權同意。

三、第二十七條「醫療機構得處」修正為「並得處醫療機構」。

四、第三十三條條次調為第二十六條，原第二十六條及以後條次遞改。

五、原第二十八條（修正條文第二十九條）延展登記改為展延登記；兩萬元改為二萬元。

六、修正第三十二條「不與許可」改為「不予許可」。

陸、附件：

第三條 本法所稱罕見疾病，係指疾病盛行率，在中央主管機關訂定之公告標準以下，且經第四條所定委員會認定者，或因情況特殊，經中央主管機關指定公告者。

本法所稱罕見疾病藥物，係指依本法提出申請，經中央主管機關公告，其主要適應症用於預防、診斷、治療罕見疾病者。

第五條 委員會任務如下：

- 一、罕見疾病之認定及防治事項
- 二、罕見疾病藥物認定之審議
- 三、罕見疾病藥物查驗登記之審議
- 四、罕見疾病藥物之補助與研發之審議
- 五、罕見疾病檢查、治療或國際合作計畫之審議，及有關協助與諮詢事項。
- 六、治療特定疾病之非罕見疾病藥物之審議。
- 七、其它有關事項。

第八條 中央及直轄市主管機關接獲報告或發現具有罕見遺傳疾病缺陷者，必要時由優生保健諮詢中心派遣專業人員訪視，告知相關疾病之影響。

第十條 中央及直轄市主管機關應獎勵各級醫療院所或研究機構從事罕見疾病防制工作，補助相關人力培育、研究及設備所需經費。

第十一條 中央及直轄市主管機關應辦理罕見並之防治教育與宣導，並由機關、學校、團體及大眾傳播媒體協助進行。

第十二條 刪除

第十三條 中央及直轄市主管機關得委託醫療機構，從事罕見疾病之檢驗及治療。

第三十三條 本法所定之罰鍰，由中央及直轄市主管機關處罰之。

前項罰鍰經限期繳納，屆期不繳納者，移送法院強制執行。

第三十四條 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。

第三十七條 本法施行一年後，行政院應於半年內檢討修正本法。

(本條新增、條次為調整後之條次)



附 錄 七

罕見疾病防治及藥物法

中華民國八十九年二月九日華總一義字第八九〇〇〇三一六〇〇號總統令公布

第 一 條

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患，協助病患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，特制定本法。

本法未規定者，適用其他有關法律之規定。

第 二 條

本法所稱主管機關：在中央為行政院衛生署；在直轄市為直轄市政府；在縣（市）為縣（市）政府。

第 三 條

本法所稱罕見疾病，係指疾病盛行率，在中央主管機關訂定之公告標準以下，且經第四條所定委員會認定者，或因情況特殊，經中央主管機關指定公告者。

本法所稱罕見疾病藥物，係指依本法提出申請，經中央主管機關公告，其主要適應症用於預防、診斷、治療罕見疾病者。

第 四 條

中央主管機關為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為醫事學者專家。

第 五 條

委員會任務如下：

- 一、罕見疾病之認定及防治事項。
- 二、罕見疾病藥物認定之審議。
- 三、罕見疾病藥物查驗登記之審議。
- 四、罕見疾病藥物之補助與研發之審議。
- 五、罕見疾病檢查、治療或國際合作計劃之審議，及有關協助與諮詢事項。
- 六、治療特定疾病之非罕見疾病藥物之審議。
- 七、其他有關事項。

委員會執行前項任務，應徵詢其他相關學者專家、產業或罕見疾病病人代表之意見。

第 六 條

中央主管機關得委託辦理罕見疾病之防治與研究。

第 七 條

醫事人員發現罹患第三條所稱之罕見疾病患者，或因而致死之屍體，應向中央主管機關報告。

第 八 條

中央及直轄市主管機關接獲報告或發現具有罕見遺傳疾病缺陷



者，必要時由優生保健諮詢中心派遣專業人員訪視，告知相關疾病之影響。

第 九 條

本法所定之機關、機構及人員從事第七條、第八條業務處理時，應注意執行之態度與方法，尊重病患之人格與自主，並維護其隱私與社會生活之經營。

第 十 條

中央及直轄市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。

前項獎勵經費，由中央及直轄市主管機關編列預算補助之，並得接受相關單位或團體之捐助。

第 十 一 條

中央及直轄市主管機關應辦理罕見疾病之防治教育與宣導，並由機關、學校、團體及大眾傳播媒體協助進行。

第 十 二 條

中央及直轄市主管機關得委託醫療機構，從事罕見疾病之檢驗及治療。

第 十 三 條

具備下列證明文件，經委員會審議通過，中央主管機關得協助至國外進行國際醫療合作：

- 一、依本法第十條或第十二條規定之醫療機構或研究機構證明書、申請書與診療計畫書。

二、其他國家醫院或研究機構之證明書或同意書。

三、病患同意書。

四、其他必要之證明文件。

前項醫療合作為代行檢驗項目者，得由第十條或第十二條規定之醫療機構或研究機構逕行辦理，其所需之費用中央主管機關應予適當之補助。

第十四條

除本法另有規定外，罕見疾病藥物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。

第十五條

符合下列條件之一者，得申請查驗登記為罕見疾病藥物：

- 一、藥物之主要適應症用於預防、診斷或治療罕見疾病。
- 二、其他國家核准之藥物，其主要適應症用於預防、診斷或治療罕見疾病。

申請查驗登記應備之書證資料、審查程序及相關事項，由中央主管機關定之。

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。

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。

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。

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、審查之程序及其他相關事項，由中央主管機關定之。

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。

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。

第二十二條

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。

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。

第二十四條



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，應繳納審查費、登記費或證照費；其費額，由中央主管機關定之。

中央主管機關得獎勵罕見疾病藥物之供應、製造及研究發展；其獎勵對象、方式及被獎勵者應遵行事項之辦法，由中央主管機關定之。

第二十五條

擅自製造、輸入未經許可之罕見疾病藥物者，或明知未經許可之罕見疾病藥物，而販賣、供應、調劑、運送、寄藏、牙保、轉讓或意圖販賣而陳列者，依藥事法第八十二條、第八十三條規定處罰之。

第二十六條

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。

第二十七條

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。

第二十八條

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。

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。

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。

第三十二條

本法所定之罰鍰，由中央及直轄市主管機關處罰之。

前項罰鍰經限期繳納，屆期不繳納者，移送法院強制執行。

第三十三條

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。

前項補助經費，得接受相關單位或團體之捐助。

第三十四條

罕見疾病病患維持生命所需之特殊營養食品，得參照本法有關規定管理之。

第三十五條

本法施行細則，由中央主管機關定之。



第三十六條

本法自公布日起六個月施行。

第三十七條

本法施行滿一年後，行政院應於半年內檢討修正本法。



附 錄 八

罕見疾病藥物及防治法施行細則

中華民國八十九年八月九日衛署保字第0八九00九九二一號令訂定發布施行

第一條 本細則依罕見疾病防治及藥物法（以下簡稱本法）第三十五條規定訂定之。

第二條 本法所稱罕見疾病病患維持生命所需之特殊營養食品，其品目及適用之疾病，由中央主管機關公告之。

第三條 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盛行率。

第四條 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的確有困難，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。

第五條 依本法第七條規定負有報告義務之醫事人員，應於發現罕見疾病患者或屍體之日啓一個月內向中央主管機關陳報。

第六條 中央主管機關應將罕見疾病人口之變遷資料，納入衛生統計。



第七條 本法第八條所稱優生保健諮詢中心，指經中央主管機關委託，辦理罕見遺傳疾病防治、研究及優生保健諮詢服務之醫療機構。

第八條 中央及直轄市主管機關依本法第十一條規定辦理罕見疾病之防治教育與宣導，應協同教育、社政及新聞主管機關訂定計劃，據以實施。

第九條 中央主管機關對於依本法第十三條第一項規定協助至國外進行國際醫療合作者，得比照全民健康保險緊急傷病自墊醫療費用和退辦法所定核退標準，予以補助。

本法第十三條第二項所稱代行檢驗項目，以對疾病治療方式或遺傳諮詢建議有重大影響者為限：中央主管機關對其補助之額度，比照全民健康保險醫療費用支付標準之規定。

第十條 下列藥物，為本法第十七條第一項、第二項及第十八條第一項所稱之同類藥物：

- 一、有效成分及適應症與依本法查驗登記發給許可證之一般化學藥物相同者，包括其結構上之異構物、錯化物、鹽類、酯類、螯合物或其他非共價鍵衍生物。
- 二、主分子結構及適應症與依本法查驗登記發給許可證之生物製劑或大分子藥物相同者。

第十一條 本法第十八條第一項第一款所稱罕見疾病藥物之權利人，指領有罕見疾病藥物許可證者。

第十二條 依本法第十八條第一項第二款規定向中央主管機關申請查驗登記者，應檢附足以證明該新申請罕見疾病藥

物之安全性或有效性優於以許可之罕見疾病藥物之資料。

第十三條 本法第十八條第一項第三款所稱無法供應該藥物之需求，指權利人未能充分供應該罕見疾病藥物，經中央主管機關令其限期改善，屆期仍未改善者。

第十四條 中央主管機關依本法第十八條第項第四款規定為罕見疾病藥物售價合理與否之認定時，應參考新申請人及權利人檢送之售價分析資料、中央健康保險局公告之藥價基準及其他相關資料為之。

第十五條 本法及本細則所定文書格式，由中央主管機關定之。

第十六條 本細則自中華民國八十九年八月九日施行。



附 錄 九

罕見疾病醫療補助辦法

中華民國八十九年八月九日衛署保字第○八九○○○九九二二號令訂定發布施行

第一條 本辦法依罕見疾病防治及藥物法（以下簡稱本法）第三十三條第一項規定訂定之。

第二條 罕見疾病病患，因罕見疾病於國內醫學中心或區域教學醫院就醫所產生之醫療費用，得依本辦法申請補助。

第三條 前條所稱醫療費用，指下列費用：

- 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。

第四條 前條醫療費用之補助額度，以實際發生數之百分之七十為限。但下列費用得全額補助：

- 一、低收入戶病患之醫療費用。
- 二、罕見遺傳疾病病患使用之藥物及維持生命所需之特殊營養食品費用。

前項補助費用，由診療醫院於事實發生後之次月份月底前向中央主管機關申請，並不得向病患預先收取。

第二項醫院之診療醫師，應依本法第七條之規定辦理罕見疾病報告。

第五條 罕見遺傳疾病病患使用之藥物及維持生命所需之特殊營養食品，中央主管機關於必要時，得委託優生保健諮詢中心統籌供應。

第六條 診療醫院依第四條第二項規定申請之費用，如有異常或偏高之情事，中央主管機關得會商相關醫學會核予刪減。經刪減之費用，診療醫院不得再向病患收取。

第七條 屬於人體試驗之醫療項目，應依醫療法相關規定為之，其費用除對受試者為確定診斷所施行之常規性醫療服務外，不得向受試者收取。

前項人體試驗之費用，施行醫院得向中央主管機關申請部分補助。其額度應以經罕見疾病及藥物審議委員會審議認可者為限。但已進入多中心臨床試驗者，得依第四條之規定申請補助。

第八條 接受醫療補助之藥物及維持生命所需之特殊營養食品，不得轉讓他人使用。但診療醫師基於病患緊急需要，臨時撥轉者，不在此限。

第九條 本辦法自中華民國八十九年八月九日施行。



附 錄 十

罕見疾病藥物專案申請辦法

中華民國八十九年八月八日衛署藥字第○八九○○○九八四五號令訂定發布

第一條 本辦法依罕見疾病防治及藥物法(以下簡稱本法)第十九條第三項及第二十二條規定訂定之。

第二條 罕見疾病藥物未經查驗登記，或持有許可證者無法供應，或該藥物售價經中央主管機關認定顯不合理時，其製造或輸入得由政府機關、醫療機構、罕見疾病病人與家屬及相關基金會、學會、協會，依本法第十九條第一項規定，專案申請中央主管機關許可。

非罕見疾病藥物依藥事法規定製造或輸入我國確有困難，且經罕見疾病及藥物審議委員會認定有助於特定疾病之醫療者，準用前項之規定。

第三條 依前條規定專案申請罕見疾病藥物，應填具申請書，並檢附下列資料：

- 一、由罕見疾病病患或家屬提出申請者：病患身分證明文件影本、醫療機構出具之診斷證明書或處方、該藥物出產國仿單，或有關之安全或療效資料。
- 二、由政府機關、醫療機構及相關基金會、學會、協會提出申請者：病患同意書、醫療機構提出之治療計畫書或出具之診斷證明書、該藥物出產國仿單，或有關之安全或療效資料。

三、由中央主管機關委託或指定之機構、團體提出申請者：病患同意書、醫療機構提出之治療計畫書或出具之診斷證明書、該藥物出產國仿單，或有關之安全或療效資料。

第四條 中央主管機關應於收受專案申請書件三十日內，完成審查作業，並將審查結果以書面通知申請人。

第五條 專案申請藥物，每次以足供一病患二年之用量為限，並得視實際需要分批辦理。

第六條 本辦法自中華民國八十九年八月九日施行。



附 錄 十 一

罕見疾病藥物查驗登記審查準則

中華民國八十九年八月七日衛署藥字第○八九○○○九七八八號令訂定發布

第一條 本準則依罕見疾病防治及藥物法(以下簡稱本法)第十五條及第二十二條之規定訂定之。

第二條 申請罕見疾病藥物查驗登記之藥商，應填具申請書，連同審查費及下列文件，送請中央主管機關核辦：

- 一、標籤、仿單及證照。
- 二、相關療效、品質及安全性資料。
- 三、申請輸入罕見疾病藥物查驗登記者，其原產國家核准製售及原廠授權登記之證明文件。
- 四、其他經中央主管機關指定之文件，如附表一及附表二。

第三條 申請製造、輸入之罕見疾病藥物，如係新藥、新醫療器材或增加新醫療效能應用之醫療器材，除依前條規定辦理外，並應檢附下列文件：

- 一、學術理論依據與有關之研究報告及資料。
- 二、安全性試驗報告及臨床試驗報告。

第四條 藥商無法於申請時檢附第二條第三款所規定之原產國家核准製售證明文件者，應於領取許可證前補齊。

第五條 藥商申請輸入、製造罕見疾病藥物查驗登記時，應檢附

中央主管機關對其製造場所之核備文件，或該藥物製造場所符合藥品或醫療器材優良製造規範(GMP)之證明文件及相關資料，必要時，中央主管機關得派員訪查認定。

第六條 依本法第十八條第一項第二款至第四款規定申請查驗登記者，除檢送第三條所規定之書證資料外，並應檢送本法第十八條第一項第二款至第四款各款所規定之有關資料。

第七條 罕見疾病藥物申請查驗登記，其應繳之審查費用，依中央主管機關所定之收費標準。

第八條 本準則自中華民國八十九年八月九日施行。



附 錄 十 二

罕見疾病藥物供應製造及研究發展獎勵辦法

中華民國八十九年七月三十一日衛署藥字第○八九○○○三八三三號令訂定發布

第一條 本辦法依罕見疾病防治及藥物法第二十五條規定訂定之。

第二條 具有下列情形之一者，得依本辦法申請獎勵：

- 一、引進罕見疾病藥物、或將罕見疾病藥物列入處方集、或專案申請罕見疾病藥物，對罕見疾病藥物之供應，著有貢獻者。
- 二、製造符合國內需求、本土特有、不易進口、當時無法充分供應或其售價顯不合理之罕見疾病藥物，嘉惠病患，著有效益者。
- 三、在國內自行研發新罕見疾病藥物，經取得國內、外之專利或授權，或取得國內、外新罕見病藥物之專利或授權，並在國內進行臨床試驗研究，對罕見疾病藥物之研究發展，著有成效者。
- 四、其他對罕見疾病藥物之供應、製造及研究發展，有特殊貢獻者。

第三條 獎勵方式以頒發獎金為之。但情形特殊者，得改予或併予其他獎勵。頒發獎金之額度及其他獎勵方式，由中央主管機關視年度預算、相關經費及實際需要另定之。

第四條 獎勵以每年定期辦理一次為原則。

符合第二條所定資格者，得於規定期限內，逕向中央主管機關申請獎勵；相關之公會、團體，亦得薦請中央主管機關核予獎勵。

第五條 獎勵案件應先提交罕見疾病及藥物審議委員會審議後，再行陳請中央主管機關核定之。

第六條 相同之研究或發明分別申請獎勵時，應就最先提出申請者獎勵之。二個以上獎勵對象就同一事實共同申請獎勵時，所獲得之獎勵應由全體申請人所共有。

第七條 所需獎勵經費，由中央主管機關編列預算支應，並得接受團體、單位或個人之捐助。

第八條 被獎勵者所提供事蹟若有虛偽不實，由中央主管機關予以撤銷獎勵並追回獎勵金。

第九條 本辦法自中華民國八十九年八月九日施行。



附 錄 十 三

Rare Disease and Orphan Drug Act

Promulgated by the President of the Republic of China

On February 9, 2000

- Article 1 This Act is enacted for the prevention and treatment of rare diseases; for the early diagnosis of these diseases; for the intensive care of rare disease patients; for assisting patients gaining access to specific pharmaceuticals for the treatment of these diseases and to special nutrient foods essential to the maintenance of life; and for promoting and ensuring the supply, manufacturing, and research and development of such pharmaceuticals and foods.
- For matters not regulated in this Act, regulations of other relevant Acts will apply.

- Article 2 The competent authorities stipulated in this Act shall be the Department of Health of the Executive Yuan at the central government; the municipal governments at the municipality level; and the county and city governments at the county and city level.



Article 3 The rare diseases specified in this Act refer to diseases with prevalence lower than that formulated and publicly announced by the central competent authority, and recognized by the Committee specified in Article 4 of this Act; or diseases designated and publicly announced by the central competent authority under special circumstances.

Orphan Drugs specified in this Act refer to pharmaceuticals with major indications for the prevention, diagnosis and treatment of rare diseases that have been duly submitted in accordance with this Act for application and have been publicly announced by the central competent authority.

Article 4 To review and evaluate matters related to rare diseases, the central competent authority shall set a Committee for the Review and Examination of Rare Diseases and Orphan Drugs (hereinafter referred to as the Committee). The organization and meetings of the Committee shall be regulated by the central competent authority.

Members of the Committee shall consist of representatives of government organizations, scholars and specialists in medical affairs, and impartial citizens. At least two-thirds of the members of the Committee shall be scholars and specialists in medical affairs.



Article 5 Missions of the Committee are:

1. Identification and control of rare diseases;
2. Review and approval of Orphan Drug application;
3. Testing, marketing & registration of Orphan Drugs;
4. Review and examination of funding, research and development of Orphan Drugs;
5. Review and examination of the diagnosis, treatment, or international cooperation plans for rare diseases, and issues concerning assistance and counseling;
6. Review and examination of the use of Non-Orphan Drugs for the treatment of some specific diseases; and
7. Other relevant issues.

In the execution of the aforementioned missions, the Committee shall consult other relevant scholars, specialists and representatives of industry or patients of rare diseases for their opinions.

Article 6 The central competent authority may entrust institutions with projects concerning the control and research of rare diseases.

Article 7 Medical personnel, upon identifying patients of such rare diseases specified in Article 3, or corpses died of such diseases, shall report to the central competent authority.

Article 8 The central and the municipal competent authorities, upon receiving reports or on identification of genetic

anomalies of rare diseases, may, if need be, dispatch specialists from genetic counseling centers for interviewing. They shall tell patients the relevant effects of the disease.

Article 9 Organizations, institutions, and personnel authorized by this Act for the execution of functions specified in Article 8 and Article 9 shall be attentive to their attitude and methods of execution. They shall respect the will and dignity of the patients. They shall also protect the privacy and normal social functioning of the patients.

Article 10 The central and the municipal competent authorities shall encourage medical care institutions and research institutions at all levels to conduct the prevention and control of rare diseases; and provide them funding for manpower development, research, and facilities. Funds required for the aforementioned subsidies shall come from budgets of the central and the municipal competent authorities. Donations from organizations and groups concerned will also be solicited.

Article 11 The central and the municipal competent authorities shall organize and hold educational activities for the prevention and control of rare diseases. These activities will be conducted with the assistance of organizations, schools, civil groups, and mass media.



Article 12 The central and the municipal competent authorities may entrust medical care institutions with the testing and treatment of rare diseases.

Article 13 The central competent authority may assist institutions, reviewed and approved by the Committee with the following certificates, in their international medical cooperation programs:

1. certificates, applications, and medical care plans prepared by the medical care institutions or research

institutions specified in Article 10 or Article 12 of this Act;

2. certificates or letters of consent issued by other national hospitals or research institutions;

3. letters of consent signed by patients;

4. other necessary documents.

Items for the laboratory testing of the aforementioned medical cooperation programs may be done directly by the medical care institutions or research institutions specified in Article 10 or Article 12 of this Act. The central competent authority shall appropriately subsidize their costs.

Article 14 Unless otherwise regulated by this Act, Orphan Drugs shall not be manufactured or imported without the

registration, market approval, and permit licenses issued by the central competent authority.

Article 15 Pharmaceuticals meeting one of the following criteria may apply for registration and market approval as Orphan Drugs.

1. The major indications of the medicinal products are for the prevention, diagnosis, and treatment of rare diseases.
2. Medicinal product that have been approved by other countries to have major indications for the prevention, diagnosis, and treatment of rare diseases.

Documents required for registration and market approval, review procedures, and other relevant issues shall be regulated by the central competent authority.

Article 16 In the application for registration and market approval of Orphan Drugs, the central competent authority may, if necessary, require the conduct of domestic clinical trials. Applicants shall adequately explain in public contents of the clinical trials and their results.

Article 17 Licenses issued in accordance with the registration and market approval of this Act for Orphan Drugs is valid for ten years. During this period, the central competent authority will not accept applications for registration



and market approval of pharmaceuticals of the same kind.

If the manufacturing or importation of the aforementioned Orphan Drugs need to be continued after the licenses expire in ten years, application for extension must be made in advance to the central competent authority. Each extension shall not exceed five years. During the extension period, medicinal products of the same kind may apply to the central competent authority for registration and market approval.

If Orphan Drugs which have been issued licenses through registration and market approval in accordance with this Act are publicly announced by the central competent authority to be no longer designated as Orphan Drugs, the extension of their licenses shall be processed in accordance with regulations of the Pharmaceutical Affairs Acts.

If owners of licenses issued under paragraph 1 decide to terminate the manufacturing or importation of Orphan Drugs within the valid period, they should notify the central competent authority in writing six months prior to such termination.

Article 18 Under either one of the following conditions, the central competent authority may, irrespective of the regulations of paragraph 1 of the Article 17, accept



applications for registration and market approval of other pharmaceuticals of the similar kind and issue them permit licenses.

1. The new applicants have in their possession authorized consent from owners of licenses for Orphan Drugs duly issued through registration and market approval.
 2. New applications for Orphan Drugs of similar indications and similar quality and their safety and efficacy have been proved to be superior to those of the Orphan Drugs already issued licenses.
 3. License owners for Orphan Drugs fail to meet demands on the Orphan Drugs.
 4. Prices of the Orphan Drugs are considered unreasonable by the central competent authority.
- Regulations of the preceding Article will apply to permit licenses issued by the central competent authority through registration and market approval under Item 2 through Item 4.

Article 19 Government organizations, medical care institutions, patients of rare diseases and their families, and relevant foundations, societies, and associations, may apply on ad hoc basis to the central competent authority for licenses for Orphan Drugs not yet processed through registration and market approval, or meeting one of the conditions specified in Item 3 and Item 4 of paragraph 1 of the preceding Article. These



Orphan Drugs shall not be for profit making.

The central competent authority may, if necessary, entrust or designate relevant institutions or groups to process the aforementioned ad hoc applications.

Documents required for ad hoc applications specified in paragraphs 1 and 2, their review procedures, and other relevant issues will be regulated by the central competent authority.

Article 20 When Orphan Drugs are proved to be unsafe or hazardous to health, the central competent authority may order pharmaceutical firms or ad hoc applicants to recall the Orphan Drugs in due time. If necessary, issued licenses Orphan Drugs may be revoked.

Article 21 The central competent authority shall compile annual report of Orphan Drugs approved by this Act for marketing or on ad hoc basis. The report shall contain information on the amount taken, number of patients, any adverse events, and other relevant matters.

Pharmaceutical firms and ad hoc applicants shall submit relevant information for the aforementioned report.

Article 22 Regulating concerning registration and market approval and ad hoc application of this Act will apply to the cases of the pharmaceuticals manufactured by

regulation of the Pharmaceutical Affairs Law, or those difficult to import, but reviewed and confirmed by the Committee to be beneficial to the medical care of certain specific diseases.

Article 23 The central competent authority shall announce periodically the recognition, permission, revoking, and annulment of rare diseases and the Orphan Drugs.

Article 24 Fees for review, registration, or licenses shall be paid for applying for registration and market approval, conducting clinical trials, issuance and extension of licenses, and ad hoc applications, The fee schedule shall be determined by the central competent authority.

Article 25 The central competent authority may promote the supply, manufacturing, and research and development of Orphan Drugs. Regulations governing the recipients of incentives, ways of promotion, and matters to be followed by the recipients shall be decided by the central competent authority.

Article 26 Manufacturing and importation of Orphan Drugs without permission, or the sale, supply, dispensing, transportation, deposit, trading of stolen goods, transfer, or display for sale of Orphan Drugs known for not being permitted shall be punished according to



the regulations of Article 82 and Article 83 of the Pharmaceutical Affairs Act.

Article 27 Any violations of the regulations in Article 16 shall be fined NT\$ 30,000 to NT\$ 150,000. For serious violations, pharmaceutical firms shall be suspended from making application for registration and market approval for the said pharmaceutical for two years. Medical care institutions may be suspended for one month to one year.

Article 28 In the case of submitting false documents for the application for registration and market approval of Orphan Drugs or extension of licenses for such Orphan Drugs, the applicants shall be fined NT\$ 20,000 to NT\$ 100,000, and shall be suspended from making application for registration and market approval of the said pharmaceutical for two years. Licenses already in the possession of the applicants shall be revoked. For their criminal responsibilities, they shall be sent to judicial organizations for further investigation.

Article 29 Any violations of the regulations in paragraph 1 of Article 19 to allow Orphan Drugs approved on ad hoc basis for profit-making, the applicants shall be fined NT\$ 30,000 to NT\$ 150,000; the profits thus made



shall be confiscated; and the applicants shall be suspended from making any ad hoc application for Orphan Drugs for two years.

Article 30 If Orphan Drugs ordered to be recalled in due time by the central competent authority under regulations specified in Article 20 are not recalled, the pharmaceutical firms or ad hoc applicants shall be fined NT\$ 30,000 to NT\$ 150,000, consecutively until the Orphan Drugs are recalled.

Article 31 Pharmaceutical firms in violation of the regulations in paragraph 2 of Article 21 shall be fined NT\$ 10,000 to NT\$ 50,000. Ad hoc applicants in violation of such regulations, their future applications for Orphan Drugs will not be permitted by the central competent authority.

Article 32 Fines regulated in this Act shall be administered by the central and the municipal competent authorities.
The aforementioned fines should be paid in due time.
If not, the cases shall be transferred to the judicial court for enforcement by Act.

Article 33 The central competent authority shall allocate budget to subsidize costs for the diagnosis, treatment, pharmaceuticals, and special nutrient foods essential to



the maintenance of life not reimbursable according to the regulations of the National Health Insurance Act. Ways of subsidies, their contents, and other relevant issues shall be determined by the central competent authority.

Funds for the aforementioned subsidies may also be solicited from relevant organizations and groups.

Article 34 Special nutrient foods essential to the maintenance of life of patients of rare diseases may be managed in accordance with regulations relevant to this Act.

Article 35 The Implementation Regulations of this Act shall be formulated by the central competent authority.

Article 36 This Act shall become effective as of six months after the promulgation.

Article 37 The Executive Yuan shall review and amend this Act within six months after this Act is implemented for one year.



附 錄 十 四

罕病立法重要新聞剪輯



罕見疾病基金會為孤兒藥請命

患者互助 點亮生命之光 資訊上網 為民衆解惑

「記者楊正敏／台北報導」罕見疾病是人類生命過程中的意外，也是醫學界的孤兒，有些病不但長期無藥可醫，有時甚至無法確診是什麼病。為了爭取罕見疾病患者的權益及更好的照護，國內廿多種罕見疾病患者共同成立罕見疾病基金會，幫助患者繼續堅持下去，不放棄生命的希望。

罕見疾病基金會昨天在台北福華飯店舉行成立大會，患有罕見疾病的小

朋友坐著輪椅、拄著拐杖，參加屬於他們的盛會。他們忍受著病痛或行動不便，獻花、表演節目，感謝曾經幫助他們一路走來的大朋友。

副總統夫人連方瑤、衛生署長詹啟賢及多位民意代表也到場關心。連方瑤指出，罕見疾病是醫學裡的孤兒，很多病患不願意出來就醫，認為這是丟人現眼，這個觀念一定要改。她說，罕見疾病患者的生命也是一條寶貴

的生命，一定要出來找醫師求解決之道，政府更應調查罕見疾病的病例。基金會發起人陳莉茵哽咽地說，她的孩子患了高血鉀症，她賣房子帶著小孩到美國就醫。她覺得除了救自己的孩子，也要救別人的孩子。

詹啟賢說，就好像不能發光的螢火蟲一樣，罕見疾病患者都是生命傳承中一個意外，是遺傳的受害者。衛生署已經草擬一份針對罕見疾病孤兒藥

的草案，讓這些不能發光的螢火蟲受到充分的治療和照護，變成能發光的螢火蟲。

罕見疾病基金會未來除了推動孤兒藥的立法外，由多位醫師組成的人類遺傳學會也已開設遺傳醫療資源資訊網，提供相關的醫療及疾病的相關資訊，民眾若懷疑可能患有罕見的遺傳疾病，都可上網查詢相關資訊。網址為：<http://www.genes.at-litvian.com>。

資料來源：88.6.7 聯合報6版

罕見疾病藥物法 病友促配套

立委另提版本 促政府建立完整通報體系

【記者張璦文台北報導】行政院日前通過「罕見疾病藥物法」草案，主旨是保障罕見疾病患者方便取得治療藥物。不過，罕見疾病基金會和立委江綺雯昨天共同提出另一版本的「罕見疾病法」草案，主張罕見疾病不能只解決下游的藥物取得問題，政府應建立通報系統及強制醫療院所通報。

衛生署藥政處表示，罕見疾病藥物法通過後，政府將可依法提供比目前更多的優惠保障及獎勵補助辦法，使藥商有意願製造及輸入罕見疾病藥物，而且罕見疾病藥品的查驗登記及專案進口，也將因流程簡化等措施，縮短患者取得藥品的時間。

立委江綺雯和罕見疾病基金會昨天共同提出「罕見疾病法」草案。他們主張，眼前的罕見疾病問題，不只是藥物取得困難，還包括罕見疾病的通報不完善，以及國內遺傳專科醫師不足

的問題，所以草案不能只著眼於藥物取得，還應有配套設計。

罕見疾病基金會執行長曾敏傑指出，罕見遺傳疾病並非每個醫師都能診斷，國內現有的遺傳專科醫師僅十餘人，且多數集中在大型醫院，許多鄉下地區罕見遺傳疾病很難及早診斷，黏寶寶林伯熾的媽媽之所以會連生三個黏多醣症孩子而不知情，就是這原因。

他表示，由於遺傳疾病患者人數少，註定遺傳專科醫師執業市場小，多數醫師不願投入此科，而且年齡斷層嚴重。有鑑於此，「罕見疾病法」草案明訂衛生署必須獎勵醫療院所，從事罕見疾病防治工作，培育相關人才，資助相關研究。

此外，曾敏傑指出，衛生署目前只擇定五項主要遺傳性疾病，要求醫師通報，其他較罕見的遺傳性疾病卻都缺乏掌握。像是全國廿多種罕見疾病患者，衛生署都沒有登錄、追蹤，如此一來，不但無法教育這些患者孕育後代時要做好產前篩檢，也無法掌握這些高危險群究竟衍生了多少遺傳疾病患者。

資料來源：88.12.5中國時報9版



擺脫罹病宿命 罕見疾病法 民間催生

建立防治體系

【記者吳佩蓉／報導】由衛生署研擬的「罕見疾病藥物法」草案雖已送立法院審議，卻因衛生署所提版本未獲得罕見疾病團體認同，改透過立法委員另提「罕見疾病法」草案。罕病團體強調，國內應建立罕見疾病防治體系，避免罹病人口隨遺傳而使悲劇重演上演。

雖然衛生署將訂定「罕見疾病藥物法」草案，視為年度重大施政表現，不過，罕見疾病基金會執行長曾敬熙指出，衛生署版本太過狹隘，根本無法完整解決患者的問題。他表示，病患用藥固然緊急，但若要透過立法程序，不應只著眼於藥物取得；他強調，罕見疾病八成是遺傳性致病，用藥只是下場問題。

衛生署有心立法，應把罕病患者的發現、診斷，以及家庭的追蹤、管理，甚至患者的就學、就業一併納入，而不是將罕病患者的問題，依僵硬的行政分類，切割、分散在藥政處、健保局及保健處等各局處之下。

例如罹患成骨不全症的「玻璃娃娃」，聰明智商正常，但是，往往因頭顱骨折、照顧不易，被學校拒於門外，大部分患者根本連義務教育都無法完成，顯示罕病患者除了基本維生的醫療、藥物外，還應享有基本就學、就業人權，這些需求除了衛生署，也應將社福、教育部門一併納入考量。

為徹底解決問題，由罕病基金會邀集醫藥、法律專家、學者研擬而成的「罕見疾病法」草案，已提供立法委員參考。基金會提出的草案，開宗明義即指「為加強照顧罕見疾病病患，及早診斷治療罕見疾病並防治其發生，特制定本法」，至於罕見疾病的定義則由政府機關、學者專家及罕病患者、

病友團體認為，「罕病藥物法」草案僅著眼於藥物取得；將另透過立委提案立法，擴大防治罕見疾病策略。

家屬組成審議委員會，依疾病發生率或盛行率，經主管機關指定公告認定，該項草案中並明訂醫療人員一旦發現罕病患者，應強制通報，除了應告知病患本人，對於患者四等親以內的血親，也應盡告知義務，並將病例通報到主管機關，以利掌握病例者，並進行後續追蹤。

曾敬熙強調，除非衛生署將所提的「罕見疾病藥物法」草案，修改為「罕見疾病防治與藥物法」，將罕病防治納入其中，否則不惟延遲罕見疾病防治的立法時程，待各界經充分溝通後再提新草案。

對於罕病團體動作頻頻，衛生署也極力與立法委員及罕病團體溝通，並打算以「罕見疾病藥物法」，加上修改健保法及催生保健法來滿足罕見疾病者的需求。衛生署保健處官員表示，罕病團體提出的草案立意雖高，但執行不易，例如要求所有疑似患者的診斷、治療均需免費，所需費用驚人；草案中甚至要求主管機關補助「醫藥性食品」，由於許多孤兒仍在實驗階段，效果難評估，萬一患者病天山癰疽可改善疾病，是否所有患者也得比照辦理？

資料來源：88.12.27民生報7版

罕見疾病防治及藥物法 昨一讀 未來罕病患醫療可望完全免費

【記者吳佩蓉／報導】「罕見疾病防治及藥物法」昨日在立法院完成一讀。這項版本是結合衛署及罕病團體所提出的草案內容，讓罕見疾病從防治到藥物取得均於法有據；未來完成立法，罕病患者可望繼愛滋病、傳染病患後，從檢驗到治療全程免費。

「罕見疾病防治及藥物法」全文共三十八條，目的在防治罕見疾病發生並及早診斷，加強照顧罕病患者，以協助病患取得罕見疾病適用藥物，及維持生命所需的特殊營養食品，並獎勵與保障藥品及特殊食品的供應、製造與研發。

衛生署藥政處長胡幼圖表示，該版本係以衛署所提「罕見疾病藥物法」為主，納入了疾病防治的概念，顯示我國已邁入先進國家之林，向來弱勢的罕病患者，可望獲進一步保障。

這項法案主要內容包括：凡醫事人員發現罕見疾病患者，應向中央主管機關報告，必要時，得由優生保健中心派員前往病患家中訪視，並告知可能影響。疑似罕見疾病個案的檢驗、診斷及藥物、特殊營養食品取得，健保不給付的部分，

則由衛署編列預算補助。而治療罕見疾病的「孤兒藥」，可簡化上市申請辦法，對於孤兒藥的引進、製造及研發均有十年的保護期，當更好的藥品出現時，保護期隨即失效，一切以病患的權益為主。另外，罕見疾病治療藥物在停產或停止進口前六個月，應先向衛生署

通報，讓罕病患者及早因應。

致力爭取罕病患者權益的罕見疾病基金會執行長曾敏傑表示，完成一讀的「罕見疾病防治及藥物法」，雖是妥協下的產物；不過，立法只是起步，基金會將持續監督政府，提醒重視罕見病患者的需求。

資料來源：89.1.4 民生報7版

罕見病患者 欣見曙光

防治及藥物法通過 得專案進口適用藥物及特殊營養品

伍紫鵲／台北報導

立法院昨天展現最人性的一面，包括地中海型貧血、泡泡兒、成骨不全症、威爾森氏症等數十種罕見疾病患者，昨天都因立法院三讀通過「罕見疾病防治及藥物法」，得以獲得專案進口適用藥物、治療和維持生命所需的特殊營養食品。

「每一個生命都可能因為生命傳承中偶發遺傳病變而面臨終生遺憾。」罕見疾病基金會執行長曾敏傑說：「少有人注意的這項法案，已成為罕見病患在千禧年所見到的第一道曙光！」

該法定義的「罕見疾病」係指「疾病盛行率在中央主管機關公告標準之下，或因情況特殊由中央主管機關指定公告者」。

立委余政道說，依萬分之三至四左右的先天代謝異常發生率統計，台灣地區至少有六千名以上患者。衛生署統計，國內八十%以上的罕見疾病均與遺傳有關，其中急迫需要引進藥物治療者，至少有七十一種。

過去，雖然罕見疾病已列健保給付項目，但因市場偏小或未辦理進口，患者普遍缺乏專用

還得申請免費赴國外檢查、治療，或參與國際醫療合作計畫。

罕見疾病防治藥物法也規範，為審議罕見疾病相關事項，衛生署應設立審議委員會，成員至少應有三分之二以上為學者專家。

致力推動本案的立委江雲綺指出，本法最大貢獻在於人道關懷。例如，高雪氏症患者僅半年的醫療費用即超過兩百六十萬元，高血氨症患者的檢驗只有日本才有檢查能力，苯酮尿症患者唯有服用完全不含苯胺酸的奶粉，才能避免造成智障等。

藥物和特殊營養食品。不過，本法通過後規範主管機關開設單一窗口及簡化手續費用，以辦理進口及供應。並賦予衛生機關協助患者取得藥物、營養食品職責，病患

資料來源：89.1.15 中國時報9版

開亞洲先河 罕病法生效

撑起弱勢病患照護網 邁向福利國
檢驗到治療全程免費 美意獲肯定

【記者楊惠君、吳佩蓉／報導】「罕見疾病防治及藥物法」昨起正式上路，這項先進立法不但為國內弱勢的病患族群建構起全方位照護網路，也開亞洲先例，將台灣推向先進福利國家之林；包括日本、香港、越南、新加坡、馬來西亞等國，均主動來台索取資訊及交流，希望引進此一「台灣經驗」，作為罕病防治立法的參考。

所謂罕見疾病是指年盛行率在萬分之一以下，來自遺傳、極罕見且治療困難的疾病。過去這類病患因人數過少，用藥或特殊營養品銷路有限，業者引進意願不高；患者常在重重法令、市場阻礙下，等不到這類稱為「孤兒藥」的救命藥而望斷生路。近一年多來，在罕病兒家長挺身而出及醫界協助下，終獲得社會同情及關切，於今年元月快速通過立法，昨起生效；今後凡符合公告適用的二十二種疾病，均可享有免費的藥物治療和維生所需的特殊營養品。而就醫時健保未給付的醫療費用，也可獲衛生署補助七成以上，低收入戶則全免。

罕病基金會董事陳莉茵指出，全球立法保障罕病權益的國家很有限，台灣在亞洲是開風氣之先，連日本也僅有病患用藥保障，遠不如國內罕病法從用藥到防治、甚且治療性食品補助及鼓勵民間開發「孤兒藥」等政策，可謂全方位規畫。

不過，該基金會執行長曾敏傑認為，該法最大意義在促使隱藏各角落的罕病患勇於出面就醫；但由於政府編列預算有限，實際受惠者也很有限。針對此，台北馬偕醫院小兒遺傳科主任林炫沛認為，這是國內繼愛滋病、法定傳染病之後，第三種從檢驗到治療全程免費的「優惠待遇」，很值得肯定。為

了有效利用有限資源，他建議，若患者同時享有社福、低收入戶或其它補助時，最好能避免重複使用罕病資源，讓罕病的救治能落實為「救命」、「救急」的良法。

資料來源：89.8.10 民生報焦點A1

「罕見疾病防治及藥物法」上路 衛署將投入三千萬元治療、防治

罕見疾病患者 醫費七成補助

【記者魏忻忻／台北報導】「罕見疾病防治及藥物法」在公告六個月之後，昨天正式實施。衛生署指出，這是全球第一個

兼具罕見疾病防治與藥物的法令，提供罕見疾病患者及家屬更周全的照顧；衛生署同時於昨天召開「罕見疾病及藥物審議委員會」第一次會議，通過廿二類罕見疾病病名及十五種罕見疾病特殊營養食品其名稱及適應症。

衛生署指出，「罕見疾病防治及藥物法」今年二月九日經總統明令公布，自公布後六個月的八月九日開始施行，衛生署昨天依法邀請政府機關代表、醫學專家及社會公正人士組成「罕見疾病及藥物審

議委員會」，經委員會協商，決定以萬分之一以下年盛行率作為我國罕見疾病盛行的公告標準。

衛生署保健處長陳再晉說，估計全台灣前約有五百至六百位罕見疾病患者，衛生署今年編列預算三千萬元，投入罕見疾病的治療及防治，未來如果經費仍然不敷使用，將動用預備金，明年則擴大預算。根據罕見疾病醫療補助辦法，健保不給付的醫療費用，患者可獲七成補助，但低收入戶及維持患者生命所需的特殊營養品費用，可獲全額補助。

陳再晉指出，「罕見疾病防治及藥物法」的施行，使患者的權益獲得保障，未來

不致因行政因素，而影響患者應得的照顧；依法醫事人員應於發現罕見疾病患者起的一個月內向中央主管機關報告，中央主管機關應將罕見疾病人口變遷資料納入資料統計，如此也有助於我國罕見疾病的治療與預防。

陳再晉說，「罕見疾病防治及藥物法」施行後，希望患者及家長不再諱疾忌醫，衛生署也提醒醫療院所，如果發現無法診斷確定的患者，請立即轉診至區域級以上醫院，以免延誤治療時機。

依法，衛生署除三年檢討一次罕見疾病的盛行率標準外，也將辦理罕見疾病的防治教育及宣導。

資料來源：89.8.10 聯合報生活6版

病因不明難歸類 無法申請重大傷病卡 未列入罕病範圍

罕病孤兒 徘徊在保護傘外

【記者張耀憲／報導】罕見疾病防治及藥物法已上路，許多罕見病童均能因此受惠。不過，有許多根本無法確認病因的病童，既無法申請全民健保的重大傷病卡，也可能因不屬於公告的廿二類罕見疾病，無法享受罕病法的好處，是亟待補漏的死角。

長庚兒童醫院院長林奏延指出，罕病法的通過，對照顧弱勢族群有絕對正面意義，也象徵台灣邁向福利國的時代里程碑。不過，臨床上，還有許多

新陳代謝的疾病都找不出真正病因，甚至尚未被醫界定名，無法確診、歸類，有些病童只能症狀治療，也有許多病嬰均拖不過三個月。不過，這些病童均沒有確定診斷，無法申請重大傷病卡免除部分負擔，病家的負擔還是很沉重。

台北馬偕醫院小兒遺傳科主任林炫沛則指出，隨著科技的進步，會有更多的疾病會被確認出來，不過，未確定病因的疾病還是很多。最近美國一家醫學中心與該院醫師的相關討

論中即透露，該專收疑難雜症醫學中心的小病患中，幾乎有一半不知病因，可見還有很多病童連列入罕見疾病的機會都很小。為讓這些更弱勢的病童得以擠入罕病法的保護傘下，罕病法也保留一條後路，對未知的疾病，醫師可以疾病發生率、侵犯情形，申請列入罕見疾病項目；不過，他也不諱言，在未確定病因下，要找出該種疾病的發生率等相關資料，確有困難。臨床醫師也會盡力從病童器官、組織受侵害的症狀，

據以代向健保局申請重大傷病卡，期能減輕病家負擔。

中央健保局則指出，目前重大傷病的分類主要是以疾病種類為主，若未確知疾病種類，實很難申請重大傷病卡。而部分病童住院接受治療時，因醫師找不出病因，無法對症下藥，常一住就超過一個月，部分負擔又沒有上限限制，病家自付額非常可觀。健保局正規畫，以自付額上限取代重大傷病卡，希望可以減輕不知病因者的經濟負擔。

資料來源：89.8.15 民生報醫藥新聞A7



首件國產罕病藥 獲准上市

防治高甘氨酸血症 約 300 ~ 700 患者受惠

【記者吳佩蓉／報導】衛生署昨日發出第一張國產罕見疾病藥物許可證，主要用來預防及治療先天性非酮性高甘氨酸血症，推估國內約有三百至七百名患者可受惠；衛生署強調，讓罕病患者用藥合法上市，並由國產藥廠生產，可避免仰賴進口藥，貨源供應不穩的狀況，讓患者獲得更好的照顧。

衛生署藥政處指出，過去罕見疾病患者所需的治療藥物，

藥政處都以專案申請進口方式；但因進口藥物貨源供應不穩，因此，去年二月「罕見疾病防治及藥物法」公告施行後，即鼓勵藥廠自行研發、製造罕病藥物，並給予十年的市場保障，讓罕病患者用藥有固定來源，不至因缺藥發生致命危險。

衛生署昨日核准的是「純安息香酸鈉膠囊」，主要用來治療高甘氨酸血症。由於高甘氨酸血症是因尿素循環代謝異常所引起的先天性疾病，患者因先天性遺傳缺陷，無法將蛋白質分解產生的「氨」排出體外，造成中毒現象；因此，治療方法除了限制蛋白質攝取

外，並配合降低血氨的藥物，如「純安息香酸鈉膠囊」，以免血氨上升，造成腦部及神經系統的傷害。國內高血氨症發生率約三萬至七萬分之一，估計有三百至七百人可因而受惠。

不過，衛生署藥政處也指出，為了加速罕見疾病用藥上市速度，衛生署要求以上市後的臨床試驗，取代上市前臨床試驗。藥政處表示，罕見疾病治療藥物適用人數少，難以進行上市前的臨床試驗，因此，將要求藥廠蒐集每個用藥者的病例報告及不良反應資料，以確保病患的用藥安全，並進一步進行藥物療效評估。

資料來源：90.3.23 民生報A5

新聞幕後

中看不中用的罕病法？

記者楊惠君／特稿

●「罕見疾病防治暨藥物法」上路一年，雖替罕病家庭築起一道醫療、用藥及預防的保護網；但門檻過高，至今僅通過五十六種疾病，多數罕病不得其門而入，加上補助手續繁複，至今未促成任何一例國外檢驗、治療個案，部分醫界認為，罕病法「中看不中用」，而病家仍走老路，頻臨民代或開記者會，吸引社會注意。

此外，現在所有新增及新發現的罕見疾病，都必須醫師提案、申請納入罕見疾病，再提出孤兒藥的申請，病患才能享受醫療照護，醫師有做不完的行政工作，病家也得耐心等待，手續甚至比法案通過之前更繁複。因此，罕見疾病基

金會擬提出二次修法，希望放寬罕病認定標準。

不僅被納入法案保護的罕見疾病種類稀少，即使有「法定」保障的病患，享有的照護也很陽春。中華民國人類遺傳學會理事長、台大小兒遺傳科醫師胡務亮說，法案通過後，依法國內無法進行的遺傳疾病檢驗，衛生署應補助病家送往國外檢驗，目前卻無個案成功送檢；送往國外檢驗的費用，都是由罕病基金會墊付。

台北馬偕醫院小兒遺傳科主任林炫沛說，罕病法實施後，醫師、病家可找到對口單位，至少知道了該向誰尋求協助，但醫界、病家、甚至衛生單位，對罕病法認知仍不足。台北榮總小兒遺傳科醫師牛道明則指出，每名個案「有效期」只有半年，每半年要重新申請一

次，醫師反而成了法案的「受害者」，工作愈來愈多。

在罕見疾病基金會、醫界及病家的壓力下，健保局研議把罕見疾病全數納入重大傷病，讓罕見病家都能享有就醫免部分負擔的優惠。但罕見疾病是否等同於重大傷病？胡務亮不諱言，不是每種罕見疾病或家庭，醫療負擔都很沉重，全數納入重大傷病中，一定會有浮濫的問題，但現今必須由醫界和衛生單位費極大的工功，逐一討論很小金額的罕病補助案件，所付出的社會成本更大。林炫沛則表示，對罕病存有過高的期待，其實，罕見疾病除了醫療、衛生的資源外，還應結合社會福利、家庭資源，免費就醫無法解決每一個病患的問題，不同的患者應選擇最符合自己需求的管道。

資料來源：90.9.28 民生報A15

《罕病法實施周年》

讓制度更周全 衛署半年內修法

70多種罕病、65項藥品、 19項特殊營養品過關

【記者黃靜宜／報導】罕見疾病防治及藥物法實施一周年，衛生署昨公布成果，至今共通過七十多種罕見疾病、六十五項罕見疾病用藥及十九項特殊營養食品。不過，鑑於仍有不少疾病未被列入罕病，罕病患在申請重大傷病卡時也迭遭挫折，衛生署也將於半年內修法，讓罕病法更周全。

衛生署副署長黃富源說，該署除了立法，也陸續籌設罕見疾病特殊營養食品統籌供應中心、罕見疾病藥物物流中心、罕病國際醫療合作帶行檢驗執行小組等。目前也已委託罕見疾病基金會將檢體送往國外檢驗，只是費用至今仍由基金會墊付，並非至今未送件，衛生署將會盡快補助。

一年前，罹患黏多醣症或高血氣症等罕見疾病的人，得靠自己的力量和醫師的幫忙，花費鉅資買藥、甚至出國就醫。去年八月九日罕病法通過後，這些患者不再求助無門。一名罹患肺動脈高壓的男老師吳曉亮昨天出席衛生署記者會，他說，雖然他罹患的不是罕見疾病，救命藥卻一藥難求，幸好罕見疾病及藥物法救了他一命。幾個月前，他還是個連坐著都必須戴氧氣筒才能活命的垂危病人；如今他靠著隨身攜帶的藥物維持正常運作，且回到學校教書，生命又有了希望。

罕見疾病基金會執行長陳莉茵表示，罕病法的確幫助許多病患及家屬，但她也建議衛生署應加強罕病預防宣導、檢討現行新生兒篩檢制度、建立遺傳諮詢制度等。此外，有些罕病患擬申請重大傷病卡，卻卡在健保局重大傷病範圍未納入罕見疾病名單，無法如願。而各健保分局認定不同，也發生過有人連續兩次申請成功，第三次申請卻碰壁的「怪現象」。

台北馬偕醫院小兒遺傳科主任林炫沛說，像俗稱玻璃娃娃的成骨不全症患者，若向健保局申請時只填寫成骨不全，難以通過申請，其實這些患者先天畸形、有呼吸窘迫等症狀，已符合重大傷病範圍，卻常因醫師填表詳細與否、或各分局認定不同，而無法納入。

衛生署國民健康局長翁瑞亨說，針對這些問題，衛生署將匯集病友及專家學者的意見進行修法，重點包括：放寬罕見疾病醫療補助辦法中，罕病患必須在醫學中心或區域教學醫院就醫才能獲得補助的規定；也將討論是否放寬罕見疾病認定標準、將罕見疾病全數納入健保重大傷病範圍等。他強調，由於罕見疾病並不全然即等於重大傷病，是否納入，還有待徵詢各界意見。

資料來源：90.9.29 民生報A15

癲癇、罕病納入身心障礙保護

立法院修法通過 政府支出年增六億 殘盟：殘障不應依病症定義

【記者鍾年晃／台北報導】立法院昨天三讀通過「身心障礙者保護法部分條文修正案」，增列頑性癲癇症者與罕見疾病而致身心功能障礙者為身心障礙者，預計每年將增加政府支出約六億元；同時對於身心障礙者的福利、優惠，也改以較強制規定主管機關執行。

有鑑於癲癇症患者發作時確實會影響生活工作，並顧及罕見疾病必須花費龐大醫療費用，在「身心障礙者保護法」第三條有關身心障礙的定義中，特別增列頑性（難治型）癲癇症者及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。

內政部統計，國內患有癲癇症者大約有五萬人，將癲癇症納入身心障礙保護範圍之後，預估政府一年將增加六億元支出。

同法第五十條也規定，身心障礙者及其監

護人或必要陪伴者一人搭乘國內公、民營水、陸、空公共交通工具，憑身心障礙手冊，應半價優待；進入收費之公立風景區、康樂場所或文教設施，憑身心障礙手冊應免費，其為私人者，應半價優待。

配合行政程序法，條文增列視覺障礙者從事按摩或理療按摩，應申請按摩或理療按摩執業許可證。同時放寬身心障礙者轉讓國宅規定，受保留優先核准身心障礙國宅承租戶經親自居住五年，且主管機關公告後仍無人願意承租或受讓，改依一般國民住宅出租轉讓規定辦理。

【記者袁世瑋／台北報導】身心障礙者保護法將癲癇症及罕見疾病納入，殘障福利聯盟認為，殘障的定義應根據失能情況而非病症別，否則此例一開，整本醫學辭典內的病症未來都可以列入。

殘盟秘書長王榮璋表示，並不是現在持有殘

障手冊者存有既得利益的心態，排斥新的殘障別列入，而是所謂的身心障礙應視失能狀態而定，而非何種病症，就像肢障就是肢障，不管是因為小兒麻痺或者因為車禍而截肢，因此癲癇如果嚴重到影響腦部功能形成障礙，才算身心障礙者。

王榮璋說，有些癲癇症可以藥物控制，不似肢障、視障是無時無刻一輩子的障礙，而且不是器官受損就算障礙，要看障礙的影響，癲癇症的鑑定可能較不容易。他能理解癲癇患者的就業、就學困難，不過以病症列入殘障別的大門一開，各種病症未來都可以比照辦理了。

殘盟認為，檢討身心障礙者保護法的當務之急，該是配套規畫及執行是否有望擬難行之處，因為身心障礙者保護法自八十六年修法後，陸續又有地方制度法、財政收支劃分法等法規出現，造成授權不足殘盟已著手檢討。

資料來源：90.11.1 聯合報

罕見疾病將全列重大傷病

健保局修改範圍表 經衛署公告即納入 預計下半年實施

【記者潘彥妃／台北報導】不同罕見疾病的病友常出面開記者會，希望爭取列為「重大傷病」，如此就醫就可以不必付「部分負擔」，只需要付掛號費。目前約只有一半的罕見疾病可列為「重大傷病」，健保局昨天表示正在修改辦法，未來只要經衛生署公告為罕見疾病，就直接列為重大傷病。

健保局副總經理劉見祥表示，目前健保局正在修改「重大傷病範圍表」，預計今年下半年度衛生署通過即可實施。

罹患罕見疾病相當辛苦，不少這類疾病多屬於基因異常的遺傳性疾病，必須終生治療，所以就醫的醫療費對他們來說是一筆龐大負擔。罕見疾病基金會董事陳利因表示，民國八十九年在訂定「罕見疾病防治及藥物法」時，病友就一直希望所有的罕見疾病都能列為重大傷病，但當時政府認為罕見疾病的種類太多，程度又輕重不同，因此未同意。

罕見疾病多是必須終生治療疾病，其中有些如果及早發現就醫，其實不會太惡化，未來反而可以節省不少醫療費，例如小腦萎縮症、威爾森氏症等都是。因此罕見疾病基金會十分樂見健保局將所有的罕見疾病都納入重大傷病，以真正照顧病友。

國內對罕見疾病的定義是疾病盛行率在萬分之一以下，經衛生署「罕見疾病審議委員會」通過，即列為罕見疾病。健保局表示依八十九年度統計，目前共有四百九十九名病患申報使用罕病藥物。

因為罹患罕病的人數稀少，多數藥廠基於營運考量，較少投入開發治療這些罕見疾病的藥物，使得治療罕病的藥物被稱為「孤兒藥」，不但管道難尋，費用更是不低。健保局統計，每年每位罕病病患的治療藥費支出約二十一萬元，比每年每位癌症病患藥費約一萬兩千元還高。

不過劉見祥表示，雖然罕病患者的藥費十分高昂，但健保的精神之一就是集合群體力量，照顧需要照顧的弱勢族群，在過去許多罕見疾病的患者由於檢查費、藥費昂貴，無法承受過重的財務與精神負擔，只能掙扎生存。罕病防治法通過，保障他們的治療用藥進口，未來再更進一步將罕見疾病納入重大傷病，免除他們就醫的部分負擔，讓罕病病友能更有力與病魔奮戰。

資料來源：91.3.13 聯合報6版

罕見疾病經公告 均列重大傷病

黃庭郁／台北報導

衛生署昨天正式通過，未來只要是衛生署罕見疾病審議委員會通過、公告的罕見疾病，患者就可以直接符合健保「重大傷病」身分，免去就醫部分負擔。還未通過審查的罕見病患，衛生署也承諾援引社會救助，以專案方式補助就醫。

罕見疾病防治及藥物法八十九年二月公告實施，規定疾病盛行率在萬分之一以下才列為「罕見疾病」。衛生署罕見疾病審議委員會依此認定、公告的罕見疾病病類共八十多種，病友人數至少千人。

但即使衛生署通過成為罕病，其病因或症狀未必能完全符合健保法目前所訂定的重大傷病範圍、領得重大傷病卡的七、八成；不符合者，就必須以專案申請。對就醫頻繁的病友來說，又非得憑卡就醫才能免去部分負擔費用，以致於直接納入重大傷病，幾乎成為所有罕見疾病病友會爭取的目標。

為減少病患的就醫負擔，健保局規劃擴大現行重大傷病認定，將所有衛生署公告認定的罕見疾病病類直接納入重大傷病範圍中，這項提案昨天在衛生署討論通過，並立即生效。

衛生署也承諾，對該署還沒有公告的其他罕病，與其他在醫療上有持續特別照顧需要的病類，為了區隔保險與福利，衛生署會以專案方式，協助個案援引社會救助，解決他們的醫療負擔。

資料來源：91.8.24 中國時報13版



附 錄 十 五

罕病立法重要活動實錄





▲1999年6月6日財團法人罕見疾病基金會成立



▲1999年11月11日立法委員余政道辦公室召開「罕見疾病法草案」記者會



▲1999年12月04日立法委員江綺雯辦公室舉辦「讓小天使平安快樂長大---催生『罕見疾病法』記者會」



▲本會前副執行長陳莉茵女士代表本會致贈感謝狀感謝參與罕病法立法的立委郝龍斌先生。



▲本會前副執行長陳莉茵女士代表本會致贈感謝狀感謝參與罕病法立法的立委蕭金蘭女士。



▲本會李宗德董事長、曾敏傑執行長拜會前衛生署署長李明亮。



▲2000年11月4日本會與台北市衛生局合辦「罕見疾病防治及藥物法」施行座談會。



▲2000年12月10日社團法人台灣弱勢病患權益促進會正式成立。



▲前行政院院長張俊雄探視小腦萎縮症病患，本會前副執行長陳莉茵女士代為陳情。



▲總統夫人吳淑珍女士母親節於官邸接見罕見疾病病患。



▲2001年8月28日本會主辦「罕見疾病防治及藥物法」修法座談會。



▲2001年8月28日本會主辦「罕見疾病防治及藥物法」修法座談會。

國家圖書館出版品預行編目資料

罕見疾病社會立法紀念專輯 / 曾敏傑、陳莉茵主編

——初版——臺北市；罕病基金會，民91

面；公分 ——(罕見疾病叢書；3)

ISBN 986-80401-8-3(平裝)

1.罕見疾病-法律方面

412.21

91024496

罕見疾病社會立法紀念專輯

主編：曾敏傑、陳莉茵

發行人：李宗德

出版發行：財團法人罕見疾病基金會

地址：台北市中山北路二段52號10樓

電話：02-25210717-8 傳真：02-25673560

<http://www.tfrd.org.tw> E-mail:tfrd@tfrd.org.tw

郵政劃撥：19343551（帳戶：財團法人罕見疾病基金會）

印刷者：采泥藝術印刷股份有限公司

中華民國九十一年十二月初版一刷

售價：新台幣250元

版權所有，無論全書或部分內容翻印、轉載、或以廣播、錄音帶等方式使用本書內容時，皆須事先告知本會，並於使用時註明出處；如在著作或任何形式發表時，簡短的引用本書內容則請註明出處。（如有破損或裝訂錯誤，請寄回本會更換）