

一代健保認定罕藥/給付名單

附件一

序號	成分名	病症	認定年	先以專案給付	給付否	說明
1	Arginine	尿素循環障礙	88	1	¥	專案落日
2	Betaine	高胱氨酸尿症	88	1	Y	
3	Cysteamine Bitartrate	胱胺酸血症	88	1	Y	
4	Diazoxide	PHHI	88	1	Y	
5	Epoprostenol	PPH	88	1	Y	
6	Gabapentin	ALS	88			
7	Glatiramer acetate	MS	88	1	Y	
8	Hemin	紫質症	88	1	Y	
9	Imiglucerase	高雪氏症	88	1	Y	
10	Interferon Beta 1a	MS	88	1	Y	
11	Interferon Gamma 1b	慢性肉芽腫病	88	1	Y	
12	Levocarnitine	Carnitine缺乏症	88	1	Y	
13	Nitric Oxide	PPH	88			
14	Sacrosidase	PKU	88	1	Y	
15	Sodium Benzoate	非酮性高甘胺酸血症	88	1	Y	
16	Sodium Phenylbutyrate	尿素循環障礙	88	1	Y	
17	Tetrahydro-Biopterin (BH4)	PKU	88	1	Y	
18	SACROSIDASE	PKU	88	1	Y	
19	Trientine HCl	威爾森氏症	88	1	Y	
20	Citrulline	高血氨	89	1	Y	
21	Deferiprone (Kelfer)	海貧	90	1	Y	
22	L-5-hydroxytryptophan(5-HTP)	PKU	90		Y	
23	Phosphate solution	佝僂症	90	1	Y	
24	Risedronate	原發性變形性骨炎	90		¥	藥證逾期註銷
25	Zinc Acetate	威爾森氏症	90	1	Y	
26	Agalsidase-alpha	Fabry	91	1	Y	
27	Agalsidase-beta	Fabry	91	1	Y	

序號	成分名	病症	認定年	先以專案給付	給付否	說明
28	Iloprost	PPH	91	1	Y	
29	K-Phos No.2	佝僂症	91	1	¥	不敷成本停止供應
30	Thymosin alfa 1	DiGeorge Syndrome	91	1	¥	專案落日
31	Treprostinil sodium	PPH	91	1	Y	
32	Bosentan	PPH	92	1	Y	
33	Laronidase	MPS	92	1	Y	
34	alpha 1-antitrypsin	α1-抗胰蛋白酶缺乏症	94			
35	alpha-glucosidase	Pompe	94	1	Y	
36	Miglustat	高雪氏症 NPC	94	1	Y	
37	protein C	同基因合子蛋白質C缺乏症	94			
38	Galsulfase	MPS	95	1	Y	
39	Idursulfase	MPS	95	1	Y	
40	Nitisinone	酪胺酸血症	95	1	Y	
41	MECASERMIN	Laron Syndrome	95	1	Y	
42	Tobramycin	囊狀纖維化症	95	1	Y	
43	Sodium phenylacetate and sodium benzoate	尿素循環障礙	96	1	¥	專案落日
44	Tetrabenazine	HD	97	1	Y	
45	Ambrisentan	PPH	98	1	Y	
46	Natalizumab	MS	98	1	Y	
47	Sildenafil citrate	PPH	98		Y	
48	Antisense inhibitor of apolipoprotein B-100	高膽固醇血症	100			
49	Dalfampridine	MS	100			
50	Ecilizumab	PNH aHUS	100	1	Y	
51	Everolimus	TSC	100		Y	
52	Fingolimod	MS	100	1	Y	
53	Carolimumab	高血氨	101			

88~101年總共認列53種成分罕藥，有46種於一代健保時獲得給付，其中42種給付時尚未取得藥證

二代健保認定罕藥/給付名單

附件一

序號	成分名	病症	認定年	給付時 專案否	給付 否	說明
	Carglumic acid	高血氨	101	1	Y	一代認定， 二代給付
1	Macitentan	PPH	102	1	Y	
2	Tafamidis meglumine	FAP	102			
3	"PEGA" Fassier-Duval Telescopic IM System "沛佳"法斯樂 - 杜瓦伸縮式髓內釘系統	OI	102		Y	
4	Eliglustat tartrate	高雪氏症	103		Y	
5	Lomitapide	高膽固醇血症	103			
6	Cholic acid	先天性膽酸合成障礙 Zellweger 氏症候群	103		Y	
7	Elosulfase alfa (N-acetylgalactosamine-6-sulfatase)	MPS	103		Y	
8	Teriflunomide	MS	104		Y	
9	Dimethyl fumarate	MS	104		Y	
10	Diacerein	EB	104			
11	Selexipag	PPH	104		Y	
12	Peginterferon beta-1a	MS	105		Y	
13	Taliglucerase alfa	高雪氏症	105		Y	
14	Alemtuzumab	MS	105		Y	
15	Evolocumab	高膽固醇血症	105		Y	
16	Velaglucerase alfa	高雪氏症	105		Y	
17	Asfotase alfa	低磷酸脂酶症	106			
18	Cladribine	MS	107		Y	
19	Nusinersen	SMA	107		Y	

序號	成分名	病症	認定年	給付時 專案否	給付 否
20	Cerliponase alfa	神經元蠟樣脂褐質儲積症	107		
21	Patisiran	FAP	108		
22	Icatibant	HAE	108	1	Y
23	Migalastat	Fabry	108		
24	Stiripentol	SMEI, Dravet	108		
25	Lanadelumab	HAE	108		
26	Onasemnogene abeparvovec	SMA	109		
27	Burosumab	佝僂症	109		
28	Siponimod fumaric acid	MS	109		Y
29	NaH ₂ PO ₄ + KH ₂ PO ₄ + NaH ₂ PO ₄ · H ₂ O	佝僂症	109		
30	Givosiran	紫質症	109		
31	Chenodeoxycholic acid	腦腱性黃瘤症	109	1	Y
32	Edaravone	ALS	109		
33	Risdiplam	SMA	109		
34	Ofatumumab	MS	109		
35	Ravulizumab	PNH	109		
36	Human C1-esterase inhibitor	HAE	109		Y
37	Ataluren	DMD	109		
38	Ozanimod	MS	110		
39	Luspatercept	海貧	110		
40	Ponesimod	MS	111		
41	Avalglucosidase alfa	Pompe	111		
42	Cysteamine hydrochloride	胱胺酸血症	111		

102~111年7月總共認列42種成分罕藥，有20種於二代健保時獲得給付，其中4種給付時尚未取得藥證

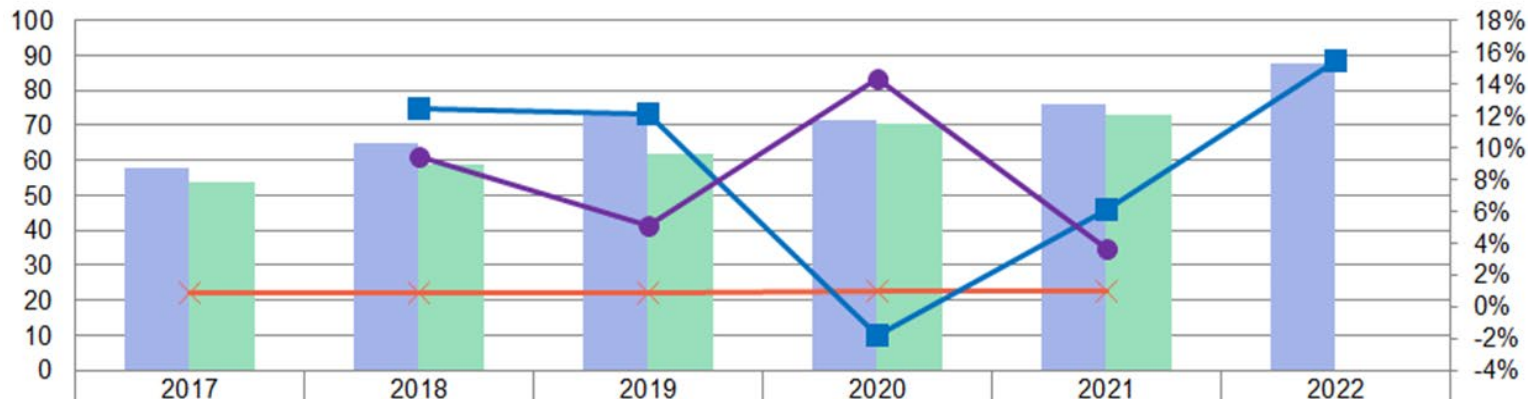
等待給付的罕藥...

序號	成分名	病症	認定日期
1	protein C	同基因合子蛋白質C 缺乏症	94年1月28日
2	Tafamidis meglumine	FAP	102年4月19日
3	Cerliponase alfa	神經元蠟樣脂褐質儲積症	107年9月7日
4	Patisiran	FAP	108年1月19日
5	Migalastat	Fabry	108年5月30日
6	Stiripentol	SMEI, Dravet	108年7月18日
7	Lanadelumab	HAE	108年9月24日 (110年8月19日通過)
8	Onasemnogene abeparvovec	SMA	109年3月18日
9	Burosumab	佝僂症	109年8月26日
10	Givosiran	紫質症	109年9月29日

序號	成分名	病症	認定日期
11	Edaravone	ALS	109年9月29日
12	Risdiplam	SMA	109年12月30日
13	Ofatumumab	MS	109年12月30日
14	Ravulizumab	PNH	109年12月30日
15	Ataluren	DMD	109年12月30日
16	Ozanimod	MS	110年10月13日
17	Luspatercept	海貧	110年10月13日
18	Ponesimod	MS	111年1月21日
19	Avalglucosidase alfa	Pompe	111年1月21日 (111年8月18日通過)
20	Cysteamine hydrochloride	胱胺酸血症	111年4月15日

共有 20 個已經認列之罕藥等待給付

近年罕藥專款預、決算比較



罕藥預算(億)	57.91	65.09	72.957	71.66	76.01	87.75
罕藥支出(億)	53.6	58.68	61.67	70.51	73.04	
罕藥支出佔總額%	0.82%	0.86%	0.86%	0.94%	0.93%	
預算成長%		12.40%	12.09%	-1.78%	6.07%	15.45%
支出成長%		9.48%	5.10%	14.33%	3.59%	
預算餘額	4.31	6.39	11.287	1.15	2.97	
執行率	92.56%	90.15%	84.53%	98.40%	96.09%	

平均8.846%

未執行預算總餘額26.107億

涓滴珍貴的救命預算餘額，每年自1.15億到11.287億之鉅未執行

參與經濟學人HTA調查專家會議之說明

附件二

- 台灣健保在未建立一般藥品的 ICER 評估規範前，即先行試用在罕藥收載給付，導致核准時程大幅增長，影響病患用藥權益甚鉅！



序號	病症	認列罕藥	健保給付	月	序號	病症	認列罕藥	健保給付	月	序號	病症	認列罕藥	健保給付	月
1	尿素循環障礙	1999/6/17	2001/7/1	24.8	17	PKU	1999/12/9	2000/4/1	3.8	33	高雪氏症	2005/1/28	2005/5/1	3.1
2	高胱氨酸尿症	1999/6/17	2000/3/1	8.6	18	威爾森氏症	1999/12/9	2000/6/1	5.8	34	NPC	2009/5/4	2009/8/1	3
3	胱胺酸血症	1999/12/9	2000/9/1	8.9	19	高血氫	2000/8/1	2001/7/1	11.1	35	MPS	2006/1/25	2006/1/25	0
4	PHHI	1999/12/9	2001/1/1	13	20	海冀	2001/5/21	2001/7/1	1.4	36	MPS	2006/8/22	2006/8/22	0
5	PPH	1999/6/17	2000/3/1	8.6	21	PKU	2001/8/15	1997/2/1	-55.2	37	酪胺酸血症	2006/1/25	2006/5/1	3.2
6	ALS	1999/12/9	2000/9/1	8.9	22	尙德症	2001/8/15	1997/9/11	-47.8	38	Laron Syndrome	2006/8/22	2006/9/5	0.5
7	MS	1999/12/9	2002/1/16	25.6	23	威爾森氏症	2001/12/4	2001/12/18	0.5	39	囊狀纖維化症	2006/8/22	2006/8/22	0
8	葉質症	1999/6/17	2001/12/19	30.5	24	Fabry	2002/4/9	2002/4/9	0	40	尿素循環障礙	2007/8/8	2010/2/1	30.3
9	高雪氏症	1999/6/17	1998/10/22	-7.9	25	Fabry	2002/4/9	2004/10/1	30.2	41	HD	2008/1/22	2009/1/1	11.5
10	MS	1999/12/9	2000/4/1	3.8	26	PPH	2002/8/8	2002/8/8	0	42	PPH	2009/5/4	2009/12/1	7
11	慢性肉芽腫病	1999/12/9	2000/5/1	4.8	27	尙德症	2002/11/14	2002/11/14	0	43	MS	2009/5/4	2011/5/1	24.2
12	Carnitine 缺乏症	1999/6/17	1998/11/24	-6.8	28	DiGeorge Syndrome	2002/8/8	2002/8/8	0	44	PPH	2009/5/4	2009/10/1	5
13	PKU	1999/12/9	2000/4/1	3.8	29	PPH	2002/11/14	2006/7/1	44.2	45	PNH	2011/5/13	2012/4/1	10.8
14	非酮性高甘胺酸血症	1999/6/17	2000/8/1	13.7	30	PPH	2003/11/18	2003/11/18	0	46	TSC	2011/9/6	2013/1/1	16.1
15	尿素循環障礙	1999/12/9	1997/4/1	-32.7	31	MPS	2003/11/18	2003/11/18	0	47	MS	2011/9/6	2012/9/1	12
16	PKU	1999/12/9	2000/12/1	11.9	32	Pompe	2005/1/28	2005/7/1	5.1	平均給付時間(月)		5.2		

序號	病症	認列罕藥	健保給付	所需月數	序號	病症	認列罕藥	健保給付	所需月數
1	高血氫	2012/11/13	2013/9/1	9.7	12	aHUS	2014/6/30	2019/6/1	59.9
2	PPH	2013/10/7	2014/7/1	8.9	13	MS	2016/10/27	2019/7/1	32.6
3	OI	2013/10/7	2015/1/1	15	14	先天性糖胺合成障礙	2014/11/4	2019/7/1	56.7
4	高雪氏症	2016/5/6	2018/3/1	22.1	15	MS	2018/1/22	2020/1/1	23.6
5	高膽固醇血症	2016/10/27	2018/3/1	16.3	16	HAE	2019/1/19	2020/6/1	16.6
6	MPS	2014/12/30	2018/4/1	39.6	17	SMA	2018/3/15	2020/7/1	28
7	MS	2015/4/21	2018/7/1	38.9	18	MS	2016/1/19	2020/11/1	58.3
8	高雪氏症	2016/10/27	2018/9/1	22.5	19	MS	2020/8/26	2021/3/1	6.2
9	MS	2015/8/17	2018/10/1	38	20	腦鍵性黃瘤症	2020/9/29	2022/6/1	20.3
10	高雪氏症	2014/2/12	2019/5/1	63.5	21	HAE	2020/12/30	2022/6/1	17.3
11	PPH	2015/11/6	2019/5/1	42.4	平均給付時間(月)		30.3		

二代健保後，罕藥被PBRs否決的原因統計

藥名	治療疾病	PBRs 審議日期(次)	未通過理由 (12次，含一次通過但未生效)		
			藥價/財務因素	療效不明	其他
Soliris	aHUS	2014.09(臨時會)	不具合理成本效益		
		2014.10 (11)			未有藥證
		2018.12 (35)	健保正在整頓罕藥藥價，待其他罕藥調好價再議		
Vyndaqel	FAP	2015.06 (14)		國內基因突變型態不同	
Juxtapid	同合子家族性高膽固醇血症	2015.06 (14)	不具合理成本效益		
		2016.12 (23)	不符成本效益	療效實證不足	
Vimizim	MPS 4A	2016.02 (18)	不符成本效益	療效實證不足	
Pheburane granules	先天性尿素循環障礙	2016.12 (23)			未有藥證
Uptravi	PPH	2017.08 (27)			未有藥證
Brineura	CLN2	2021.04 (49)		長期療效不確定	無符合適應症之病人 (台灣醫師無經驗) 有病人時先用恩慈
Takhzyro	HAE	2021.08 (50)	已通過但因議價問題尚未生效		
Onpattro	FAP	2021.12 (53)	財務衝擊大	長期療效與副作用不明	
次數			7	5	4
百分比			58.33%	41.67%	33.33%

罕病用藥從通過罕藥認定，取得食藥署的查驗登記許可證，再到納入健保給付，平均要等上30個月