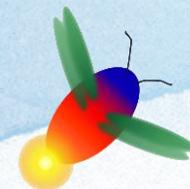


經濟學人罕藥調查 之參與分享



陳莉茵

財團法人罕見疾病基金會創辦人
台灣弱勢病患權益促進會理事長

2022/9/24

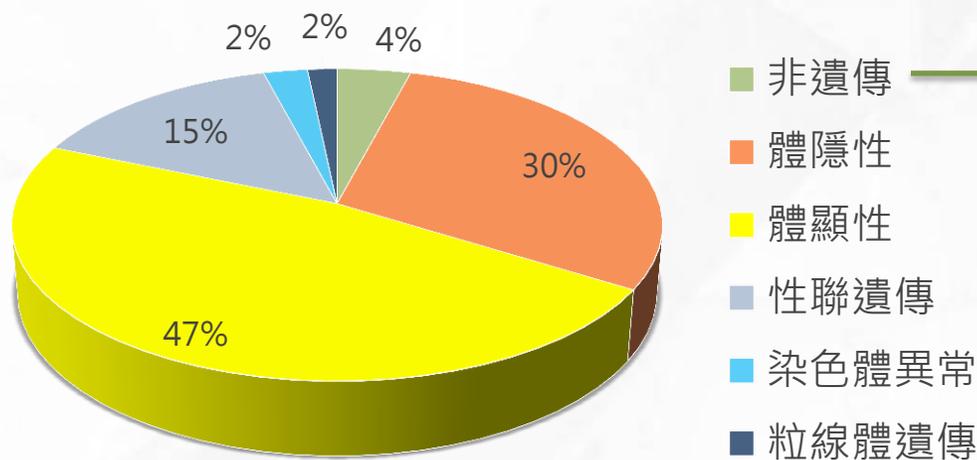


- 參與經濟學人歐亞七國的罕病健康照護調查
- Connecting the Dots: Embedding Progress on Rare Disease into Healthcare
- 報告中指出：A key issue is ACCESS.
「**關鍵是藥品的可取得性。**」
- 自1998-1999年以來，台灣健保已超前佈署，展開罕病的照護行動；謹此代表罕病患者及家庭誠摯感謝！

參與經濟學人HTA調查專家會議之說明

台灣健保給付罕藥程序中對 HTA 報告之解讀及運用失衡，導致問題與困境。

- 不同於其他國家，台灣目前公告 240 種罕見疾病，有 **96%** 以上是遺傳性疾病。
- 台灣罕藥給付審查程序中所提供的醫療科技評估 (HTA) 報告，未曾提及罕藥給付對罕病防治的積極意義及價值。



1. 多發性硬化症/泛視神經脊髓炎
2. 肌萎縮性側索硬化症
3. 特發性或遺傳性肺動脈高壓
4. 陣發性夜間血紅素尿症
5. 非典型性尿毒溶血症候群
6. 海勒曼-史德萊夫氏症候群
7. McCune Albright 氏症候群
8. Moebius症候群
9. 普洛提斯症候群
10. 僵體症候群

參與經濟學人HTA調查專家會議之說明

- 健保給付僅參考或解讀 HTA 報告中某單一療效評估標準，採用非常嚴苛的醫療給付規範，**忽略實際臨床病況條件及病患用藥迫切性**，並不適合尤其不公平，**宜多元考量罕藥的臨床療效及用藥規模**。

用藥
年齡
限制

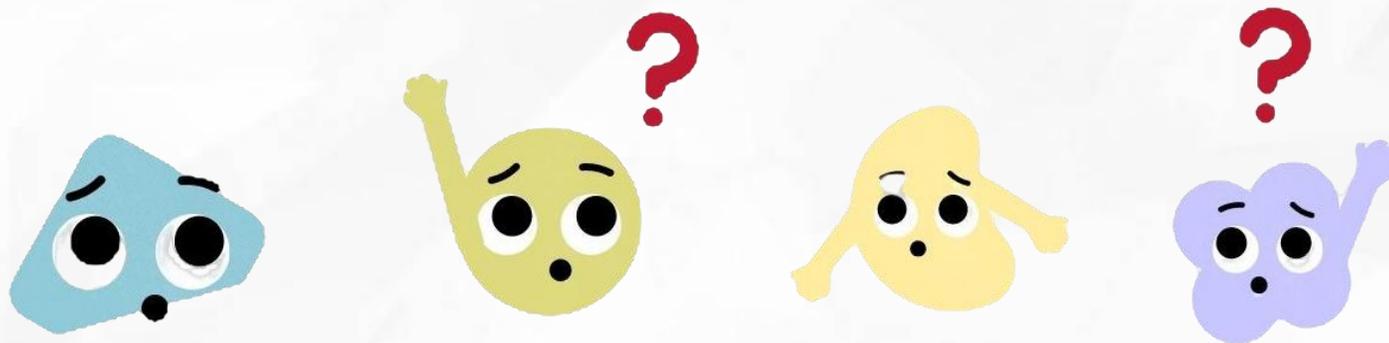
失能
惡化
程度

生活
品質
提升

用藥
人數
規模

參與經濟學人HTA調查專家會議之說明

- 藥物共擬會審議收載給付罕藥前，病患代表參與陳述意見機會相當有限。
- 決定醫療給付規範的專家會議機制，Who、When、How則相對不明確，或建議給付與否的醫療條件亦令人困惑。



參與經濟學人HTA調查專家會議之說明

- 罕藥臨床試驗過程中諸多限制，應不適用 QALY 或/及 ICER 。

1

- 市場上唯一或唯二且用在不同疾病惡化階段使用的稀缺罕藥，不似一般疾病有多種藥物選擇。

2

- 罕藥研發臨床試驗中，因病人少且嚴重度不一，或涉及併發症及共病，收案人數或不足、或缺乏一體試用的臨床評估項目。

3

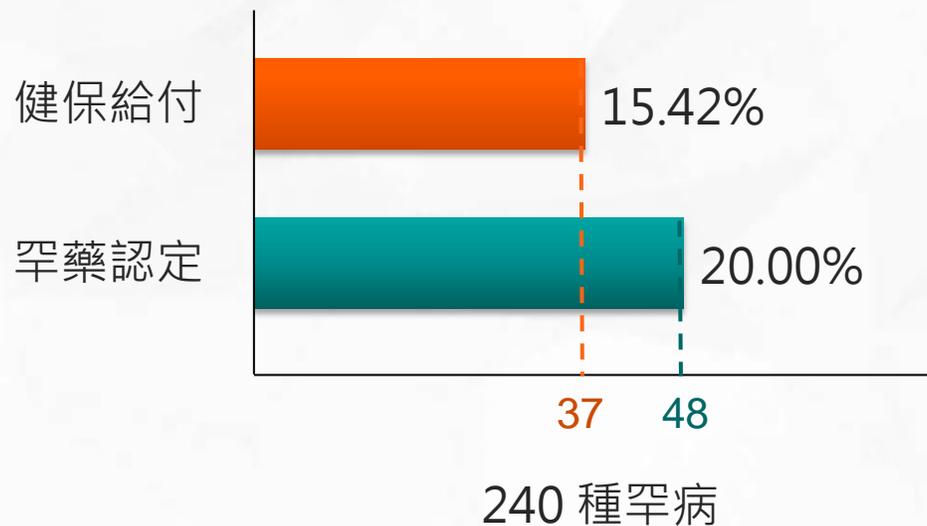
- 受試病患嚴重度及用藥急迫需求，亦或不允許設立對照組，致使缺乏長期對照比較。

參與經濟學人HTA調查專家會議之說明

- 台灣罕藥 HTA 報告中經常呈現其他國家的 ICER 降價條件，卻因缺乏本土 ICER 閾值相關適用範圍，致未能考量各國人口及市場規模差異。
- 加之健保給付規範嚴苛，致使新藥缺乏減價誘因，並造成給付程序冗長之障礙。
- 截至 2022 年 9 月，台灣 240 種公告罕病中，通過罕藥認定者有 98 種藥品，當中 61 種罕藥獲得健保給付，治療 37 種罕病。

公告罕藥、健保給付與涵蓋罕病數統計

通過認定之罕藥		獲健保給付之罕藥	
治療罕病 藥品數量	涵蓋疾病種類	藥品數量	涵蓋疾病種類
98	48	61 (含13種專案進口)	37



參與經濟學人HTA調查專家會議之說明

- 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	高血氨	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	海貧	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	佝僂症	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	紫質症	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	佝僂症	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	高血氨	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	先天性膽酸合成障礙	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	腦腱性囊瘤症	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

參與經濟學人HTA調查專家會議之說明

- **若**健保確定先行試用 QALY/ ICER 評估財務衝擊於罕藥收載給付程序，**建議：**
健保署依據台灣GDP，儘速制定及公告台灣罕藥QALY/ ICER 閾值標準的明確範圍。
- 就**倫理層面**而言，使用 HTA 報告中他國的 QALY/ ICER 閾值作為單一標準考量罕藥給付與否，並不合適亦值得商確。

參考英國 ICER 閾值 (1英鎊 = NT\$35.75)		
一般藥物	生命末期藥物	罕見疾病藥品
20,000 ~ 30,000 英鎊/QALY	50,000 英鎊/QALY	100,000 ~ 300,000 英鎊/QALY

病人觀點及期待



期待全民健保

- 2019年WHO「全民健康覆蓋」
- 2021年聯合國「應對罕病患者及家屬的挑戰」決議文
- 2022年經濟學人HTA調查報告指出的關鍵點：「**藥品的可取得性**」
- 罕病患者及家庭再三感謝全民健保及罕藥專款的絕對善意，與超過20年照顧；然而謹此再三呼籲：正視近年罕藥給付及取得的空前困境，期請主管單位面對問題積極改革，化危機為轉機，嘉惠苦等救命罕藥病患！

• 照護罕病重塑生命價值，彰顯**健保永續價值**。

• 照護罕病落實健保疾病風險分攤機制，再造**社會公平與正義**。

• 照護罕病以**積極防治**罕病，照顧大家的下一代。

THANKS

他山之石，可以攻錯，我們見賢思齊
溝通與對話是改變及進步的開始
感恩、感謝～各位支持及聆聽!!!

