

台灣健保引進罕見疾病用藥的挑戰

朱璿尹 祕書長

中華民國罕見疾病研發製藥發展協會

Sep 24, 2022

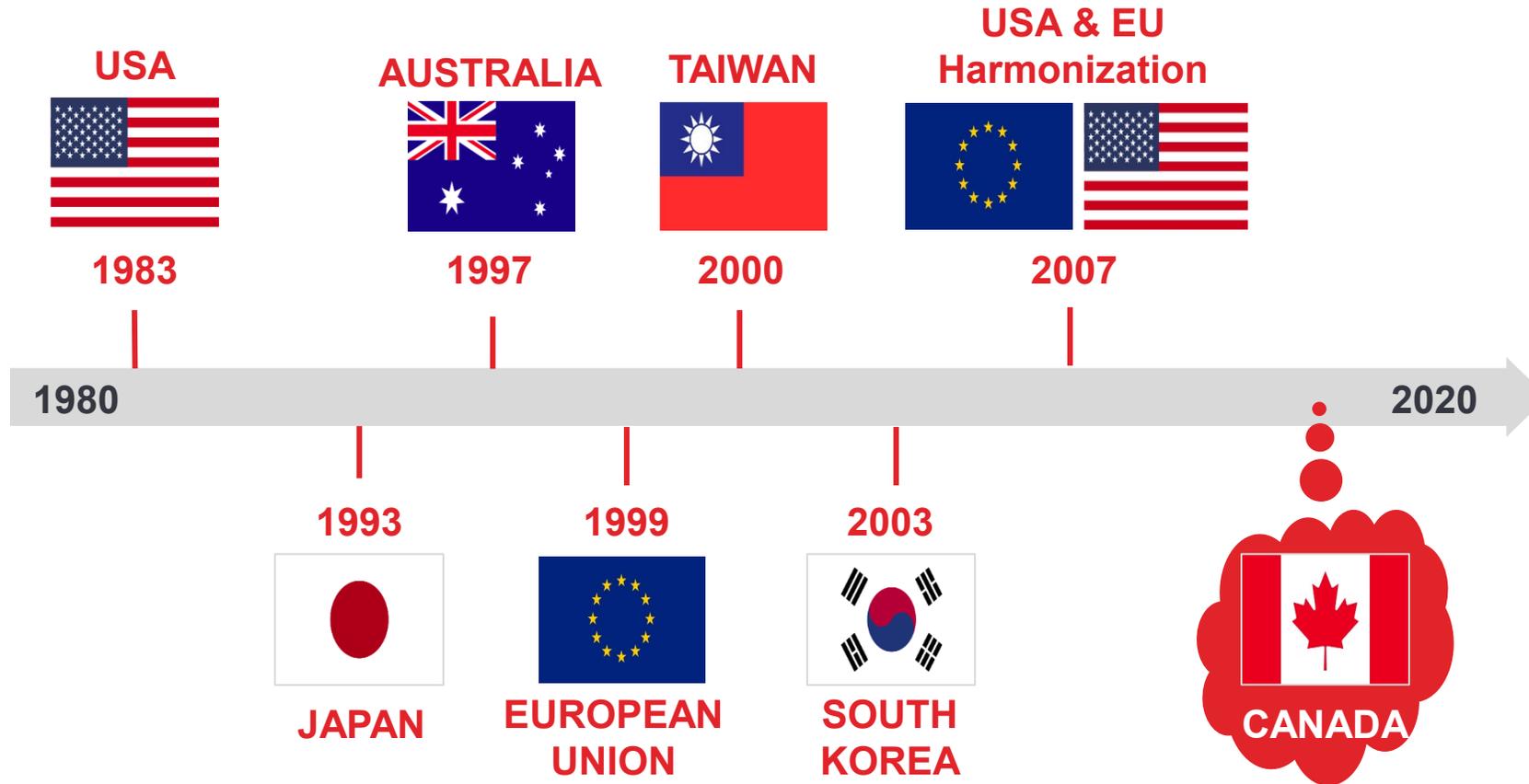


中華民國罕見疾病
研發製藥發展協會
TAIWAN ORPHAN DRUG PHARMACEUTICAL
AND MANUFACTURING ASSOCIATION

台灣是全球第五個國家將罕病入法



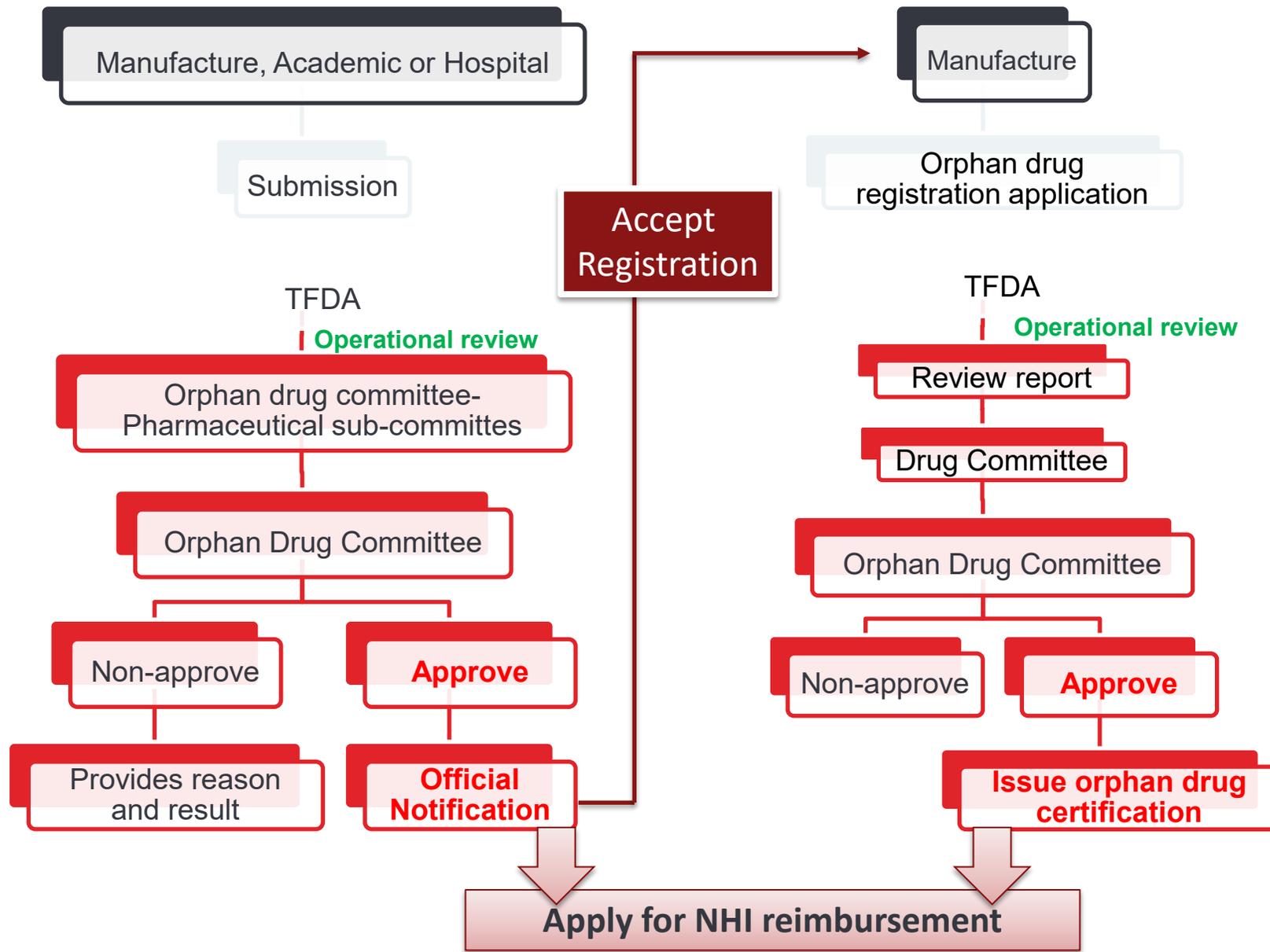
中華民國罕見疾病
研發製藥發展協會
TAIWAN ORPHAN DRUG PHARMACEUTICAL
AND MANUFACTURING ASSOCIATION



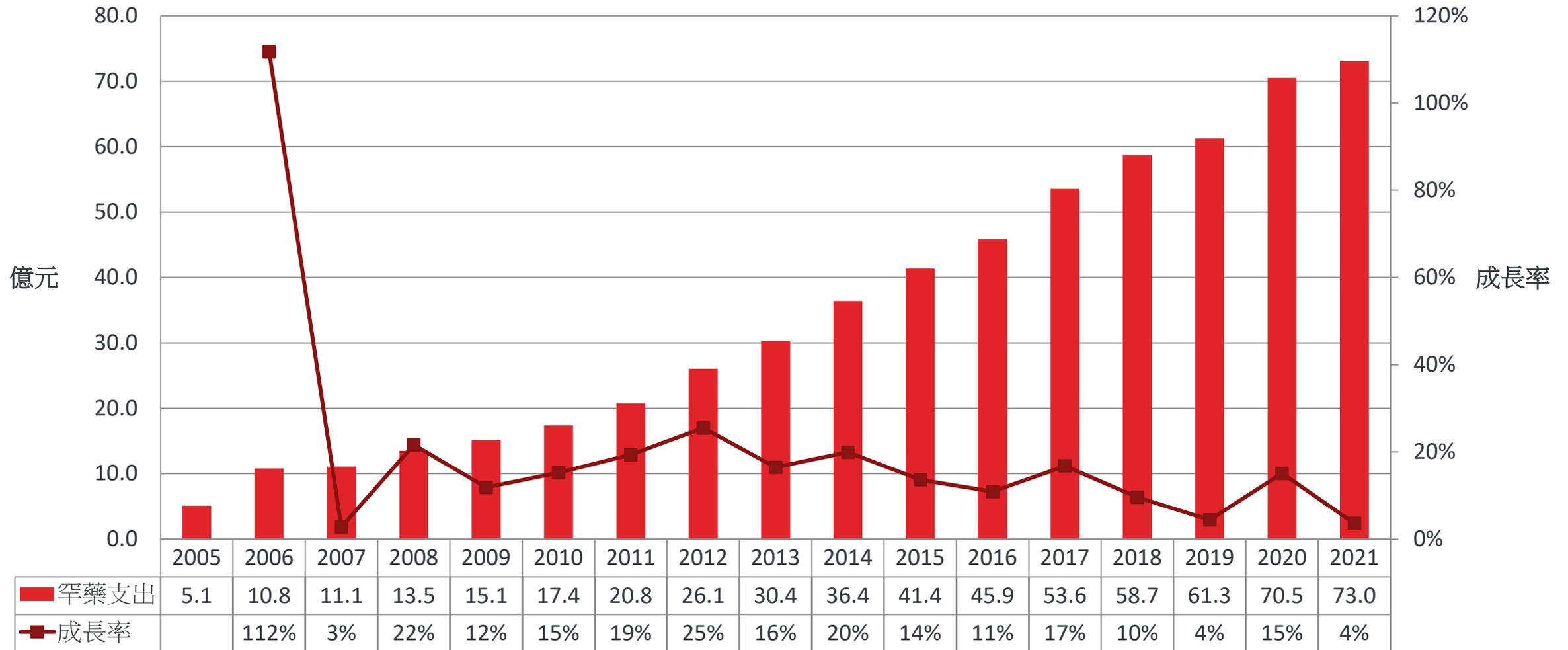


罕藥認定流程

罕藥查驗登記的流程



台灣罕見疾病用藥專款



二代健保後罕見疾病用藥健保給付面臨嚴峻的挑戰



中華民國罕見疾病
研發製藥發展協會
TAIWAN ORPHAN DRUG PHARMACEUTICAL
AND MANUFACTURING ASSOCIATION

取得罕藥認定(ODD)時間²

共計**91項**
成分被認定
為適用於罕
見疾病藥物¹

2012年以前被認定
成分共計**53項**

2013年以後被認定
成分共計**38項**

納入健保給付情形³

一代健保時期(2012年以前) · 共計**38項**成分被給付
給付率 **71.7%** (=38/53)

二代健保時期(2013年以後) · 共計**21項**成分被給付
給付率 **55.3%** (=21/38)

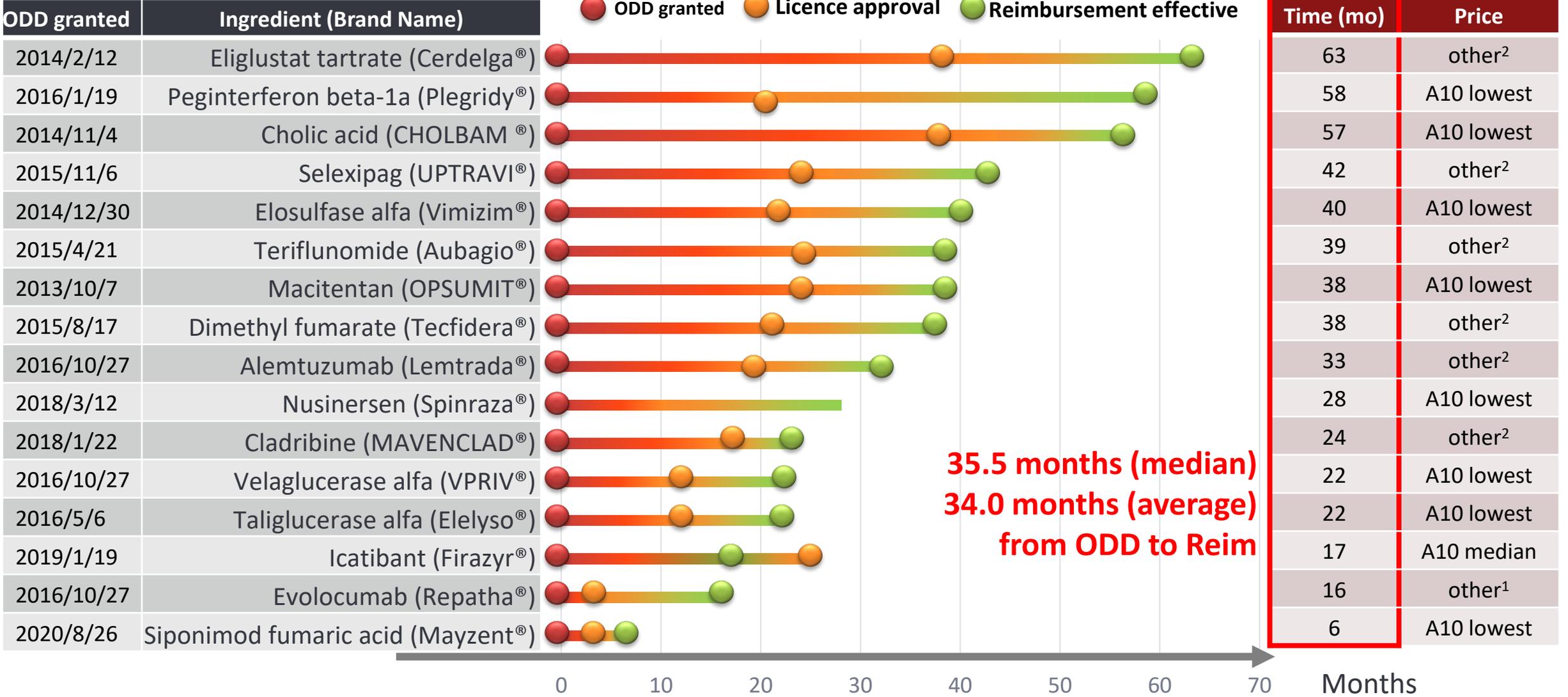
年度	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022
給付數	2	0	1	2	0	6	4	4	1	1

1. 經認定罕藥品項擷取自111年版「罕見疾病防治及藥物法」藥物年報(110年10月13日整理)
2. 如同一品有2個以上罕藥認定時間(不同適應症) · 以最新為主。
3. 健保給付情形統計至2022/8

根據協會的統計資料，從二代健保開始 罕見疾病用藥平均需要花3年的時間來獲得健保給付



(統計2016-2020被納入健保給付藥品)



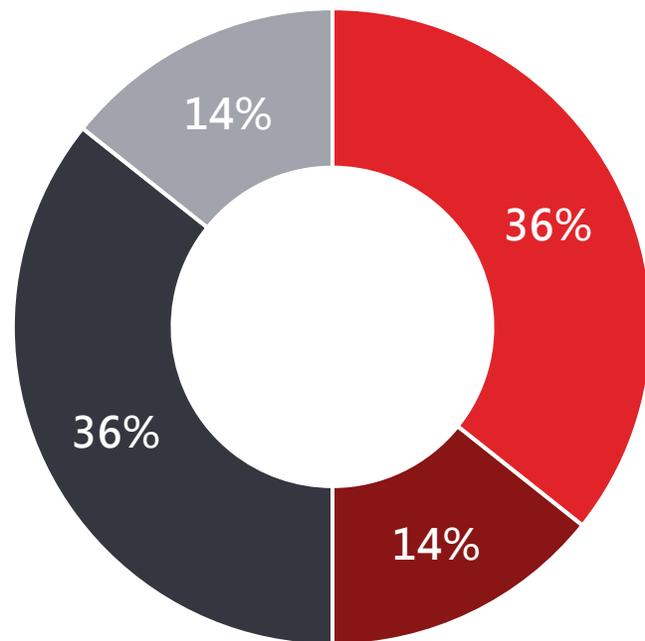
Other¹: propose by manufacturer (lower than A10 lowest price)

Other²: Treatment-course dosage ratio



自二代健保實施以來罕見疾病用藥 健保不給付的理由

共同擬訂會議不建議納入給付原因



- 不具成本效益
- 未領有許可證
- 療性證據不足/不明
- 其他

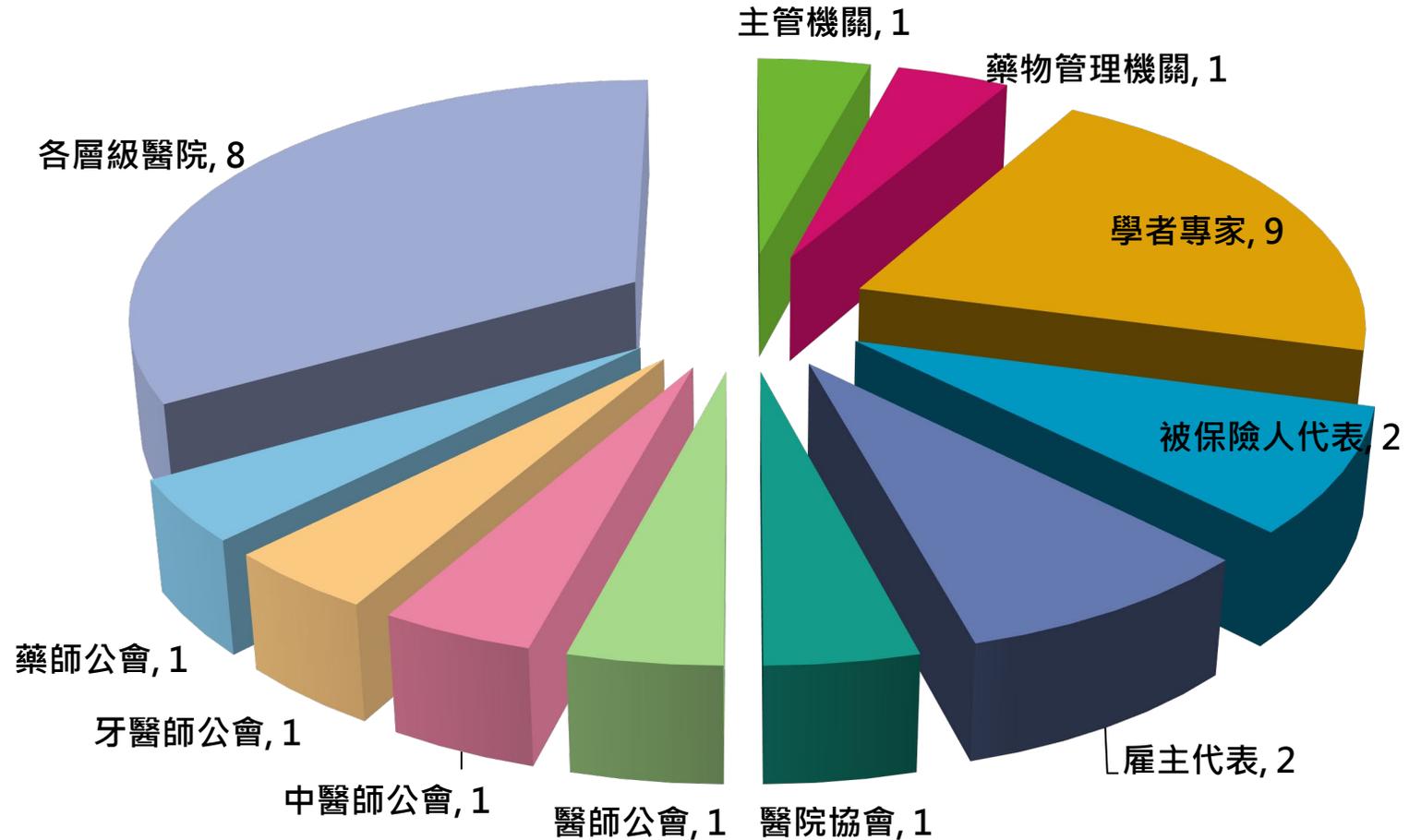
PBRs 會議時間	品項成分	不納入給付原因			
		不具 成本效益	未領 有許可證	療效證據 不足/不明	其他:
2014/09	Soliris Injection (eculizumab)-for aHUS	√			
2014/10	Soliris Injection (eculizumab)-for aHUS		√		
2015/06	Vyndaqel (Tafamidis meglumine)			√	國內病人基因型態不同
2015/06	Juxtapid (lomitapide)	√			
2016/08	Afinitor (everolimus)-for TSC			√	
2016/12	Juxtapid (lomitapide)	√		√	
2017/08	Uptravi (selexipag)		√		
2018/12	Soliris Injection (eculizumab)-for aHUS				每人藥費太高
2021/12	Onpattro (patisiran)			√	
2021/04	Brineura (cerliponase alfa)	√			

除上述原因，會員公司反映於專家會議/討論階段被拒絕給付之理由：

尚未找到需要/適用之病人、廠商需降價至某程度方予收載、
沒有「長期」療效證據、價格因素、無迫切需要....

給付決定會議-藥物共同擬訂會議之代表組成

- 會議的組成過半是醫療提供者
- 被保險人代表僅有2-3位佔極少數，並無罕見疾病病友代表或團體代表
- 健保署僅能運用病友意見蒐集方式，不足以讓病友的意見納入決策



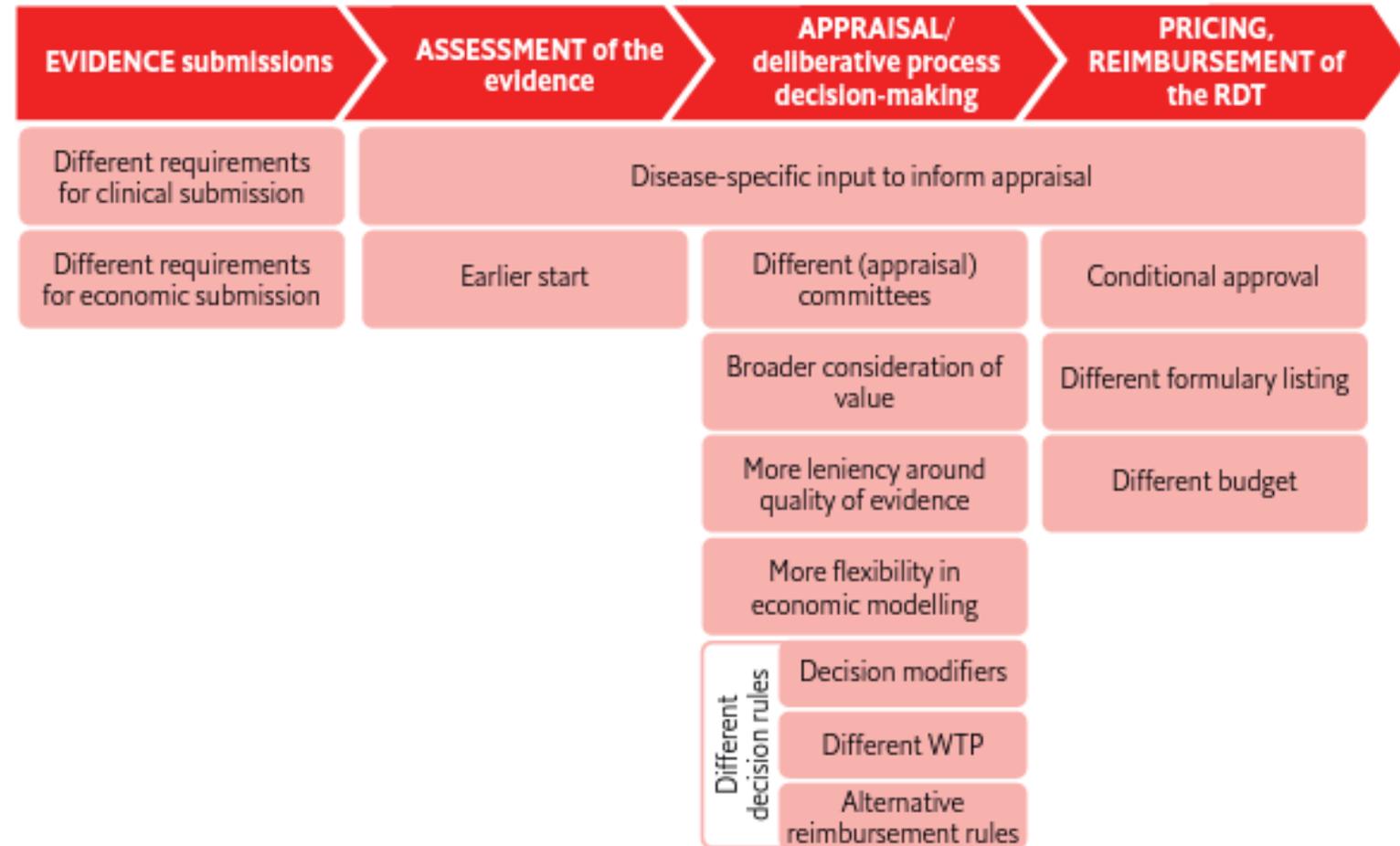
HTA 的流程以及應用在罕藥的挑戰



罕藥應用HTA的挑戰

- 罕病病患人數少且個案差異大以至於療效的評估無法用試驗絕對量化的方式來做呈現
- 對於罕見疾病也由於病患人數少以至於整個疾病的進程並無法有透徹的瞭解，讓治療的價值可以有最好的呈現
- 不容易明確定義相關的直接間接醫療成本以及具體反映罕見疾病病患家庭所面臨的挑戰

Features included in supplemental processes for rare diseases across the HTA process (adapted from Nicod et al)⁸¹



RDT: Rare disease treatment, WTP: Willingness to pay



罕藥協會建議方向

1. 政策的可預期性是跨國藥廠決定新藥上市優先順序的重要考量
 - 健保應遵循目前藥物給付項目及支付標準的核價方法
2. 雖然健保署有運用網站蒐集病友意見，惟罕病病友未能參與討論決策，導致罕藥納入給付過程缺乏罕病病人的聲音而長期被忽視
 - 建構病人聲音評估的標準作業 (Disease Burden, 生活品質, 生產力的維持等)
 - 針對罕見疾病間接花費應該要放入更多的比重
 - 應該要讓病人在健保決策的過程中有一正式的角色
3. 建議加速罕見疾病用藥給付，惟對藥品經濟效益若有不確定性的治療，應先行給付，給付後建議政府可考慮建構RWE的登錄系統，以收集相關實證以供後續與廠商協商政策方向。在已認定為罕藥卻尚未完成健保給付前，政府依法應有積極、具體做法及編定預算，協助病患取得適當的罕藥治療。



4. 但對於第一個研發的藥品且無其他替代治療的品項應該要從更多對整體社會影響的層面來考量
5. 二代健保實施後，罕藥在健保給付決策過程冗長，且多數不同意給付。應建立病患救濟程序，並且建議修法**明確定義救濟程序及期限**。

Thank You



中華民國罕見疾病
研發製藥發展協會
TAIWAN ORPHAN DRUG PHARMACEUTICAL
AND MANUFACTURING ASSOCIATION