

2022 年「罕見疾病醫療照護之挑戰與前瞻」論壇

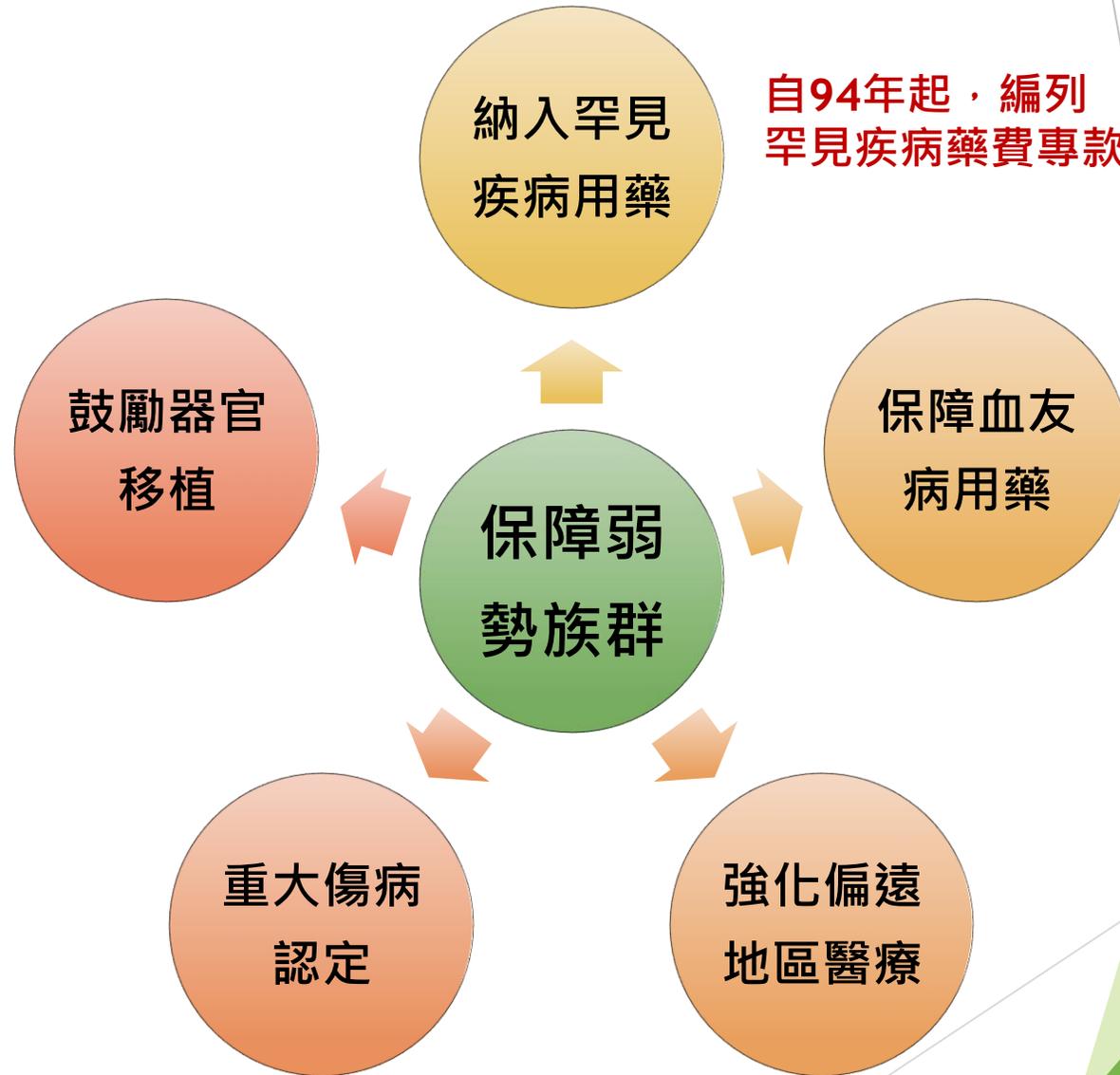
罕藥專款分配與前景潛力

衛生福利部全民健康保險會
周麗芳主任委員

111年9月27日

全民健保--五大面向保障弱勢族群

- ▶ 臺灣全民健康保險自民國84年3月1日實施以來，普遍去除民眾就醫障礙，提供病患連續性醫療照護服務，尤其在保障弱勢族群醫療權益上，發揮關鍵守門人的積極功效。
- ▶ 全民健保從五大面向保障弱勢族群醫療權益，包括納入罕見疾病用藥、保障血友病用藥、強化偏遠地區醫療、重大傷病認定及鼓勵器官移植。



罕見疾病防治及藥物法

- ▶ 台灣早在民國89年，就已經通過並施行「罕見疾病防治及藥物法」，作為保障罕見疾病病人基本醫療生存權的法源依據，是全世界第5個、亞洲第1個立法保障罕病的國家。

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人

協助病人取得罕見疾病適用藥物

維持生命所需之特殊營養食品

獎勵與保障該藥物及食品之供應、製造與研究發展

獨具特色

姓名	服務單位
石崇良	衛生福利部次長
吳昭軍	衛生福利部國民健康署署長
李伯璋	衛生福利部中央健康保險署署長
吳秀梅	衛生福利部食品藥物管理署署長
林秀娟	奇美醫療財團法人奇美醫院遺傳諮詢中心主任
蔡輔仁	中國醫藥大學副校長
林炫沛	台灣基督長老教會馬偕醫療財團法人馬偕紀念醫院罕見疾病中心主任
葉建宏	新光醫療財團法人新光吳火獅紀念醫院教育研究副院長
邱寶琴	高雄榮民總醫院兒童醫學部一般兒科主任及遺傳諮詢中心主任
遲景上	童綜合醫療社團法人童綜合醫院教學副院長
彭純芝	台灣基督長老教會馬偕醫療財團法人馬偕兒童醫院醫學教育室主任
郭鐘金	台灣大學醫學院生理學研究所教授
康熙洲	國立陽明交通大學藥物科學院院長
黃碧桃	童綜合醫療社團法人童綜合醫院兒童醫學部執行長
吳瑞美	國立台灣大學醫學院教授
陳珮蓉	國立台灣大學醫學院附設醫院營養室主任
黃英寬	前行政院參事
陳莉茵	財團法人罕見疾病基金會創辦人及董事

罕見疾病防治及藥物法

第4條 罕見疾病及藥物審議會辦理之事項及其組成

〔1〕下列事項由罕見疾病及藥物審議會（以下簡稱審議會）辦理：

- 一、罕見疾病認定之審議及防治之諮詢。
- 二、罕見疾病藥物及維持生命所需之特殊營養食品認定之審議。
- 三、罕見疾病藥物查驗登記之審議。
- 四、罕見疾病藥物與維持生命所需之特殊營養食品補助及研發之審議。
- 五、罕見疾病國際醫療合作之審議、協助及諮詢。
- 六、治療特定疾病之非罕見疾病藥物之審議。
- 七、其他與罕見疾病有關事項之諮詢。

〔2〕前項審議會由中央主管機關邀集政府機關代表、醫事學者專家及社會公正人士組成，其中委員名額，至少應有二分之一以上為具罕見疾病臨床治療、照護經驗或研究之醫事學者專家；單一性別不得少於三分之一。

本法所稱罕見疾病藥物，指依本法提出申請，經第四條所定審議會審議認定，並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。

罕藥專款分配

第33條 醫療費用之補助及經費之來源

- ▶ 〔1〕中央主管機關應編列預算，補助罕見疾病預防、篩檢、研究之相關經費及依全民健康保險法未能給付之罕見疾病診斷、治療、藥物、支持性與緩和性照護及維持生命所需之特殊營養食品、居家醫療照護器材費用。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。
- ▶ 〔2〕前項補助經費，得由菸品健康福利捐之分配收入支應或接受機構、團體之捐助。

- ✓ 全球超過7,241種罕見疾病，造成沉重醫療與照護負擔。
- ✓ 全球人口約3.5%至5.9%，罹患罕見疾病。
- ✓ 罕見疾病患者的平均醫療費用，約為一般患者的2倍至20倍。

關鍵政策 照亮罕見璀璨人生

全球第五個立法保障 結合罕病防治與罕藥 **世界首見**

罕見疾病防治及藥物法

補助範圍

依罕見疾病防治及藥物法提供有關國內外檢驗、營養、藥物、照護等服務。

罕病防治 + 罕藥補助

防治服務網絡

- ▶ 產前遺傳診斷
- ▶ 新生兒篩檢
- ▶ 遺傳性疾病檢查
- ▶ 遺傳諮詢

罕藥專款分配

進程

- ✓ 110年起，「後天免疫缺乏病毒治療藥費」預算與「罕見疾病、血友病藥費與罕見疾病特材」分列。
- ✓ 目前持續溝通與協商，朝「罕見疾病、血友病」治療費用分列。

表1 罕見疾病、血友病藥費及罕見疾病特材與後天免疫缺乏病毒治療藥費
—醫院總額執行情形

醫院總額執行情形

項目	106	107	108	109	110
罕病及血友病治療(106-109年含後天免疫缺乏病毒治療藥費)					
全年預算數(億元)	124.53	139.61	152.34	155.45	116.99
執行數(億元)	110.12	128.98	140.43	149.57	111.13
預算執行率(%)	88.4%	92.4%	92.2%	96.2%	95.0%
罕見疾病治療執行數					
藥費(億元)	53.55	58.68	61.27	70.51	73.04
-成長率(%)	16.8%	9.6%	4.4%	15.1%	3.6%
用藥人數(人)	8,351	8,909	9,634	10,177	10,501
-成長率(%)	3.9%	6.7%	8.1%	5.6%	3.2%
每人藥費(萬元)	64.1	65.9	63.6	69.3	69.6
-成長率(%)	12.4%	2.7%	-3.4%	8.9%	0.4%
特材(百萬元)	3.4	1.1	2.1	2.7	1.4
特材使用人數(人)	11	7	10	11	5
血友病治療執行數					
藥費(億元)	34.2	37.1	39.4	38.8	38.1
-成長率(%)	-1.5%	8.4%	6.1%	-1.6%	-1.8%
用藥人數(人)	899	933	969	942	979
-成長率(%)	-0.8%	3.8%	3.9%	-2.8%	3.9%
每人藥費(萬元)	381	398	406	412	389
-成長率(%)	-0.8%	4.5%	2.2%	1.3%	-5.5%
後天免疫缺乏病毒治療藥費					
全年預算數(億元)	52.57
執行數(億元)	25.04	33.18	39.75	40.27	42.17
預算執行率(%)	80.2%
用藥人數(人)	19,109	22,163	25,500	27,913	29,861
-成長率(%)	...	16.0%	15.1%	9.5%	7.0%
每人藥費(萬元)	13.1	15.0	15.6	14.4	14.1
-成長率(%)	...	14.2%	4.1%	-7.5%	-2.1%

資料來源：中央健康保險署

罕藥專款分配

西醫基層總額執行情形

表2 罕見疾病、血友病藥費及罕見疾病特材與後天免疫缺乏病毒治療藥費及因應罕見疾病、血友病及後天免疫缺乏症候群照護衍生費用執行情形—西醫基層總額執行情形

項目	年度					項目	年度				
	106	107	108	109	110		106	107	108	109	110
罕見疾病、血友病藥費及罕見疾病特材						後天免疫缺乏病毒治療藥費					
全年預算數(百萬元)	110.0	110.0	55.0	全年預算數(百萬元)	55.0
執行數(百萬元)	1.39	0.68	0.28	執行數(百萬元)	1.10	0.34	0.14
預算執行率(%)	1.3%	0.6%	0.5%	預算執行率(%)	0.3%
-罕見疾病治療執行數						用藥人數(人)					
--藥費(百萬元)	0.29	0.34	0.28	用藥人數成長率(%)	10.0%	-54.5%
--藥費成長率(%)	15.6%	-18.6%	每人藥費(元)	110,133	31,012	28,731
--用藥人數(人)	256	265	256	每人藥費成長率(%)	-71.8%	-7.4%
--用藥人數成長率(%)	3.5%	-3.4%	因應罕見疾病、血友病及後天免疫缺乏症候群照護衍生費用					
--每人藥費(元)	1,144	1,278	1,077	預算數(百萬元)	11.0	11.0	11.0
--每人藥費成長率(%)	11.7%	-15.7%	執行數(百萬元) ^{註3}	1.56	1.55	1.20
--特材(元)	0	0	0	--罕見疾病	1.55	1.53	1.19
--特材使用人數(人)	0	0	0	--血友病	0	0	0
-血友病治療藥費執行數						--後天免疫缺乏病毒治療	0.01	0.01	0.01
--藥費(百萬元)	0	0	0	預算執行率(%)	14.2%	14.1%	10.9%
--藥費成長率(%)	資料來源：中央健康保險署					
--用藥人數(人)	0	0	0						
--用藥人數成長率(%)						
--每人藥費(萬元)	0	0	0						
--每人藥費成長率(%)						

✓ 110年起，「後天免疫缺乏病毒治療藥費」預算與「罕見疾病、血友病藥費與罕見疾病特材」分列。

罕藥專款分配



衛生福利部公共關係室
Ministry of Health and Welfare

健保署與罕病病友站在同一陣線 照護病友不遺餘力

- 資料來源：中央健康保險署
- 建檔日期：111-08-23
- 更新時間：111-08-23

健保署向來極為關心罕見疾病病友的醫療權益，為避免罕見疾病病友使用之高額醫療費用受醫療費用總額排擠，自94年起編列罕見疾病藥費專款，此專款係用來照顧所有罕病病友的藥費支出，**111年預算數雖較110年增加11.74億元**，但是此預算必須支應既有罕病病友用藥費用之成長、擴增罕藥的給付範圍以及收載新的罕藥，截至目前為止，尚有14個成分罕藥刻正進行收載審查程序中。

健保署表示，109年持有重大傷病卡的罕病病友為11,771人，至110年為12,241人，111年至6月底止則為12,524人，109年至111年之罕病專款預算，分別為71.66億元、76.01億元以及87.75億元，執行率則為98.4%、96.1%，以及推估111年執行率為93.4%，可見健保署在病友人數不斷增加下持續編增預算，照護罕病病友不遺餘力。

罕藥市場的前景潛力

挑戰：

- ▶ 患者群體小
- ▶ 缺乏可用的流行病學數據
- ▶ 對罕病治療缺乏認識
- ▶ 罕藥研發既困難且昂貴
- ▶ 罕藥上市的行政流程繁複
- ▶ 罕藥與罕病治療的成本高
- ▶ 罕藥的財務可負擔性

機會：

- ▶ 罕病人數逐漸增加
- ▶ 政府對罕病提出補助與激勵措施
- ▶ 罕藥陸續上市
- ▶ 新療法和新藥的研發活絡

Rare Disease Treatment Market Report Coverage

Report Coverage	Details	Global Market Insights
Base Year:	2019	Published Date: Nov 2020
Market Size in 2019:	144,268.2 Million (USD)	
Forecast Period:	2020 to 2026	
Forecast Period 2020 to 2026 CAGR:	12.2%	
2026 Value Projection:	317,191.5 Million (USD)	
Segments covered:	Drug Type, Therapeutic Area, Patient and Route of Administration	
Growth Drivers:	<ul style="list-style-type: none">• Increase in number of rare diseases cases across the globe• Favorable government policies• Growing number of new drug launches• Increasing R&D activities for novel therapeutics and drugs	
Pitfalls & Challenges:	<ul style="list-style-type: none">• Lack of awareness regarding rare disease treatment• High cost of the drugs and therapy	

罕藥市場的前景潛力

臺灣已穩步發展



Figure 4: Government and compulsory health expenditure as a percentage of GDP in 2019, for the seven study countries^{116, 117}

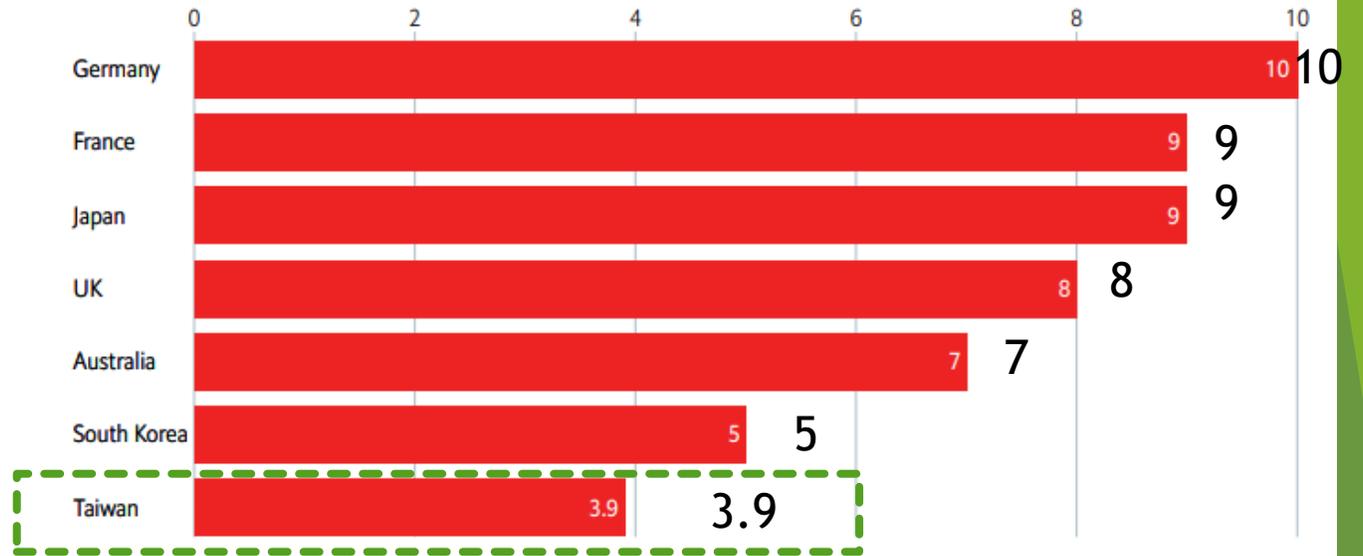


Figure 5: Expenditure on orphan medicinal products as a percent of total healthcare expenditure in 2017 (latest available data), for five of the seven study countries (data unavailable for Australia and Japan)^{29, 117-120}



用心打造

以人為本
在地創新
共創價值
的
美麗新台灣

