經濟學人調查報告之

罕見病患觀點與期待



陳莉茵

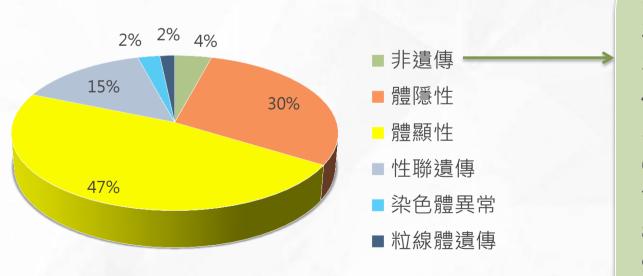
財團法人罕見疾病基金會創辦人 台灣弱勢病患權益促進會理事長 September 27, 2022



- 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!

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。

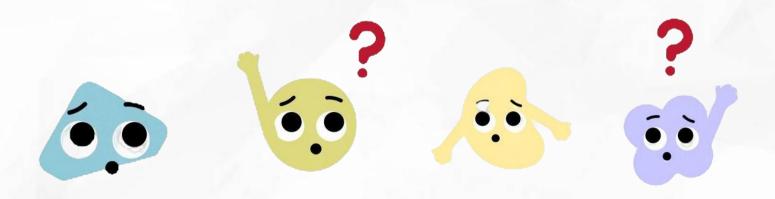


- 1. 多發性硬化症/泛視神經脊髓炎
- 2. 肌萎縮性側索硬化症
- 3. 特發性或遺傳性肺動脈高壓
- 4. 陣發性夜間血紅素尿症
- 5. 非典型性尿毒溶血症候群
- 6. 海勒曼-史德萊夫氏症候群
- 7. McCune Albright 氏症候群
- 8. Moebius症候群
- 9. 普洛提斯症候群
- 10. 僵體症候群

 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。



- 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。



• 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

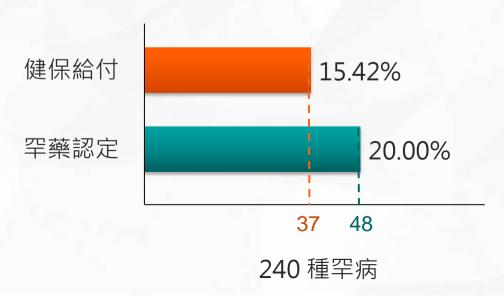
罕藥研發臨床試驗中,因病人少且嚴重度不一,或涉及併發症及 共病,收案人數或不足、或缺乏一體試用的臨床評估項目。

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。

- 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 閩值相關適用範圍,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	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					



• 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!

一代健保

5.2個月

罕藥平均 給付時間 二代健保

30.3個月

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	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		平均約	合付時間(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		平均約	哈付時間(月)		30.3

- 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。



1、終身罹患罕病之得到有效治療,是醫病共同期待

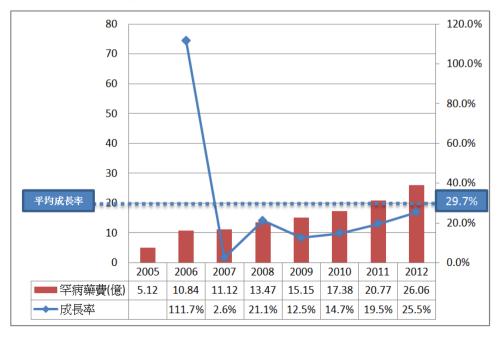
2、被商業保險排除在外

3、依健保法第一條:「健保是強制性社會保險」

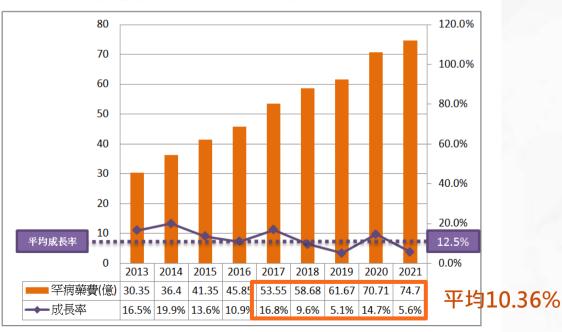
4、健保給付罕藥最符合保險風險分攤的精神

• 期請適當增加罕藥專款:經濟學人調查指出,台灣每年罕藥費用約佔2.3%,在所調查之歐亞七國或國際標準中,居於較低點額度;對應每況愈下的罕藥專款預算,宜儘速解決新藥給付困境。期請適當增加罕藥專款,俾利逐年收載給付等待中的14~19種罕藥。

一代健保罕藥專款支出成長



二代健保罕藥專款支出成長



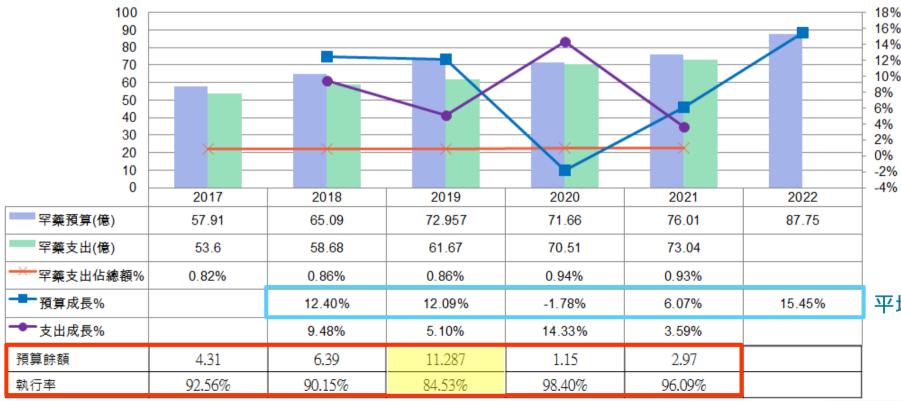
等待給付的罕藥...

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							

• 期請改革罕藥給付程序,包括:適宜解讀及多元運用台灣 HTA 的療效評估及財務衝擊 QALY/ ICER 考量,俾利提升罕藥專款執行效率,終結病人長期苦等救命罕藥的困境。

近年罕藥專款預、決算比較



平均8.846%

• 期請 CDE (醫藥品查驗中心) 制定台灣罕藥 HTA 報告增列多元內容:

1、遺傳學者或專家對 遺傳罕病防治的意義及 價值評估。

*參考英國

2、台灣病團或病人在 臨床試驗或恩慈治療中 的用藥經驗。

3、呈現用藥創新性、 多元療效條件、及病人 急迫用藥需求。

*參考德、法、日

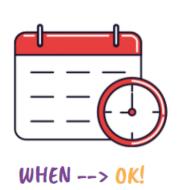
4、呈現本土建議QALY & ICER 閾值範圍。

• 明確化醫療專家會議機制:

1、明確化共擬會審議收載給付罕藥前, 決定醫療給付規範的醫療專家會議機制, 例:定期開會時間、決策專家成員、會後 公布摘要議程及決議等。

2、建立效法英國機制,建立罕藥專案專家會議,除該罕病專科醫師外,納入:醫療倫理、遺傳專家、及該罕病臨床醫師。

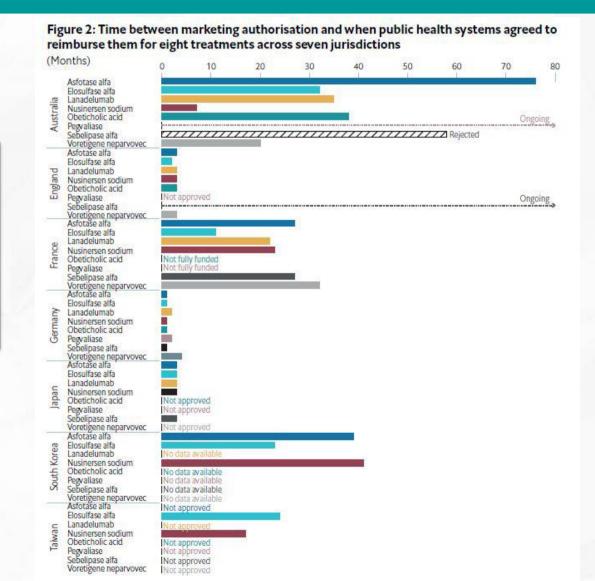






• 優先給付創新罕見新藥:

效法德、法、日,對獨特、創新、安全、療效 評估無虞,且成本低於一定金額的罕見新藥優 先給付,並收集第一年真實世界證據(RWE), 以獲得持續治療的依據。



 期請健保署擴大病人參與:如經濟學人調查報告結論建議,應給予患者更多 發聲機會 (Empower the Patient Voice);在英、法、德、澳的罕藥決策過程中,病團或病人代表在各階段都有表達意見的機會。





增加藥物共擬會中 列席代表,並改若 干列席病人代表為 正式代表。



- 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!!!

