



罕見疾病、血友病藥費專款 項目之執行報告

衛生福利部
中央健康保險署
103年4月25日



報告大綱

- 源起
- 罕見疾病定義
- 申請列入罕見疾病流程
- 罕見疾病與血友病專款藥費定義
- 歷年專款預算與支出情形
- 主要罕病介紹
- 先天性血友病死亡率分析
- 結論



源起

- 依衛生福利部103年1月21日衛部健字第1033360005號公告「罕見疾病、血友病藥費」專款項目，略以：
「為檢視本項費用成長之合理性，請中央健康保險署於103年3月前，提出專案報告」。



罕見疾病定義與預算來源

- **罕見疾病定義**：指疾病盛行率在中央主管機關公告基準以下，或因情況特殊，經「罕見疾病及藥物審議委員會」審議認定，並經中央主管機關指定公告者(皆由國民健康署進行公告)。
- **預算來源**
 - 國民健康署：
 - ✓ 依「罕見疾病防治及藥物法」規定編列預算，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依法未能給付之罕見疾病診斷、治療、藥物與維持生命所需之特殊營養品、居家醫療照護器材費用；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。
 - 中央健康保險署：
 - ✓ 納入全民健保給付範圍者，依藥物給付項目及支付標準支付相關費用；另菸品健康福利捐每年約有1億多元挹注健保安全準備基金內。



申請列入罕見疾病流程(1/2)

- 罕見疾病之認定：

- 目前罕見疾病之認定，除以**疾病盛行率萬分之一**以下為參考基準外，並經「罕見疾病及藥物審議委員會」審議認定，其考量原則包含：罕見性、是否需要遺傳諮詢或有利於疾病防治、診斷治療困難及疾病嚴重度等原則。

- **3項罕見疾病審議認定排除條款，不可申請及認定為罕見疾病：**

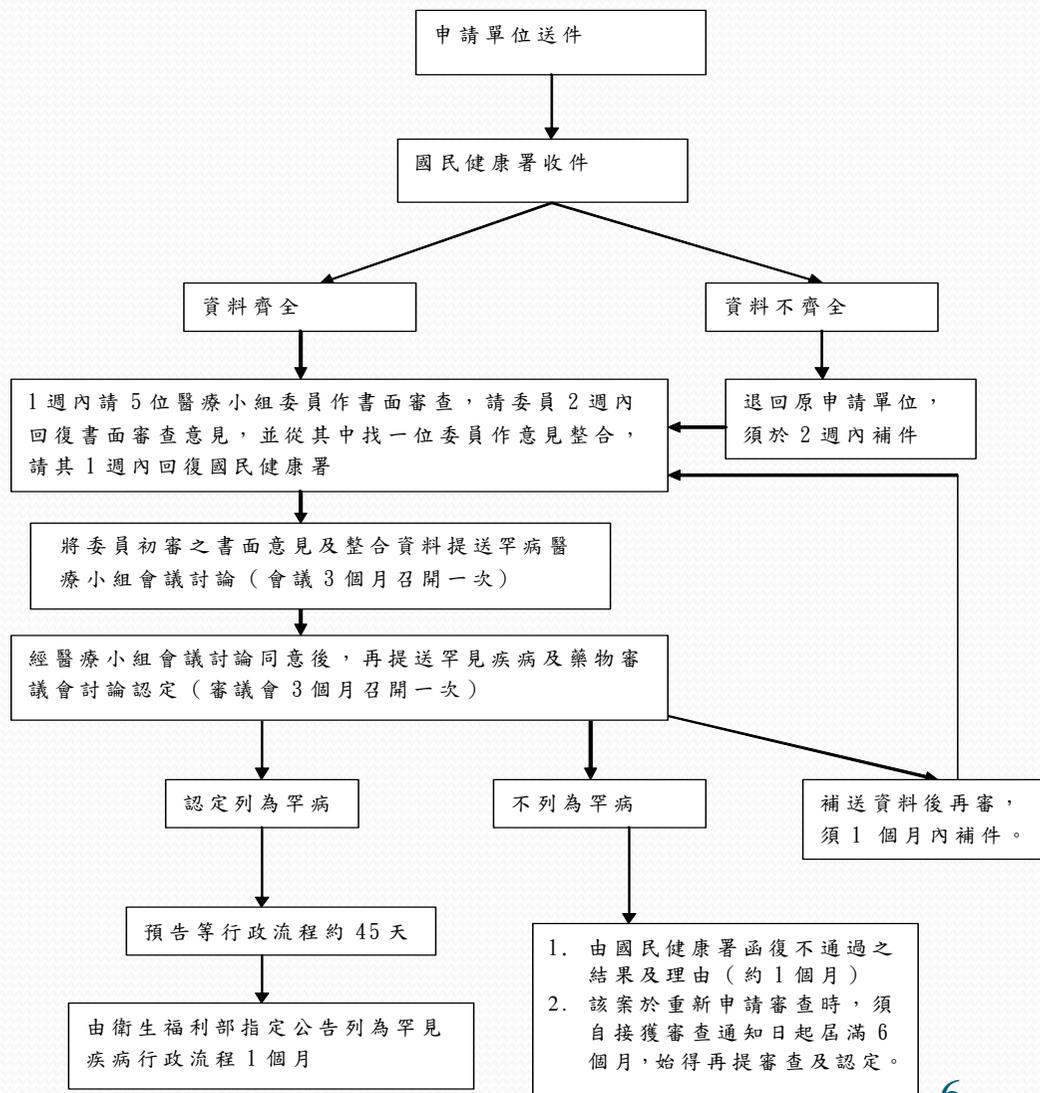
- **人為外在因素所造成之疾病或傷害**，例如：重大交通事故、公害及食品中毒事件等。
- **後天因素所引起之疾病或傷害**，例如：傳染性疾病、因腫瘤所引起之相關疾病。
- **癌症**。



申請列入罕見疾病流程(2/2)

申請列入罕見疾病流程圖

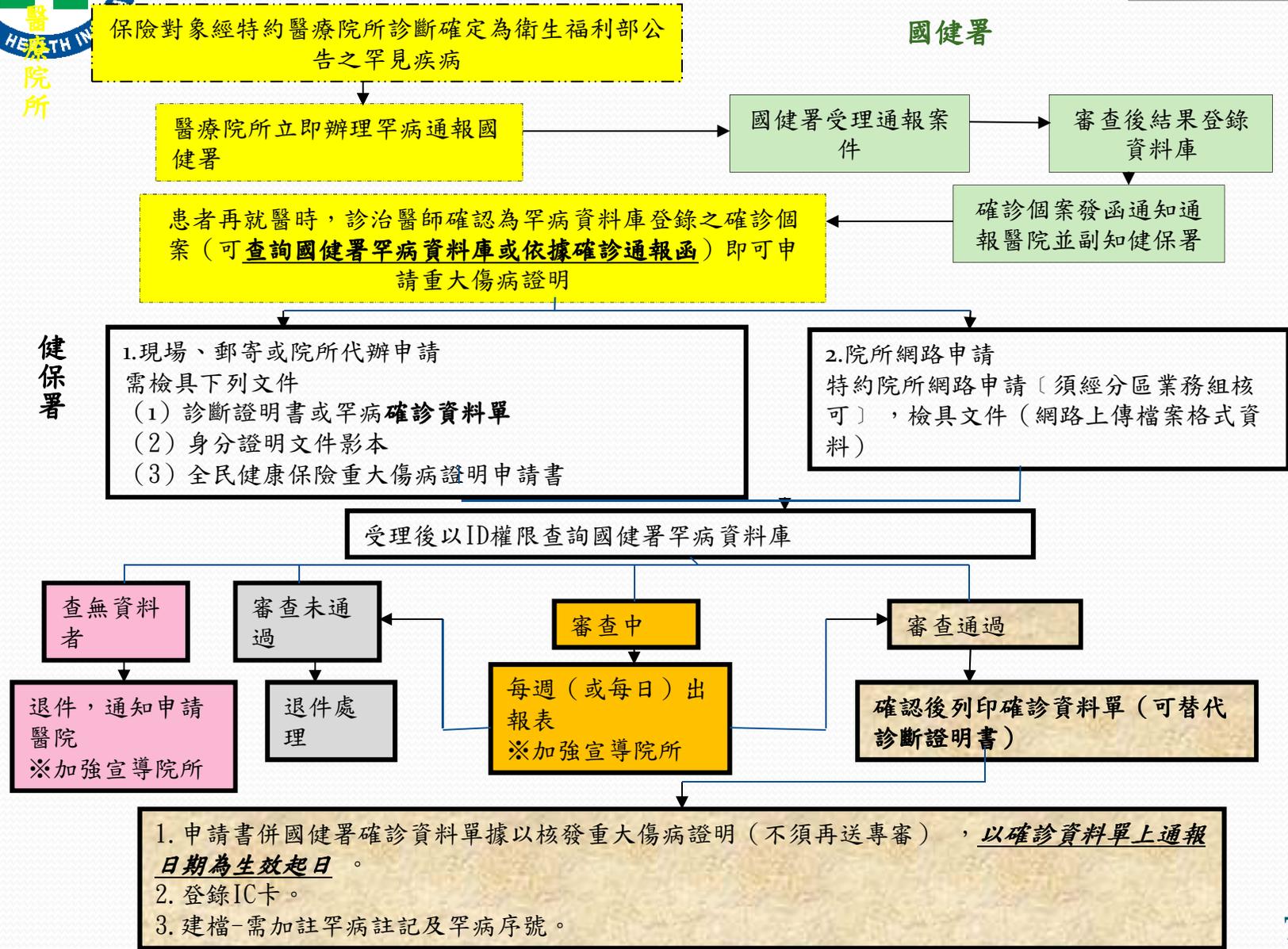
- 申請表送國健署
- 書面審查
- 送「罕病醫療小組委員會」討論
- 送「罕見疾病及藥物審議委員會」討論認定
- 認定列為罕病，公告實施；若認定不列為罕病，可能需由申請單位補件後再提審，或重新提審。





全民健康保險罕見疾病申請核發重大傷病證明流程圖

101年11月19日醫管組





近年列入之罕見疾病

- 自89年起，每年皆有新增罕病，至102年底止，已新增59項罕見疾病納入健保給付範圍，至102年底止共計204種罕病。
- 100年後公告之罕病病名如下表。

中文翻譯(中文翻譯僅供參考)	ICD-9-CM編碼	公告日期
Moebius 症候群	352.6	1000315
Peters-Plus症候群	743.44	1000906
Aicardi-Goutieres症候群	330.0 #	1001130
球細胞腦白質失養症	330.0 #	1020221
肢帶型肌失養症，第2A型、第2B型、第2D型	359.1※22 #	1020221
γ 干擾素受體1缺陷	279.4	1020221
Nager症候群	756.0 #	1020221
非典型性尿毒溶血症候群	283.11※2	1021213
巴氏症候群	759.89 #	1021213
Beta硫解酶缺乏症	270.3※7 #	1021213
肢帶型肌失養症	359.1※22 #	1021213
普洛提斯症候群	759.89 #	1021213

年度	新增公告罕病數量
89	9
90	9
91	7
92	5
93	4
94	2
95	7
96	1
97	1
98	1
99	1
100	3
102	9
總計	59



主要罕病病情與治療介紹(1/2)

- 主要罕病摘要說明：
 - 黏多糖症第1、2、6型(MPS I, II, VI)：自95年納入健保，個案會黏多糖長期堆積在臟器和四肢骨頭關節，乃是因為身體酵素缺乏所致，故需長期使用酵素補充。治療酵素Galsulfase與Elapraser單價高，故整體藥費高。使用藥物治療後，病人明顯改善身體機能，如不積極治療，病人唯有走向死亡，身體機能變差。

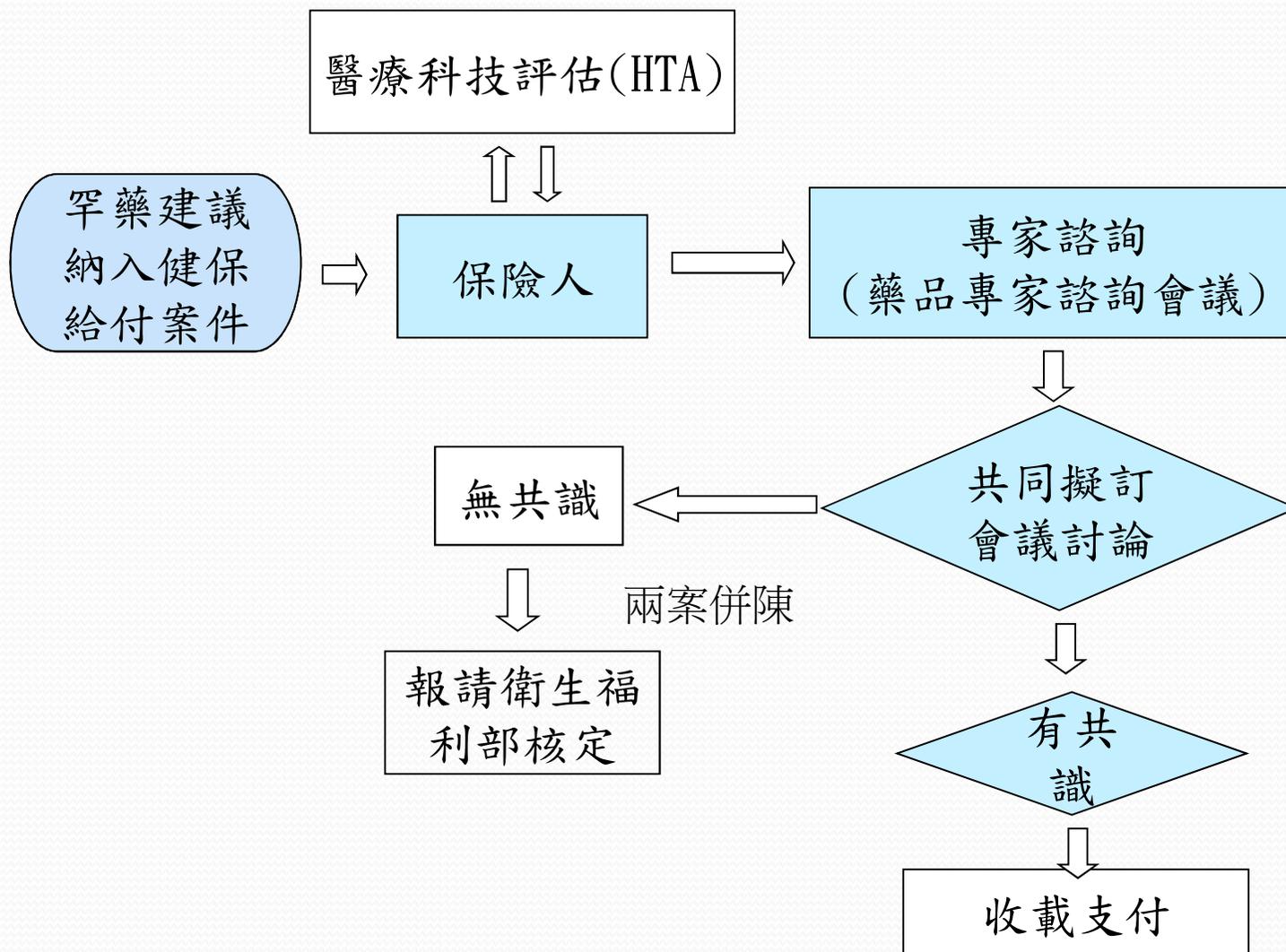


主要罕病病情與治療介紹(2/2)

- 主要罕病摘要說明(續)：
 - 法布瑞氏症(Fabry disease)：為性染色體隱性遺傳基因，因缺乏alpha galactosidase A酵素，造成Gb3、GL-3堆積於全身之血管，造成全身四肢劇烈疼痛、腎功能障礙、心臟肥大、心衰竭、皮膚特殊皮疹、眼角膜異常、中風、聽力障礙。使用Replagal治療，因為病人少，生產成本高，致藥品單價高，且無替代用藥，整體藥費高。
 - 龐貝氏症(肝醣儲積症第二型，positive for Pompe disease)：需長期持續使用酵素療法MYOZYME治療，因為病人少，生產成本高，致藥品單價高，且無替代用藥，因此個案整體藥費高。
 - 高雪氏症(Gaucher disease)：為葡萄糖腦甘脂酵素無法順利進行新陳代謝，醣脂類大分子逐漸堆積，造成肝臟及脾臟腫大、貧血、容易出血、骨骼發育不正常。需長期接受Imiglucerase 治療，因為病人少，生產成本高，致藥品單價高，且無替代用藥，因此個案整體藥費高。



健保署罕見疾病用藥核價流程





納入健保給付之罕病用藥(1/2)

- 至103年2月20止，納入健保給付用藥計有111項，本署皆定期公布於全球資訊網。

認識健保署 健保法令 資訊公開 影音文宣 主題專區 資料下載 意見信箱 訂閱專區 QR-CODE

顏色選擇: [色塊] 現在位置: 首頁 > 藥材專區 > 藥品 字級設定: [中] [大] [巨]

友善列印 寄給朋友

一般民衆

投保服務

網路申訴及查詢

保險計畫與繳納

大專醫藥訓練

申請補保卡

總額退費審查措施

健保醫療服務

常見問題查詢項目

自費醫療費用核退

請撥告訴專線

藥材專區

藥品 特殊材料 網路查詢

「罕見疾病防治及藥物法」品項、必要藥品及罕見疾病藥品相關規定

- 健保用藥已適用「罕見疾病防治及藥物法」之品項(103.02.21更新)
- 全民健康保險藥物給付項目及支付標準必要藥品及罕見疾病用藥「尊重市場價格」之執行原則藥物名單 (103.01.21更新)

更新日期: 2014/02/21



納入健保給付之罕病用藥(2/2)

- 依藥品單價來看，使用高價藥品之罕病為原發性肺高血壓、陣發性夜間血紅素尿症患者、布瑞氏症、黏多醣症、多發性硬化症、高雪氏症、紫質症、龐貝氏症、高胱氨酸尿症等。

單價排序	藥品名稱	生效日	適應症	單價
1	REMODULIN	102.08.01	原發性肺高血壓	189,072
2	SOLIRIS	101.04.01	陣發性夜間血紅素尿症患者有溶血性貧血且需輸血或有栓塞的併發症	181,380
3	Fabrazyme	93.10.01	用於治療法布瑞氏症(Fabrazyme disease)，提供長期酵素補充治療。	181,173
4	Ammonul	99.02.01	限用於先天性尿素循環代謝障礙之急慢性血氨症及伴隨腦部病變	101,159
5	Replagal	93.09.01	用於治療Fabrazyme disease，提供長期酵素補充治療。	100,467
6	ELAPRASE (IDURSULFASE)	102.08.01	治療韓特氏症(黏多醣症第二型，MPS II)	92,601
7	NAGLAZYME (GALSULFASE)	95.01.25	黏多醣症第6型(mucopolysaccharidosis VI)	81,600
8	TYSABRI	102.12.01	多發性硬化症(Multiple Sclerosis)	75,000
9	CEREZYME 400 UNITS (IMIGLUCERASE)	100.10.01	TYPE 1高雪氏症(Gaucher's disease)	71,564
10	Remodulin	95.07.01	原發性肺高血壓	42,016
11	Cerezyme	97.07.01	TYPE 1高雪氏症(Gaucher's disease)	39,758
12	Normosang	90.12.19 97.12.01	紫質症	36,000
13	Myozyme	94.07.19	龐貝氏症	33,893
14	Cystadane (Betaine anhydrous)	92.10.01	治療高胱氨酸尿症	32,067
15	ALDURAZYME CONCENTRATED	102.08.01	黏多醣儲積症第一型	31,539
16	Aldurazyme 2.9mg/5ml	97.07.01	黏多醣儲積症第一型	31,539



罕見疾病專款藥費定義(1/2)

- 部分負擔代碼=001，且主、次診斷任一亦符合衛生福利部公告罕見疾病診斷碼(診斷碼完全符合才列入計算)之所有案件且領有重大傷病卡者之藥費。
- 罕見疾病範圍，依衛生福利部公告代碼辦理，簡要摘列102年度罕見疾病之各項分類病名如下：
 - A先天性代謝異常：高血氨症、有機酸代謝異常、脂質儲積(例如：高雪氏症、法布瑞氏症)、碳水化合物代謝異常(例如：肝醣儲積症)、脂肪酸氧化異常、粒線體代謝異常、溶小體代謝異常(例如：黏多醣症)、膽固醇及脂質代謝異常、礦物離子缺陷(例如：威爾森氏症)、過氧化體代謝異常、其他代謝異常。



罕見疾病專款藥費定義(2/2)

- 罕見疾病範圍，依衛生福利部公告代碼辦理，簡要摘列102年度罕見疾病之各項分類病名如下(續)
 - B腦部或神經系統病變(例如：多發性硬化症、亨丁頓氏舞蹈症)。
 - C呼吸循環系統病變
 - D消化系統病變
 - E腎臟泌尿系統病變
 - F皮膚病變(例如：層狀魚鱗癬、水泡型先天性魚鱗癬樣紅皮症)。
 - G肌肉病變
 - H骨及軟骨病變
 - I結締組織病變
 - J血液疾病
 - K免疫疾病
 - L內分泌疾病
 - M先天畸形症候群
 - N染色體異常
 - Z其他未分類或不明原因(早老症)



血友病與治療介紹

- 先天性或後天性血友病，因缺乏凝血因子第7、第8、第9或第11，皆需不定期施打凝血因子，藥費高，且因血友病之疾病特性，常有出血傾向，故需預防性投藥治療，若有特殊情形病況危急(如嚴重腦外傷、頸外傷、胃腸出血、軟組織出血等)，尚需加強劑量，造成整體醫療費用高。
- 因病人常反覆關節血腫、出血，需長期注射凝血因子，否則會造成關節甚至顱內出血而死亡。

血友病病名	用藥情形
第八凝血因子異常 (A型血友病)	1. Advate(第8凝血因子)，健保代碼 K000836299、K000837299、K000838299，1IU單價26.1元。(97年9月納入健保給付) 2. Kogenate FS(第8因子抗凝血劑，健保代碼 K000641299，1IU單價25.4元。(94年9月納入健保給付) 3. Feiba (抗抑制子凝血複合物)，1KU，單價38249，健保代碼K000746209、K000747277(92年11月納入健保給付)。
第九凝血因子異常 (B型血友病)	1. NovoSeven(第7凝血因子)，健保代碼K000503251、K000878248(99年11月納入健保給付)。 2. Feiba (抗抑制子凝血複合物)，1KU，單價38249，健保代碼K000746209、K000747277。(92年11月納入健保給付)
後天性凝血因子缺乏症，需使用血友病用藥	



血友病專款藥費定義

- 先天性血友病(診斷碼2860、2861、2862、2863)
 - ✓ 部分負擔代碼=001 且主、次診斷任一亦符合血友病診斷碼之所有案件且領有重大傷病卡者且使用凝血因子用藥。
- 後天性血友病(診斷碼2867)
 - ✓ 99年增列後天性凝血因子缺損，主、次診斷任一符合且使用凝血因子用藥【因後天性凝血因子缺損(2867)未納入重大傷病範圍，故本項診斷不卡部分負擔代碼屬重大傷病】。
- 類血友病(診斷碼2864)
 - ✓ 103年增列類血友病，其主、次診斷任一符合類血友病且使用凝血因子用藥【因類血友病(2864)未納入重大傷病範圍，故本項診斷不卡部分負擔代碼屬重大傷病】。



罕病與血友病專款與支出情形

- 罕病與血友病自94年起協定以專款專用方式支應。
- 本項專款預算，94年為22.3億元，至102年已增為68.6億，103年為78.15億元。



註：1. 102年費用以第1季至第3季之結算數預估全年。

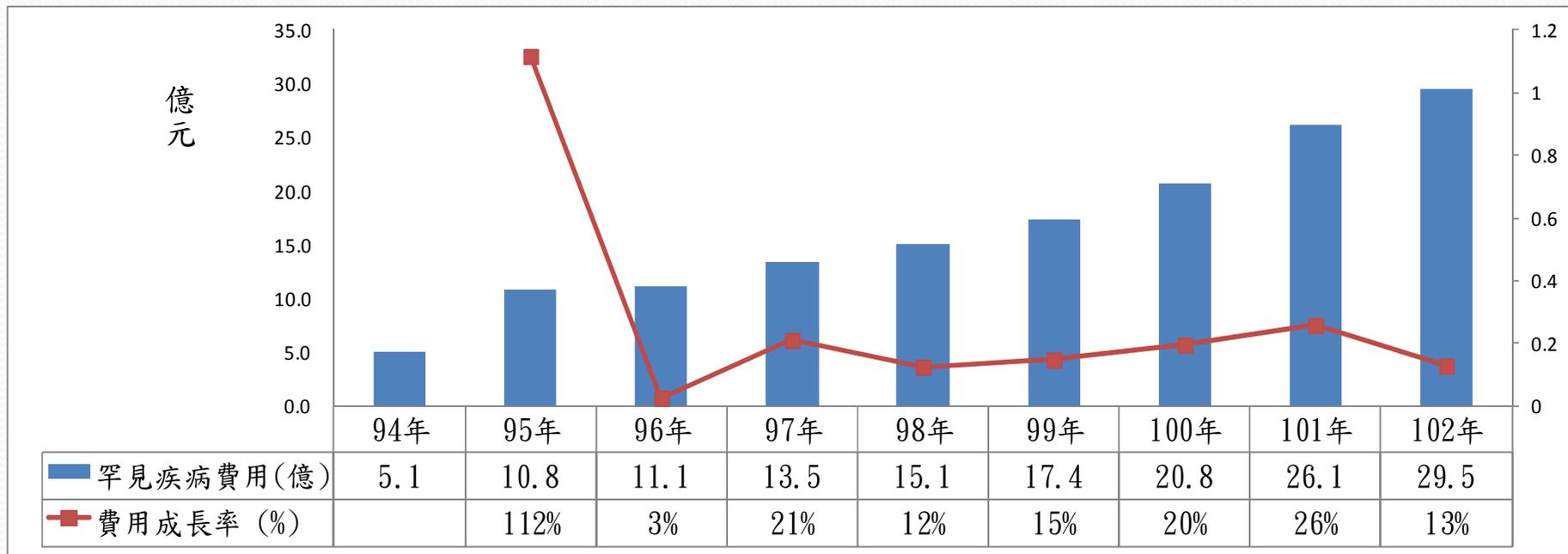
2. 94年專款預算與支出皆含愛滋病藥費，95年起，愛滋病藥費改由公務預算支應。¹⁸



94年~102年罕病專款支出情形(1/2)

- 罕病專款支出情形，94年為5.1億元，預估至102年增為29.5億。
- 近五年費用成長率介於12%~26%間。

成長率



註：102年費用以第1季至第3季之結算數預估全年。



94年~102年罕病專款支出情形(2/2)

罕病醫療利用情形：

- 就醫人數：94年3,554人，102年已增為6,783人；就醫人數成長率有減緩。
- 平均藥費由每人14萬元，至102年已增為43萬元；平均每人就醫費用逐年增加。

年度 項目	罕病			
	人數	成長率	平均藥費 (萬)	成長率
94年	3,554	-	14	-
95年	4,126	16.1%	26	82.2%
96年	4,679	13.4%	24	-9.5%
97年	5,312	13.5%	25	6.7%
98年	5,869	10.5%	26	1.8%
99年	6,151	4.8%	28	9.5%
100年	6,459	5.0%	32	13.8%
101年	6,543	1.3%	40	24.2%
102年	6,783	3.7%	43	8.9%
平均年 成長率		8.5%		17.2%

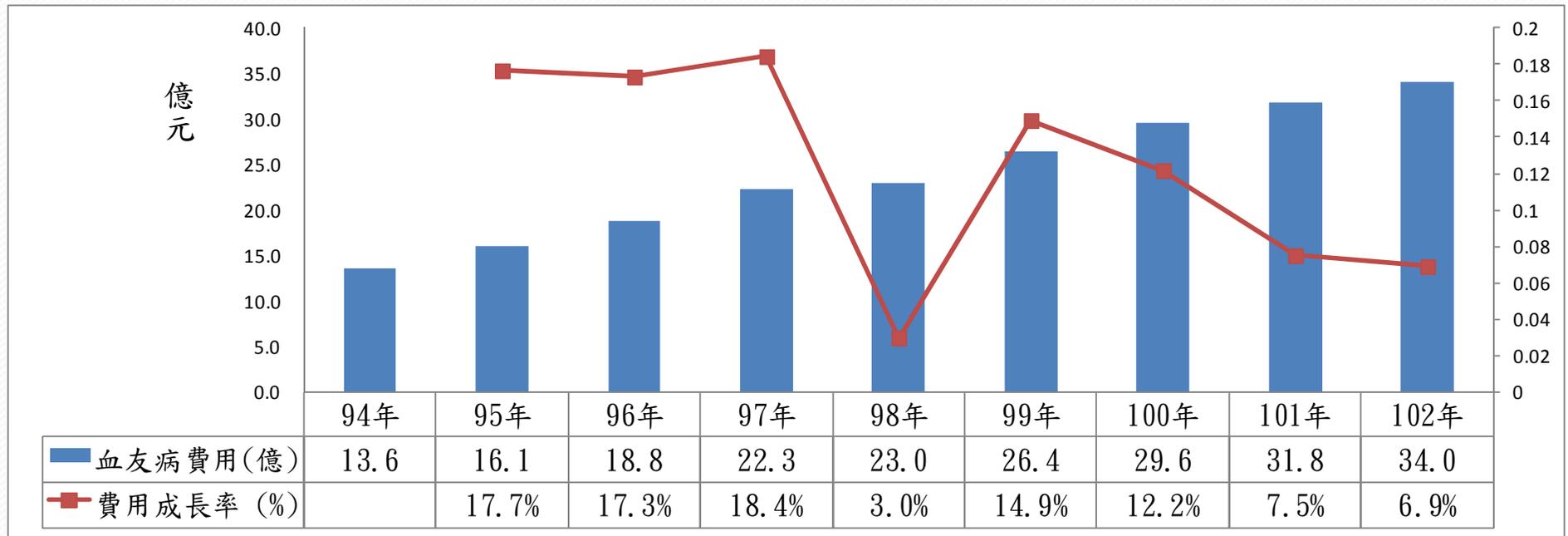
註：102年費用以第1季至第3季之結算數預估全年。



94~102年血友病專款支出(1/2)

- 血友病專款支出情形，94年為13.6億元，預估至102年約增為34億。
- 近五年費用成長率介於3%~14.9%間。

成長率



註：102年費用以第1季至第3季之結算數預估全年。



94~102年血友病專款支出(2/2)

血友病醫療利用情形：

- 就醫人數：94年666人，102年已增為815人；就醫人數每年有小幅成長。
- 平均藥費由每人205萬元，至102年已增為418萬元；平均每人就醫費用仍呈現正成長趨勢。

年度項目	血友病			
	人數	成長率	平均藥費(萬)	成長率
94年	666	-	205	-
95年	679	1.95%	237	15.4%
96年	689	1.5%	273	15.6%
97年	733	6.4%	304	11.3%
98年	760	3.7%	302	-0.7%
99年	768	1.1%	344	13.7%
100年	797	3.8%	372	8.1%
101年	806	1.1%	395	6.3%
102年	815	1.1%	418	5.7%
平均年成長率		2.6%		9.4%

註：血友病人數以列入專款結算人數計算，包含後天血友病；另因部分病人未使用專款藥物，故使用人數低於重大傷病領證人數。



先天性血友病病人人數 與死亡率變化

- 1999年先天性血友病病人547人，至2012年已增至800人，其血友病藥費亦由6.6億元(1999年)增為31.4億元(2012年)。
- 觀察歷年先天血友病病人死亡率之變化，1999年死亡為8.6%，且有逐年下降的趨勢，2012年已降至0.8%。

年度	人數	血友藥費 (億元)	死亡人數	死亡率	死亡年齡			
					平均數	最小值	中位數	最大值
88	547	6.6	47	8.60%	45	2	46	79
89	571	7.04	47	8.20%	48	4	49	87
90	590	7.18	45	7.60%	47	4	49	87
91	618	8.14	47	7.60%	47	4	49	76
92	621	9.41	39	6.30%	45	3	49	77
93	630	10.67	31	4.90%	45	3	49	80
94	662	13.74	23	3.50%	46	3	50	77
95	671	16	20	3.00%	50	19	51	79
96	682	18.92	16	2.30%	52	13	53	81
97	727	22.28	20	2.80%	53	1	55	92
98	752	22.97	17	2.30%	52	3	53	84
99	762	25.69	15	2.00%	52	3	59	73
100	792	28.73	9	1.10%	46	3	51	79
101	800	31.38	6	0.80%	55	36	54	77



研修血友病藥品給付規定

● 修訂重點

- 增訂第八、第九凝血因子治療原則及給付規範。
- 修訂第七凝血因子使用時機及期限。
- 增訂類血友病之治療藥物規範。
- 為確保病患攜回治療藥物的注射次數及劑量，並追蹤相關製劑的使用確保病人用藥安全，本次明訂病患應確實填寫全民健康保險血友病患者使用治療紀錄表，回診時攜回紀錄表及空瓶，供診治醫師作為診療參考。



結論

- 罕病與血友病醫療費用成長因子
 - 罕病人數每年約成長8.5%，平均每人藥費每年約成長17.2%；血友病人數每年約成長2.6%，平均每人藥費每年約成長9.4%，但罕病仍持續成長，主因為特殊罕藥單價非常高。
 - 新檢驗技術發展，發現過去未曾知悉的罕見疾病。
 - 新治療藥物之發展，讓病患死亡率下降，使用藥物時間延長。
 - 病人少，生產成本高，藥品單價偏高。
 - 此類病人不予治療將造成死亡，大多會接受治療，無替代療法。



未來展望

- **研修給付規定**

- 我國自84年全民健保開辦以來，對於血友病治療並未明訂臨床治療指引，惟為使臨床醫師可以遵行，讓血友病患得到標準照護及資源合理運用，應**明訂給付規定**。經邀集台灣血栓暨止血學會、中華民國血液病學會及臨床血友病專家研修血友病治療藥物給付規定，並**經共同擬訂會議通過**，將於**近期公告實施**。

- **持續監控血友病藥費之使用：**

- 本署已請各分區業務組加強血友病用藥審查，除有少數個案不符合用藥規定外，其餘均符合用藥規定，後續仍將持續監控血友病藥費使用之變化情形。



敬請指教！