



「罕見疾病、血友病藥費及新增 罕見疾病特材」費用成長之合理 性分析檢討報告

衛生福利部
中央健康保險署
104年4月24日



報告大綱

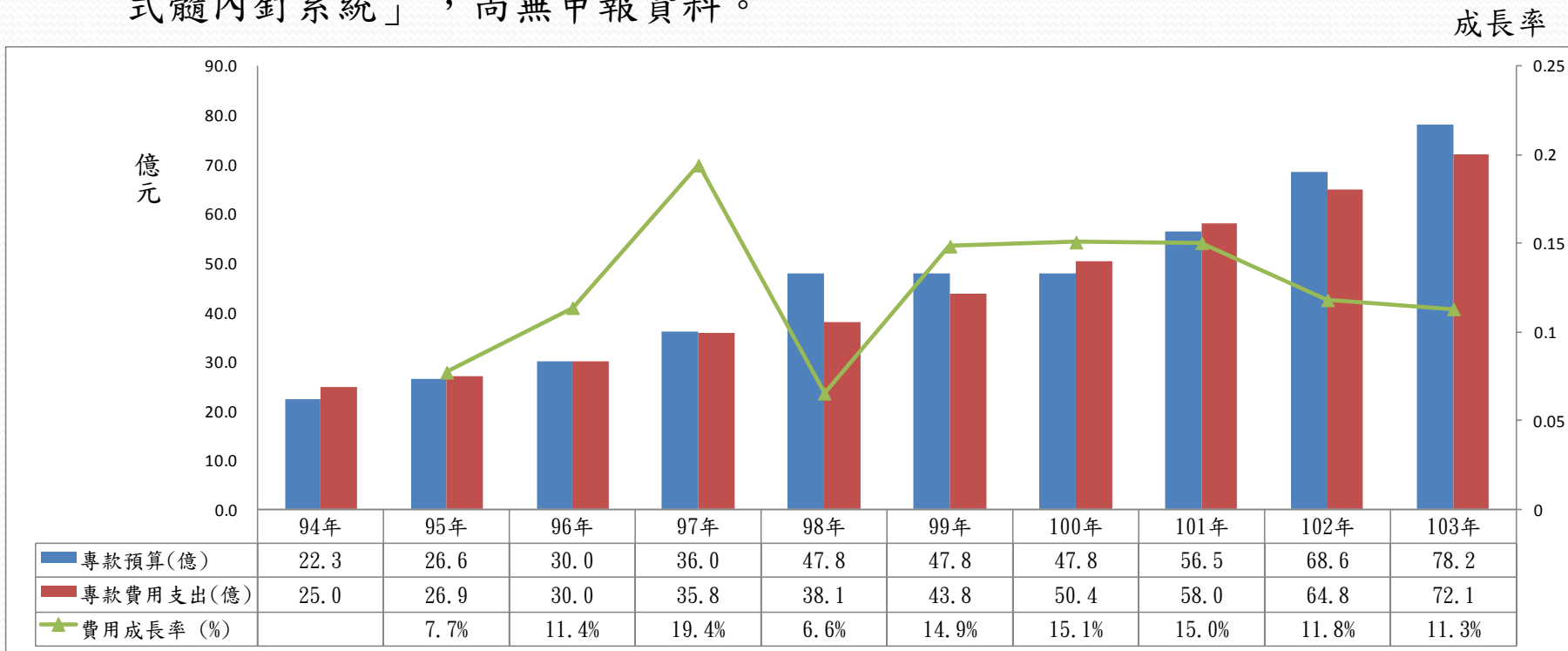
- 歷年專款預算與支出情形
- 罕見疾病重點分析
- 「罕見疾病、血友病藥費」之專業審查與管控措施
- 結論



罕病與血友病藥費專款與支出情形

罕病與血友病藥費自94年起協定以專款專用方式支應。

- 本項專款支出，94年為25億元，因罕病與血友病人數增加，且納入健保給付之罕病藥費單價高，藥費每年成長高，至103年已增為72億，而藥費成長率在本署合理監控下，近三年成長率逐年緩降。
- 104年起新增給付適用於玻璃娃娃的醫療器材「“沛佳”法斯樂-杜瓦伸縮式髓內釘系統」，尚無申報資料。

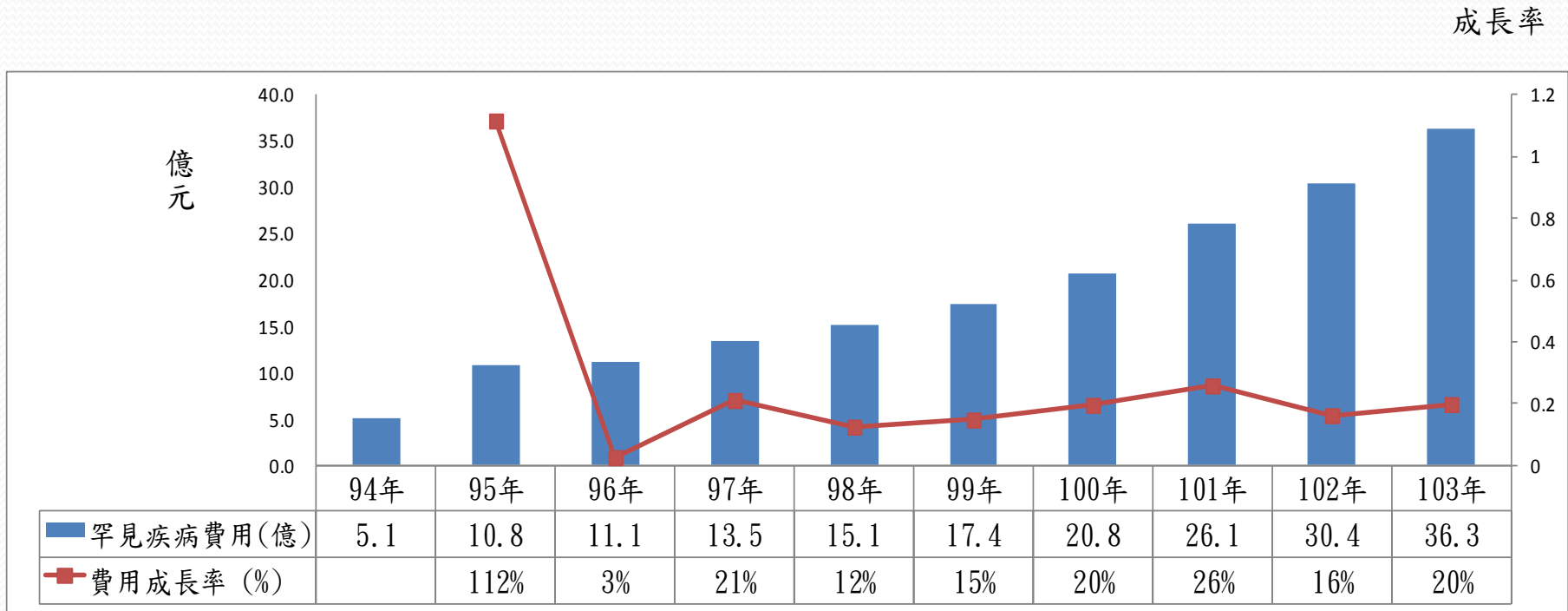


註：95年前本項專款包含愛滋藥費；103年費用以第1季至第3季之結算數預估全年。



罕病藥費專款支出情形(1/2)

- 罕病藥費專款支出情形，94年支出5.1億元，因罕病人數與納入健保給付之罕藥單價高，至103年藥費支出增為36.3億。
- 近五年藥費成長率介於15%~26%間。



註：103年費用以第1季至第3季之結算數預估全年。



罕病專款支出情形(2/2)

罕病醫療利用：

- 就醫人數：94年3,554人，103年已增為7,121人，較94年成長100%。
- 平均藥費94年為每人14萬元，至103年已增為51萬元，較94年成長254%；平均每人就醫藥費仍逐年增加，主要是近幾年納入健保之罕病藥費多屬單價高之罕藥。

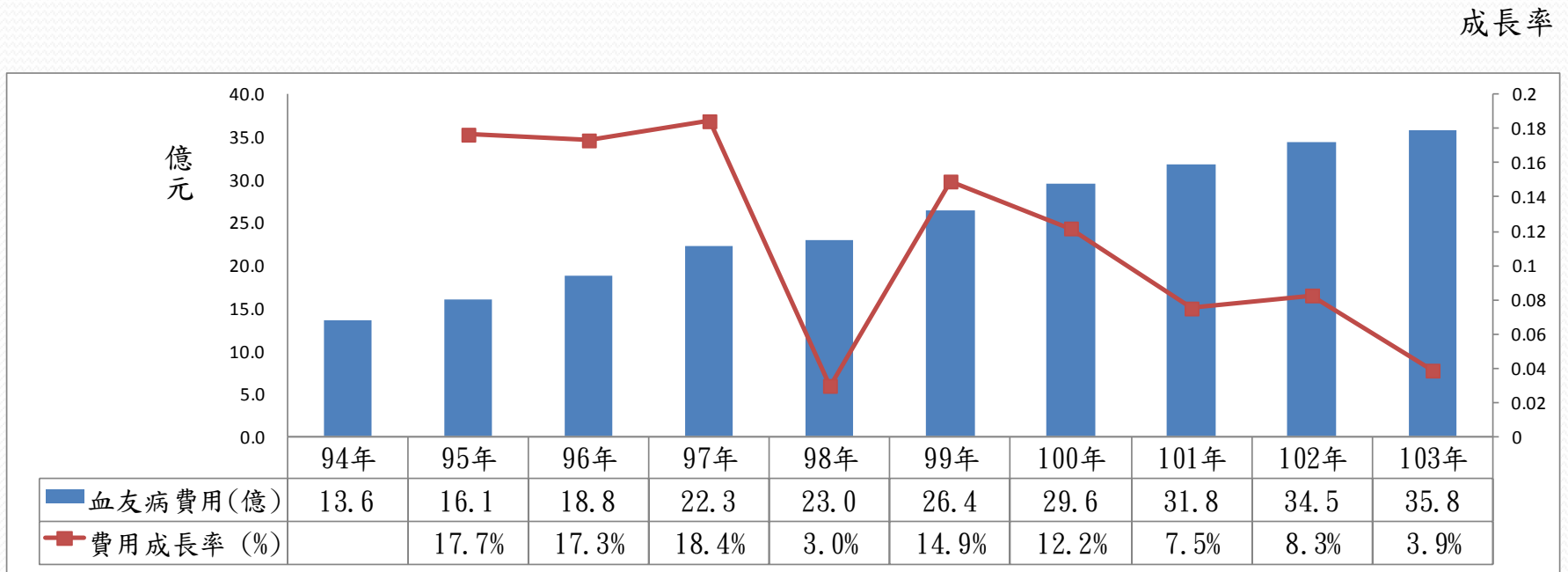
年度 項目	罕病			
	人數	成長率	平均每人 藥費(萬)	成長率
94年	3,554	-	14	-
95年	4,126	16.1%	26	82.2%
96年	4,679	13.4%	24	-9.5%
97年	5,312	13.5%	25	6.7%
98年	5,869	10.5%	26	1.8%
99年	6,151	4.8%	28	9.5%
100年	6,459	5.0%	32	13.8%
101年	6,543	1.3%	40	24.2%
102年	6,783	3.7%	44.7	12.3%
103年	7,121	5.0%	51.0	14.1%

註：103年費用以第1季至第3季之結算數預估全年。



血友病專款支出(1/2)

- 血友病藥費專款支出，94年為13.6億元，103年增為35.8億。
- 近五年費用成長率介於3.9%~14.9%間，經本署積極管控後，藥費成長率已趨平穩。



註：本表費用，94~98年只納入先天血友病，99年起納入後天血友病，103年起納入類血友病；103年藥費以第1季至第3季之結算數預估全年。



血友病藥費專款支出(2/2)

血友病醫療利用：

- 就醫人數：94年666人，103年已增為867人，較94年成長30%。
- 平均藥費：94年每人205萬元，至103年已增為413萬元，較94年成長101%，但因本署持續審查與管控，每人藥費成長幅度已減緩。

年度項目	血友病			
	人數	成長率	平均每人藥費(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	813	0.9%	424	7.1%
103年	867	6.6%	413	-2.6%

註：血友病人數以列入專款結算人數計算，94~98年只納入先天血友病，99年起納入後天血友病，103年起納入類血友病；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。



103年罕病藥費之前10名罕病

- 支出藥費高且每人藥費高之罕見疾病：主要為法布瑞氏症(Fabry)、黏多醣症、肝醣儲積症與高雪氏症(Gaucher)。

罕病排序/罕病名稱	103年人數			103年藥費			
	值 (人)	成長率 (%)	占率 (%)	值 (百萬)	成長率 (%)	占率 (%)	每人藥費 (萬)
罕病總計	7,121	4.61	100.0	3,054	16.41	100.00	43
前10名合計	2,237		31	2,836		93	127
1 法布瑞氏症	117	17.0	1.6	887	25	29	758
2 黏多醣症	73	1.4	1.0	555	11.4	18.2	761
3 肝醣儲積症	100	7.5	1.4	405	20.6	13.3	405
4 原發性肺動脈高壓	263	14.9	3.7	373	27.7	12.2	142
5 多發性硬化症	1,035	7.5	14.5	225	14.8	7.4	22
6 高雪氏症	23	0.00	0.3	212	3.8	6.9	920
7 重型海洋性貧血	213	-13.8	3.0	79	-16.9	2.6	37
8 肌萎縮性側索硬化症	335	0.3	4.7	15	-4.5	0.5	5
9 紫質症	58	-1.7	0.8	43	1.0	1.4	74
10 陣發性夜間血紅素尿症	20	11.1	0.3	41	128.2	1.4	207

註：資料來源：健保署二代倉儲系統門診明細、交付機構明細、住院明細檔、重大傷病領證檔（104.02.11擷取）

◎資料範圍：重大傷病就醫案件(部分負擔代碼='001'之案件)，且不含代辦案件。

◎人數：以ID、BIRTHDAY 進行歸戶。

◎醫療點數：申請點數+部分負擔。

◎成長率：與去年同期比較之成長率，單位為百分比。

◎罕見疾病：該年持有有效之重大傷病卡（罕病註記為Y者）之重大傷病就醫案件納入統計。



主要罕病病情與治療介紹

- **黏多醣症**：自95年納入健保，個案會黏多醣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。
- **肝醣儲積症(龐貝氏症)**：需長期持續使用酵素療法MYOZYME治療，因為病人少，酵素生產成本高，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，藥品生產成本高，致藥品單價高，且無替代用藥，因此個案整體藥費高。



「罕見疾病、血友病藥費」 之專業審查與管控措施



藥費審查與管控措施(1/3)

* 罕見疾病

● 事前審查

- 依據全民健康保險法第42條、全民健康保險醫療費用申報與核付及醫療服務審查辦法第25條及相關規定辦理。
- 現有給付之罕見疾病藥物中，27項需申請事前審查，103年申請案件共1,532件，核定同意或部分同意共1,333件，核准率87.01%。

● 專業審查

- 103年專款罕藥專業審查共1,453筆醫令，其中核減20筆醫令，核減點數合計239萬點。



藥費審查與管控措施(2/3)

*血友病

● 專業審查

本署103年針對凝血因子醫令進行專業審查，605筆醫令，其中核減38筆醫令，核減點數587.5萬點。

● 落實血友病凝血因子藥品使用追蹤管理

- ① 修訂藥品給付規定(103年4月1日)，明訂在家治療病患應確實填寫治療紀錄表，回診時攜回紀錄表及空瓶，供診治醫師作為診療參考，並追蹤相關製劑的使用，確保病人用藥安全。
- ② 定期查核區域以上醫院之凝血因子批號登載、空瓶回收及在家治療紀錄單實行狀況。
- ③ 針對查有異常醫院，持續實地審查凝血因子空瓶數量及批號登載作業直至改善，不合規定之醫院予以輔導改善及核減費用。



藥費審查與管控措施(3/3)

● 改善血友病個案跨區跨院領取凝血因子之就醫型態

- 本署分析發現部分血友病個案有跨區跨院領取凝血因子藥物之情形，故研擬以下之管控措施：
 - ① 定期統計門診申報凝血因子藥費金額最高前30名血友病個案之就診院所，由本署各分區業務組發送組長親筆信函，提醒醫療機構端加強管理，輔導病患固定就醫。
 - ② 建置健保雲端系統「特定凝血因子用藥」查詢頁籤，並輔導院所建立診間掛號系統提示註記，提醒看診醫師查閱個案之凝血因子領藥明細及就醫型態。

✳ 定期於醫院總額研商議事會議，報告罕病與血友病之醫療利用與管控措施，請相關單位共同配合以合理管控藥費支出。



血友病高費用初步控管成效

102年個案凝血因子藥費排行	102年凝血因子藥費(百萬)	103年凝血因子藥費(百萬)	藥費差距(百萬)
1	88.4	64.4	-24.1
2	65.4	63.9	-1.4
3	59.3	42.7	-16.6
4	50.3	51.4	1.1
5	47.9	60.3	12.4
6	46.5	19.7	-26.7
7	44.9	38.4	-6.5
8	43.7	45.9	2.1
9	38.5	41.6	3.1
10	35.1	18.1	-17.1
11	35.0	28.5	-6.5
12	35.0	39.6	4.6
13	30.7	19.7	-11.0
14	28.6	20.6	-8.0
15	25.7	33.2	7.5
16	24.3	24.3	0.0
17	23.1	17.5	-5.6
18	22.7	15.9	-6.8
19	22.5	23.1	0.7
20	22.1	0.0	-22.1
合計			-120.9



結論

- ◆ 罕病藥費成長主因：罕病人數增加與新增罕藥單價高，使整體罕病藥費成長高。
 - * 新罕見疾病檢驗技術發展，發現過去未曾知悉的新罕病；且新罕病治療藥物之發展，讓病患死亡率下降，罕病人數逐年緩步增加。
 - * 罕病病人少，罕藥生產成本高，因此罕藥單價高；且此類病人不予治療將造成死亡，無替代療法，大多會長期接受罕藥治療，因此罕藥費用成長高。
- 血友病藥費成長，在本署積極加強審查與管控下，藥費成長幅度已明顯下降。
- 本署將持續辦理罕見疾病與血友病用藥審查，以合理管控藥費。



敬請指教！



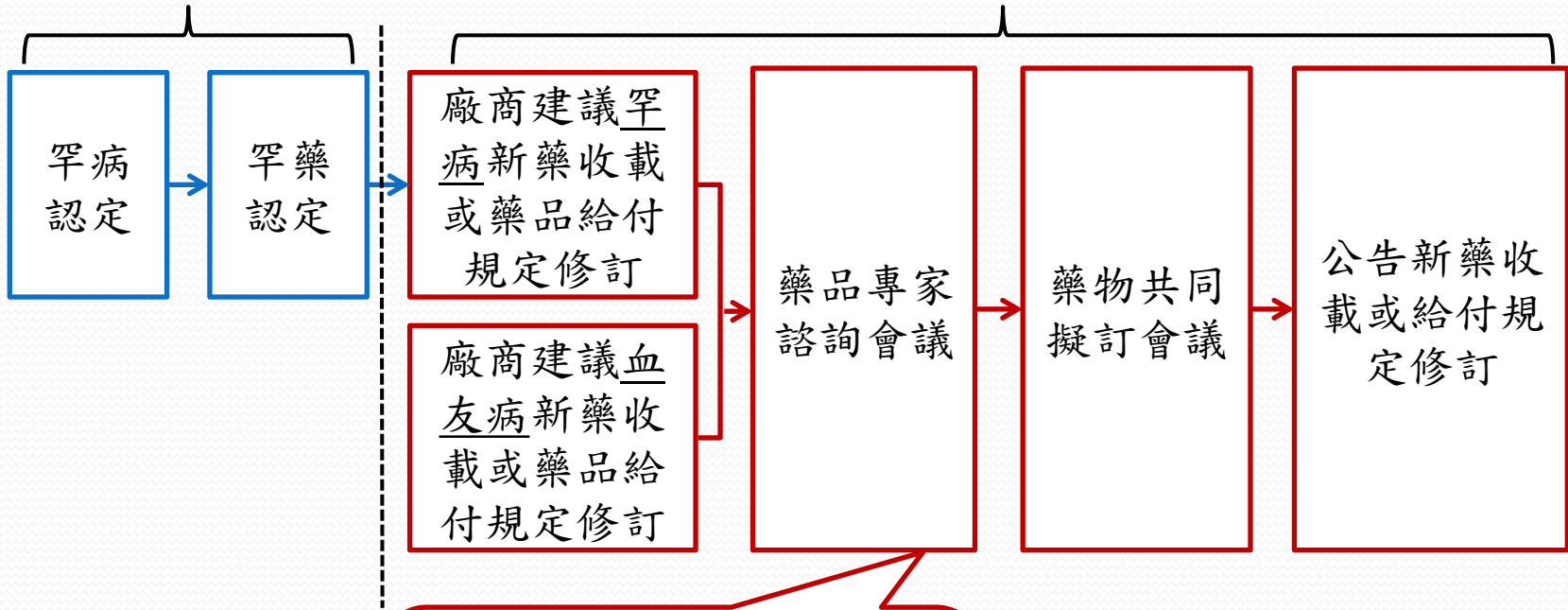
備參資料



罕見疾病及血友病用藥 健保給付審議流程

由罕病法主管機關公告認定

依健保法第41條辦理之給付擬訂程序



1. 罕藥案件邀請罕見疾病及藥物審議會專家學者共同討論
2. 給付規定修訂另徵詢相關專科醫學會意見
3. 醫療科技評估(HTA)



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亦補助健保1億餘元。
- 104年1月14日公告新增「罕見疾病防治及藥物法」第15-1條，規定「罕見疾病藥物經中央主管機關查驗登記或專案申請核定通過，依全民健康保險藥物給付項目及支付標準之收載程序辦理時，應徵詢審議會之意見」。



申請列入罕見疾病流程(1/2)

- 罕見疾病之認定：

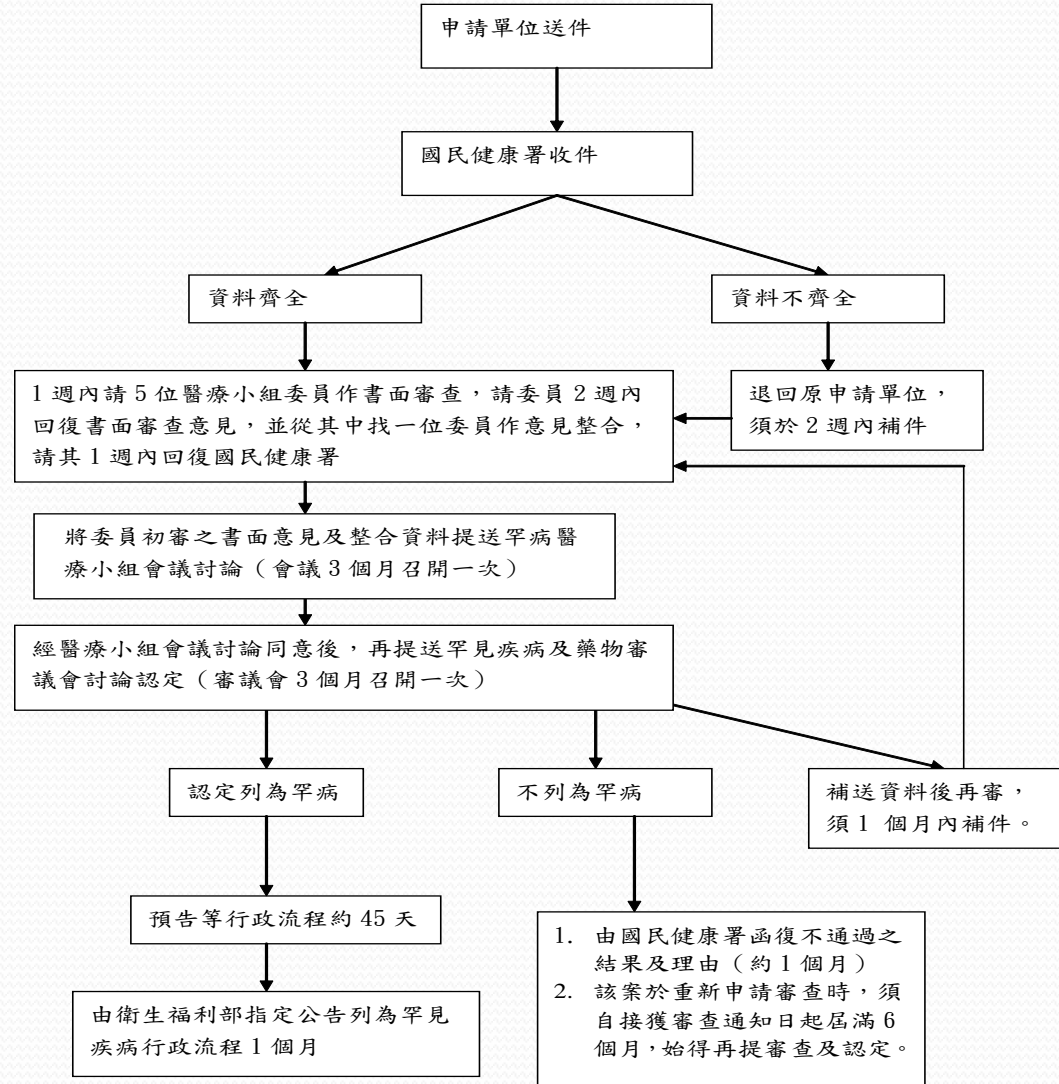
- 目前罕見疾病之認定，除以**疾病盛行率萬分之一**以下為參考基準外，並經「罕見疾病及藥物審議委員會」審議認定，其考量原則包含：罕見性、是否需要遺傳諮詢或有利於疾病防治、診斷治療困難及疾病嚴重度等原則。
- **3項罕見疾病審議認定排除條款，不可申請及認定為罕見疾病：**
 - **人為外在因素所造成之疾病或傷害**，例如：重大交通事故、公害及食品中毒事件等。
 - **後天因素所引起之疾病或傷害**，例如：傳染性疾病、因腫瘤所引起之相關疾病。
 - **癌症**。



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。

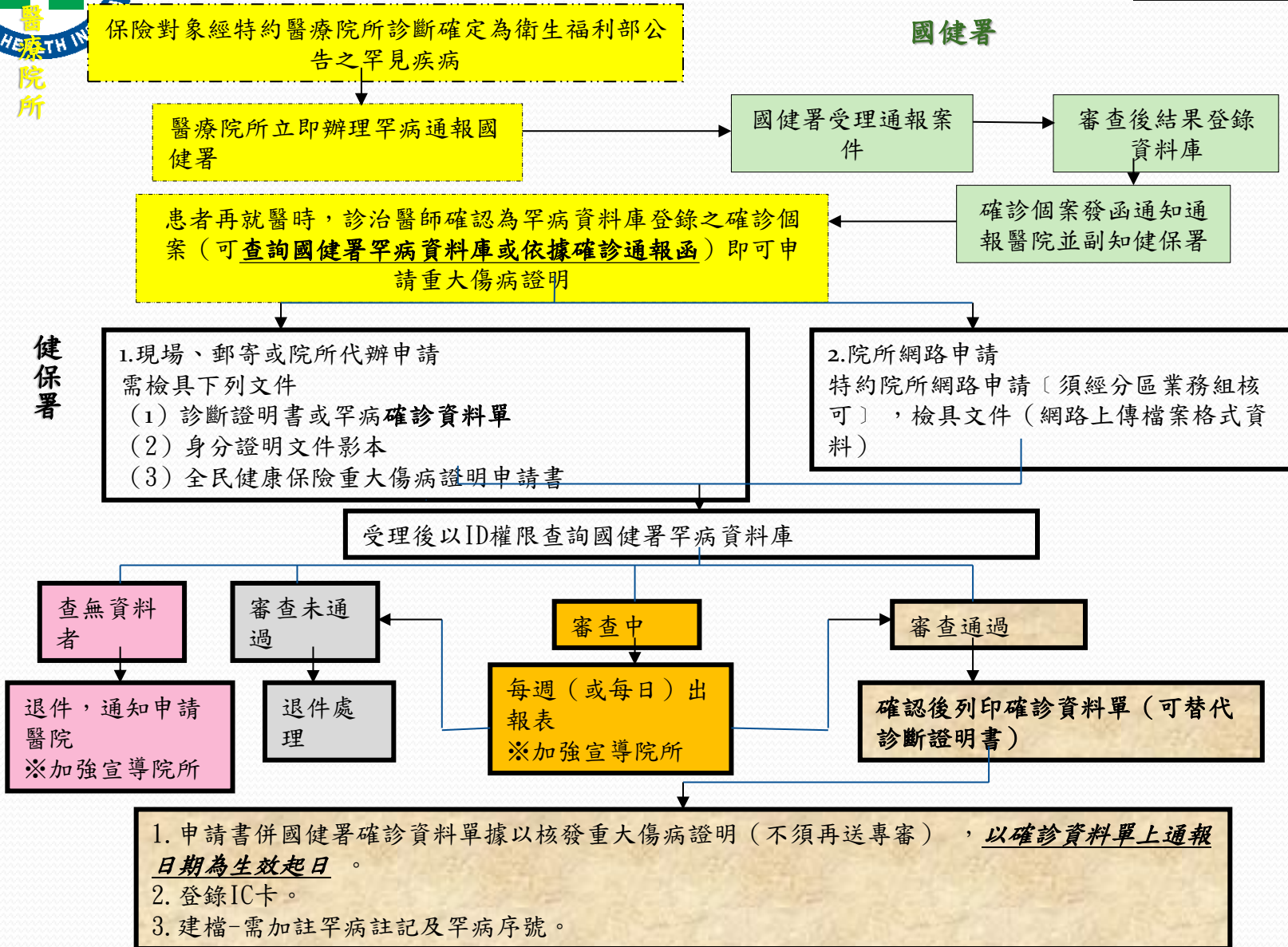
申請列入罕見疾病流程圖



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104年3月底止，已新增63項罕見疾病納入健保給付範圍，共計205種罕病。
- 100年後新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	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	1021213
巴氏症候群	759.89	1021213
Beta硫酸酶缺乏症	270.3	1021213
肢帶型肌失養症	359.1	1021213
普洛提斯症候群	759.89	1021213
MECP2 綜合症候群	330.8	1031223
Branchio-Oto-Renal 症候群 (BOR 症候群)	759.89	1031223
腦肋小頷症候群	759.89	1031223
先天性中樞性換氣不足症候群	327.25	1040312

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
103	4
總計	63



納入健保給付之罕病用藥(1/2)

- 納入健保給付用藥，本署皆定期公布於全球資訊網。

月07日星期二 臺北市 19°C-21°C [回首頁](#) [網站導覽](#) [兒童園地](#) [友善連結](#) [人才招聘](#) [English](#) [行動版](#) [RSS](#) [FAQ](#) [雙語詞彙](#) [政風園地](#)

衛生福利部中央健康保險署
NATIONAL HEALTH INSURANCE ADMINISTRATION,
MINISTRY OF HEALTH AND WELFARE

全文檢索：
請輸入您想查詢的關鍵字

認識健保署 健保法令 資訊公開 e化圖書館 主題專區 資料下載 意見信箱 訂閱專區 QR-CODE

顏色選擇： 現在位置：首頁 > 藥材專區 > 藥品 字級設定：

藥材專區

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

- 健保用藥品選用「罕見疾病防治及藥物法」之品項檔(104.03.10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(103.09.01更新)

更新日期：2015/03/10

訊息回饋 (投下您對這則訊息的感覺)

好用 高興 不錯 鼓勵 好奇 納悶 沒用

NATIONAL HEALTH INSURANCE ADMINISTRATION, MINISTRY OF HEALTH AND WELFARE

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。

序號	藥品名稱	適應症	最後生效日	最後價格
1	REMODULIN	原發性肺高血壓	102.08.01	189,072
2	SOLIRIS	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	101.04.01	181,380
3	Fabrazyme	用於治療alpha-galactosidase A 缺乏症患者(即 Fabrazyme disease)，提供長期酵素補充治療。	93.10.01	181,173
4	Ammonul	限用於先天性尿素循環代謝障礙之 <u>急性血氨症</u> 及伴隨腦部病變	99.02.01	101,159
5	REPLAGAL	用於治療α-GALACTOSIDASE A缺乏患者(即 <u>FABRY DISEASE</u>)，提供長期酵素補充治療。	104.02.01	100,467
6	ELAPRASE (IDURSULFASE)	治療韓特氏症(<u>黏多醣症</u> 第二型，MPS II)	102.08.01	92,601
7	NAGLAZYME	<u>黏多醣症</u> 第6型(mucopolysaccharidosis VI)	95.01.25	81,600
8	TYSABRI	多發性硬化症(Multiple Sclerosis)	102.12.01	75,000
9	CEREZYME 400U	第一型 <u>高雪氏症</u>	103.08.01	66,684
10	Remodulin	原發性肺高血壓	95.07.01	42,016
11	Cerezyme	TYPE 1 <u>高雪氏症</u> (Gaucher's disease)	97.07.01	39,758
12	Myozyme	<u>龐貝氏症</u>	94.07.19	33,893
13	Cystadane	治療高胱氨酸尿症	92.10.01	32,067
14	Aldurazyme	<u>黏多醣</u> 儲積症第一型	97.07.01	31,539
15	ALDURAZYME	<u>黏多醣</u> 儲積症第一型	102.08.01	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

- **先天性血友病藥費** (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。
- **後天性血友病藥費** (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】。
- **類血友病藥費** (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】。