

立法院第 10 屆第 7 會期

社會福利及衛生環境委員會第 9 次全體委員會議

急重罕病病友與病友家庭之  
支持協助及關懷現況  
(書面報告)

報告機關：衛 生 福 利 部

報告日期：112 年 4 月 19 日

主席、各位委員女士、先生：

今天 大院第 10 屆第 7 會期社會福利及衛生環境委員會召開全體委員會議，本部承邀列席報告，深感榮幸。茲就急重罕病病友與病友家庭之支持協助及關懷現況，提出專案報告。敬請各位委員不吝惠予指教。

## 壹、背景

罕見疾病(以下簡稱罕病)難以治癒，且在許多罕病家庭中，病人的家人是主要照顧者，肩負長期照顧病人的責任，罹患罕病對病人與其家人的生理、心理、經濟及社會等層面均造成衝擊與壓力。為了加強照顧罕病病人，我國於 89 年通過施行「罕見疾病防治及藥物法」(下稱罕病法)，為全球第 5 個立法保障罕病的國家，其立法內涵，除了協助病人取得治療所需藥物及提供相關醫療補助外，亦從防治層面預防罕病發生，並獎勵與保障該藥物的供應製造與研發。此外，為擴及病人家屬的照顧，亦橫向連結跨部門及外部民間資源，透過醫療、照護、社會福利等多元支持管道，期能提供罕病病人全人、全家、全程、全團隊、全社區的照護。

## 貳、依罕病法規劃及推動各項罕病病人及其家庭之支持措施

- 一、 建立完善之罕病審議認定及個案通報系統，掌握國人罹患罕病現況，及時提供病人與其家屬所需協助。全國各醫療機構與相關專科醫師等，於發現病人罹患具罕見性

(盛行率萬分之一以下)、嚴重度高、診斷與治療困難之疾病時，提經本部罕見疾病及藥物審議會審議認定通過，並公告列入罕病後，由醫事人員依罕病法通報並於專家審查通過後，列為罕病個案。透過前述罕病認定與個案通報機制，掌握亟需被關懷照顧之罕病家庭，以提供或協助取得相關照顧資源。截至 112 年 2 月已公告認定共 241 種罕病，通報 1 萬 9,973 案(其中死亡 4,187 案)。

二、辦理「罕見疾病照護服務計畫」，結合民間醫療機構伙伴力量，建構罕病家庭照護服務支持網絡。與全國 13 家分布於北、中、南、東各區具罕病治療經驗之醫院合作，設置可近性且跨專業領域的罕病照護服務團隊，各照護團隊自關懷病人與家屬的角度，以個案管理及分級照護模式，提供罕病病人及其家屬罕病照護服務；截至 112 年 2 月，已累計服務 7 千多個罕病家庭。主要照護服務內容及成果如下：

(一)「罕見疾病照護服務計畫」之合作醫院，設置罕病照護服務團隊，由院內不同部門之醫療與相關專業人員組成，包括醫師、個案管理師、護理師、心理師、社工師、營養師、遺傳諮詢人員等，各以其專業共同照護罕病家庭。

(二)罕病照護服務團隊於罕病家庭同意加入罕病照護計畫後，進行病人及其家庭之需求評估訪談，並據以擬訂個別化照護計畫，由團隊提供以照護諮詢、說明疾病

影響、心理支持、生育關懷等四大面向為核心之照護服務，並依罕病家庭需求協助對外連結全民健康保險居家醫療照護、長期照顧服務、心理健康資源、社會福利(身心障礙、就業輔導等)及民間病友團體(如：罕見疾病基金會)等資源。

(三)照護團隊透過電訪、家訪、病人回診或住院等方式關懷案家，瞭解所提供服務是否滿足案家需求或有新需求，並依病人疾病各病程階段需求定期討論，俾調整計畫以提供適切的照護服務。111 年提供照護類別，以照護諮詢 15,597 人次為最多，其次為告知疾病影響 10,071 人次、心理支持 9,471 人次、生育關懷 1,197 人次。

(四)辦理各類活動，提供案家心理支持、抒壓及汲取疾病新知之管道，透過照護團隊、病友及其家庭間的關懷與陪伴，使其在與疾病共存的路上，獲得支持力量。

(五)辦理照護服務滿意度調查，蒐集病友與其家屬意見，以精進照護服務品質。111 年，共回收 3,145 份問卷，案家對整體照護服務感到滿意以上者達 96% 以上，正向肯定留言 727 則，並就案家之建議，調整照護服務以更貼近病人家庭需求。

三、協助罕病病人取得治療藥物，增進病人用藥可近性。鼓勵罕藥查驗登記，包含 10 年市場專屬期、減免需檢附十

大醫藥先進國採用證明之資料要求、免除樣品送驗，以及罕藥查驗登記規費減免(約是一般藥品的 1/3)，並提供諮詢輔導管道，協助藥商取得藥物許可證，同時透過嚴謹的審查機制，把關罕藥安全及療效。此外，針對無法立即在我國取得許可證之罕藥，提供專案取得管道，醫療機構、罕病病人與家屬及相關基金會等，可提出藥物專案申請，並簡化其專案進口流程，讓病人能及時取得罕藥。此外，亦獎勵相關藥物供應、製造及研究發展。並自 103 年 6 月 17 日起凡經罕見疾病及藥物審議會藥物小組會議討論，建議認定為罕藥，即可向健保署建議收載，可節省等待罕藥公告時間。

四、提供罕病病人醫療補助雙重安全網，除了健保醫療給付外，針對依全民健保法未能給付之罕病醫療費用，編列預算，補助包括：國內確診檢驗、國外代行檢驗服務、居家醫療器材租賃、營養諮詢、緊急用藥、治療、藥物、低蛋白米麵等醫療費用，中低收、低收入戶全額補助，一般民眾補助 80%，並設置罕病醫療補助單一窗口，縮短民眾申辦時間。111 年共計補助 3,123 人次。

五、針對依健保法未能給付之相關補助項目，持續檢討修正，提供病人友善申請機制。如於 111 年為提升支持性及緩和性照護補助利用率，蒐集病友意見，研議後，優先針對病人需求度高之傷口敷料、血糖試紙/採血針及裝置假牙等 3 項目，訂定具體補助標準並公告，鼓勵符合補助

標準之病人善加利用，以減輕病人家庭經濟負擔。

- 六、設置罕見疾病特殊營養食品暨緊急需用藥物物流中心，協助病人取得維持生命所需特殊營養食品及緊急需用罕病藥物，並提供全額補助。111 年共計統籌儲備特殊營養食品計 49 品項，補助 1,270 人次，配送 2 萬 3,603 罐；儲備緊急需用藥物 10 品項，緊急供應 13 人次。
- 七、提供病友團體推薦代表能參與罕病相關事項之決策過程討論與審議。本部「罕見疾病及藥物審議會」委員包含病友團體代表，針對罕病、罕藥、特殊營養食品認定與補助及國際醫療合作等之審議、罕病防治及其他有關事項之諮詢，自病人角度發聲，確保病人需求有效傳遞。此外，健保署於 104 年建置「新藥及新醫材病友意見分享平台」，病友可透過平台提供建言，納入藥物共擬會議、醫療科技評估之參考。
- 八、持續透過宣導及辦理罕病防治工作獎勵補助，促進社會各界認識罕病並進而參與罕病事務，支持罕病家庭。包括：依「罕見疾病防治工作獎勵及補助辦法」，補助各級醫療機構、研究機構及罕病相關團體，進行罕病防治相關研究、學術交流及宣導等；持續辦理罕病防治宣導活動，讓社會大眾了解罕病，進而尊重及協助周遭罕病家庭，同時協助宣導病友政府相關罕病措施；與病友團體建立溝通管道，作為政府與病人間的溝通橋樑，了解病友需求與問題，提供符合其需求措施與服務。

### 參、持續強化全民健康保險罕病醫療與用藥之保障

- 一、針對罕病病友所需之療效及安全性尚未確定但有臨床未滿足需求（unmet medical need）新藥，已建立多元風險分攤模式，與藥商協議暫時性給付或以療效為基礎（outcome-based）之還款方式，一方面提升病人新藥之可近性，另一方面也將做有效之合理運用，無效益者釋出額度以利收載其他新藥，因此定期評估療效及成本效益，滾動式修訂藥品給付規定是現行較為有效之管理模式。
- 二、罕病用藥及特殊品項不列入每年例行性藥價調整，以較具彈性之方式(參考其罕藥十國藥價及成本價)檢討。且為利瞭解藥品給付後治療效益，針對特定藥品建置個案登錄系統，以本土真實世界數據作為評估臨床療效之用。
- 三、本部向來極為關心罕病病友的醫療權益，且照顧民眾及弱勢團體的健康亦是政府的責任，罕病於 91 年 9 月起全數納入重大傷病範圍，罕病病人可免除就醫部分負擔，且為避免少數罕病病人使用高額醫療費用而受到健保總額排擠，自 94 年起編列「罕見疾病與血友病藥費」專款，110 年度罕病之健保藥費達 73.1 億元。惟健保總額費用是固定，健保資源之運用仍須考量病人、醫界及藥界等多面向的需求。因此，「錢得用在刀口上」，若用藥無效，則應適時停藥，不排擠其他病人用藥權益，亦能使健保永續經營。此外，也請廠商積極踐行企業社會責

任，向健保署建議收載時，應提出合理且具健保可支付的價格，共同合作減少不必要的協議時間，讓亟需新藥治療之病友能及早獲得健保支持，減輕經濟負擔。

#### 肆、連結跨部門資源，提供長期照顧、社會福利等多元之支持管道

- 一、罕病病人取得身心障礙證明後，由各地方政府進行需求評估，依評估結果提供身心障礙者權益保障法(以下稱身權法)第 50 條個人支持及照顧服務，包括日間與住宿式照顧、家庭托顧等，及身權法第 51 條家庭照顧者支持服務，包括臨時及短期照顧、照顧者支持、照顧者訓練與研習、家庭關懷訪視等。另在經濟支持部分，可依身權法第 71 條向地方政府申請經費補助，包括生活補助、日間照顧及住宿式照顧費用補助、輔具費用補助等多項經濟支持，減輕家庭負擔。
- 二、罕病病人若符合長期照顧服務請領資格，政府提供照顧服務(包含居家服務、日間照顧及家庭托顧)、喘息服務、交通接送、專業服務、輔具及居家無障礙環境改善、營養餐飲服務、長期照顧機構服務、家庭照顧者支持服務、小規模多機能服務、銜接出院準備服務等。
- 三、辦理家庭照顧者支持服務，提供減輕家庭照顧者負荷與壓力之各項支持性服務，包括服務資訊之提供及轉介、長照知識及技能訓練、喘息服務、情緒支持及團體服務

之轉介及其他有助於提升家庭照顧者能力及其生活品質之服務，並依服務對象個別化需求，連結相關服務，期望協助罕病家庭提升照顧能力及其生活品質。

## 伍、結語

本部深刻瞭解罕病病人與其家庭面對之醫療照護、經濟及社會等困境，與一般病人不同，且隨著公告罕病種類及人數的逐年增加，持續整合醫療、社會資源、支持服務系統及社會大眾力量，以建構罕病專業照護及友善關懷的環境，已是落實罕病法加強照顧罕病病人不可或缺的一環。因此，本部將持續依罕病法，協助病人取得藥物與特殊營養食品、補助依健保法未能給付之醫療費用，更與醫院合作提供罕病病人及其家庭個案照護服務機制，橫向連結政府部門間長期照顧、喘息服務、身心障礙等服務，並對外擴展與民間資源之合作，提高公眾對罕病的認知和關注，讓病友和病友家庭能夠得到充分的醫療和社會支持，達到罕病法加強照顧罕病病人之目的。

本部承 大院各委員之指教及監督，在此敬致謝忱，並祈各位委員繼續予以支持。