

衛生福利部罕見疾病及藥物審議會
第 69 次會議紀錄

時間：112 年 3 月 31 日（星期五）上午 9 時 30 分

地點：本部 209 會議室及視訊會議

主席：周主任委員志浩

紀錄：張技士巧燁

出席委員：遲委員景上、郭委員鐘金、吳委員秀梅（林專門委員意筑代）、
吳委員昭軍

視訊委員：林委員秀娟、林委員炫沛、邱委員寶琴、吳委員瑞美、黃
委員英霓、黃委員碧桃、陳委員珮蓉、陳委員莉茵、彭委
員純芝、葉委員建宏、蔡委員輔仁

請假委員：康委員照洲

本部食品藥物管理署 黃科長玫甄、劉副審查員思岑、林助理審
查員佩儀

本部中央健康保險署 杜科長安琇、陳專員珽如

本部國民健康署 魏副署長璽倫、林組長宜靜、陳簡任技正
麗娟、張科長櫻淳、藍技正佳斐、沙科員
芸飛、陳曼緯

壹、主席致詞

貳、確認第 68 次會議紀錄。

決定：確定。

參、報告案

第一案：第 68 次會議決議追蹤辦理情形。

決定：序號 1「將 Schaaf Yang 綜合症納入 Prader-Willi Syndrome 之妥適性案」案、序號 2「各單位函請審查列入罕見疾病名單（黑尿症）」案、序號 3「建議修訂『罕見疾病特殊營養食品暨緊急需用藥物物流中心管理原則』」、序號 4「罕見疾病特殊營養食品『PFD2』，新增適應症『非酮性高甘胺酸血症』、『高胱胺酸尿症』、『甲基丙二酸血症』案」、序號 5「罕見疾病特殊營養食品 Glycosade 及其適應症『肝醣儲積症』新增之條件案」，同意解除列管。

肆、審議案（共 4 案）

第一案

提案單位：國民健康署

案由：各單位函請審查列入罕見疾病名單（脊椎骨骺幹骺端發育不全，共 1 案），提請討論。

決議：同意第 73 次「罕見疾病及藥物審議會-醫療小組」會議審查結果，「脊椎骨骺幹骺端發育不全」暫不列入公告罕病之疾病，並函復申請單位審查意見，俟修正相關資料後再送審查。

第二案

提案單位：國民健康署

案由：建議修訂「罕見疾病維持生命所需之特殊營養食品暨緊急需用藥物物流中心管理原則」，提請討論。

決議：同意第 73 次「罕見疾病及藥物審議會-醫療小組」會議審查結果，惟為使語意簡明並符合行政文書統一用語，修訂名稱及相關文字，修訂後之「罕見疾病維持生命所需之特殊營養食品及緊急需用藥物物流中心管理原則」(附件 1)，公告於國健署網站提供參考。

第三案

提案單位：食品藥物管理署

案由：罕見疾病藥物認定(共 2 案)。

決議：同意第 129 次及第 130 次「罕見疾病及藥物審議會-藥物小組」會議審查結果，請食藥署依程序辦理預、公告程序。

第四案

提案單位：食品藥物管理署

案由：罕見疾病藥物查驗登記案、適應症變更案(共 3 案)。

決議：同意第 129 次及第 130 次「罕見疾病及藥物審議會-藥物小組」會議審查結果，請食藥署依程序辦理預、公告程序。

伍、臨時動議：無。

陸、散會：上午 10 時 10 分

附件 1、罕見疾病特殊營養食品及緊急需用藥物物流中心管理原則

中華民國 95 年 6 月 13 日「罕見疾病及藥物審議會」第 17 次會議決議

中華民國 95 年 8 月 9 日國健婦字第 0950400872 號函發布執行

中華民國 99 年 9 月 10 日「罕見疾病及藥物審議會」第 24 次會議決議修正

中華民國 100 年 8 月 23 日「罕見疾病及藥物審議會」第 27 次會議決議修正

中華民國 101 年 10 月 5 日「罕見疾病及藥物審議委員會」第 29 次會議決議修正

中華民國 112 年 3 月 31 日「罕見疾病及藥物審議委員會」第 69 次會議決議修正

壹、緣起

衛生福利部(以下簡稱衛福部)為加強照顧罕見疾病病人(以下簡稱病人)，依據「罕見疾病防治及藥物法」(以下稱罕病法)及「罕見疾病醫療照護費用補助辦法」(以下稱補助辦法)之規定，應編列預算，補助依全民健康保險法未能給付之罕見疾病診斷、治療、藥物及維持生命所需之特殊營養食品費用。依罕病法第三十四條之一規定，衛福部應協助各診療醫院及病人，維持生命所需之特殊營養食品及需用罕見疾病適用藥物之緊急取得。

依罕病法第三條第二項及第三項規定略以：「...本法所稱罕見疾病藥物，...其主要適應症用於預防、診斷、治療罕見疾病者。」「...維持生命所需之特殊營養食品，...主要適用於罕見疾病病人營養之供應者」。又依補助辦法第三條第一項第七款規定，「經中央主管機關公告之罕見疾病藥物及維持生命所需之特殊營養食品費用」，得依該辦法申請補助。

綜上，爰由衛生福利部國民健康署(以下簡稱健康署)統籌設置「罕見疾病特殊營養食品及緊急需用藥物物流中心」(以下簡稱物流中心)，以協助各診療醫院及病人取得維持生命所需之特殊營養食品及緊急需用之罕見疾病適用藥物。

貳、物流中心之服務項目

- 一、儲備及統籌供應罕見疾病病人所需依全民健康保險法未能給付之特殊營養食品(以下簡稱特殊營養食品)。
- 二、儲備及供應罕見疾病病人緊急需用之罕見疾病適用藥物(以下簡稱緊急需用藥物)。

參、申請相關規定

- 一、診療醫師申請病人所需特殊營養食品或緊急需用藥物時，除應依罕病法規定通報罕見疾病個案外，應檢附下列申請資料：(一)特殊營養食品或緊急需用藥物申請單；(二)病人使用同意書；(三)病歷摘要；(四)治療方式參考文獻等資料電子檔，上傳罕見疾病整合式資訊管理系統-物流子系統，作

為配送數量之參考；遇緊急或特殊情形無法上傳時，得先以傳真或電子郵件方式送交物流中心辦理申請作業，再另將前述資料上傳至物流子系統。

二、診療醫師填寫之特殊營養食品或緊急需用藥物相關申請表單，其診斷疾病名稱，應與衛福部最新公告之罕見疾病名稱相符，依罕見疾病特殊營養食品品目、藥物名稱及其適應症填寫。

肆、補助供應原則

一、特殊營養食品供應原則：

- (一) 每次以寄送三個月之用量，寄至病人收件地址，或寄予診療醫師轉送病人。
- (二) 物流中心應要求特殊營養食品供應廠商，於特殊營養食品送抵物流中心清點確認無誤後，除不可抗力因素外，須於七個工作日內（山地及離島十四個工作日內），將特殊營養食品送達病人收件地址或診療醫師之執業醫院。
- (三) 病人或診療醫師(或團隊)收到特殊營養食品後，應填具簽收單回傳予物流中心，以確保送貨之品項及數量無誤。由診療醫師(或團隊)轉交病人者，診療醫師(或團隊)應列冊保留完整之病人(或其法定代理人)簽收單備查。每季末結算(三、六、九、十二月底)時，病人拒未領取特殊營養食品，物流中心應於二週內收回，以利物流中心統籌儲備及撥配運用。領取特殊營養食品後，因病人因素或其他經診療醫師或團隊同意停止使用時，則應通知物流中心將之收回，並依回收入庫原則辦理。
- (四) 為瞭解病人使用特殊營養食品之情形，診療醫院應定期追蹤病人身高、體重狀況及檢測病人體內之代謝產物濃度，並按季(每三個月)，透過罕見疾病管理系統，將前述相關數據上傳，提供物流中心彙整及評估使用效果。
- (五) 物流中心每季配送後，應進行電話關懷訪問；其電話關懷篩選條件，由物流中心與健康署討論定之。進行電話關懷訪問時，病人有未遵醫囑食用情形者，應提供衛教宣導，並視電話關懷及病人使用情形，回饋予病人之診療醫師(或團隊)，必要時會同診療醫師(或團隊)進行家訪。電話關懷結果，應定期彙整提供健康署。

二、緊急需用藥物供應原則：

- (一) 每次以緊急供應二星期之療程劑量為原則；必要時，得再延長一次(二星期療程劑量之供應)；病人每人最多以申請二次為原則。
- (二) 物流中心接獲申請醫院之申請單後，應立即以快遞將二星期之申請藥量寄至該申請醫院。診療醫院收到緊急需用藥物後，應填具簽收單回傳予物流中心，確保送貨之品項及數量無誤。
- (三) 原申請供應緊急需用藥物之醫院，最遲應於一個月內，儘速向中央健康保險署(以下稱健保署)申請給付；申請醫院無法於一個月內向健保署完成申報相關藥物之健保給付時，該院得依特殊情況，先向物流中心申請調撥緊急需用藥物；該次調撥之緊急需用藥物，應於完成申報後二週內，歸還物流中心。

三、有關疑似罹患公告罕見疾病個案，診療醫院得借用罕見疾病特殊營養食品及緊急需用藥物相關規定，借用流程如下：

- (一) 申請單位檢附罕見疾病特殊營養食品/緊急需用藥物申請暨借用單、罕見疾病個案報告單、個案使用同意書、個案病歷摘要(或治療計畫書)、治療方法參考文獻(檢付摘要 1-2 頁)，上傳罕見疾病整合式資訊管理系統-物流子系統，遇緊急或特殊情形無法上傳時，得先以傳真或電子郵件方式送交物流中心辦理申請作業，再另將前述資料上傳至物流子系統。
- (二) 每次以緊急供應二星期之特殊營養食品或緊急需用藥物之使用量為原則；必要時，得再延長一次(二星期特殊營養食品或緊急需用藥物量之供應)。
- (三) 嗣後經確診為公告罕見疾病者，得免歸還特殊營養食品或緊急需用藥物；經確診為非公告罕見疾病者，應將上述未開封且包裝完整之剩餘營養品或緊急需用藥物歸還物流中心。

伍、物流管理原則

一、採購：

物流中心應於採購作業說明資料中，明定交貨時貨品之使用效期，不得少於六個月，並列為驗收之主要項目。有病人使用之需求或特殊情形時，物流中心決定接收短效期之履約標的者，不受六個月效期之限制，而物流中心應於驗收紀錄中載明原因，並報健康署備查。

二、儲備、供應管理：

(一) 物流中心應按實際需求及供貨情形，將緊急需用藥物各品項以一至二位病人（以疾病發生率作依據）之二至四星期治療劑量，分別訂定安全庫存量；病人有緊急需求者，應進行緊急採購驗收。特殊營養食品安全庫存量估算原則如下：

1. 使用人次為十人以下之品項，每四人，庫備一人一季使用量，並取最小訂貨量，作為安全庫存量之參考，並按季報健康署備查(詳每季核銷數量總表)。
2. 使用人次為超過十人之品項，參考供應商庫備意願及製造廠生產週期，以不逾效期使用下，作為安全庫存量之參考，並按季報健康署備查(詳每季核銷數量總表)。
3. 特殊營養食品為奶粉者，其廠商庫備非常充裕時，物流中心得報健康署備查後，採低安全庫存量，並按季核銷數量。

(二) 物流中心儲備之品項，參見「罕見疾病特殊營養食品品目及適應症一覽表」及「罕見疾病緊急需用藥物及適應症一覽表」之規範。

(三) 物流中心緊急需用藥物儲備原則

1. 物流中心係針對病情急迫之臨時緊急用藥需求而建置，儲備品項應為維持生命所需之第一線用藥，且為經衛福部公告適用罕病法之罕見疾病藥物。各醫療院所經評估罕見疾病藥物符合上述條件，且有列為物流中心儲備品項之必要時，請檢附該藥物治療急迫性、是否為第一線用藥等說明及文獻資料，函送健康署，提請「罕見疾病及藥物審議會」審議，經審議通過由健康署函知物流中心後，始得儲備。
2. 物流中心每年度檢視前一年度緊急需用藥物申請及借用情形，並參考食品藥物管理署「適用『罕見疾病防治及藥物法』之藥物年報」有關罕見疾病藥物之使用情形，由物流中心彙整提請罕見疾病及藥物審議會討論。經審議決議後不再儲備之品項時，健康署應通知各醫療院所。原已儲備之剩餘藥物，將於各醫療院所申請用罄或藥物效期屆滿銷毀後，自「罕見疾病緊急需用藥物及適應症一覽表」中移除。後續若醫療院所遇有該罕藥緊急需用情形，仍由物流中心協助向其他醫療院所調度使用。

- (四) 以全年度之預估需求量及供貨情形，依診療醫師(或團隊)評估病人之實際需求，按品項採購、分批送貨方式，有效控管供應量。
- (五) 廠商配送前，應於外包裝上加貼「衛生福利部國民健康署菸害防制及衛生保健基金補助。禁止轉售，請珍惜資源」及「凡獲本項補助，國民健康署將辦理關懷訪視」等字樣之標籤，使病人及其家屬珍惜國家資源。
- (六) 指定專人管理，並將特殊營養食品及緊急需用之罕見疾病藥物存放於附有良好通風及溫度控制系統之地點。
- (七) 統一申請流程、申請表單及文件；詳實登記進貨之品項、數量與保存期限，及出貨之用量、用途與申領人等相關資料。
- (八) 掌握儲備品項之有效期限，並採「舊貨先出」之原則。隨時追蹤申請、出貨及領用狀況，提升供應效率。
- (九) 定期調查病人及各醫院之需求量，作為儲備之參考；適時檢討物流中心儲備品項及數量，並向健康署提出報告。
- (十) 儲備及庫存資訊得公開特殊營養食品之品項及其使用適應症、包裝型式、重量、特性及建議用量（或如何使用）等資料於資訊查詢網頁，方便民眾於網站線上查詢。
- (十一) 特殊營養食品使用效期僅剩六個月時，物流中心應主動徵詢診療醫師意見，調整病人需求，在使用期限前妥善調度運用；經前述處置仍無申領者，已屆使用期限之儲備品項，物流中心應主動報健康署准予銷毀。

三、 特殊營養食品及緊急需用藥物回收入庫原則

- (一) 經由醫療團隊、病人家屬或罕見疾病照護服務計畫所屬單位通知，因病人死亡或其他病人因素停止使用特殊營養食品或緊急需用藥物時，物流中心應將剩餘之特殊營養食品或緊急需用藥物進行回收。
- (二) 物流中心檢查回收之特殊營養食品或緊急需用藥物，應檢視其外包裝、密封完整及未逾有效日期等條件後，始得回收入庫；檢查回收之特殊營養食品或緊急需用藥物未符合前述檢視條件時，應依醫院廢棄物處理方式進行銷毀。

四、 宣導與聯繫：

- (一)特殊營養食品與緊急需用藥物之品項圖片及中文說明等相關資訊，應放置於網站，增加醫護人員及病人對該食品及藥物之認識。
- (二)持續更新網站所提供特殊營養食品與緊急需用藥物品項及內容之簡介等資訊。