

終結亞太地區罕見疾病患者苦楚 迫切行動刻不容緩

- 經濟學人智庫 (Economist Intelligence Unit, EIU) 今日發布報告顯示，僅三分之一的罕見疾病患者獲得具實證基礎的最佳照護
- 24%接受訪問的台灣專業醫護人員表示，在其職業生涯中從未遇過罕見疾病患者
- 整體亞太區中，有 94% 的罕見疾病沒有已核准的藥物治療¹，現行的照護中欠缺非醫療的服務

【2020 年 7 月 16 日，台北訊】「無聲的苦難：亞太地區罕見疾病之認知和管理評估」於今（16）日發布調查結果。這是由傑特貝林（CSL Behring）贊助並委託經濟學人智庫針對五個亞太經濟體（澳洲、中國、日本、韓國、台灣）在罕見疾病診斷和處置上所面臨挑戰的調查研究。該調查揭示了罕病治療的三大優先改善事項：準確即時的診斷、經濟援助改善方案以及對非醫療支持需有更多元的考量。

全球目前約有 6,000 至 7,000 種的已知罕見疾病，儘管疾病被歸類為「罕見」，但在亞太地區卻正在影響^{2,3}約 2.58 億人，其中更有 50% 是兒童⁴。台灣目前已公告 223 種罕見疾病⁵，截至 2020 年 6 月，接獲通報罕見疾病患者共 1 萬 7 千餘人⁶。

受訪的專業醫護人員表示，由於缺乏相關的臨床指引、法定核准的藥物以及檢驗或治療所需的資金，平均僅有三分之一的罕病患者獲得具實證基礎的最佳照護，突顯出在罕病照護上不容忽視的龐大疾病負擔與未被滿足的治療需求。

財團法人罕見疾病基金會共同創辦人曾敏傑表示，「在台灣已有行之有年的政策支持罕病患者醫療照護。整體而言，台灣的專業醫護人員對罕見疾病具有高度認知。不過，經濟學人的報告也點出若要提升罕病患者的整體生活品質，罕見疾病照護上仍有待加強的重要領域，因此與其他相關人士共同合作對促進罕病患者的福祉相當重要。」

除了罕病治療的三大優先改善事項外，該調查報告也特別指出當前或近期可實現的目標供政策制定者參考，為未來的改革奠定基礎。相關措施包括妥善收集並使用數據，加強專業醫護人員的訓練，與病友組織合作，並整合社會照護資源，以普及罕病相關知識。透過建立更加全面、一致性高的照護方法，就有機會改善罕病患者的生活，確保患者擁有良好的生活品質、足夠的經濟支持，並在與他們有關的醫療保健決策中擁有更大的發言權。

該報告的編輯 Jesse Quigley Jones 對調查結果表示，「在我們對全亞太地區的專業醫護人員進行調查後，發現醫護人員顯然需要更進一步的支持，才能給予罕病患者更佳之處置。醫護人員除相當樂意彼此合

¹根據 EIU 估計，亞太地區的 43 億人口中，約 6% 受到罕見疾病的影響

作外，也願與病友社群合作，以提供患者更好的照護。公衛系統正逐漸往一致性及整合性的方向發展，部分經濟體也在考慮制定將罕病患者的醫療以及社會需求列入考量之全面性的醫療政策。」

傑特貝林（CSL Behring）亞太區市場銷售、醫療事務和市場准入執行總監 Peter Chow 表示，「接受訪問的專業醫護人員證實了罕病患者在尋求正確的疾病診斷和治療方案時，面臨許多令人沮喪且困難的挑戰。透過支持這項研究，我們希望能釐清這些差異和尚未被滿足的需求。」

Peter Chow 指出，「我們希望這份報告能有拋磚引玉的效果，除促使罕病領域中所有相關人士能進行具建設性的討論外，我們也將透過一些方式來兌現我們對改善亞太及其他區域罕病患者及其家人生活品質的承諾。」

調查中與台灣相關的主要發現：

- 台灣醫護人員對罕見疾病的認知在所有接受調查的經濟體中名列前茅，其中 83% 的受訪者能正確說出罕見疾病的定義，76% 的受訪者能正確指出定義中罕病盛行率的臨界值。
- 儘管如此，台灣的受訪者還是自評對罕見疾病認知不足，平均分數在接受調查的經濟體中為最低。
- 當被要求提出一項可改善台灣罕病患者生活的措施時，最常見的回答是增加國民健康保險給付範疇、提供社福協助及復健服務。
- 在所有接受調查的經濟體中，台灣醫護人員對病友組織的認知度最高。分別有 87% 和 74% 的受訪者認為病患和病友組織為規劃照護流程時重要或最為重要的利益關係人。
- 財團法人罕見疾病基金會在台灣是非常知名的病患組織，在過去二十年間持續積極向政府提倡罕病病患的福祉與權益，該基金會同時也是 2000 年《罕見疾病防治及藥物法》的推動者⁷。

調查中亞太區域的相關發現：

- **專業醫護人員是否具備相關知識對改善罕病診斷及處置相當重要。** 綜觀所有市場，因為鮮少遇到罕病患者，醫護人員往往認為自己並不具備足以診斷並處置這類患者的知識。約有 14% 接受調查的醫護人員表示自己從未遇過罕病患者。因此，在合理的時間範圍內為罕病患者做出正確的診斷，是醫護人員必須克服的最大挑戰。
- **罕病患者是推動罕病群體改革和行動的關鍵，需要有人願意傾聽他們的心聲。** 但是，大多數醫護人員並未意識到自己的服務範圍內有罕病患者。患者的心聲是促進改革重要決定因素，唯有了解病患需求，才能規劃最符合患者需求的照護流程，並促使醫療和政治領域中的關鍵決策者採取行動。
- **罕病患者需要以患者為中心且全面的照護方式，而不僅是藥物治療。** 罕病病友除了健康狀況不佳外，還面臨許多不同層面的挑戰，包括與疾病相關的藥物和照護費用帶來的經濟負擔，以及在活動和就業等社會方面的不利條件。有 94% 的罕病患者無法獲得已核准的藥物治療⁸，現行的照護中需大量加入非醫療的服務，從而提供患者全面性的照護，使他們在疾病無法被治癒的情況下也可以維持良好的生活品質。

###

關於 CSL Behring

[CSL Behring](#) 是生物治療領域的全球領導企業，拯救生命是其給予客戶的承諾。致力於以最新技術滿足患者的需求，同時研發並提供可治療原發性免疫缺陷、神經系統疾病、遺傳性血管性水腫、凝血功能障礙、呼吸系統疾病的創新療法。還生產了可用於心臟外科手術、燒傷治療和預防新生兒溶血性等疾病的產品。

CSL Behring 同時也是全球最大的血漿收集網路—CSL Plasma 的經營者。母公司 [CSL Limited](#) (ASX:CSL;USOTC:CSLLY) 總部位於澳洲墨爾本，旗下有 26,000 多名員工，向 70 多個國家/地區的人們提供服務，拯救患者的生命。有關生物技術發展願景與更多鼓舞人心的故事，請瀏覽網站 [Vita CSLBehring.com/vita](#)，並可追蹤 [Twitter.com/CSLBehring](#) 來關注我們。

媒體聯絡資訊

姓名：CSL Behring 董美英 Cecil Tung

電話：(香港)+852 9796150 / +852 60192690

電子郵件：Cecil.tung@cslbehring.com

姓名：萬博宣偉公關 朱妤珊 Joyce Chu

電話：02-2722-5369 #603 / 0921566926

電子郵件：JChu@webershandwick.com

¹ 亞太經濟合作會議，罕病行動計畫，2018。網址：www.apec.org/rarediseases/Action-Plan，2020 年 5 月存取。

² 經濟學人智庫，無聲的苦難：亞太地區罕見疾病之認知和管理評估，2020 年。

³ 聯合國人口基金，亞太地區，人口趨勢，網址：asiapacific.unfpa.org/en/node/15207，2020 年 5 月存取。

⁴ Batshaw ML, et al. Research into rare diseases of childhood. *JAMA* 2014;311:1729-1730.

⁵ 響應國際罕見疾病日~我支持罕病 我驕傲，網址：<https://www.mohw.gov.tw/cp-4635-51702-1.html>，2020 年 7 月存取。

⁶ 衛生福利部國民健康署 109 年 6 月罕見疾病通報個案統計表

⁷ Dharssi S et al. Review of 11 national policies for rare diseases in the context of key patient needs. *Orphanet J Rare Dis* 2017;12:63.

⁸ Asia-Pacific Economic Cooperation. Action Plan on Rare Diseases. 2018. Available at: www.apec.org/rarediseases/Action-Plan. Accessed May 2020.