

無聲的苦難：評估台灣對於罕見疾病之認知與管理

在2019年11月至12月期間，經濟學人智庫調查了100名台灣的醫療專業人員，作為亞太地區分析罕見疾病認知與面臨的挑戰的一部分。

受訪者包括有家庭醫師或基層醫療醫師(44%)、專科醫師(36%)、護理師(6%)及藥師(14%)。受訪者服務單位分為私立醫院(54%)以及公立醫院(21%)或教學醫院(25%)。

調查結果：台灣的醫療系統

- 據估計，2019年台灣人口將達到2370萬。¹2018年的平均預期壽命是80.4歲、嬰兒死亡率為千分之4.3。²台灣的人口成長率停滯不前，社會進入快速高齡化。癌症、心臟病及肺炎為2017年三大主要死因。
- 2017年總醫療支出為356億美元。強制投保的全民健康保險(NHI)體系涵蓋了所有台灣居民，廣泛的給付範圍包括住院、門診和預防照護，佔所有醫療支出的一半左右。所有醫療服務均須付部分負擔，另外自費項目佔所有醫療支出的33.6%。
- 台灣的醫療專業人員人力短缺——許多人已離開台灣到海外尋找高薪職位——2017年有超過4.6萬名醫生和

15.9萬名護理師。台灣有超過450家醫院與10400家診所；大多數屬於私人經營。

重視罕見疾病：台灣的醫療政策蒸蒸日上

- 台灣長期持續投入在罕見疾病的努力成果獲得高度評價。首先於2000年立法通過了「罕見疾病防治及藥物法」；2017年底，發表了「罕見疾病及罕見遺傳疾病缺陷照護服務辦法」。
 - 值得注意的是，這些政策不僅注重藥物開發及醫療照護，而且更廣泛地考慮到病人權利、法律保護與社會照護。
- 台灣並沒有訂定確切數字來定義罕見疾病。相反地，需經「罕見疾病及藥物審議委員會」審議認定並定期審查罕見疾病政策中的盛行率；自2000年以來，以疾病盛行率萬分之一以下為參考基準。

在本次調查中，台灣的醫療專業人員對國內是否存在統一的罕見疾病定義的認知是最高的，83%受訪者正確回答出台灣有統一定義存在(圖一)。此外，75.9%受訪者正確回答出定義中的盛行率基準。在調查中回答沒有罕見疾病定義的少數受訪者認為，要定義罕見疾病最重要的屬性是盛行率與診療困難性。

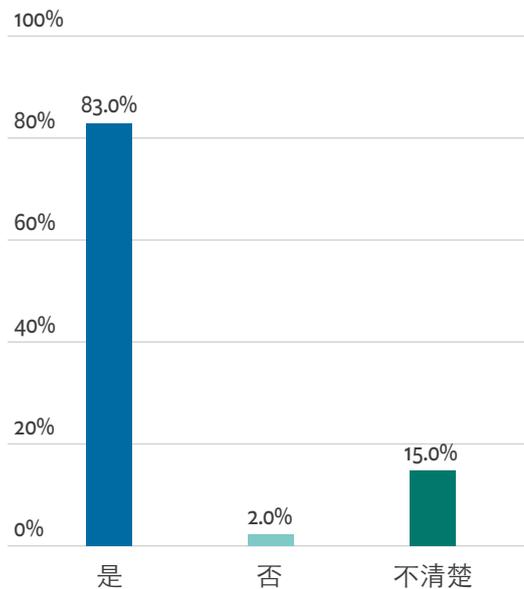
贊助商：

CSL Behring

¹ United Nations Population Division, World Population Prospects 2019. Estimates 1950–2020.

² The Economist Intelligence Unit. Industry Report Healthcare Taiwan. 3rd Quarter 2019.

圖一、台灣醫師對罕見疾病定義的認知



台灣是否對於罕見疾病有統一的定義？

台灣醫療專業人員對罕見疾病知識及診罕見疾病患者信心不足

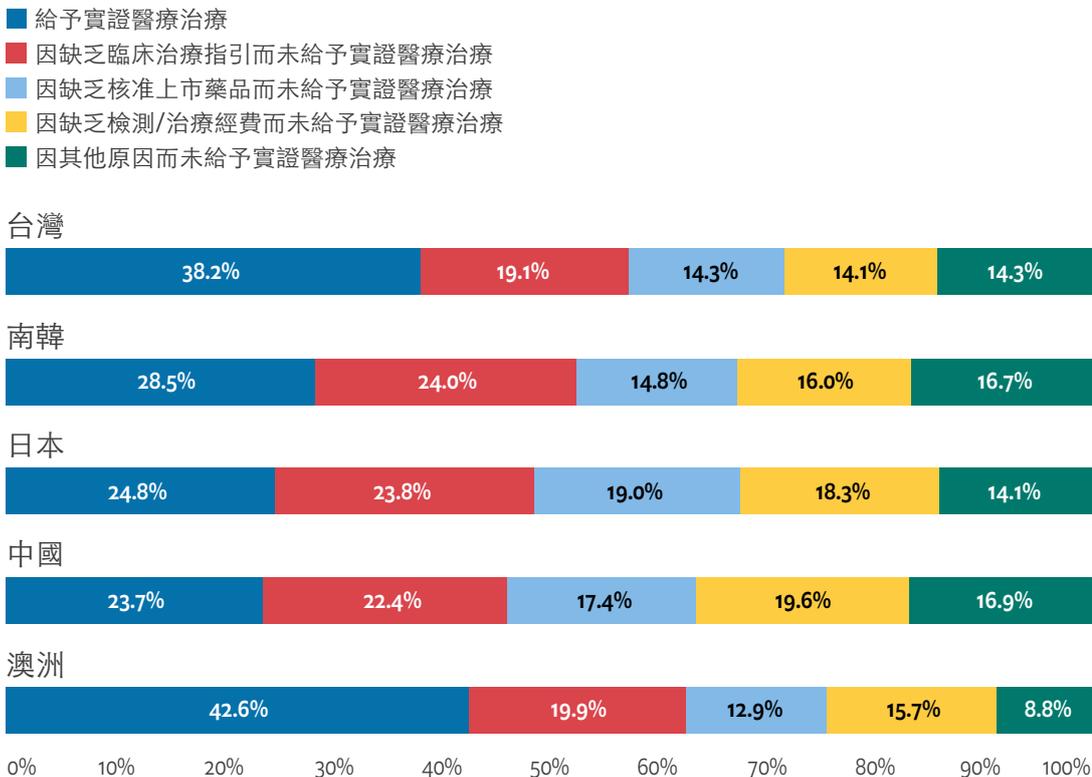
相較於本研究中其他任何市場，台灣的醫療專業人員發現新的罕見疾病患者之頻率較低。僅有15%受訪者表示每半年就會有一位以上的新病例，24%表示從未見過罕見疾病病患。

- 本調查中，台灣醫療專業人員對於其罕見疾病知識程度評分為本次研究市場中最低的(自評分數平均為2.69分、評分同儕為2.71分，滿分為5分)。
- 與此對比的是，受訪者對多面向之罕見疾病政策與照護的認知及了解的比例很高。目前並不清楚前述在知識程度之信心不足是由於缺乏接觸罕見疾病患者的經驗、或是反映了台灣醫療環境更了解整體情況，因而更佳掌握到普遍罕病知識的不足。

優先重視罕見疾病患者社會照護為重要的挑戰

- 台灣受訪者的調查表示，平均40.8%的罕見疾病個案得到了最佳實證醫療，在本研究中排名第二(圖二)。

圖二、五個亞太市場中獲得最佳至次佳醫療照護的罕見疾病患者平均比例之調查結果。



- 調查受訪者將多個領域列為診斷與管理罕見疾病的挑戰，其中最突出的有：
 - 正確診斷 (56.6%表示幾乎總是或始終是個挑戰)
 - 藥物取得 (59.3%表示幾乎總是或始終是個挑戰)
 - 診斷經費 (48.7%表示幾乎總是或總是個挑戰)
 - 治療經費 (51.3%表示這幾乎總是或總是個挑戰)
 - 取得專科醫師支援 (51.3%表示幾乎總是個挑戰)
 - 獲得專業繼續教育 (47.3%表示幾乎總是或總是個挑戰)
- 受訪者認為台灣醫療系統中成效最佳的項目為：取得確診、啟始醫療照護和照護品質得分最高。另一方面，診斷速度、照護費用和提供社會照護被認為是成效最差的。
- 當受訪者被問及應該採取什麼行動來改善台灣罕見疾病患者的生活時，最常見的回答是：
 - 擴大健保給付範圍
 - 提供社會福利援助及康復服務

台灣的病友組織能見度高，並且醫療專業人員重視病友活動

- 台灣醫護人員對病友組織的認知是本研究中最高的；59%受訪者正確地知道有病友組織存在，僅有7%的受訪者答錯認為不存在。
- 台灣受訪的醫療專業人員回覆，87%和74%的人分別認為病患與病友組織在設計臨床照護流程時是最重要的參與者。
- 有關罕見疾病病友組織的活動，台灣受訪者希望看到更多層面的共同參與。受訪者特別期待以下領域的發展與成長：
 - 喚起疾病意識活動(69.5%)
 - 設計臨床照護流程及提供病患衛教(分別為62.7%及50.8%)
 - 確定研究治療成效或研究設計(66.1%)
 - 推動政策及預算分配(分別為55.9%及57.6%)
- 台灣罕見疾病基金會(TFRD)是一個著名的病友團體，20多年來一直與政府利害關係人積極倡導罕見疾病，並成功推動2000年「罕見疾病防治及藥物法」立法。罕見疾病基金會還扮演許多其他角色，例如與衛生主管機關合作辦理相關篩檢活動。³

³ Dharssi et al. *Orphanet Journal of Rare Diseases* (2017) 12:63 DOI 10.1186/s13023-017-0618-0

本報告經審慎編訂，務求數據資訊之準確性。

對於任何人因依據本報告或本報告所述的任何資訊、觀點或結論行事而造成的損失，經濟學人智庫 (The Economist Intelligence Unit Ltd.) 概不負責。報告表述之調查結果及觀點並不一定反映贊助商之觀點。