

出國報告（出國類別：開會）

參加罕見疾病及藥物國際研討會 (ICORD)出國報告

服務機關：行政院衛生署食品藥物管理局

姓名職稱：王兆儀簡任技正

派赴國家：日本

出國期間：101.02.02~101.02.07

報告日期：101.04.

摘要

International Conference on Rare Diseases and Orphan Drugs (ICORD)，為一國際性非政府團體所舉辦的研討會，自 2005 於瑞典Stockholm召開首屆ICORD會議，一直以來都是在歐美地區召開，2012 年第七屆會議為首次在日本舉行，台灣在罕病基金會董事長曾敏傑教授牽線下，讓台灣官方代表第一次有機會參加這個會議，本次台灣由行政院薛承泰政務委員及曾敏傑教授在大會分別以台灣罕見疾病管理政策及病人團體需要-罕病基金會為題進行報告。職則在大會的side meeting—Asia meeting 報告台灣的罕藥管理政策。希望透過這次會議參與開啓台灣與ICORD的第一次接觸，未來台灣應更積極參與類似國際活動，以造福國內罕病病人。

目次

壹、目的.....	4
貳、過程及活動重要工作紀要.....	4
參、心得及建議.....	16

附件：

附件 1 會議照片。

附件 2 簡報資料。

附件 3 ICORD 國際研討會會議議程及資料。

壹、目的

台灣的罕見疾病防治及藥物法於 2000 年 1 月 14 日經立法院三讀通過，並於同年 2 月 9 日總統令公布實施，至今已 12 個年頭，在國際上或亞洲都算早期即立法推動罕病防治的國家，也因為這個原因，即使在台灣屬於相對弱勢的罕病病友，也因為這個法案的立法通過而獲得比較周全的照護，然因台灣投身於罕病及罕藥研究之學研界與產業界尚屬少數，故過去在國際合作與交流並不頻繁，此次，透過台灣罕見疾病基金會董事長曾敏傑教授的牽線，讓台灣官方有了第一次與國際罕病及罕藥相關政府及民間團體接觸的機會，希望透過這次的交流，能將台灣在罕病及罕藥的經驗與各國分享，並建立相關網絡，開啓未來合作之門，以造福國內罕病病人。

貳、過程及活動重要工作紀要

International Conference on Rare Diseases and Orphan Drugs (ICORD)，為一國際性非政府團體所舉辦的研討會，自 2005 年於瑞典 **Stockholm** 召開首屆 **ICORD** 會議，至 2010 年於阿根廷 **Buenos Aires** 召開第六屆 **ICORD** 會議，均是在歐美地區舉辦，原訂 2011 年於日本舉辦的第七屆 **ICORD** 會議，因 311 地震延至 2012 年 2 月 4-6 日召開，這也是 **ICORD** 會議首次於亞洲地區召開。

罕見疾病基金會董事長曾敏傑教授，長期投身於罕病事務之推展，也多次參與 **ICORD** 之會議，故日本主辦單位特邀請渠擔任日本國內 **organizing committee member**，另安排曾教授於大會中介紹台灣罕病及罕藥相關管理制度，惟因曾教授自認為民間人士不宜代表官方發表演講，故商請行政院政務委員薛承泰教授，於大會以台灣罕見疾病及藥物管理政策發表演說，另因主辦單位鑒於亞洲國家應加強在罕藥議

題之合作，故安排於 2 月 3 日舉辦 **Asia Meeting**，邀請日本、中國、台灣及韓國、代表介紹各國罕病或罕藥管理制度，日本代表為厚生省 **Specific Disease Control Division, Deputy Director Dr. Yoshiaki Nakagawa**，介紹日本在罕病及難病(NanByo)的歷史背景及政府輔導補助政策，中國代表為清華大學法學院王晨光教授，王教授從法律及社會學的角度介紹大陸罕病進展，台灣則由職代表，講題為 **Regulation and Management of the Orphan Medical Products in Taiwan**，韓國代表為 **Dr. Hyun-Young Park, Chief of division of cardiovascular and rare diseases, Korea National Institute of Health**，講題為 **Government Activities on Rare Diseases in Korea**，四國代表報告完後，由參與論壇的人員與講員進行意見交換，討論熱烈，讓原訂的會議延了半小時才結束。

2 月 4 日大會正式開始，會議由 **ICORD** 執行主席致歡迎詞揭開序幕，日本厚生勞働大臣小宮山洋子(**Yoko Komiyama**)亦蒞臨大會致詞，在開幕儀式後先簡單的休息，就開始了正式會議議程，本次大會共分成十個 **Session**，討論的內容包括：

I. Successful examples of clinical research in Rare Diseases

II. Access to and Reimbursement for Diagnosis and Therapy

III. Regulatory Aspects of Orphan Drugs

IV. Regional Pan-Pacific session – providing access to knowledge and collaboration

V. Patient groups – Their connection and needs

VI. Supporting Product Development and Venture Capital

VII. International health policies for rare diseases and orphan drugs

VIII. Significant issues in RD research and OD products development

IX. The value of and promotion of basic research in RD – The future for international research collaboration

X. It's All about the Patients

Final Session (Discussion / Workshop summary / ICORD Position Statement / Closing)

ICORD 國際研討會會議議程及資料如附件 3，薛政委及曾教授分別在 **Session IV Regional Pan-Pacific session – providing access to knowledge and collaboration** 及 **Session V Patient groups – Their connection and needs** 發表演講。

由歐美方面的發表可以發現研究單位及病友團體的照護走在很前面的，不僅在診斷在藥品開發方面亦同，同時各國間的資訊交換相當密切，網站資源也非常豐富，另外在法規單位也有較勁意味，美國應該是資源最豐富的，歐盟也不遑多讓，同時在歐美因為罕病及罕藥是不同的法律，且罕藥認定與研究經費補助、抵稅及快速審查流程相關，與台灣現階段一經認定，雖仍經核價程序，但健保幾乎沒有不給付的，是截然不同的意義及目的。

日本其實是沒有罕病法規的國家，但是有一個所謂的難病，這也是歷史淵源的，很多所謂的難治之病例如 **Parkinsonism**，目前也不能符合當時之定義，然當要取消病人暨有利益時，相對也會遭遇相當大的困難，因此，至今仍保留在難病 **list** 中，也相對的帶給政府相當大的負擔。

另外因為基因診斷的治療感念導入，很多研究單位積極進行罕病 **Biobank** 的建置，相對的也發現很多相同的疾病在不同的民族其序列仍有差異，日本在罕病

Biobank 的設置及研究，其時也投入相當多的資源，然日本至今其實尚無 **Biobank** 仍未通過立法，僅引基因研究倫理指引來行政指導研究者，同時此倫理指引之治訂單位並非厚生勞働省而是文部省(教育部)，雖然厚生勞働省也投入相當多的資源來建置國家集的 **Biobank**，但其後續的研究成果仍待觀察。另日本國立保健醫療科學院(**National Institute of Public Health**)也在厚生勞働省指導下，負責罕病研究經費之審查及追蹤研究效益。

韓國目前罕病及罕藥法亦未通過立法，然在病人諮詢方面作的相當完善，接受各類諮詢，建置的網站資料也相當豐富，對病人及家屬而言，提供一個相當多元的資訊管道，這點我想是台灣應該要加油的地方。

大陸罕病及罕藥目前雖然尚未立法也不准成立病友團體，但在學界及醫界的幫忙已促成部分地方如上海市從去年開始已有幾項治療罕病藥物列入給付項目，然因診斷標準高，故到目前為止尚無實際接獲給付的案例。

台灣相對起步早，然目前政府資源仍應更有效整合，才能將罕病診斷及罕藥治療及給付更全面性的規劃與建構。台灣不是一個開發新藥型的國家，因此台灣的罕藥認定與查登是否有必要分開?罕藥認定的目的為何?罕藥法立法滿十二年後的今天，也許衛生署應該要重新思考與檢討罕藥補助等法規與實施意義與目標。

表 1: 赴日參加 **ICORD** 會議行程表

日期	地點	活動內容
2/2 (四)	台北	啓程
	東京	抵達
2/3 (五)	東京	參加 ICORD 會前會
2/4 (六)	東京	參加 ICORD 大會
2/5 (日)	東京	參加 ICORD 大會

2/6 (一)	東京	參加 ICORD 大會
2/7 (二)	東京	啓程
	台北	抵達

參、心得及建議

本次參加 **ICORD** 會議要感謝長官給予職這個機會，藉由參與此次會議掌握罕藥於國際上的最新發展，同時也有下列幾點建議，供國內未來推動罕病及罕藥政策之參考：

- 一、 **ICORD** 會議為首次在亞洲召開，故日本當地產官學研均有多位代表與會，另因為第八屆(2013)**ICORD** 會議已訂於中國大陸召開，因此，大陸官方、產業界及學研單位也派了多人參加本次會議，相較我國只有 **2** 位官方代表、**3** 位罕病基金會代表及 **2** 位業界代表參與，相形顯得孤單。建議明年如於大陸召開會議時，可請由衛生署國民健康局邀集健保局及 **TFDA**，另亦可邀請罕病基金會、學術界及產業界代表共同組團與會，以了解國際罕藥最新進展及我國可參與及貢獻之利基。
- 二、 **ICORD** 尚非屬非常嚴密架構的組織，入會資格也相對簡單，**ICORD Board member** 也表示他們只是一群關切罕病及罕要議題的組織，不帶政治色彩，所以應該鼓勵衛生署業務相關局處，如：國健局、健保局及本局可加入 **ICORD**，以積極參與 **ICORD** 相關活動。至於民間團體如罕病基金會，目前亦非 **ICORD** 會員，亦可鼓勵基金會加入。
- 三、 本次出席之官方代表相當多，包括：美國 **FDA**、歐盟 **DG SANCO** 及 **EMA**、日本 **MHLW**、澳洲 **TGA**、荷蘭、紐西蘭及我國等，也因此 **ICORD** 另外安排

- 四、再者衛生署未來如欲於亞太地區推動及參與罕藥相關活動，建議可於 **APEC** 架構下提出 **Orphan Drug Initiative**，內容可涵蓋建立法規單位溝通平台、罕藥臨床試驗合作、罕藥療效及安全資訊交換、罕藥缺藥供應機制、罕病診斷技術及罕藥研發策略聯盟、罕藥病人諮詢機制、罕病病人照護機制、罕藥給付制度、**HTA** 評估機制及罕病營養品等種種議題，希望透過此 **initiative** 來造福比較被忽略的一群亞洲罕病病人。
- 五、明年第 **8** 屆 **ICORD** 會議將於大陸上海(目前暫訂)召開，除了組團與會，另外亦應鼓勵產官學研界，將台灣的努力成果投稿或壁報(**poster**)到 **ICORD** 會議。
- 六、本次會議中曾討論到罕藥給付的 **Health Technology Assessment (HTA)** 議題，建議健保局應及早因應，究竟罕藥的 **HTA** 是否應予一般藥品的原理原則一致是值得深思的問題。
- 七、除了國際合作方面，本局亦可加強與罕病基金會的夥伴關係，以往罕病基金會與國健局合作較密切，因為罕病基金會多從病人診斷及照護著眼，對於藥品議題較無涉略，未來本局可與罕病基金會就病人端在用藥療效及安全性作更密切的合作，以蒐集台灣本土臨床資料，將有助於病人用藥安全。

肆、結語

每次出國參加國際會議或訓練都讓我獲益良多，最要感謝的是局內長官的支持，這次還要謝謝薛政委及曾教授的指導，本次有幸在國際場合介紹台灣罕藥的管理，雖

然是小型的 **workshop** 但仍引起與會者的迴響，未來應及早爭取於大會發表演說分享台灣經驗，不僅幫台灣發聲同時也幫本局進行國際行銷。