

輔導機制，鼓勵藥商積極取得藥品許可證。是否有當，請公決案。

說明：

一、罕見疾病係指盛行率極低，病患人數極其有限之疾病，我國《罕見疾病防治及藥物法》為避免藥商因用藥人數稀少，市場規模不足，不願引進國外先進罕見疾病藥物，進而危害國內病友的用藥權益，於該法第十九條明定，政府機關、醫療機構、病人及病友團體在非營利目的之前提下，經衛福部核准，得以專案申請進口方式輸入罕病藥物，供特定患者使用。

二、為維護病患用藥安全，一般藥物須經主管機關完整審核藥廠之品質製造、藥毒理、藥動學及安全療效資料，完成查驗登記程序並取得藥品許可證後，始得於國內公開販售；未辦理查驗登記之藥物，其安全性及有效性尚待評估，即便是歐美各國已經核准上市之藥物，也可能存有不同族群用藥差異之疑慮。

三、截至 103 年底為止，計有 85 種經主管機關公告認定之罕見藥物，其中已有 37 種通過查驗登記取得藥品許可證，另有 48 種罕見藥物尚未依「罕見疾病藥物查驗登記準則」辦理查驗登記。未經查驗登記之 48 種罕見藥物，其中有 31 種專門用於治療罕見疾病，多數採專案進口方式輸入台灣，僅供個別病患使用，依法不得作為營利用途。

四、部分罕見疾病藥物因使用者稀少，難以符合國內查驗登記所須之驗證個案量數量，不容易作成臨床試驗報告；此外，受限於《個人資料保護法》，藥商難以取得病患的資料，且目前專案進口之罕病藥物，國外原廠因台灣市場規模小，不願提供國內代理商查驗登記所需要之藥品資料。藥商縱使有意願循法定程序進行查驗登記，卻因實務上諸多困難而窒礙難行，導致目前仍有部分專案進口之罕病藥物尚未完成查驗登記。

五、為解決前述問題，確保國內病患用藥安全，建請行政院衛生福利部於半年內，主動調查罕見疾病藥物查驗登記實務困難，釐清確實窒礙難行或藉故不進行查驗登記之區別，並邀集罕見疾病醫療、藥物及病友團體等各界代表共同研議改善方案，應給予適當緩衝期，盡速建立罕見疾病藥物查驗登記輔導機制，鼓勵藥商積極取得藥品許可證。

提案人：楊玉欣 陳碧涵 陳鎮湘 邱文彥 蔣乃辛
廖國棟
連署人：江惠貞 鄭汝芬 徐少萍 李貴敏 盧秀燕
張嘉郡 馬文君 吳育昇 鄭天財 廖正井
林德福 詹凱臣 賴士葆 簡東明 陳雪生
李桐豪 陳怡潔

主席：本案作如下決定：「函請行政院研處。」請問院會，有無異議？（無）無異議，通過。

進行第十五案，請提案人盧委員秀燕說明提案旨趣。（不在場）盧委員不在場，本案暫不予處理。

進行第十六案，請提案人吳委員育昇說明提案旨趣。（不在場）吳委員不在場，本案暫不予處理。

進行第十七案，請提案人徐委員欣瑩說明提案旨趣。