

血友病各類治療型態之治療效益分析

成果歸屬計畫名稱：110 年度 新興醫療科技與衛生福利政策效益評估研究

計畫補助單位：衛生福利部

執行單位：財團法人醫藥品查驗中心醫藥科技評估組

摘要及關鍵字

目的：蒐集國際間對於血友病治療成效之評估指標，分析我國 A 型與 B 型血友病人基本特性、治療類型、治療效益及醫療資源耗用。

方法：本報告以文獻回顧國際用於評估重度 A、B 型血友病治療建議及指標，以及利用重大傷病檔、健保申報資料及在家治療紀錄表，分析我國 A、B 型血友病人基本特性、治療型態、出血次數、就醫次數、血友病治療藥物申報量與申報藥費。並將國內外資料進行比較，檢視我國目前血友病治療之成效。

結果：各國登錄系統主要紀錄流行病學資訊，缺少療效指標，故各國均鼓勵病人紀錄治療狀況。各項研究的病人族群以重度 A 型病人為主，年出血率中位數多介於 1 至 3 次，但研究間出血次數和藥物耗用呈現方式差異大。另外，我國 2020 年之 A 型與 B 型血友病人共 1,414 名，重度 A 型及 B 型血友病人分別為 523 人及 108 人，治療率分別為 98.3% 與 100%，有抗體病人分別占 16.8% 及 13%；重度 A 型血友病病人以預防性治療與出血時治療的年度出血率中位數分別為 3 次 (IQR：0-8.1) 與 18 次 (IQR：8-34.9)，重度 B 型血友病人以預防性治療與出血時治療的年度出血率中位數分為 3.3 次 (IQR：0-10) 與 9 次 (IQR：5-20)。而將國內與國外資料進行比較，顯示我國之重度血友病病人在治療率、凝血因子耗用量以及出血次數等指標上均已與國際相近。最後，本研究建議主管機關能就在家治療紀錄表增加病人治療計畫以及其他檢查數據之欄位，用以收集更為完整及細緻之數據，以利後續更為深入的分析與探討。

關鍵字：血友病、治療效益指標、在家治療紀錄表、年度出血率、關節分數、預防性治療、出血時治療