



## 香港罕見疾病聯盟 向 2020 年施政報告提交的意見書 (2020 年 9 月)

香港罕見疾病聯盟(下稱「罕盟」)成立於 2014 年 12 月,是全港首個由跨類別罕見疾病病人和親屬組成,並得到有關專家學者支持的病人組織。我們代表患者和照顧者,致力透過與持份者協作,提升對罕病的認知,共同推動改善罕病政策和服務,令罕病患者的醫療、社會支援、教育、生活等各項基本權利,與其他所有市民一樣得到尊重和保障。

### 去年施政報告提出的新措施

去年罕盟在向施政報告提交的意見書,提出透過官、商、民協作,制訂和推行「香港罕病行動計劃」。

行政長官在施政報告中,對罕盟提出的優先處理事項作出積極回應,就應對罕病的新措施有如下表述:

- 「政府和醫管局計劃逐步推出一系列針對性措施,加強對不常見疾病患者的支援。措施包括研究就個別不常見疾病建立資料庫,以輔助臨床診斷和治療,以及在不牴觸病人私隱的情況下,提升公眾對不常見疾病的認知;透過撒瑪利亞基金加強對不常見疾病及癌症病人的支援;檢視人手配套及投放資源協助照顧患者的需要,並促進相關的科研發展和臨床研究。」
- 基因組醫學督導委員會計劃於2019年年底,就本港基因組醫學發展策略研究向食物及衛生局局長提交報告。另外,香港基因組中心會於2020年成立,以推行香港基因組計劃,通過基因組測序及建立基因組數據庫,提高不常見疾病確診率,並推動癌症及其他遺傳性疾病的研究。」

罕盟讚賞行政長官提出的上述措施,於過去一年多與食物及衛生局和醫院管理局溝通,希望就早日切實推行這些措施,為罕病患者帶來實效,以及病人組織可以如何支持和配合政府施政的事項,真誠交換意見。可惜當局一直沒有實質性的具體回覆,不斷以「研究」作敷衍。例如食物及衛生局局長在最近一次(今年 8 月 10 日)的回應如下:

「為實施去年《施政報告》公布有關支援不常見疾病患者的一系列針對性措施,政府和醫管局正計劃逐步投放資源和加強香港兒童醫院的人手配套,以輔助對不常見疾病的臨床診斷和治療、進一步統籌及照顧病人的需要、提升公眾對不常見疾病的認知,以及研究為個別不常見疾病建立資料庫。我們正研究具體細節。」

顯而易見,行政長官去年提出的新措施,執行單位還在研究,具體進展乏善足陳,更遑論成效,令人失望和遺憾。



## 對今年施政報告的訴求

基於現時政府部門應對罕病的實況，罕盟對今年施政報告提出如下意見，期望行政長官認真考慮和回應。

### (1) 訂立落實新措施的時間表和成效指標。

去年施政報告提出的新措施包括：

1. 研究就個別不常見疾病建立資料庫；
2. 提升公眾對不常見疾病的認知；
3. 透過撒瑪利亞基金加強對不常見疾病及癌症病人的支援；
4. 檢視人手配套及投放資源協助照顧患者的需要；
5. 促進相關的科研發展和臨床研究。

罕盟要求政府責成有關部門就落實上述措施採取實際行動，就每項措施訂立具體內容、推行時間表和成效指標。罕盟要求這些部門每三個月就落實進度與病人組織進行溝通，交換意見。

香港基因組中心已於今年5月成立，負責推行香港基因組計劃，打算於明年中開始招募病人，包括未能確診的罕見遺傳病患者。罕盟要求，中心在推行各項計劃尤其是與病人直接相關及公眾教育項目時，與病人組織保持溝通，尋求協作可能。

### (2) 為罕見疾病藥物納入安全網的審批制度訂下清晰明確指引。

政府政策慣性地滯後於病人的需要和臨床操作。當局為了回應病人的訴求，過去數年引入了一些較昂貴的罕病藥物，在臨床上使用。然而每當有新的罕病藥物在歐美問世，香港的患者、照顧者、病人組織及持份者便要東奔西走，到處敲門，祈求早日有機會用藥；甚至有患者以殘缺的肢體上書陳情，由行政長官親自出面，特事特辦，才能有機會用藥。這些大家並不陌生的現象，充份暴露香港罕病藥物審批欠缺清晰明確的可行機制，不論是臨床專家、患者以至藥劑業界均無所適從。雖然當局在 2018 年優化了安全網的資產審查準則，但藥物審批依然未有回應患者的臨床需要，納入安全網的路徑依然荊棘滿途。

隨著過去幾年引入了若干罕病藥物，相信臨床專家和管理階層在過程中吸取了一定經驗，對下一步訂立清晰明確的審批指引，應已具有一定基礎。事實上在香港註冊的藥物，安全性和藥效均已得到歐美藥物監管機構認可，毋庸置疑；本地數據則視乎臨床應用的多寡，不用藥就永遠不會有本地數據。至於所謂成本效益，據悉醫管局和食衛局並無醫療經濟學的專才，只聚焦於成本，並無科學地評估用藥的醫療和社會效益。罕盟建議在訂立罕病藥物評審機制時，參考醫療經濟學的科學分析方法，引入「病人報告成效」（Patient-Reported Outcome），結合個別罕病的具體情況，增加利用「風險共擔」（Risk Sharing）方案，訂立讓臨床醫生、患者、藥廠及決策者有所遵循的審批指引。



### (3) 從速設立「罕見疾病策略督導委員會」。

去年行政長官誠意地回應病人組織的訴求，提出多項應對罕病新措施，相關部門卻未能切實推行，關鍵在於無統籌無監察。罕盟去年要求設立「罕見疾病策略督導委員會」，不僅具有必要性，更是能夠解決當前瓶頸，並就未來的罕病策略向行政長官提供建議的可行舉措。

罕盟對委員會的構思是，由食物及衛生局局長主管，成員包括政府官員、醫院管理局、兩所醫學院、罕病專家、病人組織以及商界代表。委員會核心職責是參照亞太經合組織發佈的「亞太罕病行動計劃」，結合香港實際情況和條件，在已有基礎上，制訂及分階段推行「行動計劃」；同時統籌推行行政長官提出的各項罕病措施，並監察執行進度及向行政長官匯報。因應工作需要，督導委員會設立不同職責和功能的專責委員會或小組，集合官方和民間各方專才，攜手應對罕病挑戰。

### (4) 訂立罕病定義，編製罕病名錄。

香港一直沒有官方的罕病定義，近年政府文件以「不常見疾病」表述。然而，食衛局至今未能闡明什麼是「不常見疾病」，哪些確診的疾病屬於「不常見疾病」。我們不明白政府有何難言之隱，縱使政策文件已提出多年，對定義和具體內容依然如此迴避和含糊其詞，只有名而無實。關注罕病的持份者唯有各說各話，各自定義，始終無所適從。罕盟明白制訂具科學性且符合香港實際情況的罕病定義並不容易，非一朝一夕可以做到。然而政府如果有誠意有決心應對罕病的挑戰，訂立臨床和醫學定義，始終是無法迴避的。罕盟促請政府以成立「罕見疾病策略督導委員會」為契機，將訂定本地罕病定義作為重要事項處理。

在此同時，政府應該將現時已經納入藥物名冊的專用藥物、關愛基金和撒瑪利亞基金資助、以及個別特別或恩恤用藥計劃用以治療「不常見疾病」的約 40 種疾病或適應症，明確列為罕病，作為編製本地罕病名錄的第一步，日後配合本地罕病定義逐步增添名錄的病類，讓持份者有所遵從。

## 結語

本屆政府就任以來，為應對罕病作出了過往歷任政府從未有過的實質承擔。去年行政長官提出的新措施，如能在未來幾年有效落實，不但回應罕病患者的眼前需要，也為制訂長遠策略和規劃奠定紮實基礎。

罕盟深信，透過官、商、民三方協作，必能更有效地應對罕病挑戰。罕盟樂意為此作出力所能及的付出，與政府進行協商。

—全文完—