



## 三成罕病患者在過去曾因經濟原因而得不到適切治療 香港罕見疾病聯盟呼籲政府接納「照顧差異、實踐公平」的新建議

(2021年5月20日)縱使政府一直都以「確保不會有市民因為經濟困難而得不到適切的醫療服務」為宗旨，有調查發現，近三成罕病患者曾因經濟原因而得不到適切治療。有學者認為出現此落差是由於政府並不確認罕見疾病與常見疾病是不同類形的疾病，並硬以同一制度處理。香港罕見疾病聯盟（下稱「罕盟」）呼籲政府及時改正，承認兩類疾病存有差異，並設入罕藥政策，提升罕藥可及性，使罕病患者儘早獲適切治療。

罕盟會長曾建平先生表示：「自患病那一天，罕病患者每天都祈盼科技進步，在自己有生之年，有新藥發明，救活自己。可是，由新藥面世至引入本港並再獲醫管局資助，往往需時十年八載。過程中，還要自己和家人都東奔西跑，四處敲門，懇求政府早日資助用新藥。以往，我曾遇見有罕病患者等不了新藥的資助而失救或引起手腳變形，造成終身殘障。」

為免悲劇重演，罕盟早在本年2月28日舉辦「香港罕病藥物圓桌會議」，滙集醫生、公共衛生學、社會學及經濟學學者，從公共衛生、成本效益和社會效益等角度，探討如何改善香港罕病藥物的可及性，並把會議上重點撰寫成建議書（附件），呈交政府考慮。

### 問題：政府不承認罕見和常見疾病是不同、硬以同一準則衡量新藥資助

醫管局自2005年7月起實施藥物名冊，目的是透過統一公營醫療機構的藥物政策和用藥，確保病人可以公平地獲處方具成本效益，並經驗證安全和有效的藥物。

在過去數年，罕盟就多種新罕藥、多次協助不同的罕病患者與醫管局爭取用新藥。可是，局方常以「藥物不具成本效益」或「藥物安全性及藥效數據不足」為由，拒絕資助有需要的患者用藥。

在會議上，有學者解釋，真正的公平原則是按不同病人的需要去分配資源，並讓病人有平等的權利獲取所需的醫療服務。由於罕病患者人數較常見疾病少、臨床數據一定不會像常見疾病的一樣豐富，再加上罕見藥物一般都涉及嶄新且精密醫療科技，開發成本及售價會較高。在人數少、價錢貴的情況下，根本無法達至「成本效益」。（詳細資料可參閱附件 1.1-1.4）

### 解決方法：「照顧差異、實踐公平」建立罕藥專有的制度

要改善罕見藥物可及性，改善患者及其家人的生活（詳細資料可參閱附件 2.1），有與會者認為，政府要先確認罕病與常見病是不同，然後以開放態度設下罕病定義或訂定罕病目錄、



繼而再訂定罕藥專用政策、從而吸引及加快外國藥廠把新藥引入香港。（詳細資料可參閱附件 2.2）

此外，除依賴「關愛基金」及「撒瑪利亞基金」資助罕病患者用藥外，政府可參考境外經驗，以官、商、民共同協作方式，拓展罕藥資助來源。

政府亦應促進香港與內地的醫療協作，利用中國內地的罕病患者人數及種類較多的優勢，吸引外國藥廠把新藥同時引入香港及中國內地市場，爭加政府與藥廠的議價能力。同時，醫管局應參考內地做法，在香港設涵蓋成人及兒童的罕病中央統籌醫院，協助公立醫院之間互相轉介病人、會診和協調病人的醫療需要。（詳細資料可參閱附件 2.3）

-完-

### 關於「香港罕病藥物圓桌會議」

為了集思廣益，罕盟於「2021 世界罕病日」（即 2 月 28 日）舉辦「香港罕病藥物圓桌會議」，邀得多位來自不同界別的嘉賓講者參與討論，他們包括（按英文姓氏排列）：

1. 香港中文大學健康公平研究所副主任暨香港中文大學賽馬會公共衛生及基層醫療學院助理教授鍾一諾教授
2. 香港中文大學賽馬會公共衛生及基層醫療學院研究助理教授、中國罕見病聯盟理事董咚教授
3. 急症科專科何健基醫生
4. 獅子山學會共同創始人、時事評論員及專欄作家利世民先生
5. 香港大學社會工作及社會行政學系系主任林一星教授
6. 腦神經科專科盛斌醫生
7. 香港科研製藥聯會代表黃穗洲女士

在超過三小時的討論中，一眾與會嘉賓從公共衛生、成本效益和社會效益等角度探討如何改善香港罕病藥物的可及性。會後，罕盟匯合會議上提出的意見和觀點，寫成附件的建議書（附件），呈效政府參詳和考慮採納。

### 關於香港罕見疾病聯盟

香港罕見疾病聯盟成立於 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。



香港罕見疾病聯盟  
【照顧差異，實踐公平】  
改善香港罕病藥物可及性建議書  
(2021年4月13日)

## 背景資料

香港有一群罕病患者，每天都期盼著有醫療突破。每當有新的罕藥面世時，他們和家人都要東奔西跑，四處敲門，以求早日獲得治療。因此，香港罕見疾病聯盟<sup>(1)</sup>（下稱「罕盟」）一直致力提倡政府改善罕病藥物的可及性，讓有藥可醫的罕病患者及早得到適切的治療。

為了集思廣益，罕盟於「2021 世界罕病日」（即 2 月 28 日）舉辦「香港罕病藥物圓桌會議」，邀得多位來自不同界別的嘉賓講者參與討論，他們包括（按英文姓氏排列）：

8. 鍾一諾教授（香港中文大學健康公平研究所副主任暨香港中文大學賽馬會公共衛生及基層醫療學院助理教授）
9. 董咚教授（香港中文大學賽馬會公共衛生及基層醫療學院研究助理教授、中國罕見病聯盟理事）
10. 何健基醫生（急症科專科醫生）
11. 利世民先生（獅子山學會共同創始人、時事評論員及專欄作家）
12. 林一星教授（香港大學社會工作及社會行政學系系主任）
13. 盛斌醫生（腦神經科專科醫生）
14. 黃穗洲女士（香港科研製藥聯會代表）

在超過三小時的討論中，一眾與會嘉賓從公共衛生、成本效益和社會效益等角度探討如何改善香港罕病藥物的可及性。現罕盟匯合會議上提出的意見和觀點並寫成建議書，誠希政府加以參詳和考慮採納。

## 1. 修補政策理念與執行的落差

### 1.1. 有待實現的願景

香港的公共醫療政策，一直以來都是以「確保不會有市民因為經濟困難而得不到適當的醫療服務」為宗旨，並把「全民健康覆蓋」的理念融入醫療衛生政策，這是絕對值得支持和讚賞的。然而，理想和現實到底是否相符呢？且看香港中文大學賽馬會公共衛生及基層醫療學院 (JCSPHPC) 的黃仰山教授及鍾一諾教授團隊於 2018 年 11 月在科

<sup>(1)</sup> 香港罕見疾病聯盟成立於 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。





學期刊《公共科學圖書館：綜合》(PLOS ONE) 發表的學術文章<sup>(2)</sup>，內容指他們的研究發現，在 2,233 名受訪者中，8.4%表示因缺乏經濟能力而未在過去一年中尋求醫療服務。根據另一項由罕盟於 2018 年委託由鍾一諾教授領導的團隊進行的「罕見病患者及其照顧者的健康需求、醫療服務獲取情況及生活質素」調查研究，在 176 名受訪的罕病患者中，有接近三成表示在過去一年中曾因經濟原因而得不到適切治療。由此可見，香港公共醫療政策的理想和現實存有相當落差，尤其是針對罕見疾病的措施，尚有很大的改善空間。

## 1.2. 政府的「公平原則」並不公平

醫院管理局（醫管局）自 2005 年 7 月起實施藥物名冊，目的是透過統一公立醫院和診所的藥物政策和用藥，確保病人可公平地獲處方具成本效益，並經驗證安全和有效的藥物。這套審藥機制的原意是好的，但在執行上，從一家藥廠研製出一隻已有臨床療效證明的新藥到引入香港市場，並可在公立醫院中得到和納入資助機制，過程可長達多年。對於一個仰賴一些新藥來活命病人來說，漫長的等待可能讓他們賠上性命。到底當局如何解讀「公平」？

鍾一諾教授和董咚教授均認為，如把醫療資源平均分給所有病人，那只是符合均等或無差異的原則 (equality)，而非公平 (equity)。真正的公平原則是按不同病人的需要去分配資源，並讓病人有平等的權利獲取所需的醫療服務。

反觀香港現行的機制，所有藥物的註冊審批、藥費資助模式和範圍都是採用同一套準則，表面是公平和有效運用資源，但實質上已對罕病患者造成不公，因為罕病藥物的價格遠比一般藥物昂貴，而且難以在短期內取得醫療實證，故把衡量一般藥物的準則套用於罕病藥物是思維僵化和脫離實際的。此外，雖然醫管局已修訂「撒瑪利亞基金」和「關愛基金」醫療援助項目的經濟審查機制，但審批標準是適用於所有病人，並沒有因應罕病患者面對的獨特情況而調整。試想想，一個經濟能力較佳的罕病患者可能因未能通過經濟審查而不獲資助，但在長期負擔高昂藥費開支的情況下，最終或會因病致貧，這情況是否還算是公平？

因此，希望當局明白「有差異才有公平」的道理，投放更多的資源去為有特別需要的罕病患者制定和實施適用於他們的政策，正如政府也特別為有特殊教育需要的學生制定特殊教育政策和措施，照顧他們的身心發展和學習需要，這樣才能達到真正公平。

## 1.3. 如何計算「成本效益」和生命的代價？

政府施政經常講求「成本效益」，從藥物經濟學的角度來說，這是重要的，因此，董咚教授和盛斌醫生均提出以醫療體制與香港較接近的英國作為參考。首先，雖則罕病藥物的定價高是可以理解的，但相關回報不應超過一般藥物的利潤才算是公平和合

<sup>(2)</sup> 文章題目為‘What are the financial barriers to medical care among the poor, the sick and the disabled in the Special Administrative Region of China?’，並上載於 <https://journals.plos.org/plosone/article?id=10.1371/journal.pone.0205794>。



理。根據英國的醫療科技評估機構 NICE (National Institute for Health and Clinical Excellence)就應否資助昂貴的新療法提供的建議，一個重要的考慮因素是使 QALY (Quality-adjusted Life Year, 生活品質調整生命年數) 作為進行成本效益分析的工具，也就是說，除了延長生命之成本之外，亦計算所延長生命之生活品質。NICE 就普通藥物是否值得支付所定的標準價是£20,000 至 £30,000 / QALY<sup>(3)</sup>。但考慮到罕病患者的特殊情況和研發罕藥的高成本，NICE 於 2017 年就極罕見疾病研發的高值藥定出了一套不同的標準，這個標準的最高上限是£300,000 / QALY<sup>(4)</sup>。

董咚教授又指，有不少歐盟國家如德國、比利時和西班牙等已推行世界衛生組織於上一個世紀建議的醫療科技評估制度 (Health Technology Assessment, HTA)，在引入新藥時，同時需要考慮的因素包括藥物對病人的幫助、財政預算、臨床數據、病人的負擔能力、醫療保險的保障範圍、公平原則和醫學倫理等。要知道，罕病患者面對的是「有藥或無藥」和「生或死」的問題，如果政府偏重以「成本效益」去量度是否讓一個病人用藥的話，請問當局認為多少錢才值得去拯救一條生命？

因此，罕盟建議政府重新檢討現行的審藥政策，除了基本的安全性、療效和成本效益外，亦參照歐美等地已採用多年的醫療科技評估制度，加入其他更人性化的考量因素。

#### 1.4. 應以不同原則處理公共衛生和公共醫療事務

根據利世民先生的觀察，政府以相同原則去處理公共衛生和公共醫療問題是不理想的，原因是處理公共衛生事務應奉行「功效主義」(Utilitarianism)，即是為最多人謀求最大的幸福；而處理公共醫療事務則應從社會保障角度出發，需要保障弱勢社群和有特別需要人士。不幸地，政府卻經常以「功效主義」的原則去制定醫療政策，以為統一的機制和行政手段可適用於所有人，以致一班有特殊需要卻又永遠屬於小眾的罕病患者經常被忽略或遺忘。

香港政府有數千億元的財政儲備，絕對有能力照顧區區 11 萬的罕病人口。期望政府能改變「一刀切」的施政方式，本著「以人為本」的原則去實現「確保不會有市民因為經濟困難而得不到適當的醫療服務」及「全民健康覆蓋」的願景。

## 2. 制定罕病定義和罕藥政策乃改善香港罕藥可及性的基本步

### 2.1. 香港罕病藥物的可及性是否有需要改善？

對於有藥可醫的罕見疾病或重症患者來說，及早用藥是至關重要的。除非政府認為行政程序和成本效益較一個市民的死活重要，否則必定同意有需要改善香港罕病藥物的可及性，以拯救生命。

<sup>(3)</sup> 醫療支出 / QALY = 拯救一年「生活品質調整生命年數」(QALY) 的成本

<sup>(4)</sup> 資料來源：<https://researchbriefings.files.parliament.uk/documents/CDP-2019-0022/CDP-2019-0022.pdf>



再者，正如林一星教授所指，當一個人患了罕見疾病，受影響的往往是整個家庭和周邊的人。例如得不到治療的患者會因身體機能漸漸衰退而喪失工作和自理能力，其他家庭成員或會因為需要照顧病患者而辭去工作，甚至變賣資產以支付藥費。香港人口不斷老化，就業人口比率下降，長遠而言，勞動人口的短缺會減少生產力，撫養比率上升，社會保障開支也會隨之上升。因此，**政府如能幫助一個罕病患者及早得到適切治療，獲益的不單是病人本身，還有其家庭和整體社會。**

## 2.2. 制定罕病定義和罕藥政策是改善香港罕藥可及性的基本步

罕盟一直倡議政府就「罕見疾病」作出官方定義和制定罕藥政策，其中一重要原因是此舉有助改善香港罕藥的可及性。這觀點獲得所有與會嘉賓的支持。

罕盟明白制定具科學性且符合香港實際情況的罕病定義並非易事，但如沒有清晰的定義，其他相關政策也難以制定。就此董教授提出了一個新觀點，她認為**制定罕病的定義只為方便各持份者有一個共同的說法，但政策執行者不應視它為籠牢，有了官方定義也可以按實際需要作出適時檢討和修訂。**何健基醫生和盛斌醫生則認為，**即使現時沒有「罕見疾病」定義，也可制定罕藥政策。**

食物及衛生局局長在今年 2 月 23 日答覆梁志祥議員在立法會的書面提問時表示，國際間對罕病沒有一致的定義，若香港訂立官方定義可能忽略疾病的嚴重程度等因素，偏離照顧個別病人的特定臨床需要<sup>(5)</sup>。到底「有政策」和「無政策」的分別在那裡？眾所周知，罕病藥物的研發成本甚高，但適用人數少，故從商業角度出發，藥廠必然把新藥優先引入條件合適的國家或地區。香港是一個只有 11 萬罕病人口的小市場，在欠缺市場誘因的情況下，當局政策的配合變得極為重要。以可治療脊髓肌肉萎縮症的藥物 nusinersen 為例，如非特首介入和政府願意承擔昂貴的藥費，藥廠根本不會考慮把藥引入香港。由此可見，**政策的配合和藥廠的積極性是成正比的。**

環顧全球絕大部份發達國家以及一些發展中國家，均已或先或後地按本地實情，**制定與罕病相關的法例、定義、策略和規劃，其結果是令嚴重罕病得到及早診斷，有效改善照顧個別病人的特定臨床需要。**特區政府近年在應對罕病採取了若干措施，但只著眼處理個案，不作通盤規劃，可否放下官僚偏執，借鏡其他有效應對罕病的地區，踏出基本步？

## 2.3. 參考其他地區的罕見藥物政策

雖然近年的施政報告已開始加入針對「不常見疾病」的政策措施，但可惜當局在制定和執行措施時慣性地採用傳統行政思維和手法，把一套政策當是可治百病的萬應靈丹，以致未能切實地回應罕病患者的需要。因此，董咚教授、盛斌醫生和黃穗洲女士分別列舉了不同地區的罕藥政策，以供政府參考和借鏡：

<sup>(5)</sup> 資料來源：<https://www.info.gov.hk/gia/general/202102/24/P2021022400464.htm>





a) 匯聚各方資源，官、商、民共同協作的例子

目前在中國內地上市的罕藥有 66 種，其中有 55 種被列入國家醫保藥品目錄，但通常都是每年費用不超過五十萬元人民幣的藥物。對於每年高達一百至二百萬元人民幣的昂貴藥物，政府採取了多方支付方案，即是由國家醫療保障局、病人和保險公司共同分擔。有些地方政府跟商業保險公司合作推出不排除保障投保前已出現的病症，並透過集資方式（例如收集公眾人士、藥廠、慈善團體等的捐款）去為病人提供經濟援助。在浙江、山東和山西三地的試行報告顯示，採用多方支付計劃後，每個罕病家庭的一年藥費開支由原來的家庭收入的三至五倍下降至家庭收入的六成，大大減輕了一個家庭的經濟負擔。

新加坡衛生部 2019 年 7 月成立罕見病基金，慷慨解囊者可獲 250% 扣稅率，政府亦承諾「3 兌 1」，即民間每捐 1 新加坡元，則政府捐 3 新加坡元。

類似的多方支付模式也在 2017 年才開始制定罕藥政策的印度實行，反觀香港政府只是單靠兩個並非專為罕病患者而設的「撒瑪利亞基金」和「關愛基金」醫療援助項目，而且除了以上兩個基金外，罕病患者似乎也沒有其他渠道可尋求藥費支援。據了解，一般的商業醫療保險都不保障遺傳病，以致有部份病人寧願不求診，以確保自己可獲得商業醫療保險所涵蓋的其他保障。至於自願醫保計劃雖然不排除遺傳病的保障，但其主要保障範圍是住院費用，故不能切合需要長期治療多於住院的罕病患者。即使香港有「指定患者藥物使用計劃」，但病人在外地直接購入藥物的價格遠高過透過政府機制引入的藥價，而且需要全數由病人支付，試問有多少病人有能力負擔？

**要幫助罕見病患者，政府應從制度入手，令有關支援變得恆常化，亦可推出誘因鼓勵社會各界力盡所能幫助患者，才可確保所有罕病患者「不會因為經濟困難而得不到適當的醫療服務」！**

b) 特事特辦，政策靈活的例子

在歐美、台灣、南韓和日本等地，政府除了設立一套專為審批罕見藥物註冊而設的特別機制（例如豁免藥劑製品證明書 (Certificate of Pharmaceutical Product, CPP)）之外，更有入藥後的持續性醫療配套服務，如醫護人員培訓、經濟援助、持續收集藥物臨床試驗數據等。

中國內地目前雖仍未有作出罕病定義，但國家衛健委在 2018 年發佈了《中國第一批罕見病目錄》<sup>(6)</sup>，把 121 種病列為罕見疾病。2020 年 7 月，國家藥品監督管理局發佈了《藥品上市許可優先審評審批工作程序（試行）》，當中可讓罕見病的創新

<sup>(6)</sup> 資料來源：<http://www.nhc.gov.cn/0000136101/2018-00175>



藥和改良型新藥申請優先審評審批<sup>(7)</sup>，此舉可提升外國藥廠申請把罕病藥物在中國內地註冊的積極性，有助罕病患者早日有藥可用。

美國食品藥品監管局 (U.S. Food and Drug Administration, FDA) 和歐洲藥品管理局 (European Medicines Agency, EMA) 會採用一套有別於常見病藥物的審批准則去審批罕見病藥物，但有附帶條件，例如推出市場後須持續搜集臨床數據，以評估其效用。

從以上例子可見，罕盟要求政府制定罕病定義和罕藥政策並非苛求，也是絕對可行的事情。政府更應善用民間資源，透過多方協作提升施政效能和效率。

### 3. 優化醫療服務架構，更有效地運用資源

盛斌醫生表示，當香港有越來越多可提供給罕病患者的治療服務出現，醫療服務架構也需要因應病人的需要而轉變，這方面國內已展開相關工作。現時內地已組建覆蓋三百多間醫院的全國罕見病診療協作網，由北京協和醫院作中央統籌，在協作網內醫院之間可互通資訊、互相轉介病人；遠程會診和協調病人的醫療需要。香港方面，兒童醫院的建立也算是邁向調整醫療服務的第一步，因為可集中處理某些病種，但長遠而言，醫管局應加強聯網醫院之間的溝通，為不同的病種提供靈活的配套服務，以切合病人的真正需要。

### 4. 籌謀長遠的跨境合作計劃，利用內地和香港各自的優勢，互補不足

圓桌會議上，盛斌醫生和董咚教授均提到香港與內地互認註冊藥物的可能性及好處。在改善罕病藥物可及性方面，由於內地的罕病人口和種類較香港多，就吸引藥廠申請入藥、進行臨床試驗和科研等有更大優勢。而且，罕藥在內地註冊後，藥廠會有一個團隊去分擔註冊後的用藥配套服務，當在內地建立了配套，便會較容易同時支援香港。

其實，香港早於 2015 年 10 月與內地簽署醫療衛生合作安排，合作範疇包括疾病預防控制、突發公共事件衛生應急、醫學培訓、醫療服務發展、健康促進、中醫藥、醫療衛生規劃、醫院管理、衛生法制、醫療衛生信息化、衛生監管與執法及社區衛生服務等<sup>(8)</sup>。及至去年 11 月，中央政府公布《粵港澳大灣區藥品醫療器械監管創新發展工作方案》，允許在大灣區內地九市開業的指定醫療機構經廣東省審批後使用臨床急需、已在本港上市的藥物。國家藥品監督管理局並委託廣東省藥品監督管理局展開就簡化香港註冊外用中成藥的進口註冊流程<sup>(9)</sup>。循此方向發展，香港政府應更積極和主動去促進內地與香港之間的交流和發展更多不同範疇的互認機制。

雖然要建立兩地的協作機制需要克服很多技術上和操作上的困難，但跨境合作是長遠發展的大趨勢，尤其切合罕病個案少、經驗少、數據少的特點，有助改善診斷和治療。希望政府及早展開相關研究。

<sup>(7)</sup> 資料來源：<https://www.nmpa.gov.cn/2020年第82號公告附件3>

<sup>(8)</sup> 資料來源：<https://www.info.gov.hk/gia/general/201511/01/P201511010518.htm>

<sup>(9)</sup> 資料來源：<https://www.info.gov.hk/gia/general/202012/01/P2020120100885.htm>





## 總結

圓桌會議的所有與會嘉賓及罕盟都支持「確保不會有市民因為經濟困難而得不到適當的醫療服務」及「全民健康覆蓋」的願景，但公式化的醫療政策和措施只能幫到一般病人，對於有特別需要的罕病患者來說，有很多地方是不適切和不到位的。政府必須改變傳統的行政思維，多參考境外的經驗和善用民間資源，透過官、商、民三方協作來確保政策的適切性和提高施政效率。

如欲更詳細地聽取圓桌會議一眾與會嘉賓的見解，請到網上觀看會議足本片段及精華片段。連結如下：

「香港罕病藥物圓桌會議」片段重溫	YouTube 頻道連結
足本片段	<a href="https://youtu.be/ZFVT2pluQxY">https://youtu.be/ZFVT2pluQxY</a>
精華片段 (一): 人命何價?	<a href="https://youtu.be/mzTOubtRJdQ">https://youtu.be/mzTOubtRJdQ</a>
精華片段 (二): 香港現時的罕病措施有何問題?	<a href="https://youtu.be/JPzmFK9rQ3k">https://youtu.be/JPzmFK9rQ3k</a>
精華片段 (三): 罕藥問題如何處理?	<a href="https://youtu.be/3uBI478LXJg">https://youtu.be/3uBI478LXJg</a>
精華片段 (四): 罕病與市民大眾有何關係? 罕病政策有何重要?	<a href="https://youtu.be/UNtRt1NLele">https://youtu.be/UNtRt1NLele</a>

—全文完—