



「罕病研討會 2022」

~回應觀眾提問~

A · 醫務衛生局的回應

問題：在基層醫療服務中，不同服務提供者可以如何幫助罕見病患者及其照顧者？地區康健中心可以在其中扮演什麼角色？

回覆：政府正逐步在全港十八區設立地區康健中心及地區康健站，從而建立一個以預防為中心的基層醫療體系。地區康健中心以預防工作為重點，在基層醫療層面提供預防疾病服務，並專注於第一、第二及第三層預防，包括健康推廣和教育、健康風險評估服務、糖尿病及高血壓篩查、慢性疾病管理及社區復康服務，以提升市民對個人健康管理和預防疾病的意識。

罕見病一般都需要專科或醫院的治療和長期覆診，無論藥物和輔助儀器都需特別專門醫學知識處理，並非屬基層醫療的範圍。儘管如此，康健中心作為地區基層醫療樞紐，會負責協調區內其他提供社福及醫療健康服務的社區夥伴，為有需要的市民提供轉介服務。就罕見病患者及其照顧者而言，康健中心可對於合適的社區支援作出介紹。

B · 醫院管理局的回應

問題 1：有一大部份的罕見病患者都有腦痙症，並經常有抽筋的情況，請問：

1.1 可否加快和加強引入新藥？

1.2 可否和政府有關部門要求引入 CBD oil 來控制抽筋？

1.3 很多罕見病都是因基因突變，政府未來會加強基因治療 (gene therapy) 嗎？

1.4 得悉有些醫療偵測犬，可嗅出人類的疾病 (包括抽筋) 並做出警示，這可大大改變照顧者的生活質素，因為不用 24 小時看顧病患。香港有沒有相關服務和支援？如沒有，會否考慮增加此類服務？

回覆 1.1：

醫院管理局 (醫管局) 非常重視為所有病人提供適切治療，同時確保能以最有效的方式運用公共資源。醫管局設有既定機制，定期評估新藥物和檢討藥物名冊及安全網的資助範

圍。評估過程以實證為本，並考慮藥物的安全性、療效、成本效益和其他相關因素，包括國際間的建議和做法，以及專業人士的意見等，務求以公平有效的方式運用公共資源，讓病人得到適切的治療。

醫管局會繼續密切留意臨床醫療和科研實證的最新發展，聽取病人團體的意見和建議，以期把合適的藥物納入藥物名冊和安全網的資助範圍，並對藥商的各項建議持開放態度，以便個別病人可盡快展開新藥物療程。醫管局會視乎服務需要與相關藥廠進行磋商，以探討制定個別藥物計劃的可行性，以便進行將新藥物納入醫管局藥物名冊的評估工作，讓個別病人及早使用新藥。

回覆1.2:

政府即將把大麻二酚(CBD) 列為《危險藥物條例》下的危險藥物，危險藥物乃屬香港藥劑業及毒藥管理局規管範疇。醫生會根據專業診斷及病人的臨床情況處方合適的藥物。

回覆1.3:

特區政府已於 2021 年成立香港基因組中心。自中心全面運作以來，醫管局與其他相關機構一直有參與合作，以推行香港基因組計劃。有關計劃詳情，可瀏覽香港基因組中心網站 (www.hkgp.org)。

回覆1.4:

動物訓練並非公立醫院服務，煩請向其他相關部門跟進。

問題2：研發藥物需要藥廠支持，請問政府有什麼資助呢？

回覆2：醫管局支持推動臨床試驗發展。有關政府資助不屬醫管局的事務範圍，請聯絡相關政府部門。

問題3：有些罕病組織已有病人名冊,政府會否先與他們聯絡,優先處理呢？

回覆3：為加強對不常見疾病患者的支援，政府和醫管局會陸續推行一系列措施。當中包括為個別不常見疾病建立資料庫 (首階段包括脊髓肌肉萎縮症和現時初生嬰兒代謝病篩查計劃涵蓋的代謝病)，以輔助臨床診斷和治療。

問題4：高拔陞醫生提到未來瑪嘉烈醫院將會集中治療成年不常見代謝性疾病，資料有助建立不常見疾病資料庫，但有部份成人非代謝性不常見疾病，散落於兩所教學醫院作治療，這些病種會如何被整合於這個不常見疾病資料庫，這些病種會否被延遲加入？

問題5：成人非代謝性不常見患者，在治療面對重重困難，如果代謝性疾病先行，非代謝性疾病患者在什麼時候能夠被納入在內？

回覆4 & 5: 醫管局已為脊髓肌肉萎縮症，和「初生嬰兒代謝病篩查計劃」下的25種疾病建立資料庫。有關資料來自醫管局臨床系統的現存紀錄，再經醫護人員核實並進行分析。資料庫涵蓋每種疾病的病人總數、年齡組別、性別，及在世／死亡狀況。此外，醫管局亦計劃按照國家標準及採用國家第一批罕見病目錄，進一步擴充不常見疾病資料庫，以加強對其他不常見疾病患者的支援。

Question 6: My son is suffering from "Hypophosphatemic rickets: Medullary nephrocalcinosis on vitamin D" for more than 15 years. I know there is a new medicine for this kind of illness but the government hospital told me that the new medicine will only be provided to children (unfortunately, my son has reached 20 years old). What can I do in order to help my son get access to the new medicine?

Reply to Q6: HA clinicians would prescribe appropriate drug treatments on evidence basis and the use of drug is according to patients' clinical conditions and established treatment guidelines.

###