



香港罕見疾病聯盟
RARE DISEASE HONG KONG

罕病研討會2021

回應觀眾提問



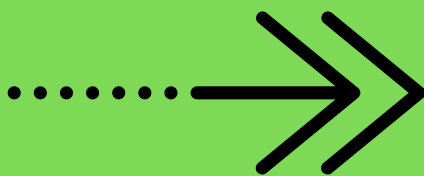
問題 (1)

- 罕病患者要獲政府資助用藥，是否必須要藥廠先提供免費試藥計劃？
- 據聞治療叢狀腦纖維瘤的藥物將會在港推出，醫管局會否在藥物等待衛生署審批期間，預先與藥廠開始商談長遠藥物資助？
- 我是一名小腦萎縮症患者，請問是否需要《病人名冊》累積足夠人數，才可參與藥物臨床測試？



醫管局對問題 (1) 的回應

- 藥廠提供的特別用藥計劃和醫管局提供的藥物資助沒有必然的關聯。
- 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。



醫管局對問題 (1) 的回應

- 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，以及探討為患有特定不常見疾病的病人提供藥物的長遠安排。

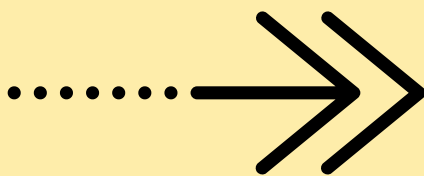
問題 (2)

- 有講者提到醫管局設有「特別用藥委員會」，請問委員會是如何運作？
- 委員會內有那些成員和多久開一次會？
- 批准或拒絕引入藥物機制是什麼？



醫管局對問題 (2) 的回應

- 由於社會對極度昂貴藥物治療的需求不斷增加，醫管局於2018年設立了「特別用藥委員會」。委員會按現有機制和循證醫學原則，並在專家小組的支援下，評審為個別病人提供特別用藥計劃的申請，以便有特別臨床需要的病人（包括不常見疾病患者）能及早在公立醫院及診所接受指定的極度昂貴藥物治療。醫管局會把獲上述委員會支持的指定藥物呈交扶貧委員會審議，以考慮納入關愛基金醫療援助項目的資助範圍。



醫管局對問題 (2) 的回應

- 「特別用藥委員會」的主席為一名醫院聯網總監，成員包括醫管局及醫院行政管理人員、專家小組主席、不同臨床專科的醫生和藥劑師等。醫管局會因應服務發展和運作需要，不時檢討委員會的組成，以確保能充分收集專家的意見。

問題 (3)

- 我是一名已在公立醫院神經科跟進兩年的病人，在醫生檢驗後仍未得到明確診斷，請問怎樣可以參加基因組計劃？



醫管局對問題 (3) 的回應

目前是基因組計劃的先導階段，參加者必須符合以下任何一項條件，並經由指定夥伴中心〔香港兒童醫院、威爾斯親王醫院和瑪麗醫院〕轉介，才可以參與計劃：

- 臨床資料顯示患有有可能與遺傳有關的未能確診病症病人及其家屬；或
- 臨床資料顯示患有與遺傳有關的癌症病人及其家屬。

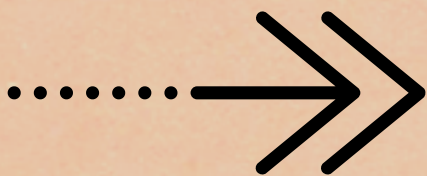
問題 (4)

- 醫管局針對神經纖維瘤病，
會否提供一站式覆診？



醫管局對問題 (4) 的回應

- 不同類型的神經纖維瘤病引發不同的症狀，病人的臨床情況都不盡相同，所需由不同專科/專職醫療提供的治療、覆診跟進、監測和評估密度亦各異，故醫管局暫時未能提供一站式的服務。



問題 (5)

- 面對種類繁多的罕病藥物，請問醫管局如何按優次引入藥物？
- 現時醫管局有否關注藥廠開發的罕病新藥？如何按優次引入？



醫管局對問題 (5) 的回應

- 醫管局設有既定機制，定期評估新藥物和檢討《藥物名冊》及安全網的涵蓋範圍。評估過程以實證為本，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。
- 醫管局醫生會按臨床服務需要，經由其臨床部門主管及聯網／醫院藥事委員會遞交新藥物申請，供醫管局藥物建議委員會考慮納入《藥物名冊》。



醫管局對問題 (5) 的回應

- 藥業界是醫管局在管理《藥物名冊》上其中一個主要的合作夥伴，故此局方一直與業界人士保持對話；亦會在收到入藥申請後知會有關的藥商，邀請他們提供臨床實證和相關資料，以供參考。
- 醫管局歡迎藥業界不時提供市場情報資訊，並與他們緊密合作，推展特定的用藥計劃和藥物資助項目，以幫助有需要的病人。



醫管局對問題 (5) 的回應

- 為使病人盡早獲得藥物治療，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。
- 就自費藥物納入安全網方面，醫管局藥事管理委員會會定期邀請臨床醫生就納入安全網的自費藥物提出建議。



醫管局對問題 (5) 的回應

- 藥事管理委員會自2018年起把審視自費藥物納入安全網建議的工作，由每年一次增至每年兩次，以期讓病人可盡早使用合適的新藥物。
- 經藥事管理委員會的專業評審後，獲建議納入安全網的藥物名單便須通過相關的審批程序。

問題 (6)

- 過往有沒有病人曾確診患上尚未在香港出現的罕見疾病？
- 這類個案有多少？



醫管局對問題〔6〕的回應

- 醫管局沒有備存相關數據。



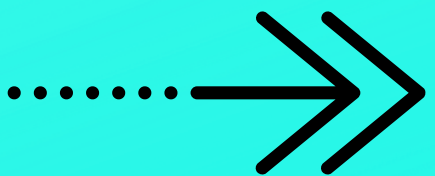
問題 (7)

- 請問董教授，你認為內地對罕藥治療可及性的工作上，最值得香港借鑑的是什麼？



講者董教授對問題 (7) 的回應

- 中國大陸在2018年頒佈的《第一批罕見病目錄》實際上是非常重要的。很多政策的出台就是基於這個目錄。
- 香港迄今仍未就「罕見疾病」作出官方定義，甚至也沒有
一份名單可供醫生或者政策制定者有方向性的徵詢相關
意見，這個對於政策制定是非常不利的。



講者董教授對問題〔7〕的回應

- 治療可及性與治療可負擔性是不能分開來看的。藥物的可及性必須考慮到可負擔性，否則便可能變成「有藥無錢醫」的情況，對病人來說是不合理、也是不公平的。
- 內地這兩年也有很多增強藥物可及性和可負擔性的嘗試。例如「多方共付」的機制的建立，在地方層面上，已經有一些可以借鑒的例子。
- 香港政府和病人組織可以拓寬思路，從多個相關方共同協作的角度去解決罕藥的問題。

問題 (8)

- 在內地《十四五規劃綱要》中，有沒有就應對罕見疾病作出規劃的內容？

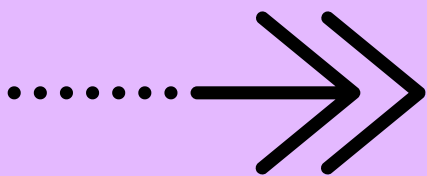


講者董教授對問題 (8) 的回應

是有的。請參見《第四十四章 全面推進健康中國建設》

第二節 深化醫藥衛生體制改革

堅持基本醫療衛生事業公益屬性，以提高醫療質量和效率為導向，以公立醫療機構為主體、非公立醫療機構為補充，擴大醫療服務資源供給。加強公立醫院建設，加快建立現代醫院管理制度，深入推進治理結構、人事薪酬、編制管理和績效考核改革。加快優質醫療資源擴容和區域均衡佈局，建設國家醫學中心和區域醫療中心。加強基層醫療衛生隊伍建設，以城市社區和農村基層、邊境口岸城市、縣級醫院為重點，完善城鄉醫療服務網絡。



講者董教授對問題〔8〕的回應

加快建設分級診療體系，積極發展醫療聯合體。加強預防、治療、護理、康復有機銜接。推進國家組織藥品和耗材集中帶量採購使用改革，發展高端醫療設備。完善創新藥物、疫苗、醫療器械等快速審評審批機制，加快臨床急需和罕見病治療藥品、醫療器械審評審批，促進臨床急需境外已上市新藥和醫療器械儘快在境內上市。提升醫護人員培養質量與規模，擴大兒科、全科等短缺醫師規模，每千人擁有的註冊護士數提高到3.8人。實施醫師區域註冊，推動醫師多機構執業。穩步擴大城鄉家庭醫生簽約服務覆蓋範圍，提高簽約服務質量。支持社會辦醫，鼓勵有經驗的執業醫師開辦診所。

罕病研討會2021

回應觀眾提問到此為止，

感謝大家的支持！

BYE BYE
BYE BYE

THANK
YOU