



4月28日 勉逆歷 - 世界免疫缺乏症關注週



5月14日 小腦萎縮症協會 - 赴台參加第九屆小腦共濟失調國際研討會



6月10日 黏多醣暨罕有遺傳病互助小組 - 參觀旺角警署



5月26日 結節性硬化症協會 - 週年大會



6月17日 雷特氏症協會 - 親親父親音樂茶聚

## 罕盟活動相



6月19日 - 就 RPP 與勞福局會面



6月11日 - 肌健協會罕見病政策專題採訪會



6月5日 - 「在康復政策與服務中應用《國際功能、殘疾和健康分類》」北京及濰坊考察團匯報及研討會

### 與罕盟有聯繫組織包括：

- |                |                |                |                         |                      |
|----------------|----------------|----------------|-------------------------|----------------------|
| <br>香港天使綜合症基金會 | <br>香港肌健協會有限公司 | <br>香港雷特氏症協會   | <br>小而同罕有骨節疾病基金會        | <br>香港黏多醣症暨罕有遺傳病互助小組 |
| <br>香港視網膜病變協會  | <br>香港小腦萎縮症協會  | <br>脊髓肌肉萎縮症基金會 | <br>香港結節性硬化症協會          | <br>香港肌無力協會          |
| <br>系統性血管炎互助小組 | <br>勉逆歷        | <br>香港神經纖維瘤協會  | <br>Fragile X Hong kong | <br>PNH 病人權益關注組      |

## 罕盟現有會員來自 64 種罕病類別： 本期截至 2018 年 5 月底，新增 11 種包括

1. 威爾森氏症 (Wilson Disease)
2. 視神經脊髓炎 (Neuromyelitis Optica)
3. 貓哭症 (CRI DU CHAT Syndrome)
4. Supernumerary Chromosome 8
5. 面肩胛肱型肌營養不良症 (Facioscapulohumeral Muscular Dystrophy)
6. 甘迺迪氏症 (Kennedy Disease)
7. 再生不良性貧血 (Aplastic Anemia)
8. 進行性肌肉骨化症 (Fibrodysplasia Ossificans Progressiva) (FOP)
9. 腓骨肌肉萎縮症 (Charcot Marie Tooth Neuropathy)
10. 楓糖尿症 (Maple Syrup Urine Disease)
11. KCNQ2

### 罕盟按：

內地雖暫未有針對罕見疾病的法例及定義，但中央正逐步落實針對罕見疾病的措施，部分省市醫院早已設立罕病資料庫，可見，自詡醫療系統完善的香港在此相形見绌，期望盡快效法。



## 內地公佈罕見疾病名單消息

中國國家衛生健康委員會、科學技術部、工業和信息化部、國家藥品監督管理局、國家中醫藥管理局於 5 月中下旬聯合發佈了《第一批罕見病目錄》，收錄了 121 病種。（詳見於本會網頁）

內地「醫政醫管局」亦於 6 月 5 日公佈了 17 條「罕見病目錄制訂工作程序」，當中就申請條件、遴選及納入程序等作出的規範性的指引，撮要內容包括：

【第四條】納入目錄的病種應當同時滿足以下條件：

- （一）國際國內有證據表明發病率或患病率較低；
- （二）對患者和家庭危害較大；
- （三）有明確診斷方法；
- （四）有治療或干預手段、經濟可負擔，或尚無有效治療或干預手段、但已納入國家科研專項。

【第五條】國家衛生健康委員會罕見病診療與保障專家委員會（以下簡稱專家委員會）負責提供技術支持和政策建議，專家委員會辦公室負責罕見病病種申報材料的接收、匯總和整理等日常工作。

【第十一條】國家衛生健康委員會根據專家委員會辦公室建議和申請情況，組織召開專家委員會全體擴大會議，邀請相關領域專家進行研究論證。

【第十二條】專家委員會和相關領域專家根據本程序第四條規定，經論證形成目錄（徵求意見稿）並經專家簽字提交國家衛生健康委員會。

【第十三條】國家衛生健康委員會就目錄（徵求意見稿）向國家有關部門、省級衛生健康行政部門、國家級行業學會或協會、民政部註冊登記的相關民間組織徵求意見。根據回饋意見情況，決定是否按照第十一條規定再次召開論證會議，並最終確定目錄。

【第十四條】國家衛生健康委員會（會同國務院有關部門）公佈罕見病目錄。

## 香港康復計劃

香港康復計劃正於本年度進行十年一度的檢討諮詢，罕盟早於去年十二月及今年的五月份訂定範疇階段提交了意見書，內容包括兩大範疇：

- |           |                  |
|-----------|------------------|
| (一) 凌駕性課題 | (二) 罕病相關課題       |
| ◎ 檢討的題目   | ◎ 設立「罕病患者全人個案經理」 |
| ◎ 殘疾定義    | ◎ 優化申領綜援機制       |
| ◎ 政策目標    | ◎ 提供就業誘因         |
| ◎ 殘疾服務資料庫 | ◎ 優化暫托服務         |

罕盟亦於六月中旬應政府委託的香港理工大學顧問團的邀請，協助組織罕見疾病聚焦小組，分別就罕病家庭對「個案經理」的需求、特殊住屋需要、照顧者的需求、維生儀器的津助與護理技術支援、自助組織服務、傷殘津貼、院舍的輪候、暫託服務及中短期殘疾人士宿位、特殊需要學生的升學、發展及就業等等全面表達意見。



# 講題：「政府公營醫療如何資助昂貴藥物——罕見病病人的支援足夠嗎？」

自去年底政府（食衛局）宣佈委託獨立顧問團就有關極昂貴藥物資助方式進行諮詢及研究後，在學界、醫護專業界、藥業界、罕見疾病群體、長期病患者間均引發了大量討論，為的無非是希望透過上述研究，建構一個更具「人性化」的資助藥物制度。

是日罕盟出席了由天主教團體及聖保祿醫院共同舉辦之講座，探討採取那種方式，以看待及面對資助昂貴醫藥的實況。主講嘉賓包括：香港中文大學生命倫理學中心總監區結成醫生、立法會社會福利界邵家臻議員、聖神修院神哲學院倫理神學教授阮美賢博士及罕盟會長曾建平先生。

是次講座涉獵多個範疇，包括：

- （一）醫學界使用質量調整壽命年（QALYS）的原因及醫療公義論述；
- （二）罕病群體對本港醫療政策的參與及期望；
- （三）以施政角度評價政府於資助醫藥的投放力度；及
- （四）從宗教角度探討醫療倫理問題



講座末段特設問答環節，讓參加者與講者充份交流，當中有照顧者坦言擔心新藥物資助政策能否為他們的處境帶來實際改善，亦希望會上講者的意見能引領政府積極回應病患群體的訴求。

## 第九屆歐洲罕見疾病及藥物會議（ECRD2018）

由 EURORIDS 主辦的第九屆 ECRD 於 5 月 12 日在維也納舉行，共有來自 58 個國家超過 900 名參加者、以及 120 位講者參與，為關注罕病的持份者帶來圍繞以下六個課題的連串講座：

- 如何建構罕病研究及提升診斷水平
- 醫藥突破：監管、健康科技應用、專家及患者協作
- 「數碼化」患者
- 生活質素
- 醫療經濟學與罕見疾病
- 全球罕病平權：我們到達了麼？



在主講環節裡，歐盟衛生及食物專員 Vytenis Andriukaitis 表明歐盟非常關注罕見疾病的發展。為了可見的將來，歐盟已作好資源投放準備，歡迎各國病人組織和持份者向當局積極發表意見，為資源分配及罕病患者的福祉出謀獻策。相形之下，香港政府近年對罕病迂迴漠視，甚至對罕病定義仍未作出絲毫承諾，自然有著強烈的對比。

是次會議的其中一個核心訊息，是深化罕病議題與聯合國《殘疾人權利公約》的關係。過往罕病組織在倡議罕病議題時，較少透過《公約》論點出發並作出討論，使議題分散，難以聚焦，或淪為單純的醫療資源分配的狹窄議題。而透過強調《公約》成員國的責任，可望加強罕病議題的滲透力，更可藉聯合國可持續發展目標提出的「一個也不能遺留」（Leave no one behind）的呼籲，致力於 2030 年前處理世界健康與罕病相關議題。

在醫療經濟學的課題裡，有講者指出過往醫藥界採用 QALYS，主要是為了迎合「服務」需要及套用了「功利主義」的思維模式管理。而隨著現今社會不斷發展，這種醫療經濟學亦需與時並進，以反映公民社會中人民的真實訴求。講者更引用不同研究數據，證明 QALYS 並非確定「成本效益」的金科玉律，特別是應用在罕病藥物之上時，QALYS 並不是反映實際情況的理想工具。

在「大數據」時代，罕見疾病無疑受惠不少，因此是次會議中不乏針對數據收集及研究的討論。罕盟亦與「RareConnect」及「EURORIDS - Rare Barometer Voices」取得溝通，稍後將強化雙方合作，鼓勵香港罕病群體使用新科技，提供寶貴的數據及吸收外國最新的疾病資訊。

## 中大罕病研究 調查進展

罕盟委託香港中文大學公共衛生及基層醫療學院於本年四月初開展了一項針對罕見病人及照顧者的研究，旨在對患者的健康需要、治療安排、生活質素等進行深入調查，並期望收集約 400 人（200 名罕病患者，200 名家屬或照顧者）的數據進行政策研究及分析，建議改善相關政策或措施。

自四月以來，我們成功與 270 名參加者進行面對面的調查。平均約 1 小時的會面過程中，不少參加者表示問卷內容很能反映疾病的歷程、難處及影響。有參加者表示對這份問卷期望很高，在訪問前預備好文稿，希望把訴求上達政府有關部門，改善他們的生活質素。

罕盟繼續誠邀罕見病人、家屬、照顧者參與，並期望協助通知或轉介適合此研究的對象，收集更多真憑實據，凝聚更大的聲音和力量，使更多人關注罕見疾病，加強對罕見疾病群體的支援。



# 香港電影金像獎

《得道多助》曾建平，寫在第37屆香港電影金像獎頒獎禮之後

隨著各大獎項的得主相繼揭曉，第37屆香港電影金像獎頒獎典禮在高潮中劃上完美的句號。

頒獎禮的一項創舉，是一群罕病患者和照顧者，與眾多影藝名人，史無前例地結伴同行在紅地毯上，傳達罕病患者的呼聲，無疑為娛樂界以至全香港帶來震撼。

有人問我：「罕盟有什麼本事，居然可以在眾星拱照的東方奧斯卡頒獎禮上，道出你們的心聲？」

去年12月初，爾冬陞導演透過張超雄議員聯絡罕盟，表示第37屆香港電影金像獎頒獎典禮將設立「金像同行」計劃，表達影藝界對社會事務的爱心和關懷，扶助社會上最需要的一群，他們覺得罕病患者的處境應引起社會的關注。我們見面談了一句鐘，一拍即合，密鑼緊鼓地分工合作，在短短幾個月內使夢想成為現實。

罕盟只是一個成立三年出頭的微型病人組織，本事不大。我們一直有賴一位又一位罕病患者和照顧者站出來，向香港人講他們的真實故事，道出他們延續生命的需要與現時體制和服務的落差。當越來越多香港人聽到這些故事，了解罕病患者的境況，越來越多香港人就自然地作出人性的本能反應——罕病患者不應該是香港的孤兒，我們應該伸出援手！

這就是得道多助，道在我也。

衷心感謝爾冬陞導演以及所有籌備和出席頒獎禮的影藝界朋友和嘉賓！

希望為政者也聽到香港人的呼聲！

鳴謝 漫畫家小克、香港電影金像獎協會



## 罕盟活動贊助機構 HKARD Activity Sponsors



香港罕見疾病聯盟  
Hong Kong Alliance for Rare Diseases

九龍長沙灣麗閣邨麗萱樓地下 101 號  
電話：(852) 2708 9363 電郵：info@hkard.org 網址：www.hkard.org