

立法會衛生事務委員會

不常見疾病藥物的政策

目的

本文件向委員簡介為公立醫院及診所的不常見疾病病人提供藥物治療的政策及透過關愛基金資助合資格病人購買價錢極度昂貴的藥物（包括用以治療不常見疾病的藥物）的建議。

背景

2. 目前，國際間對於不常見疾病並沒有一致的定義，不同國家的定義會因應各自的醫療系統和情況而有所不同。由於不常見疾病的個案數目不容易掌握，關於其病因的可靠資料或數據亦不足，而且部分疾病的治療方法獲發現的時間尚短，醫院管理局（醫管局）現時並沒有就不常見疾病作出定義。醫管局醫生會為所有到公立醫院及診所求診的病人，按既定程序就其病情作出評估。在作出診斷後，醫生會根據病人的臨床情況和治療指引，為病人提供適切的醫療護理服務。

3. 治療不常見疾病的藥物價格可以十分高昂，但其療效卻因應病人的臨床情況而有所不同。本港的公營醫療服務獲政府大幅資助，而藥物治療是醫療服務的一個重要部分。醫管局的用藥總開支由二零零五至零六年度的 21.9 億元增至二零零九至一零年度的 26.8 億元，及二零一五至一六年度的 45.7 億元，約佔醫管局總開支的 8.3%。

4. 醫管局自二零零五年七月起實施藥物名冊，目的是透過統一所有公立醫院和診所的藥物政策及用藥，確保病人可公平地獲處方具成本效益並經驗證為安全及有效的藥物。藥物名冊發展框架所依據的核心價值包括循證醫學、合理使用公共資源、目標補助、機會成本考慮，以及促進病人的選擇。醫管局採用

實證為本的方針和依循藥物的安全性、療效和成本效益三大原則，評審藥物名冊的入藥申請，並會一併考慮其他相關因素，包括國際間的建議和做法、科技的轉變、疾病狀況、病人用藥的依從性、生活質素、用藥的實際經驗，以及專業人士和病人團體的意見。醫管局基於以上核心價值和原則為藥物名冊納入新藥物和定期檢視藥物名冊內的藥物分類。

5. 醫管局按照既定機制，不斷擴大藥物名冊的涵蓋範圍，讓更多病人可在公立醫院和診所以標準費用使用安全和有效的藥物。在二零零五年七月至二零一七年一月期間，醫管局共把 188 種新藥物加入藥物名冊，包括 22 種通用藥物、100 種專用藥物，以及 66 種自費藥物。此外，期間有 31 種自費藥物獲納入撒瑪利亞基金安全網的資助範圍，以及 16 種自費藥物獲納入關愛基金醫療援助項目的資助範圍。現有藥物也會按實際情況重組類別(例如由自費藥物或獲安全網資助的自費藥物轉為專用藥物、由專用藥物轉為通用藥物等)，而一些過時或不再使用的藥物則會從藥物名冊中剔除。此外，政府在二零零九／一零年度至二零一六／一七年度共增撥逾 8.6 億元經常撥款予醫管局，分階段把 21 種自費藥物(包括 6 種獲安全網資助和 15 種不獲安全網資助的自費藥物)轉為專用藥物，並擴闊藥物名冊內 38 類治療組別專用藥物的臨床應用。

6. 部分用以治療不常見疾病的藥物屬於極度昂貴藥物。醫管局藥物建議委員會在評估申請納入藥物名冊的新藥物時，會貫徹第 4 段所述之原則及考慮因素。另外，醫管局設立了獨立專家小組機制，就特定的不常見疾病制訂治療方案，並評估個別患者接受藥物治療的實質療效。考慮到不常見疾病患者接受極為昂貴藥物治療的需求日增，政府分階段向醫管局提供每年共 7,500 萬元的額外經常撥款，以應付這類患者的需求。現時治療六種溶酶體貯積症(即龐貝氏症、高球氏症、法柏氏症及黏多醣症第一、二及六型)的藥物價格十分高昂，但如證實有關治療能為個別病人帶來明顯的臨床效益，醫管局會以標準收費向他們提供所需的藥物治療。

7. 隨著醫療科技發展日新月異，藥業市場上逐漸出現一些新藥物，其中包括用以治療不常見疾病的藥物，在市場上的價格可以大幅比目前撒瑪利亞基金涵蓋的藥物的價格高。然而，這些極度昂貴的新藥物在安全性和療效方面的實證及不同病人對用藥的臨床反應可以有很大差異，而且評審入藥申請時亦需考慮藥物的成本效益及機會成本。況且這些極度昂貴藥物不是一

般病人所能承擔，目前撒瑪利亞基金的經濟審查準則並不完全適用，因此這些藥物在財務上的安排及可持續性尚需探討。

關愛基金建議項目

8. 有鑑於以上極度昂貴藥物的問題，以及下列(a)至(c)的考慮，政府及醫管局建議透過關愛基金新增援助項目—資助購買價錢極度昂貴的藥物（包括用以治療不常見疾病的藥物）：

- (a) 現時撒瑪利亞基金的藥物資助及關愛基金醫療援助項目(首階段計劃)藥物資助的經濟審查準則，是根據目標補助的原則，病人需要按其家庭負擔能力分擔所需藥物的費用。然而，這套準則對於這些價錢極度昂貴的藥物來說並不完全適合，部分中產的病人家庭或會因此需要分擔或自費一年數百萬的藥費，加上需要長期使用這些藥物，使他們的資產迅速被耗用而承受沉重的經濟負擔。所以這些價錢極度昂貴的藥物的經濟審查準則需要作出相應修改；
- (b) 醫管局需就極度昂貴藥物的治療方案累積更多用藥經驗，以便為病人制定長遠的適切治療方案。醫管局在過程中會密切留意國際間的建議和做法；
- (c) 其他地區就不常見疾病醫療資助有不同的安排，有些地區亦會透過特定撥款資助病人，所以醫管局需時評估撒瑪利亞基金支持相關藥物的適合性。

9. 此建議項目能讓有需要的病人及早使用這些極度昂貴的藥物，發揮關愛基金補漏拾遺的功能及先導作用。同時並採用經調整的經濟審查準則，以試驗其可行性及認受性。

建議項目細節及運作細節

(i) 篩選指定藥物的機制

10. 我們建議採用醫管局現時的藥物評審機制，篩選合適的指定藥物提交關愛基金專責小組考慮，然後由扶貧委員會作最後審批。

(ii) 建議的受惠對象及申請流程

11. 現時撒瑪利亞基金及關愛基金醫療援助項目(首階段計劃)其中一項申請資格為「符合資格人士」身份。考慮到建議項目所資助的藥物極度昂貴，我們建議項目只限香港永久性居民申請，而一些在港求學或持工作証的非香港永久性居民將不符合申請資格。

12. 由於極度昂貴藥物療效和安全性或會因應個別患者特有的臨床情況有所不同，因此主診醫生認為合適的個案需轉交專家小組作謹慎審視病人是否符合用藥的臨床準則。獲專家小組支持後，病人便可開展申請程序，經主診醫生轉介至醫務社會工作者(醫務社工)作經濟審查。通過經濟審查的病人，其申請會轉交醫管局總部負責審批。經醫管局審批後，再由醫院向病人發放藥物。

(iii) 經濟審查準則

13. 至於建議的經濟審查準則，亦根據目標補助的原則而制訂。雖然撒瑪利亞基金有關藥物資助的準則並不完全適合這些極度昂貴藥物，建議的經濟審查準則會參照撒瑪利亞基金藥物資助的經濟審查準則，再加入每年最高 100 萬的分擔額。換句話說，病人所分擔的藥費上限為病人家庭的可動用財務資源的百分之二十或 100 萬(取較低者)(見附件)。有關設計的目的，是確保一些中產病人家庭不會因為負擔每年數百萬的藥費而迅速耗用其資產，導致其家庭生活質素有急劇改變。

(iv) 建議引入的藥物及預計受惠人數

14. 醫管局建議首先納入治療陣發性夜間血紅素尿症(Paroxysmal Nocturnal Haemoglobinuria, PNH)的藥物「依庫珠單抗」(Eculizumab)，為指定高風險及會引發嚴重併發症的病人使用。這項新藥物經有效減低血管內溶血，降低血栓併發症的風險(例如中風和心肌梗塞)和輸血的需要。醫管局估計首 12 個月約有 10-16 名病人申請關愛基金資助使用此藥，預計首 12 個月資助金額最高為 6,770 萬元。

往後發展

15. 建議項目因預計需要較長的時間去作檢討，因此應持續一段時間。在項目運作期間，醫管局會按現行檢討機制定期篩選

合適的藥物，供關愛基金專責小組考慮，然後由扶貧委員會作最後審批。

16. 若檢討後認為經調整的經濟審查準則可行及可接受，政府及醫管局會研究將極度昂貴的藥物納入撒瑪利亞基金或其他基金安全網的可行性。

17. 上述建議已獲得關愛基金專責小組的支持，並計劃提交扶貧委員會在其下次會議作出考慮。如項目獲接納，醫管局的目標是於 2017 年 8 月開始接受申請。

18. 醫管局會繼續留意國際上有關不常見疾病的研究，以及其他經濟體系在不常見疾病醫療政策方面的發展，以期優化藥物名冊和加強對本地病人的支援。醫管局歡迎各方提出為不常見疾病患者提供可持續財政資助的建議，並會繼續與相關藥商合作，務求長遠為這類病人提供可持續、可負擔和適切的支援。

徵詢意見

19. 請委員察悉本文件所載建議及提供意見，讓有需要的病人及早使用這些價錢極度昂貴的藥物。

**食物及衛生局
醫院管理局
二零一七年三月**

經濟審查準則

1. 建議項目的經濟評估方法，將參照撒瑪利亞基金現行藥物項目費用資助的經濟審查準則，以病人家庭每年可動用的財務資源作為決定其經濟負擔能力的指標，並按既定的累進計算表來決定病人需要分擔的費用。有關每年可動用財務資源，是以家庭每年的總收入減去認可扣減項目，再加以家庭的可動用資產計算出來，詳細的計算如下：

每年可動用財務資源 =

$$\left(\begin{array}{l} \text{每月家庭收} \\ \text{入總額}^1 \end{array} - \begin{array}{l} \text{每月認可扣} \\ \text{減項目}^2 \end{array} \right) \times 12 + \left(\begin{array}{l} \text{可動用} \\ \text{資產}^3 \end{array} - \begin{array}{l} \text{可扣減的} \\ \text{豁免額}^4 \end{array} \right)$$

2. 基金會根據病人的每年可動用財務資源，按累進計算表來決定病人須分擔費用的比率和數額（詳見表一）。每年可動用財務資源偏低的病人，所須分擔的費用亦較低，並會獲得基金較大數額的資助。同時，病人所分擔的藥費上限為病人家庭的可動用財務資源的百分之二十或100萬（取較低者）。

¹ 計算包括薪金、退休金、源自子女、親屬和朋友的資助、病人家庭資產及土地物業帶來的收入以及賠償金。至於普通傷殘津貼、高額傷殘津貼、高齡津貼、長者生活津貼及專上學生資助計劃的資助／貸款等政府資助則不被列為家庭收入。

² 包括對上 12 個月的租金或按揭供款、差餉、地租、病人自住物業的管理費（以上項目總和的上限為每月家庭總收入的百分之五十）、薪俸稅、病人同住家庭成員可獲得的個人豁免額（表二）、子女託管支出、公積金供款、子女（21 歲以下）就讀中學或以下級別的學費（其他開支，例如學校活動費用、住宿費用等，則不包括為認可扣減項目）、以及在公立醫院／診所就醫的醫療費用（已獲撒瑪利亞基金及／或關愛基金醫療援助項目（首階段計劃）資助的藥物費用及申請資助的藥費除外）。

³ 包括申請人於遞交申請表時其本人和家庭成員所持的現金總額、以及透過以往不同途徑的儲蓄所累積的存款、股票投資、保險（指投資性的保單；壽險保單提供的紅利，但壽險保單下的現金價值則不計算在內）、貴重財物、土地物業（例如香港或香港以外地區擁有的土地、車位及住宅單位）、一筆過的賠償金及其他可兌現的資產。至於病人家庭於遞交申請表時共同自住的第一間物業（自置或租住）和所持有的生財工具則不會計算在內。

⁴ 可扣減的豁免額（表三）是為提供病人在計算其家庭可動用資產總值時可從中扣減的一筆款項。豁免額多少視乎病人的家庭成員人數而定，但不可超過病人家庭可動用資產的總值。豁免額是參照現行評估申請人是否符合資格登記公屋輪候冊所設定的資產限額而釐定，並會參照申請公屋的資產限額而定期檢討。按照現時既定機制，申請公屋的資產限額每年均會進行檢討。

表一： 累進計算表

(A) 每年可動用的財務資源 (\$)	建議項目的 分擔比率及數額		撒瑪利亞基金 現行藥物項目 費用資助的 分擔數額
	(B) 分擔 比率 (%)	(C) 病人每年 最高分擔額 (\$) $(C) = (A) \times (B)$	
0 – 20,000	-	0	0
20,001 – 40,000	-	1,000	1,000
40,001 – 60,000 [#]	-	2,000	2,000
60,001 – 100,000	5	3,000 – 5,000	3,000 – 5,000
100,001 – 140,000	10	10,000 – 14,000	10,000 – 14,000
140,001 – 180,000	15	21,000 – 27,000	21,000 – 27,000
180,001 – 2,180,000	20	36,000 – 436,000	36,000 – 436,000
2,180,001 – 4,180,000	20	436,000 – 836,000	436,000 – 836,000
4,180,001 – 6,180,000	20*	836,000 – 1,000,000	836,000 – 1,236,000
6,180,001 – 8,180,000	20*	1,000,000	1,236,000 – 1,636,000
8,180,001 – 10,180,000	20*	1,000,000	1,636,000 – 2,036,000
10,180,001 – 12,180,000	20*	1,000,000	2,036,000 – 2,436,000
12,180,001 – 14,180,000	20*	1,000,000	2,436,000 – 2,836,000
14,180,001 – 16,180,000	20*	1,000,000	2,836,000 – 3,236,000
16,180,001 – 18,180,000	20*	1,000,000	3,236,000 – 3,636,000
18,180,001 – 20,180,000	20*	1,000,000	3,636,000 – 4,036,000
20,180,001 – 22,180,000	20*	1,000,000	4,036,000 – 4,436,000
≥ 22,180,001	20*	1,000,000	如此類推

如病人的每年可動用的財務資源於六萬元或以下，他的分擔費用將會是一個定額，而計算申請人每年分擔額的方程式將不適用。

* 最高分擔比率上限設於百分之二十或 100 萬，取較低者。

表二：個人豁免額（於 2017 年 2 月 28 日更新）

家庭成員人數（包括病人在內）	個人豁免總額*（港元）
1 人	6,150
2 人	10,740
3 人	15,290
4 人	19,820
5 人	26,380
6 人	24,750
7 人或以上	27,600

按甲類消費物價指數每年調整一次，另按政府統計處的最新住戶開支統計調查結果每五年再調整一次。

表三：可動用資產總值豁免額（於 2016 年 4 月 1 日更新）

家庭成員人數 （包括病人在內）	從可動用資產扣減的豁免額 [^] （港元）
1 人	242,000
2 人	329,000
3 人	428,000
4 人	500,000
5 人	556,000
6 人	601,000
7 人	643,000
8 人	674,000
9 人	744,000
10 人或以上	801,000

[^] 款額每年調整一次