

# 立法會 *Legislative Council*

立法會 CB(2)979/16-17(07)號文件

檔 號：CB2/PL/HS

## 衛生事務委員會

### 立法會秘書處為 2017 年 3 月 20 日會議 擬備的背景資料簡介

#### 罕見疾病的政策及藥物

#### 目的

本文件就有關罕見疾病的政策及藥物的事宜提供背景資料，並概述衛生事務委員會("事務委員會")就此提出的關注事項。

#### 背景

2. 政府當局表示，現時國際間對於罕見疾病並沒有一致的定義，各國管理不常見疾病的醫療政策亦有所不同，而本港並無就罕見疾病作出定義及設立全面數據資料庫。目前，衛生署的醫學遺傳服務為懷疑受與遺傳相關疾病影響的家庭提供臨牀診斷、輔導及預防服務，醫院管理局("醫管局")則會為不常見疾病患者提供醫療服務。

3. 醫管局為病人提供藥物治療時，會依從多項核心價值，包括循證醫學、合理使用公共資源、目標補助和機會成本考慮因素。由於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異，醫管局已設有獨立專家小組(成員包括內科、兒科及臨床藥理科醫生和藥劑師)，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。

4. 目前，醫管局以酵素替代療法治療個別患有特定溶酶體貯積症的病人，而現正使用的藥物會列為醫管局藥物名冊的專

用藥物<sup>1</sup>，若符合特定臨床情況並經專科醫生特別授權，便會按標準收費向有關病人提供。除藥物治療外，醫管局亦會在適當情況下為不常見疾病患者提供多項專業醫療服務及其他種類的治療，包括復康療程、鎮痛治療、外科手術及骨髓移植。在 2008-2009 年度至 2015-2016 年度期間，政府分階段撥出共 7,500 萬元經常撥款，以應付不斷增加的需求，並使醫管局可持續為不常見疾病患者提供極為昂貴的藥物治療。

## 事務委員會的商議工作

5. 事務委員會曾在 2014 年 3 月至 2016 年 12 月期間，於多次會議上討論藥物名冊，並聽取食物及衛生局局長簡報有關政策措施時，討論罕見疾病的政策及藥物的相關事宜。委員的商議工作及關注事項綜述於下文各段。

6. 許多委員認為，政府當局應就罕見疾病訂定清晰的定義和政策，為這些疾病的患者及其家屬提供支援。亦有委員建議當局建立全港罕見疾病資料庫，提供本港一般罕見疾病的概要資料，藉以推動科研工作，以便為罕見疾病患者提供支援。

7. 政府當局表示，不同國家對罕見疾病的定義會因應各自的醫療系統和情況而有所不同。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。目前，醫管局有一些病人患有 6 種溶酶體貯積症，即分別為龐貝氏症、法柏氏症、高球氏症、一型黏多醣症、二型黏多醣症及六型黏多醣症。酵素替代療法是其中一種治療相關疾病的方案，該療法是為患者提供身體不足或有不正常的酵素。由於酵素替代療法的治療成效會因應病人的臨床情況而異，加上藥物價格極為昂貴，專家小組會每年逐一審視每宗個案的患者是否適合接受酵素替代療法，以及藥物所帶來的實質療效。這 6 種酵素替代

---

<sup>1</sup> 現時，有 1 300 多種藥物列入藥物名冊。這些藥物分為 4 類。公立醫院和診所在特定的臨床情況下處方的通用藥物及專用藥物，會按標準收費向病人提供。通用藥物經證實對病人有關臨床情況適用和具成本效益，並可供一般使用。專用藥物須在特定臨床情況下經專科醫生特別授權使用。如個別病人在不符特定臨床情況下選擇使用專用藥物，他們須自行支付藥物的費用。藥物名冊內的其他藥物為自費藥物，須由病人自費購買。這些自費藥物分為獲安全網資助和不獲安全網資助兩類。前者是經證實有顯著療效，但若作為醫管局一般獲資助服務提供將會對醫管局而言是極昂貴的藥物。需要這些藥物而經濟上有困難的病人，可透過撒瑪利亞基金或關愛基金醫療援助計劃申請資助，以應付這些藥物的部分或全部開支。

療法藥物已列為藥物名冊內的專用藥物<sup>2</sup>。獲專家小組批核的申請個案，醫管局會以標準收費為相關病人提供酵素替代療法的藥物治療。

8. 委員關注當局向陣發性睡眠性血紅蛋白尿症這種罕有疾病患者提供藥物治療的情況，以及患者因而承受的財政負擔。他們促請醫管局在藥物名冊加入用以治療罕見疾病的極昂貴藥物(例如陣發性睡眠性血紅蛋白尿症患者所需的依庫珠單抗(Eculizumab))。委員獲告知，醫管局一直不時主動與有關藥物供應商聯繫，務求制訂長遠及可持續的財務安排，支援有關病人。醫管局已設有機制，在緊急情況下以標準收費向個別病人(包括陣發性睡眠性血紅蛋白尿症病人)提供極為昂貴藥物的治療。醫管局承諾會向事務委員會匯報與藥物供應商聯繫安排向陣發性睡眠性血紅蛋白尿症病人提供依庫珠單抗的最新進展。

9. 因應最新的醫療技術發展，有委員建議在公營醫療系統提供無創產前 DNA 測試，用以篩查不常見的胎兒疾病。政府當局表示，衛生署和醫管局於 2015 年 10 月在伊利沙伯醫院及瑪麗醫院推行為期 18 個月的"初生嬰兒代謝病篩查先導計劃"("先導計劃")。先導計劃第一階段(2015 年 10 月至 2016 年 3 月)涵蓋 21 種先天性代謝病，第二階段(2016 年 4 月至 2017 年 3 月)擴大至共涵蓋 24 種先天性代謝病，估計每年可為約 10 000 名嬰兒進行篩查。

## 近期發展

10. 在 2017 年 1 月 26 日事務委員會會議上，委員在聽取食物及衛生局局長簡報 2017 年施政報告中醫療相關事宜時獲告知，關愛基金會推行一項全新的試驗計劃，為合資格的不常見疾病患者(例如陣發性睡眠性血紅蛋白尿症病人)提供藥物資助。另外，截至 2016 年 11 月底，先導計劃已為超過 11 000 名嬰兒進行先天性代謝病篩查。由 2017-2018 年度第二季開始，衛生署和醫管局會分階段將篩查服務擴展至涵蓋所有公立醫院產房。

---

<sup>2</sup> 這些藥物包括治療龐貝氏症的 Alglucosidase alpha、治療法柏氏症的 Algalosidase beta、治療高球氏症的 Imiglucerase、治療一型黏多醣症的 Laronidase、治療二型黏多醣症的 Idursulfase，以及治療六型黏多醣症的 Glasulfase。

11. 政府當局將於 2017 年 3 月 20 日向事務委員會簡介公立醫院和診所有關治療不常見疾病患者的藥物政策，以及關愛基金擬為資助合資格病人購買極昂貴藥物(包括用於治療不常見疾病的藥物)而設的援助計劃。

## 相關文件

12. 立法會網站的相關文件載列於**附錄**。

立法會秘書處  
議會事務部 2  
2017 年 3 月 14 日

## 罕見疾病的政策及藥物的相關文件

委員會	會議日期	文件
衛生事務委員會	2014年3月17日 (項目 III)	<u>議程</u> <u>會議紀要</u> <u>CB(2)2053/13-14(01)</u>
	2015年1月19日 (項目 III)	<u>議程</u> <u>會議紀要</u>
	2015年6月15日 (項目 V)	<u>議程</u> <u>會議紀要</u>
	2016年1月18日 (項目 IV)	<u>議程</u> <u>會議紀要</u>
	2016年12月19日 (項目 III)	<u>議程</u>

立法會秘書處  
議會事務部 2  
2017年3月14日