

香港地中海型貧血病協會

The Thalassaemia Association of Hong Kong

香港薄扶林道 102 號瑪麗醫院護士宿舍 B1 座 201-203 室

Rm.201-203, Block B1, Nurses' Quarters, Queen Mary Hospital, 102 Pokfulam Rd., Hong Kong
Tel: 2889 8399 Fax: 2818 0636 E-mail: thal@biznetvigator.com

香港地中海型貧血病協會
立場書

目錄

致立法會衛生事務委員會立場書	1
<u>附件</u>	
一 地中海貧血病除鐵藥物補充資料	4
二 由政府免費提供新藥地拉羅司的國家／地區	7
三 世界地中海貧血病組織除鐵治療指引	9
四 「重型地貧病人除鐵藥物治療」問卷調查結果	11
五 前線地貧醫生／專家意見摘錄	14
六 相關剪報	17
七 23 名立法會議員聯署支持「修訂除鐵治療指引」	32
八 李炯前教授新舊地貧除鐵治療藥物成本效益比較 研究中期分析報告	34
九 香港地中海型貧血病協會 爭取修訂除鐵治療指引行動一覽	38
十 有關地拉羅司去除心臟鐵質功效的研究報告	40

香港地中海型貧血病協會
The Thalassaemia Association of Hong Kong

香港薄扶林道 102 號瑪麗醫院護士宿舍 B1 座 201-203 室
Rm.201-203, Block B1, Nurses' Quarters, Queen Mary Hospital, 102 Pokfulam Rd., Hong Kong
Tel: 2889 8399 Fax: 2818 0636 E-mail: thal@biznetvigator.com

致立法會衛生事務委員會：

立場書
修訂除鐵治療指引 讓地貧患者獲適切治療

訴求：修訂除鐵治療指引，讓醫生可按臨床情況及病人個別需要，處方最適切及對生活質素影響最少的藥物，讓病人有機會服用新一代口服除鐵藥物，達致實質的除鐵療效，並免卻他們長時間的針痛之苦，過正常人的生活。

地中海貧血病（下稱地貧）是一種基因遺傳疾病，重型地貧患者必須每月到醫院接受輸血續命，及終身接受除鐵治療，以防體內積聚過量的鐵質。現時醫管局提供的除鐵藥物有三種，包括一線傳統針劑藥物去鐵胺、二線口服藥物去鐵酮及第三線的新一代口服藥物地拉羅司。

每天打針 10 小時 副作用頻生 嚴重影響生活質素

根據現時醫管局的治療指引¹，當一線及二線除鐵藥物治療無效或出現嚴重的副作用時，重型地貧病人才可獲處方第三線新藥。因治療指引的規限，目前大部分患者仍接受傳統針劑治療，每天需忍受長達 8-10 小時打「肚皮針」之苦。長期注射會導致肚皮硬化、骨質疏鬆、骨骼變化等副作用，亦會嚴重影響患者的生活質素。

病人對針劑治療依從性低 導致鐵質負荷過重

同時，由於地貧病人對每天長時間的除鐵注射治療確實難以依從，繼而影響了除鐵成效。本會去年的調查發現，逾半本地重型地貧病人未能注射足夠時數的針藥，出現鐵質負荷過重的情況，反映出被稱為「黃金標準」的針劑除鐵藥物根本未能達致有效的除鐵目標。由於鐵質負荷過重會對患者器官造成永久性損害，挽救病人的健康實在刻不容緩。

二線藥物可引致嚴重副作用

至於二線口服藥物去鐵酮，一般只適用於六歲以上的患者。目前去鐵酮主要配合一線針劑治療混合使用，即患者需要同時服食口服藥及接受長時間注射，無助改善病人的生活質素。況且，去鐵酮有可能會導致嚴重的副作用，如白血球下降、破壞患者免疫系統等，外地曾有因白血球下降而導致死亡的個案。

¹醫管局有關地拉羅司的指引：「患嚴重地中海貧血病或輸血依賴合併有鐵超負荷的病人，當治療無效或患者因嚴重副作用，包括嚴重過敏、骨發育不良、骨壞死、嗜中性白血球減少或粒細胞缺乏，而不能繼續使用去鐵胺及去鐵酮。」

香港地中海型貧血病協會

The Thalassaemia Association of Hong Kong

香港薄扶林道 102 號瑪麗醫院護士宿舍 B1 座 201-203 室

Rm.201-203, Block B1, Nurses' Quarters, Queen Mary Hospital, 102 Pokfulam Rd., Hong Kong

Tel: 2889 8399

Fax: 2818 0636

E-mail: thal@biznetvigator.com

新藥療效及安全性已獲證實 治療指引沿用三十年未改

新藥地拉羅司面世已久，其療效、安全性近年亦已獲更多臨床及科研數據所肯定。最近美國血液科協會 ASH 於其年度會議中公佈了一項 EPIC 跟進研究，證實該藥可有效去除心臟鐵質水平。至於副作用方面，相對於二線藥物可能導致的白血球下降（5%），以及一線藥物的骨骼變形等嚴重副作用，地拉羅司一般只會引起輕微的腸胃不適，有可能引致的腎衰竭只出現於極少數的病人身上（0.3%）。

世界地貧組織早於 2007 年已發出指引，建議將新一代口服藥物地拉羅司列入一線除鐵藥物；而全球二十多個地區，包括鄰近地區如台灣、澳門及韓國等，亦已將該藥列為一線藥物。儘管新藥已獲國際認可，香港作為國際大都會，仍然沿用三十年前的治療指引，實在非常落伍。

藥物政策理念 應考慮生活質素及依從性

由於治療指引的規限，即使醫生認為病人適合服用新藥，亦不能處方，可謂有心無力。本會質疑當局是因藥物價錢的考慮，藉治療指引的規限，拒絕為病人處方具有療效的新藥。醫管局的藥物政策理念，只以是否能夠續命作為評估醫療開支的價值，已經過時。本會認為在治療的同時，也必須維持病人的基本生活質素、藥物成本效益、以及考慮病人是否對除鐵藥物有足夠的依從性和藥物的副作用。

去年香港中文大學藥劑學系兼任教授李炯前進行的除鐵藥物成本效益比較研究，已證實新藥具成本效益。而事實上，現時全港只有三百多名重型地貧病人，每年的新症只有一至兩宗。據估計，政府只需每年額外撥款約二千三百萬元，便可讓有需要的重型地貧病人獲處方適切的新藥，這對政府的財政影響非常輕微。況且病人如獲適切治療，不用每天長時間留在家中打針，也可如正常人般求學、就業，對社會作出更多貢獻。

立即回應病人、醫生及社會的訴求

多年來，本會曾多次向食物及衛生局及醫管局反映病人的苦況，而本地多名的前線地貧醫生亦先後公開指出現時除鐵治療指引的不足，但局方卻以地貧專家小組之名作為推搪。據本會所知，有關專家小組並不包括眾支持病人訴求的兒科醫生及專科醫生，欠缺代表性。本會認為，專家小組必須廣泛邀請相關及熟識地貧的前線醫生和專家出席，不應該有所篩選。本會促請，當局必須立即回應病人、醫生及社會的訴求，盡快修訂除鐵治療指引，為重型地貧患者處方最適切的除鐵藥物。

香港地中海型貧血病協會

2011 年 2 月

附件一
地中海貧血病除鐵藥物
補充資料

香港地中海型貧血病協會

The Thalassaemia Association of Hong Kong

香港薄扶林道 102 號瑪麗醫院護士宿舍 B1 座 201-203 室

Rm.201-203, Block B1, Nurses' Quarters, Queen Mary Hospital, 102 Pokfulam Rd., Hong Kong

Tel: 2889 8399

Fax: 2818 0636

E-mail: thal@biznetvigator.com

地中海貧血病除鐵藥物

補充資料

	三種用於重型地中海貧血病的除鐵藥物		
藥物學名	去鐵胺 (Desferrioxamine, DFO)	去鐵酮 (Deferiprone, DFP)	地拉羅司 (Deferasirox)
產品名稱	Desferal	Ferriprox (又名 L1)	Exjade
藥廠	Novartis	Apotex, ApoPharma Inc.	Novartis
藥物名冊 中的類別	通用藥物	專用藥物	專用藥物
治療指引	醫管局： 第一線藥物#	醫管局： 第二線藥物# (用於忌用去鐵胺或不 適合使用去鐵胺的重型 地貧患者)	醫管局： 第三線藥物# (對第一線/第二線藥物呈副 作用的患者，才獲處方@) 地中海血病國際組織 (Thalassaemia International Foundation)： 第一線藥物
服用方法	- 皮下注射（以打針機慢慢注射入皮下） - 每星期需接受五至七次治療，每次注射時間長達八至十二小時	傳統口服藥物，須每天服用三次	新一代口服藥物，每天服用一次，除鐵效能可維持 24 小時
適用年齡	三歲或以下幼童必須在小心監管下使用	只有較少用於十歲以下兒童的臨床數據	適用於兩歲或以上的患者
副作用	- 長期注射導致肚皮皮膚硬化 - 患者視覺和聽覺或會受損 - 影響骨骼成長，導致骨質疏鬆或骨枯 - 病人藥物依從性低，或令其體內鐵質繼續累積，影響其他器官	- 有可能引發嚴重副作用，如降低白血球的數量，或破壞患者的免疫系統 - 藥商早於 2006 年知會全球醫生，指藥物可能引致上述兩種嚴重情況，規定病人必須每星期	- 相對副作用較去鐵酮及去鐵胺輕微，只有短暫及程度輕微的皮疹、腸胃不適及腹痛 - 除鐵成效佳，服藥一年後患者前臂血管壁彈性上升三倍，心臟動脈硬度下跌三成，血管功能得以改善

香港地中海型貧血病協會

The Thalassaemia Association of Hong Kong

香港薄扶林道 102 號瑪麗醫院護士宿舍 B1 座 201-203 室

Rm.201-203, Block B1, Nurses' Quarters, Queen Mary Hospital, 102 Pokfulam Rd., Hong Kong

Tel: 2889 8399

Fax: 2818 0636

E-mail: thal@biznetvigator.com

	功能	抽血檢查白血球水平	
推出市場年份	逾 40 年	1999 年 8 月	2005 年 11 月
國際認證	獲 FDA** 及 EMEA^ 認可	獲 EMEA 認可	獲 FDA 及 EMEA 認可

如獲醫管局醫生處方，不用收費

@ 醫管局有關地拉羅司的臨床指引：「患嚴重地中海貧血病或輸血依賴合併有鐵超負荷的病人，當治療無效或患者因嚴重副作用，包括嚴重過敏、骨發育不良、骨壞死、嗜中性白血球減少或粒細胞缺乏，而不能繼續使用去鐵胺及去鐵酮。」

^ EMEA = The European Medicines Agency 歐洲共同體藥物評審委員會/ 歐洲藥品管理局

** FDA = U.S. Food and Drug Administration 美國食物及藥物管理局

其他相關資訊：

- 現時全港約有 378 名重型地中海貧血病患者。由於政府在八十年代初展開地中海貧血驗血檢查，即男女雙方可於結婚或計劃生兒育女之前接受檢查，現時每年新增個案只有約一至兩宗。
- 根據醫管局數字，截至 2009 年 9 月，醫管局共有 354 名病人獲處方去鐵胺，227 名病人獲處方去鐵酮（當中 121 人混合使用去鐵胺及去鐵酮），12 名病人獲處方地拉羅司。
- 據統計，已有 28 個地區政府，包括毗鄰國家如澳門、台灣、南韓及澳洲等，免費為病人提供地拉羅司。

附件二
由政府免費提供新藥地拉羅司的
國家／地區

香港地中海型貧血病協會

The Thalassaemia Association of Hong Kong

香港薄扶林道 102 號瑪麗醫院護士宿舍 B1 座 201-203 室

Rm.201-203, Block B1, Nurses' Quarters, Queen Mary Hospital, 102 Pokfulam Rd., Hong Kong

Tel: 2889 8399

Fax: 2818 0636

E-mail: thal@biznetvigator.com

由政府免費提供新藥 地拉羅司 (Deferasirox) 的
國家／地區

歐洲

1. Austria 奧地利
2. Belgium 比利時
3. Denmark 丹麥
4. Finland 芬蘭
5. France 法國
6. Germany 德國
7. Greece 希臘
8. Iceland 冰島
9. Ireland 愛爾蘭
10. Italy 意大利
11. Netherlands 荷蘭
12. Norway 挪威
13. Spain 西班牙
14. Sweden 瑞典
15. Switzerland 瑞士
16. UK 英國
17. Turkey 土耳其

24. USA 美國

25. Brazil 巴西

中東

26. Israel 以色列

27. Saudi Arabia 沙烏地阿拉伯

大洋洲

28. Australia 澳大利亞

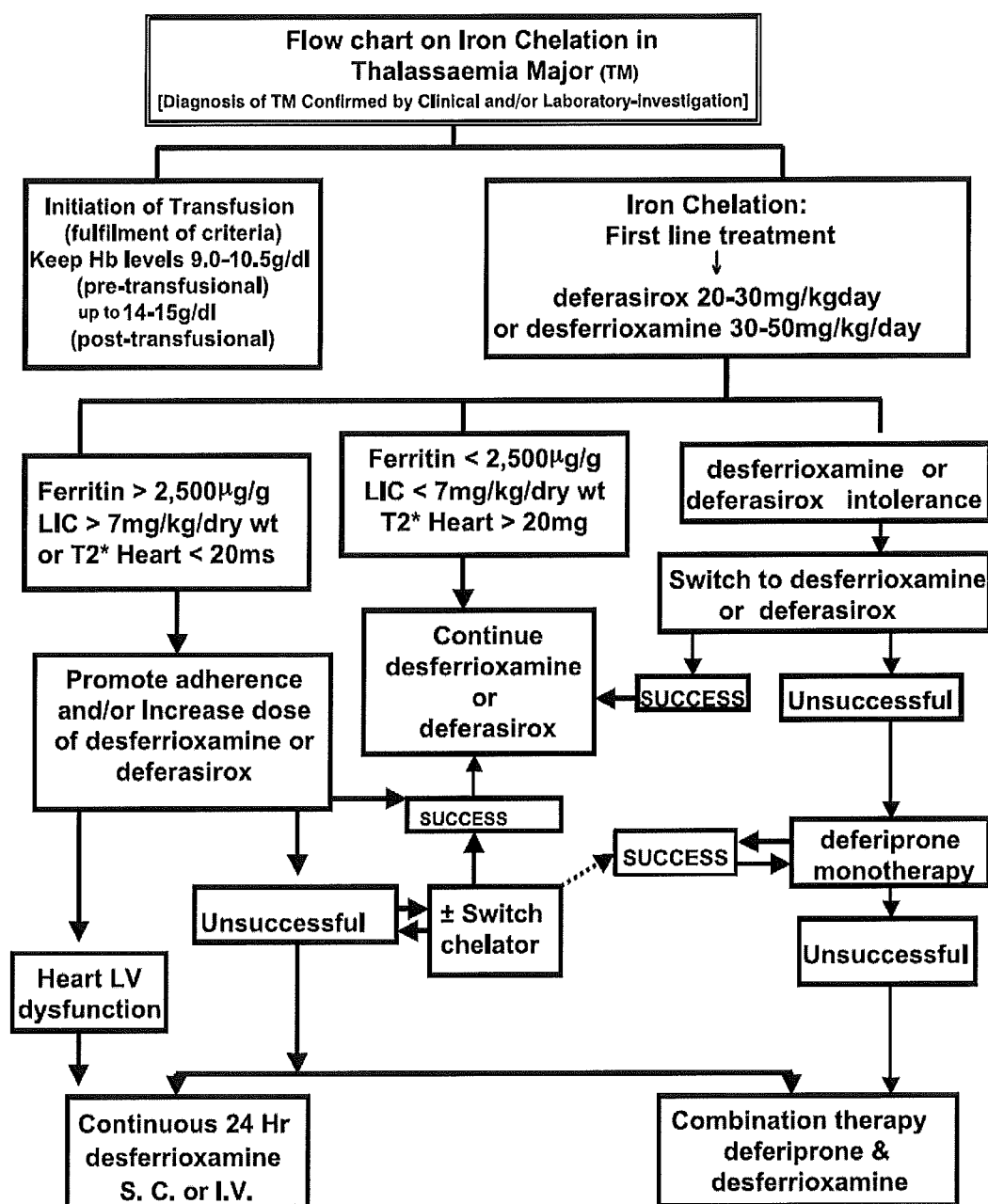
亞洲

18. Japan 日本
19. Macau 澳門
20. Malaysia 馬來西亞
21. South Korea 南韓
22. Taiwan 台灣

美洲

23. Canada 加拿大

附件三
世界地中海貧血病組織
除鐵治療指引

世界地中海貧血病組織(TIF)的除鐵治療指引¹

¹ Guidelines for the Clinical Management of Thalassaemia 2nd Edition Revised (2008),
Cappellini M-D, Cohen A, Eleftheriou A, Piga A, Porter J, Taher A,
http://www.thalassaemia.org.cy/pdf/Guidelines_2nd_revised_edition_EN.pdf

附件四
「重型地貧病人除鐵藥物治療」
問卷調查結果

香港地中海型貧血病協會

The Thalassaemia Association of Hong Kong

香港薄扶林道 102 號瑪麗醫院護士宿舍 B1 座 201-203 室

Rm.201-203, Block B1, Nurses' Quarters, Queen Mary Hospital, 102 Pokfulam Rd., Hong Kong

Tel: 2889 8399

Fax: 2818 0636

E-mail: thal@biznetvigator.com

「重型地貧病人除鐵藥物治療」問卷調查結果 逾半地貧病人除鐵效果不理想

香港地中海型貧血病協會於 2010 年 2 月 2 日至 10 日期間進行了一項「重型地貧病人除鐵藥物治療」電話問卷調查。是項調查的主要目的，是為詳細了解現時重型地貧病人接受除鐵治療的情況、所遇到的困難、病人對治療的期望，及現時各種除鐵治療方法對病人生活質素的影響。是次調查成功訪問了 170 名本地重型地中海貧血病（下稱「重型地貧」）患者，回應率達八成七。

逾半患者治療期間鐵質負荷過重

調查發現，現時八成的重型地貧患者，仍然接受傳統針劑藥物去鐵胺的治療，當中四成一正接受去鐵胺和去鐵酮混合療法。在這些患者當中，近六成需要接受平均每星期 5-6 天的皮下注射，逾八成半每次注射長達每天 8-12 小時。只有百分之五受訪地貧病人正在服用地拉羅司（每天只需服用一次的新一代口服藥物）。值得關注的是，現時超過一半重型地貧患者的除鐵療效並不理想，其鐵質水平超過 3000ng/ml，屬於嚴重鐵質¹負荷。一般來說，正常人的鐵質水平應處於 500ng/ml²或以下。

五成三對針劑治療依從性低

對地中海貧血病而言，患者對除鐵藥物的依從性或會直接影響藥物的除鐵效能（即能否按照醫生指示，注射／服食指定時數及劑量的藥物）。然而，調查發現，接受去鐵胺針劑治療的患者當中，近五成三對於藥物的依從性不足。由於去鐵胺需要患者每次接受 8-12 小時劑量的注射，逾五成四患者表示因為工作時間長而難以依從，另外三成二則表示因皮膚腫痛而無法依足醫生吩咐注射。

七成六患者指針劑治療影響生活質素

此外，有七成六接受針劑除鐵治療的患者，認為治療影響其生活質素，其中約四成認為影響達到嚴重／非常嚴重程度。相對來說，近九成服用地拉羅司的患者認為治療並沒有對其生活質素構成影響。

1 >2500ng/ml 鐵質水平屬嚴重鐵質負荷

2 請參考：<http://en.wikipedia.org/wiki/Ferritin>

香港地中海型貧血病協會
The Thalassaemia Association of Hong Kong

香港薄扶林道 102 號瑪麗醫院護士宿舍 B1 座 201-203 室
Rm.201-203, Block B1, Nurses' Quarters, Queen Mary Hospital, 102 Pokfulam Rd., Hong Kong
Tel: 2889 8399 Fax: 2818 0636 E-mail: thal@biznetvigator.com

至於除鐵治療對於生活質素影響最嚴重的範疇主要集中在社交生活（54.5%）、工作及前途（50.5%）、日常生活（包括睡眠時間和質素）（43.6%）及個人心理質素/情緒（31.7%）方面。

醫生在處方前需考慮病人生活質素和藥物依從性

重型地貧患者普遍認為，藥物依從性和病人的生活質素均非常重要，接近九成（88%）被訪者認為醫生為病人處方藥物或決定治療方法時必須關顧病人對藥物的依從性，八成三則認為醫生需注意病人的整體生活質素會否受到治療的影響。

近九成患者希望轉用地拉羅司

近六成受訪者表示他們現時所接受的除鐵治療出現副作用，包括皮膚腫脹、硬化（58.3%）、關節痛（21.9%）及骨質疏鬆（11.5%），此等皆屬使用去鐵胺的常見副作用。

整體而言，受訪者對於他們現時所接受的除鐵治療的滿意度不高，約三成受訪者更表示不滿意／非常不滿意。七成六受訪者認為有需要或希望轉用另一些除鐵藥物，其中八成六則表示希望轉用新一代口服藥物地拉羅司。

逾九成受訪地貧病人贊成將地拉羅司列一線藥物

就醫管局現時的除鐵藥物治療指引³，不少受訪者認為指引並不恰當，約七成七更認為治療指引有需要進行檢討或修訂。約九成四被訪者贊成將新一代口服藥物列為一線藥物，讓兒童、青少年及所有心鐵正常的重型地貧病人可服用此藥。

2010 年 4 月 24 日

³ 根據醫管局的除鐵藥物治療指引，醫生會先為病人處方第一線藥物去鐵胺或第二線藥物去鐵酮。當治療無效或患者因嚴重副作用，而不能繼續使用去鐵胺及去鐵酮時，才會處方第三線藥物地拉羅司。

附件五
前線地貧醫生／專家
意見摘錄

前線地貧醫生/專家的意見摘錄

1. 瑪麗醫院兒童及青少年科顧問醫生夏修賢

「除鐵胺治療主要的難處是要用打針機每日皮下注射十小時以上，是一個比較難依從的治療…病人開始上學、工作後，他們因為外在環境不能依從，除鐵做得不好，以致有心臟或糖尿病等問題」

「研究發現（地拉羅司）似乎與除鐵胺的效能相類，所以如果不計價錢，應該可以用於小朋友或心臟未有很多鐵質的病人…如果有撥款，便可以幫助這些病人轉用口服藥」

「如果醫生有選擇，可以用地拉羅司於某些病人，用除鐵酮於某些病人，或混合治療於某些病人，尤其於心臟有很多鐵質的病人，這便是最好的…」

(摘自香港電台第一台節目「精靈一點」，11/10/10)

「每個醫院聯網資源有限，並非人人批准使用地拉羅司，醫生治療時亦感到無奈．．應將其納入一線藥物行列，並優先為十歲以下合適的患者提供。」

(摘自大公報，24/12/09)

2. 屯門醫院兒童及青少年科副顧問醫生李澤荷

「除鐵針治療一星期至少打 5-6 晚，每日要 8 至 12 小時…可想而知，兩歲嬰兒便開始要承受這種針藥的痛苦，是長期性的，可能是一世的(痛苦)，生活質素是相當差的…」

「(第一代口服藥除鐵酮的) 第一個(問題)是十歲以下的小朋友不能服用，所以解決不了他們(注射針藥)的痛苦；第二個(問題)是這藥物本身有一個比較令人擔心的副作用，便是它有機會令白血球下降，令抵抗力突然減少，有感染的風險…近年有第三代藥物(即地拉羅司)…兩歲以上可以用，口服的，不用打針。它的好處是一日一次，溶在水裏飲用。對於小朋友來說，不會太辛苦。」

「世界上最權威的(地貧)組織是地中海貧血世界組織，他們於 2007 年已經將地拉羅司藥物列為第一線，兩歲開始可以用地拉羅司作去鐵治療…」

(摘自香港電台第一台節目「精靈一點」，4/10/10)

3. 香港大學兒科學系教授陳志峰

「雖然新藥一個月要兩萬蚊，但為咗病人有正常嘅社交生活，政府好應該改變吓而家嘅做法」

(摘自新報，25/4/10)

「傳統的注射藥物去鐵胺療效不理想，去鐵胺亦有嚴重副作用．．．建議醫院管理局能放寬口服藥物的範圍，令到更多病人受惠。」

(成報，25/4/10)

4. 中大藥劑學院兼任教授李炯前

「當局應如澳門及台灣，把地拉羅司列為一線的除鐵藥物，讓合適的重型地貧病人獲處方地拉羅司，改善他們的生活質素，從而有效提升病人的治療成效，重過正常人的生活。」

(摘自東方日報，12/9/10)

附件六
相關剪報

相關剪報

太陽報 12/9/10

地貧症口服除鐵藥勝針劑

【本報訊】地中海貧血病患者需要持續接受除鐵治療，以防體內鐵質積聚，造成器官衰竭，大部分患者均獲處方針劑藥物去鐵胺，病者需要每星期注射五至七天，每天連續注射八至十二小時，因而對藥物依從性較低。本港最近有一項研究發現，每日服一次的口服除鐵藥地拉羅司，對比針劑藥物去鐵胺，可推遲心臟病發期五點三年，及延長病人一年壽命，亦較能改善病人生活質素。

香港地中海貧血病協會調查指，一百七十多名患者中，八成正接受傳統針劑治療，其中超過一半患者對針劑依從性不足，而且鐵質水平負荷過重，大部分患者認為針劑治療影響生活質素。

東方日報 12/9/10

醫療資訊

地貧症除鐵 口服藥較佳

【本報訊】地中海貧血病患者需要持續接受除鐵治療，以防體內鐵質積聚，造成器官衰竭，大部分患者均獲處方針劑藥物去鐵胺，病者要每星期注射五至七天，每天連續注射八至十二小時，因而對藥物依從性較低。

一項研究發現，每日服一次的口服除鐵藥地拉羅司，對比去鐵胺，可推遲心臟病發期五點三年，及延長病人一年壽命，亦較能改善病人生活質素。

香港地中海貧血病協會

調查指出，一百七十多名患者中，八成現正接受傳統針劑治療，其中超過一半的患者對針劑依從性不足，而且鐵質水平負荷過重，大部分患者認為針劑治療影響生活質素。

進行有關藥物成本效益研究的中大藥劑學院兼任教授李炯前建議，當局應如澳門及台灣，把地拉羅司列為一線的除鐵藥物，讓合適的重型地貧病人獲處方地拉羅司，改善他們的生活質素，從而有效提升病人的治療成效，重過正常人的生活。

口服藥助地貧患者脫打針苦

協會批評醫局未列一線藥



本港約有378名地中海貧血症（下稱地貧）患者，調查顯示，八成半病人仍在接受傳統針劑藥物「去鐵胺」（Desferrioxamine）治療，每天在肚皮插上針筒，連續打針12小時，否則或會因鐵質積聚而出現肝及心臟衰竭。有病人組織及國際專家批評，醫管局的用藥指引落後，剝削病人正常生活的權利，要求把國際認可的口服藥物「地拉羅司」（Deferasirox）列作一線治療。

除鐵針每天打12小時

29歲的馮敏賢和姐姐一樣天生患地貧，逾廿年與「除鐵針」為伴，每晚在肚皮插上針筒，連續接受12小時注射，每月到醫院輸血一次，又因藥物影響骨骼，身材較矮小，常被同學取笑。她說，中學時曾嘗試「雙料自殺」，服數十粒安眠藥混洗潔精欲自行了斷，後因難忍肚痛求醫，康復後決心樂觀面對病症。

她現在從事網頁設計，每晚放工得

趕回家「打針」。敏賢曾拍拖5年，可惜男方家人因她病情而反對兩人交往，她在04年自願分手，從此不敢再墮愛河。她坦言，針劑「去鐵胺」治療困身，不敢想像自己像其他女孩般拍拖、結婚及過正常生活。

逾半患者沒按足要求注射

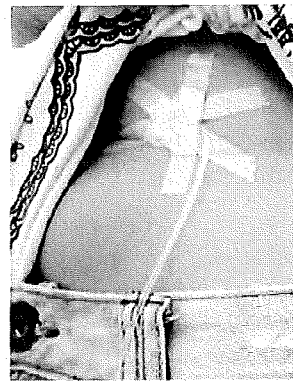
香港地中海型貧血病協會2月的調查，訪問170名本港地貧患者，八成半人正接受針劑「去鐵胺」治療，當中53%人承認沒按足要求注射藥物，逾半歸咎工時過長，32%指難抵皮膚腫痛。協會認為，病人對「去鐵胺」依從率非常低，影響治療效果，萬一體內積聚鐵質，會增加肝心臟衰竭的風險。

衛署：需待更多療效數據

香港地中海型貧血病協會主席梁家輝表示，國際地貧組織早於2007年發出指引，建議把口服藥「地拉羅司」列作第一線藥，病人可每日口服一粒藥物取代12小時注射。惟本港醫管局把「地拉羅司」列作第三線藥物，即在病人須試用第一二線藥物無效後，才可轉用「地拉羅司」。梁說：「醫管局沿用30年前的除鐵治療指引，實在非常落伍，漠視病人生活質素。」



自小患上地中海貧血症的馮敏賢，20年來與藥物為伴，每晚睡前她會先準備好藍色的「針機」（左圖前右），再把5支藥劑注滿針筒，打在肚皮上（右圖），一般完成注射需時12小時。



（尹錦恩攝，受訪者提供）

協會3月去信促請食物及衛生局長周一嶽檢討用藥指引，獲周委託立法會秘書處書面回覆，指未有足夠科研證實「地拉羅司」的治療效果，又表示「注射無規定必須在晚間進行，病人可彈性安排注射藥物的時間」。回應令梁家輝感到非常不滿：「完全是冷血所為，對病人痛苦無動於衷，無論早或晚注射，病人都要忍受每日12小時注射之苦。」

衛生署回應時指出，仍待更多數據證實「地拉羅司」的長遠療效和安全性，目前會由專科醫生臨牀決定是否須用藥物，當局會按機制定期檢討用藥指引。

明報記者 曾愛蓮

病人結婚產子圓夢 意專家感動

意大利籍國際地中海貧血症專家Maria Domenica Cappellini教授，擁有逾25年治療地貧經驗，上月應邀來港談治療經驗。她對記者表示，不少天生地貧的女病人無法正常地拍拖談戀愛，「她們無法告訴伴侶每晚要打針12小時，很多人唯有在戀愛和健康之間選擇」。

但口服藥「地拉羅司」卻為她們帶來曙光，她見證着15名女病人在轉藥後拍拖、結婚，更誕下小寶貴，令她成為18個活潑小孩的「祖母」。她感動地說：「這些女孩一出生便生病，原本可能孤獨一輩子，但看見她們終

擁有幸福家庭，新藥改變了她們的生命。」

醫護夫婦保留患病胎兒

Cappellini說，「地拉羅司」的出現亦令不少家長選擇保留患病胎兒。最近一對醫護人員夫婦，首度懷孕時驗出胎兒天生患上地貧，幾經掙扎仍不忍打掉胎兒，終毅然決定讓愛兒出生。目前男嬰兩歲，Cappellini形容他是父母的「小可愛」，「這對夫婦知道現在治療已經很進步，男嬰服藥便可正常成長，不必一輩子受打針之苦。」

對於本港醫管局目前仍以研究成效不足為理由，拒絕把「地拉羅司」列作第一線治療藥物，她批評「這種做法漠視病人的生活質素，完全是錯誤的。」她指出，意大利2005年起便正式把「地拉羅司」列作第一線治療，目前該藥亦獲美國及歐盟認可。根據經驗，病人於5年內對新藥的治療滿意度，從舊有「去鐵胺」的40%上升至100%，服藥依從率亦從50%增加至95%。她認為，醫管局有責任為病人開放更多的治療機會，即使不能以新藥全面取代舊藥「去鐵胺」，最少應讓病人可自行選擇治療方式。



意籍地貧專家Maria Domenica Cappellini教授談及當地病人服「地拉羅司」後「重獲新生」的成效。（曾愛蓮攝）

團體促資助「重型地貧」用藥

【本報訊】重型地中海貧血病（簡稱「重型地貧」）患者須每周五至七日，每日八至十二小時注射稱為去鐵胺的除鐵針，清除體內過多的鐵質，嚴重影響社交和工作。病人組織要求醫管局檢討用藥指引，讓重型地貧患者可獲資助，優先享用每日只需服一次，便能消除鐵質的新一代藥物地拉羅司進行治療，減低重型地貧患者接受治療時嚴重影響生活的副作用。

24歲女病人曾欲輕生

現年廿四歲的阿靜嬰兒時發現患上地貧，曾因感到成為家人負擔，一度有輕生念頭，希望及早轉用地拉羅司，以

過正常生活。她表示，求學時每日放學後回家「打針」，無法參加課外活動，踏入社會後，也因打除鐵針，只能做兼職。她說，打針位置在肚皮，令皮膚腫痛，「夜晚打針又驚支針會甩，瞓得唔好」，更曾因治療引致感染，口腔長出水泡，須做手術治療，希望早日脫離打針的日子。

香港重型地中海貧血病協會今年二月，訪問了一百七十名重型地貧患者，八成六希望轉用新一代口服藥地拉羅司。受訪者中，五成三接受注射的患者因工作時間長和針口出現腫痛，沒有依從醫生吩咐定時注射；七成六使用針劑的患者指治療影響社交、工作和睡眠質

素等。受訪者中有百分之五接受地拉羅司治療，生活質素未受影響。

未獲治療 活不過30歲

該會發言人鄧太表示，地拉羅司價錢雖較傳統藥物高四至五倍，但全港只有三百名重型地貧患者，即使醫管局將該藥列為第一線藥物，財政負擔亦不會大增。她要求醫管局檢討對該病治療的指引，使患者能使用新一代藥物治療，減低對生活的滋擾。香港大學兒科學系教授陳志峰指出，病人若體內鐵質過高，會引致心臟衰竭、肝硬化和內分泌失調，若未有接受任何治療，重型地貧患者活不過三十歲。



■阿靜（右）因打除鐵針引致感染，須做手術，令她感到成為家人負擔，曾產生輕生念頭。（高嘉業攝）

地中海貧血者 盼口服藥代針劑

效並不理想，其鐵質水平超過3000ng/ml，屬於嚴重鐵質負荷。一般

【本報訊】本港有80%地中海貧血症病人，仍接受傳統針劑藥物去鐵胺的治療，每周要打針5至6次，每次要8至12小時，影響生活。病人爭取醫管局放寬指引，容許醫生處方較昂貴的口服藥，每天只要服用一粒。

逾半重症患者療效欠理想

香港地中海型貧血病協會於今年2月2日至10日期間進行了一項「重型地貧病人除鐵藥物治療」電話問卷調查，共訪問了170名本地

重型地中海貧血病（下稱「重型地貧」）患者。

調查發現，現時80%被訪的重型地貧患者，仍然接受傳統針劑藥物去鐵胺的治療，當中41%正接受去鐵胺和去鐵酮混合療法。在這些患者當中，近60%需要接受平均每星期5-6天的皮下注射，逾85%每次注射長達每天8-12小時。只有5%受訪地貧病人正在服用地拉羅司（每天只需服用一次的新一代口服藥物）。而現時超過一半重型地貧患者的除鐵療

來說，正常人的鐵質水平應處於500ng/ml或以下。

負責調查的團體指受訪者對現時所接受的除鐵治療的滿意度不高，其中86%希望轉用新一代口服藥物地拉羅司。就醫管局現時的除鐵藥物治療指引，不少受訪者認為並不恰當，約77%更認為治療指引有需要進行檢討或修訂。約94%被訪者贊成將新一代口服藥物列為一線藥物，讓兒童、青少年及所有心臟正常的重型地貧病人可服用此藥。

重型地貧針劑療程長 團體倡轉用口服藥治療



■陳志峰(左)指身體有過量鐵質，會導致肝臟纖維化。右為吳淑萍。

【新報訊】一項針對本港重型地中海貧血病的調查發現，八成患者仍接受傳統針劑藥物治療，當中近六成需要接受平均每星期5至6天皮下注射，大部份病者每次注射時間長達8至12小時，嚴重影響日常生活。負責調查的團體建議醫管局轉用新式口服藥物為患者提供治療，減少對患者日常生活的影響。

影響社交及具副作用

本港現時約有378名重型地中海貧血病患者，每年約有一至兩宗新增個案。香港地中海貧血病協會在2月進行一項調查，訪問170名本地重型地貧患者，發現八成患者仍然接受傳統針劑藥物治療，近五成三患者沒有按時注射，主要原因是工作時間長，影響社交生活及出現副作用，如皮膚腫痛以致無法注射等。

協會發言人吳淑萍表示，現時公立醫院最

常用的治療方法是皮下注射藥物，既浪費時間，又令患者無法過正常社交生活。

她指出，當患者出現皮膚硬化、骨質疏鬆及影響其他器官功能時，醫管局才會向病人提供口服藥物。吳淑萍批評說：「病人器官出咗事先批，咁又有咩用呀？」

新藥每月花費兩萬元

香港大學兒科學系教授陳志峰指出，身體有過量鐵質，會導致肝臟纖維化、內分泌器官受損及延遲發育等，「雖然新藥一個月要兩萬蚊，但係為咗病人有正常嘅社交生活，政府好應該改變咗家嘅做法」。

現年24歲的重型地貧病人阿靜表示，自小要靠輸血維持生命，為避免體內累積過量的鐵質，每星期有6日，每次要接受12小時的除鐵藥物注射，令她自小沒有正常社交。



■阿靜因遺傳患上重型地中海貧血，哭訴社交及就業都受到病情影響。

地貧患者促口服劑列一綫藥

本港約有三百七十八名地中海貧血病患者，當中逾半接受針劑治療後，會出現皮膚腫脹硬化等副作用，因而不能依時注射，有患者受桿菌感染。有團體促請政府把副作用較輕的口服藥物「地拉羅司」列為一綫藥物，讓醫生及患者有更多選擇。

香港地中海型貧血病協會於今年二月，訪問一百七十名本地重型地中海貧血患者，近五成三接受去鐵胺針劑治療的患者表示，每次治療需時長，難遵就工作時間。五成八患者接受治療後，出現皮膚腫脹硬化、關節痛及骨質疏鬆等副作用，三成二更因皮膚爛痛，無法依從醫生指引治療。

每日花12小時注射藥物

接受一綫藥物去鐵胺針劑治療的患者，每星期接受五至七次，每次平均長達八至十二小時的皮下注射。港大兒科學系教授陳志峰表示，此種傳統療法易令患者感染克氏桿菌，去年有兩至三宗個案，即使痊癒亦有可能復發。屬第二綫藥物的去鐵酮，每天口服三次，有令患者體內白血球數量急降副作用，病人須每星期抽血檢查白血球水平。

現年二十四歲的阿靜因遺傳患上重型地貧病，現時要接受「去鐵胺」及「去鐵酮」混合療法，每星期兩晚要接受去鐵胺針劑注射。

妨礙社交 影響就業

她表示以往只接受針劑治療時，每天晚上要花十二小時注射藥物，犧牲所有社交生活，畢業後投身社會亦覺求職不易。她說：「老闆知道我要準時放工回家接受注射，也有心無力，我只能做一星期上班兩次的兼職文員」。

地貧病協會指，屬第三綫藥物的「地拉羅司」成本較傳統療法貴四至五倍，患者每天口服一次，有短暫而輕微的皮疹及腸胃不適等副作用，但醫管局指引定明，只會為對第一、二綫藥物呈副作用的患者提供此處方。

協會促請政府檢討現時有關藥物對患者生活的影響，把「地拉羅司」列為一綫藥物，供醫生及患者按病情及患者意願，自由選擇。

記者 陳正怡

重型地貧盼獲口服新藥

【本報訊】重型地中海貧血病（簡稱重型地貧）患者，須每周五至七日，每日逢八至十二小時注射去鐵胺的除鐵針，清除體內過多的鐵質，嚴重影響社交和工作。香港重型地中海貧血協會要求醫管局檢討用藥指引，讓重型地貧患者可獲資助，優先享用每日只需服一次便能消除鐵胺的新一代藥物「地拉羅司」進行治療。



現年二十四歲的阿靜（圖）嬰兒時發現患上地貧，曾因感到成為家人負擔，一度有輕生念頭，希望及早轉用「地拉羅司」，以過正常生活。

口服藥治地中海貧血效佳

【記者黃玉麗報道】香港地中海型貧血病協會進行了一項問卷調查，顯示八成的重型地貧患者，仍然接受傳統針劑藥物治療此病，當中近逾八成半每次注射長達每次8小時至12小時，對病者構成極大的不方便。香港大學兒科學者希望，醫院管理局修訂治療指引，資助新一代藥物，讓更多病患者有機會接受口服藥物。

免除病人長期打針痛苦

是次調查訪問了170名重型地貧患者，香港大學兒科學系教授陳志鋒昨在記者會上指出，傳統的注射藥物去鐵胺療效並不理想，去鐵胺亦有嚴重的副作用，如導致肚皮皮膚硬化、影響其他器官功能等。

他補充，新的藥物「地拉羅司」每天只需服一次，便有除鐵效能，副作用亦較輕微，只有短暫及輕微的皮疹、腸胃不適等。他建議，醫生能在處方治療藥物時，應考慮病人對藥物的依從性和生活質素的影響。此外，他亦建議醫院管理局能放寬口服藥物的範圍，令到更多病人受惠。而新藥物的價錢比傳統注射劑貴幾倍。

現年24歲的阿靜，出生時已發現患上地中海型貧血病，現時接受去鐵銅及去鐵胺混合治療，維持每星期兩晚需要接受去鐵藥物注射。剛剛畢業的她，在求職時又不容易找到不用超時的工作，

「重型地貧病人除鐵藥物治療」
問卷調查結果公佈

記者會
10年4月24日



■香港地中海型貧血病協會發言人鄧太(中)希望，醫管局修訂藥用指引，讓患者有更多選擇。左為陳志峰醫生。(黃玉麗攝)

現時只能靠每星期工作兩天的兼職維生，月入2,000元。她希望醫院管理局能讓她接受新的藥物「地拉羅司」，令她不用那麼辛苦。

地中海貧血重食平藥長不高

基金會促政府換藥醫治

【本報訊】地中海貧血症是常見的基因遺傳疾病之一，重型地貧患者更要定期輸血及接受去除鐵質治療續命。現時患者可獲醫院管理局免費提供第一或第二線去鐵藥物，直至出現嚴重副作用才可獲提供第三線藥物，有治療地貧的專家指，現時常用的去鐵藥會影響骨骼生長或降低免疫力，故建議當局為年幼患者提供副作用較輕微的第三線藥物。 記者：梁瑞瑋

地中海貧血兒童基金董事兼瑪麗醫院兒童及青少年科顧問醫生夏修賢指，地中海貧血症是常見的遺傳疾病，重型地貧患者因嚴重缺乏正常的血紅蛋白，令紅血球帶氧氣功能變差，患者須每月到醫院輸血，當身體分解紅血球後會產生大量鐵質，並累積在心臟、肝臟及內分泌系統等，引致心臟衰竭、發育不良及糖尿病等，故患者需持續服食去鐵藥。

要忍受旁人奇異眼光

醫管局藥物名冊中現有兩種去鐵藥物，包括第一線「去鐵胺」、第二線「去鐵酮」及第三線「地拉羅司」。夏修賢指，去鐵胺為皮下注射藥物，會影響骨骼生長，令患者身材矮小，並會導致骨枯及皮膚硬化；去鐵酮為口服藥物，能有效去除心臟的鐵質及改善心臟功能，但5%使用者會出現白血球量降低的嚴重副作用；三年前面世的地拉羅司同為口服藥，副作用為較輕微的皮疹及腸胃不適。

湘渝是重型地貧患者，1歲開始接受輸血，並要接受一星期五次、每次12小時的除鐵藥物注射治療，副作用也相繼出現，如骨骼變形、骨架闊大、骨質疏鬆及「O」形腳等。已20歲的她身高只有130多厘米，因不符合資格使用地拉羅司，正接受第一及第二線去鐵藥混合治療。她說，身材矮小不但影響求職及工作，更經常要忍受旁人的奇異眼光，故希望當局關注年幼地貧患者的用藥問題。

若自費每月需逾二萬

本港有逾300名重型地貧患者，大部份未能負擔每月自費二萬多元使用副作用較少的地拉羅司，現時只有數名符合資格者獲醫管局免費提供此藥。夏修賢建議當局考慮為10歲以下，或心臟積聚較少鐵質的病人免費提供地拉羅司，避免兒童患者因使用去鐵胺而影響骨骼發育，也減低成年患者因使用去鐵酮而出現白血球偏低的問題。



■夏修賢（左一）建議當局為10歲以下及心臟功能良好的重型地貧患者免費提供第三線藥物，以免影響患者成長。地貧患者湘渝（左二）受藥物影響，身材較成年人矮小。

地中海貧血症醫局拒資助靚藥



醫協會批評港府未有界定何謂「嚴重副作用」，致醫生難以指引批准病人服食地拉羅司。

【本報訊】地中海貧血症患者須終生服除鐵藥物，往往帶來骨質疏鬆等副作用。獲國際組織認可、副作用較輕的除鐵口服藥物「地拉羅司」，醫管局只處方予少數服其他除鐵藥後產生「嚴重副作用」的病人。關注地貧症的團體質疑，醫管局的做法其實為慳錢，拒絕處方昂貴藥物予病人，將藥物列入自費項目。

地中海貧血兒童基金董事夏修賢醫生指，本港有三種除鐵藥，包括注射式除鐵胺、口服除鐵酮，及副作用較輕但每月要花二萬多元的地拉羅司，只有除鐵胺及除鐵酮獲政府資助。

「地拉羅司」副作用少

廿歲的湘渝患重型地中海貧血症，一歲起每周五晚須接受十二小時的除鐵胺注射，但產生臍骨變形副作用，曾進行多次矯正手術。她現時在快餐店當夜更，工作至凌晨二時，還要趕回家打除鐵針，但每晚打針實際時間不足十二小時，除鐵效果不理想，卻未獲批准服用較省時且副作用較輕的地拉羅司。

李太的女兒因長期服除鐵胺引致膝蓋骨碎，去年終被界定出現「嚴重副作用」，獲處方地拉羅司。李太慨嘆：「會唔會遲咗啲呢！」

香港地中海型貧血協會副主席黃太稱，去年六月已向港府爭取將地拉羅司列入受資助藥物，但最後列入第三線藥物，病人要自費，除非獲醫生診斷使用其他藥物會有嚴重副作用。她又批評醫管局沒有清楚界定的「嚴重副作用」指引：「唔通真係白血球急劇下降先畀人食！」

夏修賢表示，瑪麗醫院共有八十名地貧病人，僅數名服用地拉羅司。他建議，可作非全面性的免費處方地拉羅司試行計劃，先試於十歲以下患者，確定地拉羅司的藥效。



■夏修賢（左一）與地中海貧血症重症患者（左二）及親屬。

地貧新藥副作用少 團體促列一綫藥物

「見工時老闆也不會請，有時腳痛也不想返工。」二十歲的湘渝，身高與小孩無異，她是地中海貧血症重症患者，除經常要接受輸血續命，每天更要「吊針」十二小時，兩次定時服食藥物，以去除體內多餘鐵質，除忍受病痛折磨，更要遭受社會歧視眼光，搵工亦困難，現時全港約三百七十多名與她一樣的患者，不少都有不幸遭遇。

港大醫學院兒童及青少年科學系名譽臨牀醫學副教授夏修賢指，地貧症患者用的「去鐵胺」和「去鐵酮」有不少副作用。「去鐵胺」的副作用包括影響骨骼成長，影響患者視力和聽覺、肚皮皮膚硬化，「去鐵酮」亦可降低白血球數量、破壞免疫系統。

○五年新推出口服藥物「地拉羅司」，則僅會出現輕微副作用如皮疹、腸胃不適和腹痛，但此藥每月藥費需二萬多元，是其餘兩藥的五倍。地中海型貧血病協會指，「地拉羅司」只列為第三綫藥物，即僅會在病人無法忍受兩款舊藥的嚴重副作用，才能得到處方，促請當局將「地拉羅司」列為一綫除鐵藥物。 記者 楊玉珠

醫局向錢看害地貧患者

【本報訊】地中海貧血症患者須終身服除鐵藥物，卻往往有骨質疏鬆等副作用，然而，副作用較輕的「地拉羅司」，醫管局只處方予少數服其他除鐵藥後產生「嚴重副作用」的病人使用。

關注地貧症的團體質疑醫管局為慳錢，將藥物列入自費項目。香港地中海型貧血協會副主席黃太批評，醫管局沒有清楚界定「嚴重副作用」指引：「唔通其係白血球急劇下降先畀人食！」

都市日報 24/12/09

醫地貧 新法防骨枯

地中海貧血症是本港最常見的遺傳病，重型患者需無間斷地輸血，並要持續進行除鐵治療，不少患者自幼便開始輸血，由於使用除鐵藥物注射，導致骨骼變形，甚至骨枯，嚴重影響病人生活。

今年20歲的湘瑜，一歲起接受輸血治療，並需要使用除鐵藥物注射，其骨骼變形，身高與小孩無異，骨架亦較常人闊大，藥物亦令腳骨變形，出現「O」形腳，經常跌倒。由於藥物需打12小時除鐵針，每晚放工後必須立即回家，嚴重影響社交生活。

另一名患者李小姐，今年25歲，在5個月大時開始接受輸血，她亦是使用除鐵針劑藥物，但打針後，出現嚴重腳痛，原來藥物引致骨質疏鬆，情況更嚴重至骨枯，膝蓋因骨質疏鬆而骨碎。

瑪麗醫院兒童及青少年科顧問醫生夏修賢表示，重型地貧患者因長期輸血而需要使用除鐵藥，除去體內多餘的鐵質，現時醫管局主要



►湘瑜(中)長期用針劑注射除鐵藥，身高猶如小孩。左為夏修賢醫生。

提供針劑的去鐵胺，醫管局列為第一線藥物，但可能會影響骨骼成長，導致骨枯等副作用。

現時有一種口服的除鐵藥，每天服用一次，其副作用較去鐵胺輕微，只有短暫的皮疹、腸胃不適及腹痛，醫管局列為專用藥物，當患者對第一和第二線藥物呈副作用，才獲處方，該藥費用昂貴。

目前治療的新進展是幹細胞治療，夏醫生針對非近親骨髓移植作研究，有7名16至17歲的病人參與，其中6人不用再輸血，但研究只針對青少年，成年的患者仍需要繼續輸血以維持生命。

嚴重地貧冀用新藥除鐵



20歲的湘瑜屬於重型地中海貧血症(地貧)患者，自1歲起需要接受輸血維持生命，現時每周五晚都需要接受12小時的除鐵藥物注射，以免體內累積過多鐵質。受除鐵針的副作用影響，導致骨骼變形，令她體型變得矮小。自小還受奇異眼光，自尊心受創的她，由於工作關係，每晚的打針時間不足12小時，故除鐵效果不如理想，現時須混合另一種口服除鐵藥物治療，惟有可能要承受較大的副作用，她亦感無奈。因此，她期望可用較好的藥物，以減低鐵質積聚引發的後果。

瑪麗醫院兒童及青少年顧問醫生夏修賢(圖)表示，地貧是常見的基因遺傳疾病，重型地貧患者因嚴重缺乏正常血紅蛋白，以致紅血球攜氧功能差，造出的紅血球品質不佳，容易被破壞，分解出鐵質，令體內積聚過量鐵質，嚴重者會影響心臟，令心臟纖維化，泵血功能下降，更會影響腦下垂體、胰臟或甲狀腺，令患者出現身材矮小、糖尿病及甲狀腺素低等，故患者必須每月無間斷地

接受輸血維持生命，及持續接受除鐵治療，以防體內積聚過量鐵質。

目前患者可接受傳統一線除鐵針藥物「去鐵胺」，患者需要每日長達12小時的肚皮注射，但卻會出現不少影響骨骼的副作用，如骨質疏鬆、骨枯等。夏修賢指，現時雖有二線的口服藥物「去鐵酮」，在去除心鐵效果方面理想，但卻有5%機會引發嚴重副作用，如白血球數量驟降，破壞患者免疫系統，外國更有患者因白血球急降而死亡。



新藥療效較佳但昂貴

近年外國不少地區已廣泛利用新一代的口服藥物「地拉羅司」，其副作用較少，如短暫及輕微的皮疹、腸胃不適及腹痛等，但停藥後便會舒緩。夏修賢指，雖然「地拉羅司」療效較佳，但患者在使用第一、二線藥物後，出現嚴重副作用，才能獲資助處方，而且費用非



湘瑜需長期接受除鐵針，但卻影響其骨骼成長。

常昂貴，以一名50公斤的患者，每月藥費需2萬元，未必所有患者均可負擔。

香港地中海型貧血病協會則期望，政府可將「地拉羅司」列入通用藥物，讓更多患者或醫生，可選擇更理想的藥物，改善患者的病情及生活質素。❶

'More flexibility' for blood disorder drugs

The Hospital Authority should be more flexible with the special drugs on its drug list, a thalassaemia patients' group urged yesterday.

Prescription guidelines allow patients to have special drugs only when they develop severe side effects from general drugs. Thalassaemia Association vice-chairwoman Sandy Wong Hang-yue said.

Dr Ha Shau-yin, of the Children's Thalassaemia Foundation, said budget constraints had stopped doctors from prescribing a new drug that might work better.

There are 378 patients with the blood disorder in Hong Kong. They need transfusions every month, but this can cause heart and liver failure. Most are given Desferal, a kind of iron-removing drug, through a pump for at least 10 hours, five or six times a week. Another drug - Ferriprox, taken orally - might lower immunity.

Ha said more patients should be given Deferasirox, which claims fewer side effects. Up to September, only 12 had been prescribed the drug.

Wong said most families could not afford Deferasirox, at HK\$20,000 a month, five times more than Desferal and Ferriprox. It had been provided free as the first-choice drug in many countries, including Canada.

Secretary for Food and Health York Chow Yat-ngok said this month that it was not listed as a general drug because its efficacy was not better than the other drugs, and that it might cause side effects in the liver.

.....
Ng Yuk-hang

附件七

23 名立法會議員聯署支持 「修訂除鐵治療指引」

香港地中海型貧血病協會

The Thalassaemia Association of Hong Kong

香港薄扶林道 102 號瑪麗醫院護士宿舍 B1 座 201-203 室

Rm.201-203, Block B1, Nurses' Quarters, Queen Mary Hospital, 102 Pokfulam Rd., Hong Kong
Tel: 2889 8399 Fax: 2818 0636 E-mail: thal@biznetvigator.com

23 名立法會議員聯署支持「修訂除鐵治療指引」

2010 年 10 月，23 名立法會議員聯署，要求當局立即修訂除鐵治療指引，讓醫生可因應臨床情況及病人需要，處方最適切藥物/治療予病人，讓他們有機會服用新一代口服除鐵藥，改善生活質素，重過正常人的生活。

聯署支持本會訴求的立法會議員名單：

梁家傑
余若薇
吳靄儀
陳淑莊
湯家驊
何俊仁
張文光
李華明
黃成智
李永達
劉慧卿
馮檢基

陳克勤
張國柱
梁國雄
陳偉業
黃毓民
梁耀忠
李卓人
潘佩璆
王國興
葉偉明
黃國健

附件八
李炯前教授
新舊地貧除鐵治療藥物成本效益
比較研究中期分析報告

Monash University 馬來西亞吉隆坡分校藥劑學系主管及講座教授
中大藥劑學院兼任教授

李炯前

新舊地貧除鐵治療藥物成本效益比較研究
中期分析報告*

簡介

- 地中海貧血症（下稱地貧）是一種基因遺傳疾病，重型地貧患者因嚴重缺乏正常血紅蛋白，以致紅血球攜氧功能差，造出的紅血球多半品質不佳，容易受破壞。患者必須每月無間斷地到醫院接受輸血維持生命，及持續進行除鐵治療，以防體內積聚過量鐵質
- 地貧病人體內器官（包括心、肝等內臟）會因鐵質過量積聚導致衰竭，成為地貧病人死亡的主因
- 去鐵胺（deferoxamine, DFO）是一種有效的針劑除鐵藥，但由於其生物有效度（bioavailability）有限，而且半衰期短暫，病人需要每天連續注射 8-12 小時，每星期注射 5-7 天。長期注射治療引致病人對藥物依從性差劣，除鐵效能因而減低，病人的生活質素亦因此降低
- 根據美國大型醫療保險公司的索償數據，接受長期輸血的地貧病人對去鐵胺針劑治療的依從性僅為 64%¹。
- 地拉羅司（deferasirox, DSX）為口服除鐵藥，具除鐵效能，擁有較長的半衰期，病人只須每日服藥一次；據估計，病人對地拉羅司的依從率比去鐵胺針劑治療高出 16%²
- 據第三階段臨床研究顯示，地拉羅司對兩歲或以上、定期接受輸血的重型地貧患者來說，有效減低血清鐵蛋白（serum ferritin）及肝臟鐵質濃度，藥效與去鐵胺（在病人依從性高的情況下）相若
- 據估計，現時全港只有約 4%³的重型地貧病患者服用地拉羅司

¹ Delea TE, et al. *Transfusion*. 2007 Oct;47(10):1919-29.

² Fisher R et al. *Br J Haematol*. 2003;121:938-948

³ 'Cost-Effectiveness of Deferasirox Versus Deferoxamine in Transfusion-Dependent Thalassemia Patients – A Hong Kong Interim Analysis', Kenneth KC Lee, Danielle Chow, Helen Lau, Vivian Lee I, Arup Parmanik, Thomas E. Delea, Oleg Sofrygin, Wei Shi (Poster presented at the 4th Asia Pacific Conference of the International Society of Pharmacoeconomics and Outcomes Research, Phuket, Thailand, September 5-7, 2010)

- 根據世界衛生組織（世衛）的建議，若治療成本效益低於人均生產總值，則可視作非常具成本效益；如治療成本效益為人均生產總值的一至三倍，則仍可視作合乎成本效益
- 服用口服除鐵藥不但可降低發病率及死亡率，更可提高病人對治療的依從性，降低整體治療成本。然而，本港現時對於不同除鐵治療的使用模式、經濟效益的理解並不足夠

研究目的

- 從本港的醫療體系角度出發，檢討兩種用於治療重型地貧患者的除鐵藥物—地拉羅司及去鐵胺—的成本效益

研究方法

- 由於地拉羅司在港註冊只有 4 年多，並未累積足夠數據作研究用途，故是次分析採用模型的方法作預估
- 這項研究是以源自外國的 Markov 模型為基礎
- 研究探討病人接受終身除鐵治療的所需成本，以及病人服用除鐵藥後生活質素獲得改善的程度，從而評估及推測本地長期接受輸血的重型地貧病人服用地拉羅司及去鐵胺的成本效益
- 是項研究有關資源運用及相關醫療項目開支等資料數據，乃取自威爾斯親王醫院於 2004 年 1 月至 2009 年 12 月期間的醫療紀錄，並獲得香港中文大學兒科學系的支持

資料來源

- 搜集 64 位地貧病人作為研究對象，病人的年齡中位數為 20.4 歲（標準偏差為 7.8），其中 51.6% 為男性。研究對象均被假設 3 歲開始接受除鐵治療，並只會接受一種除鐵治療

重要假設

- 對藥物依從性的減低，會增加患者鐵質負荷的風險
- 每年因鐵質負荷過重而導致副作用的機會，受病人年齡及其對除鐵治療的平均依從率所影響
- 病人若因鐵質負荷過重而導致心臟病（如心臟衰竭及/或心律不正），其死亡的風險較高
- 相對針劑除鐵藥物，病人對口服除鐵藥有較高的依從性及較好的生活質素

研究結果

- 按推算，地拉羅司比對去鐵胺，地拉羅司可
 1. 推遲心臟病發病期 5.3 年
 2. 延長病人 1 年壽命（不包括有關病人生活質素的計算）
 3. 增加經調整生活質素後的病人壽命 [QALYs]（Quality Adjusted Life Years）3.2 年
- 以地拉羅司和去鐵胺作比較，地拉羅司較能改善病人的生活質素，而每個 QALYs 的成本為 38.8 萬港元
- 38.8 萬港元即介乎人均生產總值（2009 年本港的人均生產總值約 29,902 美元，即相當於 233,240 港元）的一至三倍，故按世衛的建議計算，以地拉羅司作治療是合乎成本效益
- 口服地拉羅司的費用雖較針劑去鐵胺高，但經探討病人的 QALYs 後，亦相對更具成本效益

總結

是項研究對比口服除鐵藥地拉羅司與針劑除鐵藥去鐵胺的成本效益，分析結果顯示，地拉羅司用於治療長期接受輸血的重型地貧病人，對本港的醫療體系而言，雖然費用較昂貴，但根據世衛標準，是合乎成本效益。

*此中期分析報告剛於 2010 年 9 月 5-7 日在泰國布吉舉行的第四屆國際醫療經濟與成效研究學會 (International Society of Pharmacoeconomics and Outcomes Research) 亞太區會議中發表

附件九
香港地中海型貧血病協會
爭取修訂除鐵治療指引
行動一覽

香港地中海型貧血病協會

The Thalassaemia Association of Hong Kong

香港薄扶林道 102 號瑪麗醫院護士宿舍 B1 座 201-203 室

Rm.201-203, Block B1, Nurses' Quarters, Queen Mary Hospital, 102 Pokfulam Rd., Hong Kong
Tel: 2889 8399 Fax: 2818 0636 E-mail: thal@biznetvigator.com香港地中海型貧血病協會
爭取修訂除鐵治療指引行動一覽

日期	行動
2010 年	
1 月 5 日	向立法會申訴部提交 20 個地貧病人的申訴個案
1 月 13 日	致函要求約見食物及衛生局副局長梁卓偉
2 月 2-10 日	進行重型地貧病人除鐵藥物治療問卷調查
3 月 5 日	接獲食物及衛生局及醫管局（當局）的綜合回覆，駁回所有申訴個案
3 月 6 日	致函當局表達對預算案的不滿，並再次要求約見局長周一嶽及副局長梁卓偉
3 月 12 日	致函立法會申訴部，對當局的綜合回覆表示不滿
4 月 1 日	致函立法會申訴部，提供更多地拉羅司醫學實證，要求當局跟進和回應
4 月 21 日	於立法會門外請願，要求預算案增撥藥物資源，惠及地貧病人
4 月 30 日	與食物及衛生局局長政治助理陳智遠及醫管局兩名高層會面
5 月 12 日	致函陳智遠及醫管局代表，對未有就檢討治療指引訂立時間表表達不滿
6 月 17 日	致函陳智遠及醫管局代表，提供有關除鐵藥物的資訊
6 月 28 日	致函陳智遠、醫管局代表及立法會申訴部，要求公開專家小組會議紀錄
8 月 9 日	覆函醫管局總行政經理楊諦岡，再次要求公開專家小組的會議紀錄
8 月 23 日	致函特首、局長周一嶽，要求立即修訂地貧除鐵治療指引
9 月 14 日	致函陳智遠、楊諦岡和李詩詠，提供有關李炯前教授就除鐵藥物成本效益的研究結果
10 月 5 日	覆函楊諦岡醫生，對於當局再次拒絕公開專家小組會議紀錄深表遺憾
10 月 13 日	於施政報告公布當日，於立法會門外請願
10 月 21 日	致函陳智遠，反映 23 名立法會議員參與聯署行動、前線地貧醫生支持修訂除鐵治療指引
11 月 11 日	致函周一嶽，回應當局對陳偉業口頭質詢的答覆
12 月 10 日	致函陳智遠及醫管局代表，對地貧專家小組會議在沒有知會病人組織下舉行表達不滿

附件十
有關地拉羅司
去除心臟鐵質功效的
研究報告

有關地拉羅司去除心臟鐵質功效的研究報告

III-1055

Continued Improvement and Normalization of Myocardial T2* in Patients with β -thalassemia Major Treated with Deferasirox (Exjade®) for up to 3 YearsDJ Pennell,¹ JB Porter,² MD Cappellini,³ LL Chan,⁴ A El-Beshlawy,⁵ Y Aydinok,⁶ H Ibrahim,⁷ C-K Li,⁸ V Viprakasit,⁹ MS Elalfy,¹⁰ A Kattamis,¹¹ G Smith,¹ D Habr,¹² G Domokos,¹³ B Roubert,¹³ and A Taher,¹⁴¹Royal Brompton Hospital, London, United Kingdom; ²University College London, London, United Kingdom; ³Università di Milano, Ca Granda Foundation IRCCS, Milan, Italy; ⁴University Malaysia Medical Centre, Kuala Lumpur, Malaysia; ⁵Cairo University, Cairo, Egypt; ⁶Ege University Medical Faculty, Izmir, Turkey; ⁷General Hospital Kuala Lumpur, Kuala Lumpur, Malaysia; ⁸Prince of Wales Hospital, Hong Kong SAR, China; ⁹Siriraj Hospital, Mahidol University, Bangkok, Thailand; ¹⁰Ain Shams University, Cairo, Egypt; ¹¹University of Athens, Athens, Greece; ¹²Novartis Pharmaceuticals, East Hanover, NJ, USA; ¹³Novartis Pharma AG, Basel, Switzerland; ¹⁴American University of Beirut, Beirut, Lebanon

BACKGROUND

- Heart failure as a result of cardiac iron overload is a leading cause of death in transfused patients with β -thalassaemia.^{1,2}
- Cardiac iron levels can be directly and rapidly assessed by magnetic resonance (MR) imaging, where cardiac T2* values <20 ms are indicative of cardiac iron overload and values <10 ms are associated with an increased risk of heart failure and arrhythmia.³⁻⁵
- In patients with β -thalassaemia and mild-to-moderate (baseline T2* 10–20 ms) or severe (baseline T2* >5–10 ms) myocardial siderosis,^{6,7} deferasirox treatment for up to 2 years as part of the EPIC (Evaluation of Patients' Iron Chelation with Exjade®) cardiac substudy led to continued improvement in cardiac T2*.
- As the removal of cardiac iron may take several years, it is imperative to assess the longer-term effects of iron chelation therapy in terms of efficacy, safety and cardiac function. Here, we report the final end-of-study (EOS) results for patients who were treated with deferasirox for up to 3 years in the EPIC cardiac substudy.

OBJECTIVE

- To assess the efficacy of deferasirox treatment over a 3-year duration in reducing myocardial iron in heavily transfused patients with β -thalassaemia major with mild, moderate and severe myocardial siderosis.

METHODS

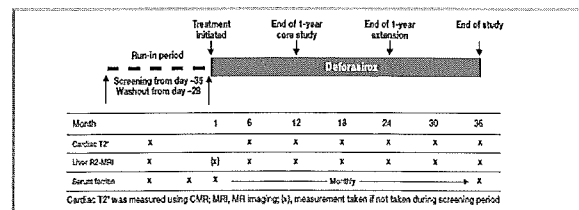
Eligibility Criteria

- Patients with β -thalassaemia major aged ≥ 10 years with cardiovascular MR (CMR) assessments for T2* and left ventricular ejection fraction (LVEF) of >5–20 ms and $\geq 56\%$, respectively, were eligible to enter the cardiac substudy.
- Further inclusion criteria were serum ferritin levels >2500 ng/mL, liver iron concentration (LIC) assessed by MR (R2) of ≥ 10 mg Fe/g dry weight (dw) and a lifetime minimum of 60 transfused red cell units.

Study Design

- The cardiac substudy is a prospective, open-label, multicenter study of a subgroup of patients enrolled in the larger EPIC trial.⁶
- Patients who completed 1 year of deferasirox therapy during the core study were eligible to enter a 2-year extension, enabling patients to receive deferasirox for up to 3 years with regular assessment of cardiac T2*, LIC and serum ferritin levels (Figure 1).

Figure 1. Design of EPIC Cardiac Substudy



Deferasirox Dosing

- Patients were initiated on 30 mg/kg/day deferasirox. Dose increases of 5–10 mg/kg/day to a maximum of 40 mg/kg/day were based on serum ferritin trends and 6-monthly myocardial T2* assessments. Dose decreases were allowed for safety reasons.
- Deferasirox dose could be increased to 45 mg/kg/day in patients with worsening T2* ($\geq 33\%$ from baseline) or no improvement in T2* ($\leq 25\%$ from baseline) after 6 months. Dose increases beyond 40 mg/kg/day had to be approved by the Study Monitoring Committee and the study sponsor.
- Deferasirox treatment was stopped and patients withdrawn from the study if they reported a decrease in T2* $>33\%$ from baseline or a decrease in LVEF to $<56\%$ at two consecutive assessments made within 3 months.

Assessments

- The primary efficacy endpoint was the change in myocardial T2* from baseline to 36 months. T2* was assessed at baseline and every 6 months using a single breath-hold, bright blood, multiecho gradient-echo sequence. A single 10-mm-thick short-axis mid-ventricular slice was acquired at 6–9 echo times (2.5–17.0 ms).
- Myocardial T2* images were analyzed using a blinded review process. Scans were evaluated centrally by two independent expert laboratories and adjudicated by a third laboratory in the case of discrepancies.
- Secondary efficacy endpoints were the change in LVEF, LIC and serum ferritin levels during 36 months of treatment. LVEF was measured by CMR during the run-in and every 6 months. LIC was also assessed at baseline and at 6-monthly intervals by R2-MR imaging. Serum ferritin was assessed at baseline and monthly throughout the study.
- Safety was assessed by monitoring and recording all adverse events (AEs) and routine laboratory testing to include hematology, blood chemistry, and hepatic and renal function analyses.

Statistical Methods

- The primary and secondary efficacy endpoints, as well as the safety parameters were assessed in all patients who entered the 3rd year of the study and who received the study medication. Efficacy measurements were reported using last-observation-carried-forward (LOCF) analysis. EOS (month 36) values for T2*, LVEF and LIC included patients who had their last MR scan performed at month 30 or month 36, LOCF. Similarly, the EOS serum ferritin value included patients with a serum ferritin assessment in the 3rd year.
- Myocardial T2* is presented as the geometric mean $\pm$ the coefficient of variance (CV). LVEF and LIC are described as mean $\pm$ SD and serum ferritin as median (range).
- A t-test at a two-sided α level of 0.05 on the basis of log-normal distribution was used to determine statistical significance.

RESULTS

Patient Characteristics

- In total, 114 patients with β -thalassaemia and myocardial siderosis were enrolled in the 1-year core phase of the EPIC cardiac substudy and 101 continued into the extension phase. Of 86 patients who completed year 2, 71 patients chose to enter the 3rd year and received at least one dose of deferasirox during this year. Data are presented for these 71 patients (Table 1).
- Baseline myocardial T2* was >5 –10 ms in 24 patients (33.8%) and 10–20 ms in 47 patients (66.2%).

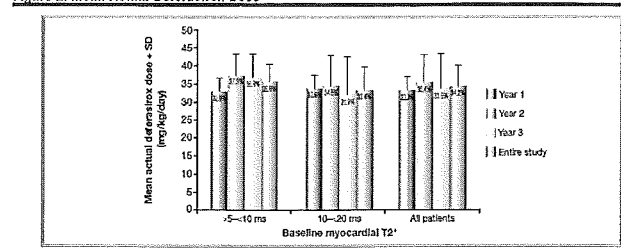
Table 1. Baseline Characteristics of Patients Who Entered the 3rd Year of the EPIC Cardiac Substudy

Characteristic	Baseline T2* >5–10 ms (n=24)	Baseline T2* 10–20 ms (n=47)	All patients (n=71)
Mean age $\pm$ SD, years	21.3 $\pm$ 6.3	20.0 $\pm$ 8.0	20.5 $\pm$ 7.4
Age group, n (%)			
<16 years	5 (20.8)	15 (31.9)	20 (28.2)
≥ 16 years	19 (79.2)	32 (68.1)	51 (71.8)
Male:female, n	6:16	20:27	28:43
Race (Caucasian:Oriental:other), n	9:14:1	14:31:2	23:45:3
History of hepatitis B and/or C, n (%)	8 (33.3)	10 (21.3)	18 (25.4)
History of splenectomy, n (%)	12 (50.0)	23 (48.9)	35 (49.3)
Prior chelation therapy, n (%)			
Deferoxamine	13 (54.2)	35 (74.5)	48 (67.6)
Deferoxamine + deferiprone	11 (45.8)	12 (25.5)	23 (32.4)
Mean number of transfusions in year prior to study $\pm$ SD	17.5 $\pm$ 6.4	15.5 $\pm$ 7.9	16.2 $\pm$ 7.4
Geometric mean baseline cardiac T2* $\pm$ CV%, ms	7.7 $\pm$ 18.5	14.9 $\pm$ 21.5	11.9 $\pm$ 39.0
Mean baseline LVEF $\pm$ SD, %	66.0 $\pm$ 5.3	68.4 $\pm$ 6.1	67.6 $\pm$ 5.9
Mean baseline LIC $\pm$ SD, mg Fe/g dw	30.8 $\pm$ 8.6	27.2 $\pm$ 10.1	28.4 $\pm$ 9.7
Median baseline serum ferritin (range), ng/mL	8059 (2904–15,895)	4869 (1689–16,944)	5575 (1689–16,944)

Deferasirox Dosing

- The mean actual deferasirox dose in all patients throughout the study was 34.2 mg/kg/day (Figure 2). Overall, the mean actual deferasirox dose increased from 33.3 mg/kg/day during the core study to 35.4 mg/kg/day in year 2. During year 3, the mean dose decreased to 33.6 mg/kg/day, which can be primarily attributed to the mean dose decreasing to 31.9 mg/kg/day in patients with baseline T2* 10–20 ms.
- Over the 3 years, the overall drug exposure was 211.4 patient-years; 71.6 patient-years in patients with baseline T2* >5 –10 ms and 139.8 patient-years in patients with baseline T2* 10–20 ms.
- At EOS, 27 (38.0%) patients were receiving doses of 40–45 mg/kg/day and three (4.2%) patients were receiving deferasirox doses ≥ 45 mg/kg/day.

Figure 2. Mean Actual Deferasirox Dose



Myocardial Iron and Cardiac Function

- In patients who entered the 3rd year, geometric mean cardiac T2* significantly increased each year from 11.9 ms $\pm$ 39.0% at baseline to 17.1 ms $\pm$ 62.0% after 3 years (Figure 3). The annual cumulative increase in T2* from baseline was 17% in year 1, 31% in year 2 and 44% in year 3 ($P < 0.001$ vs baseline each year).
- In patients with baseline T2* 10–20 ms, geometric mean T2* increased significantly to normal levels (≥ 20 ms) after 2 years (36% increase from baseline) and continued to increase to 22.3 ms $\pm$ 48.8% at EOS (50% increase from baseline; Figure 3).
- In patients with baseline T2* >5 –10 ms, geometric mean T2* improved significantly from severe to mild-to-moderate severity (10.5 ms $\pm$ 42.5%; 37% increase from baseline) at EOS (Figure 3).
- After 3 years, 68.1% of patients with baseline T2* 10–20 ms had normalized to ≥ 20 ms. Of the patients with baseline T2* >5 –10 ms, 50% improved to 10–20 ms and one patient normalized to ≥ 20 ms (Figure 4).
- Mean LVEF remained stable in the normal range ($\geq 56\%$) over 3 years (Figure 5).

LIC and Serum Ferritin

- Overall mean LIC significantly reduced each year, from 28.4 $\pm$ 9.7 mg Fe/g dw at baseline to 15.5 $\pm$ 14.1 mg Fe/g dw at EOS ($P < 0.001$). Similar reductions were observed in patients with baseline cardiac T2* >5 –10 ms and 10–20 ms (Figure 6A).
- Median serum ferritin levels also significantly reduced annually (Figure 6B), from 5575 (1689–16,944) ng/mL at baseline to 2917 (259–15,928) ng/mL at EOS ($P < 0.001$). In patients with baseline cardiac T2* >5 –10 ms, serum ferritin reduced from 8059 (2904–15,895) ng/mL at baseline to 3721 (553–15,928) ng/mL at EOS ($P < 0.001$) and in patients with baseline T2* of 10–20 ms, serum ferritin decreased from 4869 (1689–16,944) ng/mL at baseline to 2037 (259–13,535) ng/mL at EOS ($P < 0.001$).

Figure 3. Geometric Mean Cardiac T2* Over 36 Months of Deferasirox Treatment (LOCF)

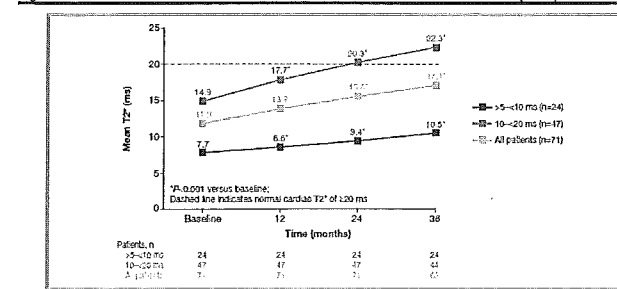


Figure 4. Shift in Patients with Severe, Mild-to-moderate and Normalized Myocardial T2* Following Treatment with Deferasirox for 3 Years

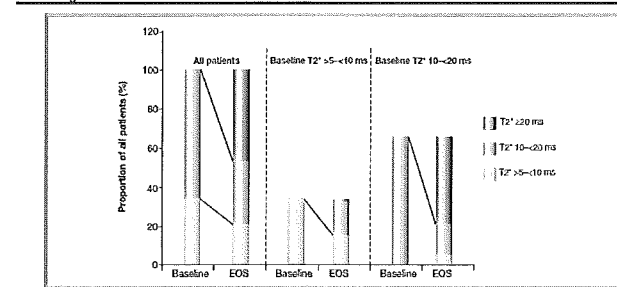


Figure 5. Mean LVEF Over 36 Months of Deferasirox Treatment (LOCF)

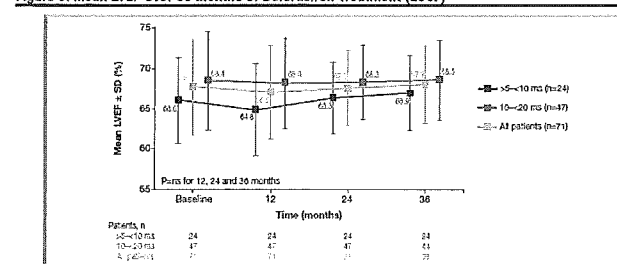
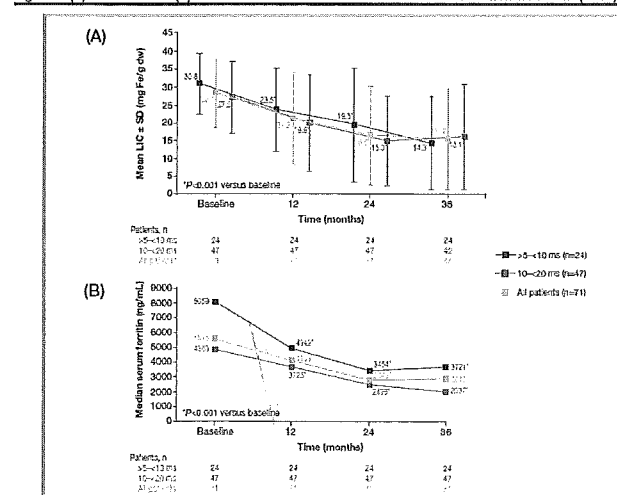


Figure 6. (A) Mean LIC and (B) Median Serum Ferritin Over 36 Months of Deferasirox Treatment (LOCF)



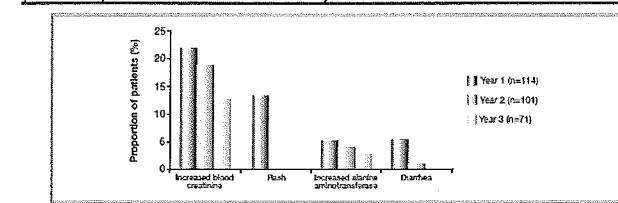
Safety

Mortality

- There were no deaths reported during 3 years of deferasirox treatment.

Discontinuations and AEs

- Of the 71 patients who entered the 3rd year of the study, five patients discontinued; three patients (4.2%) discontinued as a result of an unsatisfactory therapeutic effect and two patients (2.8%) withdrew consent.
- Throughout the study, the incidence of investigator-assessed, drug-related AEs decreased incrementally each year (Figure 7).
- Six patients (8.5%) had two consecutive increases in serum creatinine levels $>33\%$ above baseline and the upper limit of normal (ULN); three patients in the 1st year and three in the 3rd year. Four patients had dose decreases at the time of such serum creatinine increases and serum creatinine returned to normal range in all patients. Two patients (2.8%) had two consecutive increases in alanine aminotransferase (ALT) $>10 \times$ ULN both during the 2nd year. ALT increases were managed with dose decreases and/or temporary interruptions in both patients.

Figure 7. Annual Frequency of the Most Common Investigator-assessed Drug-related AEs ($\geq 5\%$ overall) in All Patients Enrolled in the Study

Serious AEs

- There was one serious cardiac AE in year 3 (atrial fibrillation); other serious AEs in year 3 included chronic sinusitis, femur fracture, gastritis, muscle abscess and rheumatic fever (all n=1). No patients experienced a serious AE with a suspected relationship to deferasirox during the study.

DISCUSSION AND CONCLUSIONS

- This is the first prospective study to report 3-year follow-up on cardiac iron removal for an iron chelator and adds to recently published findings from a 2-year study of deferasirox in cardiac iron overload.⁸
- Deferasirox monotherapy at doses of 30–40 mg/kg/day effectively removed cardiac iron as demonstrated by continual and significant improvement in myocardial T2* throughout the study in patients previously treated with DFO $\pm$ deferiprone.
- 68% of patients with mild-to-moderate myocardial iron loading at baseline normalized and 50% of patients with severe myocardial iron loading improved to the mild-to-moderate range, associated with a much lower risk of heart failure, following 3 years of deferasirox treatment.
- The improvement in myocardial iron overload was associated with maintenance of normal cardiac function, as assessed by LVEF.
- The cardiac iron removal observed in this study is notable considering the heavy iron burden of the patient population included, despite previous iron chelation therapy with DFO $\pm$ deferiprone for many years. With mean LIC of 28.4 mg Fe/g dw and median serum ferritin levels of 5575 ng/mL at baseline, patients enrolled in the EPIC cardiac substudy had more severe iron overload relative to previous studies with other iron chelators, such as deferiprone, which included patients with baseline serum ferritin levels <2500 ng/mL.^{10–16} Differences in baseline iron overload may affect the time required to reduce cardiac iron in patients with severe myocardial siderosis, making it difficult to compare rates of cardiac iron removal with deferasirox and deferiprone.
- Mean LIC and median serum ferritin levels significantly reduced by half from baseline. In patients with mild-to-moderate cardiac T2*, median serum ferritin levels decreased to <2500 ng/mL by EOS, a threshold associated with a reduced risk of cardiac disease in patients with β -thalassaemia.¹⁷
- No deaths were reported during 211.4 patient-years of deferasirox exposure in the 3-year study. This finding is encouraging, given that 1/3 of the study population had severe cardiac iron (baseline T2* <10 ms), which is associated with increased risk of cardiac complications and mortality.^{1,5}
- Long-term treatment with deferasirox at doses 30–40 mg/kg/day was associated with a manageable safety profile and there was no evidence of progressive decreases in renal or hepatic function.
- In conclusion, deferasirox treatment for up to 3 years at mean doses ≥ 30 mg/kg/day effectively reduced cardiac iron overload without any deaths in heavily iron-loaded patients with β -thalassaemia. The AEs were manageable with no serious renal or hepatic AEs in patients who received deferasirox for up to 3 years.

References

- Zurlo AG et al. *Lancet* 1999;353:227–30.
- Borga-Pignatelli C et al. *Hematologica* 2004;89:1187–1193.
- Pennell DJ. *Am J Hematol* 2006;87:373–379.
- Pattani N et al. *Ann N Y Acad Sci* 2010;1202:419–428.
- Kirk P et al. *Circulation* 2009;120:1981–1994.
- Pennell DJ et al. *Blood* 2010;115:2048–2051.
- Pennell DJ et al. *Hematologica* 2010;95 (Suppl 2):abstr 0498.
- Cappellini MD et al. *Hematologica* 2010;95:957–966.
- Wood JC et al. *Am J Hematol* 2010;85:818–819.
- Piga A et al. *Hematologica* 2003;88:359–366.
- Borga-Pignatelli C et al. *Blood* 2006;107:3733–3737.
- Pennell DJ et al. *Blood* 2006;107:3738–3744.
- Links V et al. *Br J Haematol* 2010;124:335–344.
- Tanner MA et al. *J Card Pharmacol* 2006;38:1006–1012.
- Tanner MA et al. *Circulation* 2007;115:1876–1884.
- Komarpal A et al. *Br J Haematol* 2010;125:433–438.
- Colanini P et al. *N Engl J Med* 1994;331:574–579.

DISCLOSURE STATEMENT
 DJ Pennell: Consultancy, Honoraria, Membership on an entity's Board of Directors or advisory committees, Research Funding and Speakers' Bureau, Novartis and Siemens; Consultancy, Honoraria, Membership on an entity's Board of Directors or advisory committees and Speakers' Bureau, Apotex; Equity Ownership, Cardiovascular Imaging Solutions
 JB Porter: Membership on an entity's Board of Directors or advisory committees, Research Funding and Speakers' Bureau, Novartis; MD Cappellini: Speakers' Bureau, Novartis; LL Chan: Honoraria and Research Funding, Novartis
 A El-Beshlawy: No relevant financial relationships to disclose; Y Aydinok: Consultancy, Honoraria, Membership on an entity's Board of Directors or advisory committees, Research Funding and Speakers' Bureau, Novartis; H Ibrahim: Honoraria, Novartis; C-K Li: Honoraria and Membership on an entity's Board of Directors or advisory committees, Novartis; V Viprakasit: Honoraria, Membership on an entity's Board of Directors or advisory committees and Speakers' Bureau, Novartis; MS Elalfy: No relevant financial relationships to disclose; A Kattamis: Honoraria, Research Funding and Speakers' Bureau, Novartis; G Smith: Consultancy and Research Funding, Novartis; D Habr: Employment, Novartis; G Domokos: Employment, Novartis; B Roubert: Employment, Novartis; A Taher: Honoraria and Research Funding, Novartis

This study was sponsored by Novartis Pharma AG