



中華人民共和國香港特別行政區

Hong Kong Special Administrative Region of the People's Republic of China

立法會  
陳恒鏞 議員香港特別行政區立法會  
衛生事務委員會主席  
李國麟議員, SBS, JP

李主席：

要求就「罕見疾病的產前基因檢測及其治療藥物納入藥物名冊」  
盡快加入事務委員會議程

本人近日收到患有陣發性睡眠性血紅蛋白尿症（簡稱PNH）的市民求助，得悉PNH屬罕見疾病，全港估計只有60-70名患者。他們會因溶血而出現貧血、中風、靜脈栓塞、慢性腎衰竭等併發症，當中只有四分之一人能活到60歲。一般紓緩病情的方法，如定期輸血、打除鐵針、服食類固醇等，會引致患者關節疼痛、無法入睡、白內障、皮膚病等副作用，造成患者工作、社交、家庭等諸多困難。

由PNH病友及家屬組成的「PNH病人權益關注組」過去一直要求醫管局將唯一實證有效的藥物依庫珠單抗（Eculizumab）納入藥物名冊，並資助有經濟困難的患者使用該藥物。惟兩年多來局方只回覆正與藥廠進行磋商。由於Eculizumab價格高昂，一般患者經濟上無力承擔，導致患者長期活於死亡的威脅之下，更有患者在等待期間離世。

以上提到的PNH，其實只反映眾多罕有病患者所面對問題的冰山一角，為此，本人懇請主席盡快將「罕見疾病的產前基因檢測及其治療藥物納入藥物名冊」加入事務委員會議程，審視現行藥物名冊更新制度，以加快及簡化罕見病藥物納入藥物名冊的程序，並放寬罕見病藥物的資助條件，保障罕見病患者平等的生存權利。

政安



立法會議員 陳恒鏞謹啟

2016年12月7日