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

香港罕見疾病聯盟
向立法會福利事務委員會及衛生事務委員會
護理政策聯合小組委員會
就"資助病患者購買昂貴藥物的政策"
提交的意見書

（2017 年 7 月）

香港罕見疾病聯盟（下稱「罕盟」）、香港結節性硬化症協會及香港 PNH 權益關注組等各病友代表於 5 月 9 日與食物及衛生局和醫院管理局會面，得悉醫管局計劃對部份罕病患者用藥作出安排，例如：將非典型溶血性尿毒症候群（Atypicalhemolyticuremicsyndrome，簡稱 aHUS）的治療藥物納入藥物名冊，並盡快透過關愛基金提供資助；食衛局正考慮日後將於撒瑪利亞基金中特設應對「較昂貴藥物」的資助機制等。

罕盟認為，在結節性硬化症患者池燕蘭女士因未獲所需藥物治療於四月離世後，食衛局和醫管局作出的上述回應，或許有助一些罕病患者較事件發生前快些得到藥物治療，然而從根本來說，只是權宜和過渡性安排而已；另一方面，上述措施或安排，與關愛基金及撒瑪利亞基金現行資助準則有著密切的關係。

罕盟就資助罕病患者用藥的政策以及細節提供下列四點意見：

一、 讓罕病患者病有所醫，是特區政府不能推卸的責任。
二、 在收集更多臨床實證數據用藥期間，制訂能夠回應大多數罕病患者實際情況的合情合理資助方案。
三、 優化關愛基金對罕藥的現行資助準則，並適用於撒瑪利亞基金。
四、 採納人性化、高透明度和向病人問責的罕藥審批機制。

期望立法會議員深入了解，並與政府決策者商討，有效回應罕病患者的訴求。

（一） 讓罕病患者病有所醫，是特區政府不能推卸的責任。

國家主席習近平說過：「人民對美好生活的嚮往，就是我們的奮斗目標。」習主席在紀念特區成立二十周年訪港時，亦語重心長地向新一

香港九龍長沙灣麗閣邨麗萱樓地下101號 | 電話 +852 2708 9363 | 傳真 +852 2708 8915 | info@hkard.org | www.hkard.org
101, G/F., Lai Huen House, Lai Kok Estate, Cheung Sha Wan, Kowloon, Hong Kong | T. +852 2708 9363 | F. +852 2708 8915 | info@hkard.org | www.hkard.org

屆特區政府指出：「要以人為本、紓困解難，着力解決市民關注的經濟民生方面的突出問題，切實提高民眾獲得感和幸福感」。

我們罕病患者，對美好生活和幸福感並無奢望，只求病有所醫，盡量保持健康，自力更生，維持合理和有尊嚴的生活質素，力求不靠社會保障度日。

按照聯合國通過的可持續發展目標(Sustainable Development Goals)，以及世界衛生組織有關全民健康覆蓋(Universal Health Coverage)的倡議，將應對罕病挑戰作為公共衛生政策的重要議題，在不對罕病患者造成財政困難的前提下為他們提供所需的醫療服務，是為政者包括香港特區政府不能推卸的責任。

事實上，自 2009-10 年度起，政府分階段向醫管局提供額外經常撥款，以應付溶酶體貯積症（包括龐貝氏症、高球氏症、法柏氏症和黏多醣症第一、二及六型）患者對極昂貴藥物治療不斷增加的需求。據醫管局資料，現有 22 名上述罕病患者按標準收費接受藥物治療。

因此，日後罕藥均應按此安排，最終列入醫管局藥物名冊的專用藥物類別，按標準收費為罕病患者提供治療。

（二） 在收集更多臨床實證數據用藥期間，制訂能夠回應大多數罕病患者實際情況的合情合理資助方案。

據醫學界估計，現有罕見疾病約七千種，當中近八成為遺傳病，且多與基因問題有關。由於罕藥的研發過程難度大，成本高，且個別罕病患者人數極少，以至藥價高昂，即使藥物面世，為患者帶來新的希望，卻因藥費難以負擔，造成「有藥無錢用」的現象。

現時臨床應用的罕藥主要是控制和減輕病徵，或補充身體缺乏的物質。病人可能從童年或青少年起開始用藥，需要依靠藥物抑制及減緩身體器官殘損，延續生命，直至終老。

罕藥的使用模式（尤其是用藥期限)與現時關愛基金及撒瑪利亞基金資助的用藥（如癌症藥物等）有頗大差別。為累積臨床實證數據，最終將罕藥列入藥物名冊的專用藥物類別之前的過渡性時期，有必要透過關愛基金及撒瑪利亞基金等提供資助，並因應罕病的特性，制訂相應的資助準則。

香港九龍長沙灣麗閣邨麗萱樓地下101號 | 電話 +852 2708 9363 | 傳真 +852 2708 8915 | info@hkard.org | www.hkard.org
101, G/F., Lai Huen House, Lai Kok Estate, Cheung Sha Wan, Kowloon, Hong Kong | T. +852 2708 9363 | F. +852 2708 8915 | info@hkard.org | www.hkard.org

關愛基金運作至今，為眾多經濟上有困難而需要照顧的人士提供援助，使他們渡過難關，並寄望受助者日後經濟得以改善，向上流動。對於藥物資助計劃，關愛基金秉承「共同支付」的精神，以及「能者多付」的概念，罕盟對此完全認同。

然而關愛基金現時擬定的「每年可動用的財務資源」及「病人每年最高分擔額」的計算，未能合符情理地回應罕病病人的實際情況，存有優化的空間。

例如一名患者從小開始申領資助，而他的家庭尚非在貧窮線之下，整個家庭將會因每年分擔藥費的比率而導致資產迅速下跌，直至其家庭陷入經濟困境，基金才作出大幅度的資助。即使這名患者長大後有能力工作及自食其力，生活質素亦永無改善的機會。

又例如一名中產患者從中年開始申領資助用藥，他全家的生活質素會因而急速下降，直至跌落貧窮線之下，永世沒有翻身機會，對其本人、父母、配偶及子女，均造成難以承受的打擊。

按現時關愛基金的資助準則，以一個擁有 618 萬元流動資產的家庭為例，接受資助兩年後，資產消減 200 萬元，四年後的總資產只剩下百分之四十三左右，而且永遠是向下移動，直至家庭的「每年可動用的財務資源」及「病人每年最高分擔額」下跌到資助門檻之下，全家的生活質素與申領資助前有天壤之別，陷於不可逆轉的困境。

設立扶貧委員會和關愛基金，目的是扶助弱勢，幫助有能力的市民脫貧，向上流動。然而當罕病患者按現行資助準則尋求支援時，一些本來不在貧窮線以下的病人及其家庭成員，卻因這種資助模式被永遠推到貧窮線以下，甚至可能妻離子散，為社會製造更多貧窮和民怨，絕對有違成立基金的初心。

（三） 優化關愛基金對罕藥的現行資助準則，並適用於撒瑪利亞基金。

罕盟建議關愛基金按下列因素設定資助準則：

a. 以「個人」而非「家庭」為計算單位；
b. 以「收入」取代「可動用資產」作計算；及
c. 受助者支付金額以盡量縮小對家庭生活質素及人生規劃的影響為前題，同時符合「共同支付」及「能者多付」的核心理念。

香港九龍長沙灣麗閣邨麗萱樓地下101號 | 電話 +852 2708 9363 | 傳真 +852 2708 8915 | info@hkard.org | www.hkard.org
101, G/F., Lai Huen House, Lai Kok Estate, Cheung Sha Wan, Kowloon, Hong Kong | T. +852 2708 9363 | F. +852 2708 8915 | info@hkard.org | www.hkard.org

現時普羅受薪階層的收入當中，約 15%繳付所得稅，5%強積金供款，約 50%用於住房租金或自住物業供款，剩餘的「可動用收入」約為 30%左右。

基於以上考慮，罕盟建議關愛基金將罕藥資助計劃中「分擔比率」的上限設定為申請人全年收入的 10%。

例如：申請人年薪 100 萬元，他透過上述計劃申請藥物資助時，每年分擔額為 10 萬元。

至於未成年患者，由其父或母一方收入較高者按同樣方法分擔。例如一名八歲罕病患者申領藥物資助，倘其父年薪為 120 萬元，其母年薪為 60 萬元，則分擔額為 12 萬元。

假如同一家庭有多於一名未成年患者需要資助用藥，分擔額不重複計算。例如同一個家庭分別有 7 歲和 5 歲的罕病患者申領資助用藥，他們的父親年薪為 50 萬元，母親年薪為 70 萬元，兩名患者合計每年分擔額為 7 萬元。

以上資助準則一併適用於撒瑪利亞基金對罕藥的資助。

（四） 採納人性化和透明度高的罕藥審批機制。

罕病患者能否及早得到藥物治療，除了資助機制之外，藥物審批可能是更難踰越的障礙。

以罕盟過去半年與有關機構和部門的聯系，關愛基金對落實施政報告中有關對合資格不常見疾病患者提供藥物資助的新措施反應積極，多次主動聯絡罕盟盡快提交需要資助的藥物名單，以便基金批准；然而醫管局的黑箱作業和不近人情的藥物審批機制，成為罕病患者不能及早得到治療的攔路虎，令人記憶猶新的池燕蘭女士的悲慘結局，也許只是引起市民關注的冰山一角。

病人需要用罕藥，現時先由前線臨床專家向聯網提出申請。經聯網批准，上呈醫管局總部的藥物建議委員會，由一組行醫數十載卻可能對罕病個案從未有臨床經驗且對公眾隱姓埋名的專家審批。他們向前線臨床醫生提出大量問題，要求滿意答案，以成本效益凌駕於藥物給病人帶來的成效。醫管局總部的藥物建議委員會每年只開幾次會，每次審批的藥品眾多，翻來覆去的答問過程，往往幾年都沒有結果。以最近的黏多

香港九龍長沙灣麗閣邨麗萱樓地下101號 | 電話 +852 2708 9363 | 傳真 +852 2708 8915 | info@hkard.org | www.hkard.org
101, G/F., Lai Huen House, Lai Kok Estate, Cheung Sha Wan, Kowloon, Hong Kong | T. +852 2708 9363 | F. +852 2708 8915 | info@hkard.org | www.hkard.org

糖症四 A 型的罕藥為例，由前線醫生提出申請至今兩年多，眼睜睜看著小病人病情深化，殘疾程度加重，專家們卻依然鐵石心腸，懸而不決。

據醫管局稱，藥物獲批列入藥物名冊與否，視乎安全、藥效、臨床實證、成本效益等等。不過每次審批之後，對獲批或不批的理由，只是含糊其詞，從不作清晰具體交代，完全是不向病人問責的黑箱操作。

正如香港大學林青雲教授近期指出：在香港「罕有病醫生仲罕有過病人」，但罕藥的審批，卻由一組缺乏臨床經驗的專家操生殺大權，其決定不僅往往貽誤用藥時機，難以令病人信服，還會不斷積累民怨。

罕盟認為，要令罕病患者及早得到藥物治療，除了提供資助之外，必須採納人性化、高透明度和向病人問責的罕藥審批機制，包括：

a. 由具罕病臨床經驗的專家組成罕藥審批小組直接處理，加快審批程序和效率；
b. 因應罕病個案稀少的實情，實事求是地制定檢視藥效和臨床實證的門檻；
c. 審批小組的會期因應個案的診治需要而定，並訂定合理的審批時間；
d. 邀請病人組織代表參與審批過程，讓他們提供臨床專家評估之外的實證，例如患者及照顧者的生活質素、情緒變化、社會參與，等等。
e. 向等待用藥的個案患者及病人組織詳細講解審批小組的決定和理據，以及跟進方案。

期望立法會和特區政府仔細研究我們的建議，進一步與包括罕盟在內的持份者商討，達成能夠有效回應罕病患者的方案。

--完--

香港罕見疾病聯盟會長　曾建平
二零一七年七月十日

香港九龍長沙灣麗閣邨麗萱樓地下101號 | 電話 +852 2708 9363 | 傳真 +852 2708 8915 | info@hkard.org | www.hkard.org
101, G/F., Lai Huen House, Lai Kok Estate, Cheung Sha Wan, Kowloon, Hong Kong | T. +852 2708 9363 | F. +852 2708 8915 | info@hkard.org | www.hkard.org