

藥費高昂難負擔 罕見病患尋支援

個人成長與人際關係 公共衛生+今日香港

上月，一批罕見病患者和家屬到行政長官辦公室請願，希望政府資助他們購買新藥，獲特首林鄭月娥親自接收請願信，並表示政府會爭取藥廠將新藥引入香港。罕見病患者面對的問題，不止是藥費高昂，更是因為藥廠沒有把藥物引入香港的意願，本文將會簡述何謂罕見病，並分析政府應否資助罕見病患者。

■ 麥挺 香港聖公會何明華會督中學通識科主任

新聞背景

促訂罕見病定義 縮首次治療輪候

由不同建制派議員成立「罕見病關注組」，希望為病者及家屬爭取更多支援。關注組指出，世衛、美國等組織、國家和地區早已為罕見病訂立定義及制定醫療政策。然而，本港仍未有相關的定義及缺乏系統支援，令不少罕見病患者面對高昂藥費等問題。

關注組促請政府盡快為罕見病訂立定義，設立「罕見病資料庫」、推動公私營合作以縮短病人首次治療的輪候時間，同時優化關愛基金資助申請門檻，降低患者支付最高的金額，為患者及家屬增設「醫療費用免稅額」，減輕他們的財政負擔。

國際無一致定義
根據食物及衛生局和醫院管理局於2017年3月向立法會提交的文件，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發現的時間尚短，醫管局現時並沒有就不常見疾病作出定義。

行政長官林鄭月娥在其2017施政報告就不常見疾病支援提出以下改善建議：
1. 擴大援助項目的資助範圍，按個別情況為有特殊臨床需要的病人就特定藥物治療提供資助，包括資助合適的病人參與個別藥廠的恩恤用藥計劃；
2. 醫管局會加快檢討關愛基金項目中病人藥費分擔機制，以紓緩病人因為長期使用極昂貴藥物而面對的財政壓力。
醫管局將於2018年上半年完成檢討並提出改善方案。



世界各地逐漸重視罕見病，如今年2月28日，數十名罕見病患者就在北京紀念國際罕見病日。 資料圖片

多角度觀點

藥廠不願登記 研究修改註冊

立法會議員麥美娟：不少患有罕見疾病或癌症的病人難以負擔高昂的醫療費用，認為政府需資助他們的藥費。有主要研發罕見疾病及癌症病人藥物的藥廠不願意在港進行藥物登記，麥美娟冀政府重新研究及修改本港的藥物註冊機制，並盡快為罕見疾病訂立官方定義，加強藥廠對香港的信心，令本港病人得到最合適的治療。

香港罕見疾病聯盟主席曾建平：政府對罕見疾病缺乏統籌策略，令藥廠無信心在港進行藥物登記會得到相應的權益。

食物及衛生局局長陳肇始：有關不常見疾病藥物方面，醫院管理局繼續與藥廠保持溝通，目前正處於溝通階段。在施政報告中其實亦有提及一些支援患有不常見疾病病人的措施，關愛基金擴大對治療不常見疾病藥物的資助範圍，亦正在檢討病人藥費分擔機制，明年檢討完畢後應該會推出改善措施。



林鄭月娥早前與罕見病患者周佩珊(左)交談。 資料圖片

正反對對碰

有藥可治有錢治 有人受益有人愁

1. 藥費數以百萬計

由於罕見病患者人數少，而藥物的研發費用高昂，對藥廠而言並非賺錢的途徑，因此並不熱衷投資開發罕見病藥物，導致相關藥物的種類少且收費極度昂貴，有些罕見病藥物的收費高達數百萬。就如早前一批脊髓肌肉萎縮症(SMA)患者向特首請願，一隻新的特效藥，第一年藥費要600萬元，第二年300萬元，沒有政府的援助，患者難以負擔藥費。然而，特首在回應時表示，資助與否並非金錢考慮，而是生產該特效藥的藥廠並未打算將藥物引入香港。

2. 藥物成效不確定

根據食物及衛生局的文件，罕見病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，暗示即使津貼患者用藥，但藥效不一定明顯。

3. 成本效益要考慮

政府在評審津貼罕見病藥物時，需考慮藥物的成本效益及機會成本。因為有關公帑的幫助對象只是一小部分人，但如果將相關款項用在其他公

共衛生範疇，受惠的人數可能更多。例如智經研究中心指出，新西蘭政府在2013年決定拒絕資助「依庫珠單抗」(一種罕見病藥物)，理由是藥物價格昂貴，相關財政津貼只能令極少數人(約20人)獲益，卻令過萬人無法取得新的藥物或新的療程。

公共資源並非無限，在資源緊絀的香港公共衛生系統，如何投放資源，讓資源用得其所，發揮最大效益，是不少決策者的考慮。

4. 生命寶貴應醫治

人的生命非常寶貴，而且人人都應有被醫治的權利，無論是富是貧，基於人道立場，政府不應該讓罕見病患者坐以待斃。在有藥可治的情況下，政府以成本效益或資源調撥為理由，眼看著患者失去生命的同時，卻坐擁過千億盈餘，如此是很難說得過去。

5. 財政儲備近萬億

2017/18年度的醫療衛生經常開支預算總額為619億元，較10年前增幅超過九成，醫療衛生開支佔政府經常開支17%，在各項支出中排第三(教育及福利開支分別排第一和第二)。香港公營醫療系統一直被詬病資源不足。在人口老化逐漸加劇的情況下，未來醫療衛生開支只會增無減，而且會愈升愈急。在如此大趨勢下，要額外增加資源到罕見病藥物的津貼上，似乎難以兼顧。

根據財政司在財政預算案的預測，在2018年3月底，香港政府財政儲備預計為9,520億元，在如此龐大的儲備中沒有

可能撥出相當的款項成立一個藥物基金，以幫助罕見病患者，值得公眾去思考和討論。

6. 或減低社會成本

正如患脊髓肌肉萎縮症(SMA)的周佩珊在向特首撰寫的計劃書所言，如果政府能引入目前唯一被美國食品及藥物管理局(FDA)認可，可改善SMA患者病情的藥物Spinraza，希望政府向患者提供資助。根據很多患者的個案及研究顯示，使用後患者可由坐輪椅改善到站立。

如果患者病情得到改善，受感染或因這病而入住深切治療病房的次數及日數大減，部分人可不再用呼吸機，不用在特殊學校上課等，這都能減輕公共醫療負擔，某程度抵消了政府津貼罕見藥的開支。

7. 基因檢測可預防

立法會議員陳恒鎔指出，大部分罕見疾病為基因病，現時香港的產前檢查仍停留在上世紀七八十年代水平，未引入已逐漸普及的基因檢測方法，此法能在嬰兒出生前檢測其患上罕見疾病的機會。

現時在私家醫療公司做基因檢測，收費約6,000元至8,000元，政府如果對孕婦進行全面基因檢測，按每年出生率約50,000人計算，檢測費用約3億元，還有機會減低成本。而香港法例規定，在懷孕24周前，如「胎兒出生後極有可能身心不健全並足以造成嚴重傷殘」，可以在醫生同意的情况下終止懷孕。

小知識

罕見病或不常見疾病

罕見疾病泛指患病率極低、人數極少的疾病。目前全球已知的罕見病約6,000多種，不少是由基因突變或遺傳的基因缺陷導致，患者於幼年時，甚至於嬰孩時發病，絕大部分都會對患者的健康構成嚴重及長期的威脅，部分甚至會致殘及致命。

按世界衛生組織的標準，每1萬人中只有6.5個至10個個案的疾病，便定為罕見病；美國以每1萬人少於7個個案定義；歐盟以每1萬人少於5個個案定義；台灣以每1萬人少於1個個案定義。

藥物名冊

藥物名冊是醫管局統一公立醫院和診所藥物政策和用藥的機制，以確保病人可公平地獲處方具成本效益、安全及有效的藥物。名冊內包括只收取標準費用的藥物，以及病人須自費購買的昂貴藥物。醫院也可因應緊急情況，採用名冊外的新藥物。有批評指政府為縮減開支，以名冊限制用藥，是削減病人權益。



食物及衛生局局長陳肇始(右三)會見罕見病癌病關注組。 資料圖片

想一想

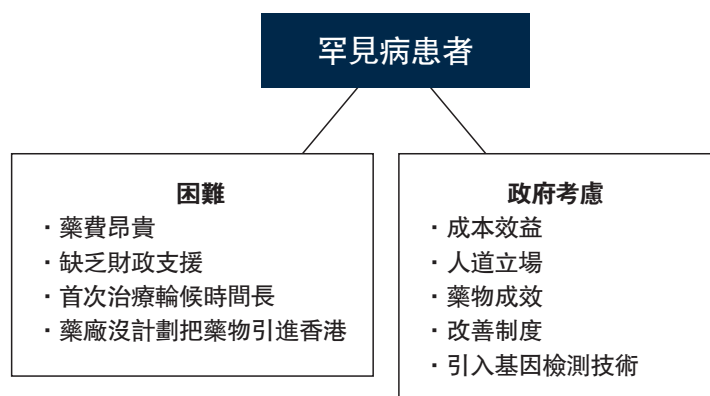
- 根據上文，試指出罕見病患者面對什麼難處？
- 有人認為政府應資助罕見病患者用藥，亦有人認為政府應將這些資源投入其他方面，你較認同何者？

答題指引

- 本題同學可引用資料回答，指出罕見病患者需要藥物治療，但藥費太過昂貴，並非一般市民可以負擔，而且部分藥廠並未將相關藥物引進香港，即便能負擔藥費，還是面臨無藥可用的情況。
- 本題屬於開放評論題，沒有固定答案，同學只要言之成理即可。若同意政府應為罕見病患者提供資助，可以指出所有香港市民都應該享有醫療福利，不能因為藥物昂貴而選擇不資助。

助，況且香港政府庫房仍有大量盈餘，藥費昂貴難以作為不資助的理由。若不同意的話，則可指出公共資源有限，若資源用於津貼罕見病者，則代表其他患者所受的津貼減少，若以受益人數作考慮，津貼一名罕見病患者用藥的資源，可以用於津貼更多其他有需要人士的話，就更需要考慮，如新西蘭政府就曾作出類似的決定。

概念圖



延伸閱讀

- 《罕見疾病缺支援 陳恒鎔促增基因檢測》，香港《文匯報》
<http://paper.wenweipo.com/2017/10/07/HK1710070017.htm>
- 《林鄭親接請願信 允爭取新藥「來港」》，香港《文匯報》
<http://paper.wenweipo.com/2017/10/09/HK1710090014.htm>
- 《政府允罕症藥速納「關愛」》，香港《文匯報》
<http://paper.wenweipo.com/2017/11/08/HK1711080041.htm>