

# 治療嬰兒脊髓肌萎症 全球最貴藥患者難受惠

瑞士藥廠諾華為治療罕見的嬰兒脊髓肌肉萎縮症(SMA)，研發一次性的基因療法 Zolgensma，新藥前日獲美國食品及藥物管理局(FDA)批准上市，定價高達212.5萬美元(約1,660萬港元)，成為全球歷來最昂貴藥物。美國總統特朗普不久前才矢言處理藥價高漲的問題，今次新藥即開出天价，猶如摺了特朗普一巴掌，令人質疑華府是否把關不力。外界亦關注各地醫療系統，未必能承擔引入基因療法的成本，無法讓更多病人受惠。

估計全球每一萬名初生嬰兒，便有一人患上 SMA，而美國每年約有 400 名嬰兒患上此病，他們因體內 SMN1 基因缺陷，導致肌肉軟弱無力，難以活動，若情況嚴重，甚至無法吞嚥或呼吸而死亡。當病人在出生後不久注射 Zolgensma，便可產生正常的 SMN1 複製基因，但需盡快注射才能發揮最大效用。有別於市面上由美國藥廠渤健生產的 SMA 藥物 Spinraza，Zolgensma 採用基因療法，只需一次性注射藥物便可。目前未知新藥效用能維持多久，但路透社引述數據指出，效用只能持續約 5 年。

## 警告標示患嚴重肝病風險

FDA 表示，根據一項向 36 名兩週至 8 個月大嬰兒進行的臨床實驗，顯示大部分患者大幅改善活動能力，如更能控制頭部移動和坐立姿勢，故批准 Zolgensma 用於治療患有 SMA 的兩歲以下幼兒，包括尚未出現病徵的幼兒。但 FDA 指出，新藥最常見副作用是肝酵素水平上升和嘔吐，故要求新藥附上警告標籤，列明可能患上嚴重肝病的風險。

## 高原最貴藥逾倍 各方嘩然

諾華早前表示，至今已透過 Zolgensma 成功治療 150 多名 SMA 病人，並估計每劑新藥定價需達 500 萬美元(約 3,905 萬港元)，才能達到成本效益。美國獨立研究機構「臨床及經濟評論研究所」認為諾華的估算過高，120 萬至 210 萬美元(約 937 萬至 1,640 萬港元)才為合理價格。雖然最終定價低於諾華早前預計，但一劑 212.5 萬美元仍令各方嘩然。目前市面最昂貴基因療法，為治療視網膜疾病的 Luxturna，索價 85 萬美元(約 664 萬港元)，Zolgensma 相比下高出逾一倍。至於使用 Spinraza 治療 SMA，首年費用為 75 萬美元(約 586 萬港元)，其後每年為 35 萬美元(約 273 萬港元)。

諾華認為，Zolgensma 屬一次性藥物，較需長期使用的藥物，整體藥費較便宜。若保險公司把 Zolgensma 納入受保範圍，可於 5 年內分期付款，每年 42.5 萬美元(約 328 萬港元)，假如新藥無效，諾華會歸還部分款項。諾華亦預計 Zolgensma 今年內可獲日本及歐盟批准上市。《華爾街日報》分析師指出，估計到 2022 年，Zolgensma 銷售額將達 20 億美元(約 157 億港元)。

綜合報道

# 天价新藥美上市 一劑 1600 萬惹爭議

## 各類基因治療藥物價格

藥物名稱 (藥廠)	治療疾病	價格(港元)
Zolgensma (諾華)	脊髓肌肉萎縮症	1,660 萬
Luxturna (Spark Therapeutics)	視網膜疾病	664 萬
Strimvelis (Orchard Therapeutics)	腺苷脫氨酶缺乏症	518 萬
Kymriah (諾華)	白血病	371 萬
Yescarta (吉利德)	白血病	291 萬

資料來源：《華爾街日報》

■ 嬰兒脊髓肌肉萎縮症患者肌肉軟弱無力，難以活動。  
網上圖片

瑞士藥廠諾華為治療罕見的嬰兒脊髓肌肉萎縮症，研發一次性的基因療法 Zolgensma。網上圖片



罕見疾病患者往往缺乏針對性的治療藥物，儼如孤兒般未能得到關注，因此這類藥物又被稱為「孤兒藥」。美國在 1983 年通過《孤兒藥法案》(Orphan Drug Act)，透過提供稅務優惠和快速審批程序等，鼓勵藥廠投入更多資金，研發用於治療罕見病的新藥，甚至給予他們更大的藥物定價能力。不過，部分藥廠不但藉此開天殺價，更減少在常見致命疾病的研究投入資源，只希望透過推出「孤兒藥」追求最大利潤。

## 將佔整體藥物開支 1/3

《孤兒藥法案》不但就「孤兒藥」設定更低的進入市場門檻，亦給予藥廠 7 年市場獨家銷售專利權，自法案通過後，逾 200 間藥企已合共推出近 450 種「孤兒藥」。雖然「孤兒藥」目前佔美國所有處方藥物數量不足 0.5%，但佔整體藥物開支比例達一成，並估計在明年增至 1/3。

由於罕見病藥物價格飆升，藥廠遂一窩蜂研發「孤兒藥」，其他常見致命疾病的研究相對不受重視。去年共有 34 類「孤兒藥」獲美國食品及藥物管理局批准推出市場，但慢性肺病藥則有一種獲批，治療糖尿病和冠心病的藥物更完全沒有。

彭博通訊社分析指出，諾華去年斥資 87 億美元(約 680 億港元)，收購研發 Zolgensma 的基因治療公司 AveXis，故諾華其實未有投入研究成本，今次將 Zolgensma 定價高昂，只為追求最大投資回報，由於「孤兒藥」市場往往缺乏競爭，故應將價格與其成效掛鉤，才能扭轉藥物市場失衡情況。

綜合報道

## 藥廠爭研「孤兒藥」掠水 忽視常見致命病

# 全球逾 180 萬人上街 促正視氣候變化

歐洲議會選舉正進行投票之際，歐洲多國關注氣候變化的年輕人前日上街遊行，呼籲各國採取行動對抗全球暖化。主辦組織「周五為未來」統計，示威行動橫跨全球 125 個國家，合共超過 180 萬人參加，單在德國便有多達 32 萬人參與，是當地歷來針對氣候問題的最大規模示威。

全球各國關注氣候變化的學生，前日參與「氣候罷課」行動，正舉行歐洲議會選舉的多個歐盟成員國，有大量年輕人上街示威。柏林的示威者舉起抗議標語，向世界表示「你們再沒有藉口、我們也沒有時間」。最初推動年輕人罷課的瑞典 16 歲少女通貝里，則於斯德哥爾

摩向約 4,000 名遊行人士發言，指出若在未來 20 年不減少碳排放量一半，人類將面臨存亡危機。

傳統上關注環境議題的政黨，在今次歐洲議會選舉選情向好，例如德國綠黨於上週民調，支持度升至新高的 19%。綠黨參選人之一凱勒形容，在多年努力推動後，氣候終成為公眾關注的議題。歐洲議會社會民主黨領袖布爾曼表示已聽到學生的訴求，「這是對氣候變化採取決定性行動的時刻」。歐洲議會最大黨團歐洲人民黨稱，氣候變化與經濟和移民問題不可分割，歐洲應把握機會，廣泛採用低碳技術。

法新社/美聯社



智利示威者舉牌抗議。路透社

# 極右民粹黨團料成歐議會第三勢力

歐洲議會選舉昨日進入第三日投票，大部分歐盟主要成員國包括德國、法國、意大利等均於今日投票。選前民調顯示民粹及反移民立場的極右黨派，有望進一步擴張勢力，中間派政黨勢陷苦戰。而在已完成投票的歐盟成員國中，據選站調查顯示，荷蘭和愛爾蘭的親歐盟黨派暫時領先。

## 中間派陷苦戰

中間派陣營在今次選舉面對嚴峻挑戰，在歐洲議會佔 96 席的德國，總理默克爾領導的執政基督教民主聯盟，雖在民調以 29% 支持度居首，但最終議席數目料少於現屆議會。反而歐洲極右政黨來勢洶湧，例如在佔 74 席的法國，

極右「國民聯盟」民望已超越總統馬克龍所屬的中間派「共和前進黨」4 個百分點。意大利持反移民立場的「聯盟黨」，亦在民調支持率佔先，預計極右及民族主義政黨，有望成為歐洲議會內第 3 大黨團。

在完成投票的荷蘭及愛爾蘭，選站調查顯示，暫時分別由親歐的荷蘭工黨及愛爾蘭統一黨領先。荷蘭工黨領袖蒂默斯藉該黨取得的成績，鼓勵其他國家的盟友繼續努力。

愛爾蘭總理瓦拉卡領導的愛爾蘭統一黨，目前在兩個選區的選站調查領先。瓦拉卡承諾會推動歐盟進一步融合，他於都柏林投票時，特別提到英國首相文翠珊辭職後，可能讓脫歐進程陷入「非常危險」階段，愛爾蘭會繼

續建立、鞏固、深化與歐盟的關係。當地不少選民均指，擔心疑歐勢力影響歐盟的貿易、移民及經濟決策，故希望以選票支持歐盟。

綜合報道



法國極右「國民聯盟」民望超越馬克龍所屬的「共和前進黨」。美聯社

# 英首相跑馬仔「出閘」 約翰遜：10月31日必脫歐

英國首相文翠珊前日宣佈辭職，將於 6 月 7 日辭任首相及保守黨黨魁職務，保守黨內隨即展開首相席位之爭，屬大熱門的前外相約翰遜就脫歐表明立場，揚言即使國會未能通過脫歐協議，英國亦必定會在 10 月 31 日脫歐。英國天空電視台的民意調查則顯示，多達 2/3 英國人認為英國應提早舉行大選，以化解政治危機。

## 5 保守黨成員確定角逐黨魁

除約翰遜及前脫歐事務大臣藍韜文外，外相侯俊偉及環境大臣高文浩亦已宣佈角逐黨魁，衛生大臣夏國賢則於昨日確定參選，成為第 5 名加入相位之爭的保守黨成員。就業及退休保障大臣盧綺婷接受傳媒訪問時，則表示不會參選。

約翰遜在瑞士出席一場會議時，揚言無論有否通過脫歐協議，英國亦必須在 10 月 31 日脫歐，但他會嘗試與歐盟商討更好的協議，避免無協議脫歐，他同時稱「新領袖或可帶來新轉機」，為自己參選黨魁造勢。由於另一熱門人選藍韜文與約翰遜同屬硬脫歐派，或令約翰遜面臨壓力，須向公眾展現如何應對無協議脫歐。

工黨黨魁郝彬則指出，無論何人出任首相，亦應立刻提早舉行大選。根據天空電視台的民調結果，54% 受訪者認同當新首相上任，便應宣佈提早大選，並有 65% 受訪者同意現時英國陷入危機，比率較上次同類民調上升 4 個百分點。

綜合報道



英國報章頭版盡是文翠珊哽咽一幕。法新社