



天價新藥美上市 一劑1600萬惹爭議

New U.S. drug hits the market with controversial starting price of HK\$16 million

原文

下文摘錄自香港《文匯報》2019年5月26日報道：

瑞士藥廠諾華 (Novartis) 為治療罕見的嬰兒脊髓肌肉萎縮症 (SMA, spinal muscular atrophy)，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) (Food and Drug Administration) 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 (Donald Trump) 不久前才矢言處理藥價高漲的問題，今次新藥即開出天價，猶如攔了特朗普一巴掌，令人質疑華府是否把關 (gatekeeping) 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 (defect)，導致肌肉軟弱無力 (paralysis)，難以活動，若情況嚴重，甚至無法吞嚥 (swallow) 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 (effectiveness)。有別於市面上由美國藥廠渤健 (Biogen Inc) 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 (Reuters) 引述數據指出，效用只能持續約 5 年。

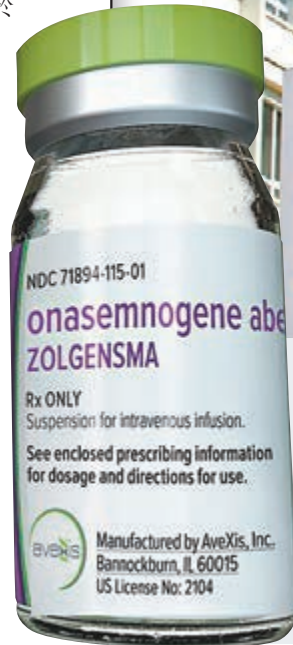
FDA 表示，根據一項向 36 名兩週至 8 個月大嬰兒進行的臨床實驗 (clinical trial)，顯示大部分患者大幅改善活動能力，如更能控制頭部移動和坐立姿勢，故批准 Zolgensma 用於治療患有 SMA 的兩歲以下幼兒，

包括尚未出現病徵的幼兒。但 FDA 指出，新藥最常見副作用 (side effect) 是肝酵素 (liver enzyme) 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。

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 (cost-effectiveness)。美國獨立研究機構「臨床及經濟評論研究所」(Institute for Clinical and Economic Review) 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 萬美元仍令各方譁然。目前市面最昂貴基因療法，為治療視網膜疾病 (retinal disease) 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 (insurer) 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 (refund)。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》(Wall Street Journal) 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)。



■諾華研製的新藥(左)，成為全球歷來最昂貴藥物。

資料圖片

Q&A

1. 美國藥物的專利保護 (patent protection) 期限有多久？
2. 據統計，歐美國家研發一款新藥的平均成本為多少？
3. 哪個國家有「世界窮人的藥房」之稱？
4. 承上題，該國家仿製藥 (generic drug) 盛行，源於什麼法案的改革？
5. 承上題，諾華藥廠曾與該國就哪款藥物進行過專利訴訟？

- Answer
1. 20 年
 2. 2.26 億美元
 3. 印度 (India)
 4. 辛德哈
 5. 5. 白蘭地 (India)

譯文

The Swiss drugmaker Novartis won the approval of the U.S. Food and Drug Administration recently for its gene therapy Zolgensma to treat spinal muscular atrophy (SMA), and priced the one-time treatment at a record \$2.125 million (approximately HK \$16.6 million), becoming the most expensive drug in the world. It was considered as a violation of the U.S. president Donald Trump's previous pledge to deal with the problem of high drug prices, making people question the effectiveness of gatekeeping of his administration. On the other hand, people were worried that the medical system of various places might not be able to bear the high costs of introducing such gene therapy, making it difficult to benefit the gener-

al public. SMA affects about one in every 10,000 live births and about 400 babies in the U.S. suffer from such disease each year. It is caused by the defects in the SMN1 gene in the babies and it often leads to paralysis, swallowing or breathing difficulty and even death. If babies with defective gene are injected with Zolgensma shortly after birth, a normal copy of the SMN1 gene would be produced, but the treatment needs to be delivered as soon as possible to achieve maximum effectiveness. Zolgensma is different from the Biogen Inc's Spinraza as it adopts a gene therapy and is a one-time treatment only. Whether such medicine can produce long-lasting effects is still unknown but the Reuters quoted data proving that its durability extends to

only about five years. The FDA said it approved Zolgensma based on clinical trials involving 36 patients aged 2 weeks to 8 months, of which the patients treated with the medicine showed significant improvement in mobility such as head control and ability to sit up. Therefore, the authority approved Zolgensma for children under the age of two with SMA, including those not yet showing symptoms. The most common side effects of the new drug are elevated liver enzymes and vomiting, so it was requested by the FDA to show a label warning that acute serious liver injury can occur. Novartis said it has so far treated more than 150 patients with Zolgensma, and estimated that the price of the new medicine should be set at \$5

million (approximately HK \$39.05 million) to achieve cost-effectiveness. The Institute for Clinical and Economic Review, an independent research group in the U.S., believed that Novartis' estimate was too high and setting the prices ranging from \$1.2 million to \$2.1 million (approximately HK \$9.37 million to HK \$16.4 million) would be more reasonable. Although the final cost of \$2.125 million was set at a level lower than Novartis expected, it had provoked a public outcry. At present, the most expensive gene therapy in the market is Luxturna that treats inherited retinal diseases and costs \$850,000 (approximately HK \$6.64 million), yet, Zolgensma is even sold at double the price of Luxturna. While for the treatment of Spinraza, it costs \$750,000 (approximate-

ly HK \$5.86 million) for the initial year and \$350,000 (approximately HK\$2.73 million) annually thereafter. Novartis believed that the overall costs for this one-time treatment should be cheaper than those expensive long-term treatments, saying that it was working closely with health insurers to include the new drug into their standardized coverage terms and to create 5-year agreements of installment payments with \$425,000 (approximately HK \$3.28 million) per year, and refunds would be offered if the treatment does not work. The drugmaker is expecting approval from Europe and Japan later this year. Analysts of the Wall Street Journal forecasted that the sales of Zolgensma would reach \$2 billion (approximately HK\$15.7 billion) by 2022.

龐嘉儀

賣剩不食剩 飯盒贈長者

綠得開心@校園

香港廢物量驚人，每天產生9,000公噸的都市固體廢物，其中廚餘約佔四成，共3,900噸，相當於250架雙層巴士的重量，幾乎全丟進堆填區。「誰知盤中飧，粒粒皆辛苦」，為了讓孩子學懂減少浪費，浸信會天虹小學定期舉行惜食周，鼓勵學生在吃午膳時不剩飯菜，早前亦參加由社企舉辦的街市剩食回收活動，教育他們珍惜食物。

剩食回收活動中，老師帶領學生和家長將於街市收集到的剩菜，轉送到社區廚房，煮成飯菜後包裝成一個個飯盒，然後送到不同的區域的分派站，送給獨居長者。

記得活動當晚天氣不佳，出發時下大雨，但仍無減學生和家長的熱誠，撐着雨傘轉轉折折到達樂富街市，這時已是晚上7點了。經過負責人講解後，學生推着手推車到不同的檔口收集剩菜。「我們來收集剩菜，製作飯盒送給獨居長者，請問這些菜可以收嗎？豆角和蘑菇也是嗎？」其中一學生問。「還有這一筒薯仔都是！」檔主說。聽到同學表明來意後，檔主們都慷慨捐出賣剩的菜。

一班同學落地地收集剩菜，不怕骯髒，也不怕地面濕滑，大約半小時後已

載滿整架手推車，再合力推到街市後門，等待小型貨車來接載食物到社區廚房。雖然這次活動很晚才完成，同學們卻沒有半句怨言，更說好好玩：「去街市收菜，好好玩，而且可以幫到有需要的老人家，好開心！」而其中一位家長表示讓兒子參加這個活動，是希望他學懂珍惜食物，「現在的小朋友比較幸福，物質生活豐富，不會知道還有很多人生活貧窮，特別是老人家，連食物也沒有太多，我希望透過這些活動，令孩子學懂珍惜食物，也知道原來每日街市也有很多剩菜，這些賣剩的蔬果，收集和清潔後製成飯盒，既不浪費，也能幫到有需要的人，很有意義。」

回收來的剩菜會送到社區廚房，同學們於是來到社區廚房參觀，並親手協助製作飯盒。負責義工教導他們揀菜和摘菜。「菜葉黃枯枯的，不要了！」其中一位同學拿着一條菜心，正想丟掉。「還可以呢！」負責義工看到，便輕輕地接過，摘下一片外葉，原來內裡是綠油油的。同學看到，也像恍然大悟似的，「嗯！」同學用力點頭回答。學懂不隨便浪費農夫辛苦種出來的農作物，是我們友善對待大自然的應有態度。

同學們對珍惜食物的學習不止於此，我們學校更是香港其中一間社區飯堂，由學生和家長擔任義工，每天黃昏將飯盒分派給社區的獨居長者。藉着這機



■學生和家長每天義務協助分派飯盒，將關愛傳遞到獨居長者手中。作者供圖

會，學生除了明白剩菜回收的價值外，也學懂關心獨居長者，一句真誠的問候，一個親切的笑容，平日硬朗的男同學，也變得像兒時的小孩那麼溫柔，長者看見小孩，開心得笑逐顏開。不論年紀有多大的差距，透過一個飯盒，心和心就這樣連起來。

浸信會天虹小學港燈綠得開心計劃「綠得開心學校」之一傑出「綠得開心學校」大獎 2018小學組亞軍

鍊金成功 性命堪憂

流行歷史

賢者之石，鍊金術的頂峰，傳說中只要獲得它，就能獲得永恒的生命。對中世紀的歐洲而言，基督教是整片大陸的唯一宗教，因此永生這個命題對當時的歐洲人來說，可謂每個人都關心的話題。在這個背景下，凡是與永恒生命有關的話題，都特別惹人注意，有些壞心眼的人，以這個話題來招搖撞騙，甚至希望借此來巴結權貴。賢者之石的騙局，在歷史上確實發生過。

在公元17世紀，有一位名為米歇爾·森迪沃吉斯的波蘭人，原本只是一名寂寂無名、從事染色製品的製造業者，但因為他愛面子又好大喜功，打扮得非常光鮮，所以經常陷入財困。某天，他得悉當時一名著名的鍊金術士亞歷山大·賽托被一名貴族囚禁，當時相傳賽托已經成功鍊成賢者之石，因此那貴族想透過囚禁他，迫使他為自己製作賢者之石。

這時，森迪沃吉斯萌生了拯救賽托以獲得更多好處的念頭，甚至為了拯救賽托，他把自己所有財產都拿來賄賂貴族手下的官員，最後成功將賽托從牢獄中拯救出來。

他原本想藉此請賽托教他怎樣去鍊成賢者之石，以獲得無限的財富，不過他的如意算盤無法打響，因為賽托在被囚期間受到嚴重拷打，救出來之後不久就死了，只留下他聲稱成功研究的賢者之石粉末。

森迪沃吉斯獲得這些粉末之後，不但沒有汲取賽托被囚這事的教訓，反而利用這些粉末，四處表演將金屬變成黃金的奇跡，令他聲名大

噪，甚至吸引了一位皇帝的注意。當時神聖羅馬帝國哈布斯堡王朝的皇帝，名為魯道夫二世。他在政治上並不算是一個英明的領袖，但就以喜愛收藏藝術品、研究占星學等神秘學而聞名，當然也包括上流社會流行的鍊金術。

他花費大量金錢在資助鍊金術的發展，因此他的宮廷，即現在捷克的首都布拉格，便成為了歐洲鍊金術和其他神秘學研究的中心。當他知道森迪沃吉斯這號人物時，就馬上召森迪沃吉斯入宮，而森迪沃吉斯亦在他面前成功將金屬變成黃金。從此，森迪沃吉斯便獲得了魯道夫二世的青睞，從一個原本無名的製造業者，一躍成為皇家認可的鍊金術士。

森迪沃吉斯利用這個身份，去巴結更多皇族和貴族，甚至有貴族因為想奪取賢者之石而幽禁他，最終被魯道夫二世處死。不過，森迪沃吉斯在幽禁期間被奪去了賢者之石，之後無法尋回，騙人的把戲也無法再使出來，而他自己也因為不懂得鍊金術，無法製作出新的賢者之石，最終在原因不明的情況下死去。

雖然賢者之石的騙局，隨著鍊金術步入歷史，也正式成為過去，不過賢者之石自身卻成為流行文化中的重要魔法道具，在各國的流行文化作品中，不論小說和遊戲，都不時見到以賢者之石為題材的故事。

時至今日，賢者之石雖然在現實層面上已經不具任何意義，但在人類文明當中，作為一種創作的題材，相信仍然會不斷被提及。

最後一集，我們將會淺談一下中國版的鍊金術：鍊丹術。

■港燈「綠得開心計劃」，致力教導年輕一代及公眾人士培養良好的用電習慣，目前已有四百多間全港中小學校加入「綠得開心學校」網絡。如欲了解詳情，歡迎致電3143 3727或登入www.hkelectric.com/happygreencampaign。

■馮沛賢（新聞系畢業，興趣歷史相關遊戲，香港青毅舍總幹事，現從事社區及青年事務工作）