



香港添馬添美道 2 號  
政府總部東翼 18 樓  
食物及衛生局局長  
陳肇始教授台啟

陳肇始局長：

### 脊髓肌肉萎縮症 (SMA) 成年患者試驗性用藥方案

感謝閣下於 2020 年 6 月 10 日的回信。香港罕見疾病聯盟（下稱「罕盟」）對於在信中指現時並不適合透過『關愛基金極度昂貴藥物項目』資助成年 SMA 患者開展 Nusinersen（Spinraza）治療感到失望和費解。罕盟敦促貴局落實行政長官去年施政報告提出應對罕病的新措施，以成年 SMA 患者的健康為大前提，儘快提出及採納可行的用藥方案。

### 罕盟建議「寬入嚴出」試驗性用藥方案

SMA 與其他罕見病一樣，患者人數少，科研及臨床數據數量無法與常見慢性疾病相提並論，然而每一位罕見病病友都不應因而被剝奪獲取適切治療的權利。因此，罕盟建議食衛局採納「寬入嚴出」的方式，讓符合臨床準則的成年患者都有機會接受 Nusinersen 試驗性治療。貴局及醫管局可與渤健公司商討供藥方案，先由渤健公司免費為適合接受治療的成年 SMA 患者提供首階段試驗性治療，患者數目、臨床準則及試驗期長短由臨床專家、醫管局管理層、病人組織及藥廠商議。如療效符合預先協議的準則，病人便由政府資助繼續用藥；沒有療效的患者則停止用藥，政府毋須支付該批患者試驗性階段的藥費。在此方案下，廠方亦應為香港的專科醫護人員，提供相關治療的培訓。

類似的成年 SMA 患者「寬入嚴出」試驗性用藥方案在英國已有先例，貴局可參閱 <https://www.nice.org.uk/guidance/ta588/documents/committee-papers-2> 了解有關方案。罕盟建議參照英國的模式，由醫管局、臨床專家、病人組織及藥廠共同協商準則及條款，達成多方協議後盡快開展。

為爭取促成此方案，罕盟將游說藥物生產商渤健公司(Biogen)履行企業社會責任，承擔提供試驗性治療階段所需用藥。

此方案可以讓醫管局能更「具成本效益地」讓成年 SMA 患者儘快開展試驗性治療，豐富本港專科醫護人員治療臨床經驗，積累更多成年 SMA 病人的真實臨床用藥數據。



現時全球有多個國家，包括英國、加拿大、日本、法國、意大利、盧森堡、愛爾蘭等，正資助成年 SMA 患者使用 Nusinersen<sup>1</sup>。本港 SMA 成年患者周佩珊在接受治療後，病情和生活質素大有改善，白天不需要使用呼吸機輔助呼吸，能吞嚥進食，無須撐扶坐著約 15 分鐘。佩珊的進步反映用藥對成年 SMA 患者的療效。

罕盟懇請 貴局履行特首對 SMA 患者的承諾——照顧每一位病人，並儘最大的能力去解決病友問題。罕盟亦希望 貴局敦促醫管局脊髓肌肉萎縮症專家小組認真了解相關的醫學實證、海外用藥指引和國際間就疾病管理的安排，盡早與渤健公司商討罕盟的建議，讓本港成年 SMA 病友可以與佩珊一樣，接受治療，繼續工作及貢獻社會。

專此奉達，望早日回覆。

香港罕見疾病聯盟

會長 曾建平

2020年7月8日

副本送：

- 行政長官林鄭月娥女士
- 醫院管理局行政總裁高拔陞醫生
- 立法會張超雄議員、葛珮帆議員、蔣麗芸議員、陳凱欣議員、麥美娟議員

<sup>1</sup> Treat SMA website. Available at <https://www.treatsma.uk/treatments/spinraza/spinraza-access-by-country/>, accessed on 2 July 2020