



勃健香港有限公司

懇請支持香港脊髓肌肉萎縮症 (SMA) 成年患者 Spinraza 試驗性治療計劃

自 2019 年起，香港罕見疾病聯盟（下稱「罕盟」）多次要求香港特別行政區政府為成年 SMA 患者提供 Spinraza 治療。當局以未有充份實證為由，表示現時並不適合透過『關愛基金極度昂貴藥物項目』資助成年 SMA 患者開展 Spinraza 治療。

罕盟建議的「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，罕盟建議醫管局管理層、臨床專家、病人組織及藥廠共同協商，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。

醫管局可與 貴公司商討供藥方案，由 貴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。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。

此方案可讓成年 SMA 病人儘早獲適切治療，豐富本港專科醫護人員治療的臨床經驗，積累更多真實臨床用藥數據。

為爭取促成此事，罕盟已於日前向食物及衛生局提出上述計劃。本人懇請 貴公司本著企業社會責任，透過提供免費藥物支持此計劃，在月內與食衛局及醫管局會面，商討細節。

專此奉達，期待回覆。

香港罕見疾病聯盟

會長 曾建平

2020 年 7 月 9 日

副本送：

- 香港特別行政區行政長官林鄭月娥女士
- 食物及衛生局局長陳肇始教授
- 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