

香港罕見疾病聯盟就

《香港特別行政區經濟和社會發展第一個五年規劃(2026–2030)》

提交之意見書

(2026 年 8 月)

背景：

為聚焦本港數以十萬計罕見病群體在醫療、科研、藥物可及性及社會照顧四個範疇的策略方向，並對標國家「十五五」規劃綱要內容，香港罕見疾病聯盟（下稱「罕盟」）現謹建議政府於《第一個五年規劃》中明確訂定「健康優先」、「醫療創新」、「以民為本」等規劃大方向，並逐一轉化為香港罕病群體能具體受益的政策措施，務求在維持財政穩健的情況下，持續改善醫療及社福等民生所需。

建議一：建構多層次醫療融資，分散罕見病高端治療的財政風險

目前罕見疾病的針對性藥物或治療成本相對高昂（尤其是先進療法及孤兒藥），無疑對公營醫療與病患家庭均構成沉重財政壓力。即使香港已設有撒瑪利亞基金及關愛基金等藥物安全網援助機制，但仍無法緊貼近年先進治療推陳出新的速度，及時引入及為罕病藥物提供資助。罕盟認為，香港必須於中長期探索多元共付與補充型重大疾病保障安排，包括研究及推動補充型重疾保險產品，以及檢討現行公私營融資工具在支援高端治療上的角色、比重、以及不足之處。

上述建議亦正好呼應國家已確立的政策路徑。「十五五」規劃綱要第四十三章便明確要求「健全多層次醫療保障體系」，並「充分發揮商業醫療保險補充保障作用」；第三十九章更提出「鼓勵商業保險擴大創新藥支付範圍」。香港在「一國兩制」下探索多層次醫療融資，正是同向而行，並可發揮香港作為國際風險管理及保險樞紐的獨特優勢。此方向亦切合香港諮詢文件民生部分「在顧及特區政府必須維持持續財政穩健的前提下」的整體框架——罕盟所有融資建議，均以早診早治降低長期系統成本為核心邏輯，而非單純增加開支。

就具體推進而言，罕盟建議此項工作由財經事務及庫務局聯同醫務衛生局牽頭，並邀請保險業監管局及業界共同參與。短期內（一至兩年）可先委託研究，全面盤點現行安全網、自願醫保與商業重疾產品在覆蓋高值罕病治療上的缺口；中期（三至五年）則在研究基礎上，探



討設計具針對性的補充型保障產品或共付機制，並與建議三的高端療法資助路徑互相銜接。如此方能使「多層次融資」與其餘建議同樣具備明確的部門分工與時間節點，而非停留於原則宣示。

建議二：以北部都會區為樞紐，建立罕見病科研與真實世界數據協作平台

罕盟一直支持香港建立具法定基礎的罕見病患者名冊，並歡迎以本地真實世界數據(RWD)及真實世界證據(RWE)支援罕見病藥物的註冊與審批。此方向與香港諮詢文件幾乎可逐字對接：諮詢文件第一部分已明確提出，結合牛潭尾第三所醫學院、綜合醫教研醫院及新田科技城打造生命健康科技和醫療創新集群，並以河套區內的粵港澳大灣區國際臨床試驗所為核心，「推動以真實世界證據支持藥械的審批及註冊，革新藥械審評機制」。

罕見病正是這項政府既定方向最迫切、最適合的應用場景。由於罕見病病例稀少，傳統大規模隨機對照臨床試驗往往難以實行，RWD/RWE 恰恰是補足證據不足的關鍵工具。因此，一個標準化、可互通、具法定基礎的罕見病名冊，不僅服務患者，更是政府「以真實世界證據支持藥械審批」得以在罕見病領域落地的基礎設施。正因如此，罕盟認為此項建議應在諸項建議中列為最優先推行的一環——它既是精準融資風險評估的數據前提，也是後續照護家庭主動識別的資訊基礎，可謂其餘建議賴以落地的共同底層設施，懇請政府優先考慮並訂立明確時間表。

就具體切入點而言，罕盟建議政府可分階段推進：短期內（一至兩年）由醫務衛生局牽頭，聯同醫院管理局、衛生署、香港基因組中心等機關，先就現行分散於各專科的罕見病臨床資料進行整合與標準化，並委託專責機構研究名冊的法定框架、資料治理及私隱保障安排；中期則透過本地立法賦予名冊法定基礎，明確資料收集、共享與跨境流通（尤其對接河套臨床試驗所）的規則，使其正式成為藥械審評機制的證據來源。如此循序漸進，方能把「建立名冊」由願景轉化為具時間節點的政策工程。

在國家層面，此方向直接對接「十五五」規劃綱要第八章「前沿科技攻關」中的第六項——把「罕見病、兒童用藥等創新藥物」與重大慢性病、傳染病並列為國家重點研發方向。由此形成「國家攻關方向—香港北都平台—罕見病應用場景」的完整銜接：香港可在河套「一區兩



園」及新田科技城的空間與制度優勢下，建設罕見病研發、臨床試驗與數據轉化一體化的區域樞紐，同時服務國家高水平科技自立自強。

建議三：把香港定位為亞太區先進治療藥物的早期採納樞紐

細胞及基因治療(CGT)等先進療法為部分罕見病帶來根治可能。罕盟建議香港善用自身審批與市場地位，成為亞太區先進療法的早期採納樞紐，並優化高端療法的落地與資助路徑。

此方向與國家戰略高度一致。「十五五」規劃綱要第五章的綱領專欄便明確為生物製造定下目標，明確「加快細胞和基因治療藥物、抗體藥物、核酸藥物……研發應用」；第三十九章亦要求「優化創新藥……審評審批」及「完善創新藥目錄」。香港現行的「1+」新藥審批機制及2030年前確立的「第一層審批」安排，正可與國家創新藥政策形成境內外銜接，讓香港成為先進療法通行大灣區的高質量門戶，長遠更可助力國產高端醫療器械出海攻堅的「橋頭堡」，發揮「超級聯絡人」之關鍵角色。

為使「早期採納樞紐」不流於定位口號，罕盟認為關鍵在於同步理順審批與資助兩條路徑。在審批方面，建議政府檢視現行「1+」機制能否進一步涵蓋以罕見病為適應症的先進療法，並研究為孤兒藥設立專屬的加速審評通道，縮短病人可及的時間差。在資助方面，鑑於先進療法動輒數百萬元的單次治療費用，難以單靠現行安全網承擔，罕盟建議政府研究設立專項的高端療法資助機制，並與建議一的補充型融資工具互相配合，探討以分期付款、療效掛鉤付款(outcome-based payment)等創新財務安排分散風險。上述工作宜由醫務衛生局聯同財經事務及庫務局、衛生署與醫院管理局組成專責小組共同研議，方能兼顧臨床、審批與財政三方面的可行性，屬中期（三至五年）可望見成效的政策方向。

建議四：建構醫社民聯動的照顧體系，對接國家「家庭照顧單元」模式

罕見病患者及其家庭長期面對「以老護殘、以殘顧殘」的雙重照顧斷層——即年邁父母照顧成年罕見病子女，一旦父母離世或失能，患者即陷照顧真空。罕盟建議香港建立「醫社民」多方聯網，主動識別及精準幫扶罕見病家庭，並試驗「照顧者與被照顧者共住宿位」的照顧單元模式。

此概念雖然較為新穎，但絕非罕盟首創。「十五五」規劃綱要第四十六章便明確要求「加強重度殘疾人托養照護」，包括「鼓勵有條件的養老機構設立『老年父母+殘疾子女』家庭照護單元」。罕盟的「共住宿位」構想，正是與國家這一既定方向直接對接，香港可結合本地院舍分類制度與成年殘疾服務先行本地化試驗，把此模式從「有待驗證的構想」提升為「落實國家既定方向的本地化實踐」。

考慮到此模式在本地屬全新嘗試，罕盟建議以「先導試點、循序擴展」的方式推進，避免一次過大規模投入的風險。具體而言，可由勞工及福利局聯同社會福利署，於北部都會區規劃中的安老或殘疾人士院舍中，撥出小量宿位開展為期兩至三年的先導計劃，優先服務「老護殘」高風險的罕見病家庭，讓年邁照顧者與成年患者得以共住同一設施，既維繫家庭紐帶，亦為患者預作照顧銜接的準備。試點期間應設定清晰的成效指標與檢討機制，累積本地營運經驗與成本數據後，再評估是否納入常規服務並逐步擴展。此舉可使香港在國家既定方向下先行先試，屬短期即可啟動、中長期逐步深化的可行路徑。

此方向亦切合香港諮詢文件的具體用語。諮詢文件安老部分明確提出「加強暫託服務及護老者支援等服務，減輕照顧者壓力」；社福部分提出「主動識別及精準幫扶有需要的個人及家庭」——後者恰是罕盟「醫社民」多方聯網精準幫扶的概念表述，建議政府可在罕見病領域先導先行此一方針。

結語

罕見病議題已多次涵蓋於國家「十五五」規劃綱要的科技、醫療、健康等不同篇章專欄之中，並與香港北部都會區的醫療創新佈局緊密相連。上述四項建議環環相扣，均以特區施政穩健、長遠可持續發展、提升市民「幸福感」為大前提，並以「早診早治、降低長期系統成本」為核心邏輯，務求在改善民生的同時，增強香港醫療與社會體系的長遠韌性。當中，建議二所倡建的「具法定基礎的罕見病患者名冊」實為其餘三項建議得以落地的共同基礎設施——無論是精準的融資風險評估、真實世界數據的科研應用，抑或照護家庭的主動識別，均有賴此一數據基礎，罕盟因此懇請政府優先予以考慮。



為使上述方向由「規劃對接」邁向「具體行動」，罕盟謹提出三點行動呼籲。其一，懇請政府設立跨部門專責工作小組，統籌罕見病在醫療、科研、藥物及社福四方面的政策協調，避免各自為政；其二，建議優先推動法定罕見病名冊的立法研究，為真實世界證據應用與早期診治奠定基礎；其三，倡議於北部都會區開展照護單元先導試點，讓「共住宿位」模式在本地實地驗證，累積可供擴展的經驗。

罕盟懇切期待行政長官、特首政策組及相關司局級官員審慎參考上述建議，並就具體落實踏出關鍵一步。罕盟亦樂意隨時與相關單位以不同方式深化溝通交流，攜手把國家與特區的既定方向，轉化為罕見病群體實實在在的受益路徑。

—完—