

二零一九年三月十八日
資料文件

立法會衛生事務委員會

政府就張超雄議員提出的《罕見疾病條例草案》 作出的回應

目的

本文件載述政府就張超雄議員提出的《罕見疾病條例草案》(《條例草案》)所作的回應。

《條例草案》

2. 張超雄議員的《條例草案》旨在為支援罕見疾病患者的政策提供法律框架。《條例草案》旨在訂立以下內容 –

- (一) 罕見疾病政策委員會；
- (二) 罕見疾病評估小組；
- (三) 罕見疾病的認定；
- (四) 罕見疾病藥物、治療及產品的註冊；
- (五) 有關罕見疾病的法定資助計劃；及
- (六) 罕見疾病資料系統。

政府的立場和現時對不常見疾病患者的支援

3. 政府一貫的醫療政策是致力為所有病人(不論其疾病類別)提供適切的護理和治療。醫院管理局(醫管局)會因應個別病人的臨床情況和需要，為其制訂和調整合適的治療方案。不過，在提供公共醫療服務的過程中，政府和醫管局了解和高度關注罕見疾病(我們形容為不常見疾病)患者在治病過程中所遇到的問題，包括潛在的診斷延誤、可用的治療方法和高昂的治療費用。鑑於不常見疾病患者面對這些困難，政府和醫管局一直緊密合作，以務實方針，為不常見疾病患者制訂針對性措施，並着重為他們提供跨專業護理。

4. 雖然香港現時沒有關於不常見疾病政策的特定法例，但政府和醫管局實際上一直為相關的病人提供以下全面的支援。

跨專業護理

5. 醫管局轄下的跨專業醫療團隊由醫生、護士、藥劑師、臨床心理學家、物理治療師、職業治療師和醫務社會工作者等人員組成，一直為不常見疾病患者提供全面的護理服務。跨專業醫療團隊會按照個別病人的臨床和生理需要提供適切的全面服務，包括新生嬰兒篩選服務、臨床診斷服務、醫療和手術治療服務、紓緩治療和康復服務。醫管局致力確保照顧每位病人的個別需要，當中提供的支援並不限於合適的藥物治療。

引入新藥物

6. 提供可負擔和適切的藥物治療是我們支援不常見疾病患者其中重要的一環。現時已有既定機制為新藥物進行評估，以及設有資助計劃為有需要的病人(包括不常見疾病患者)提供經濟援助。《條例草案》為有關藥物訂定的註冊制度和資助計劃，與我們在這方面的工作重疊。鑑於大眾對本港引入新藥物需時的關注，政府和醫管局一直努力優化現行機制，尤其顧及不常見疾病患者所面對的困難。

7. 在新藥物註冊方面，政府近年推出多項措施，以加快藥物註冊程序。為了讓藥劑製品可盡快於市場發售，藥劑業及毒藥管理局(管理局)在二零一八年六月同意實施“優化新藥註冊程序”(優化程序)。當藥廠提交新藥劑製品註冊申請後，或當有新藥劑製品納入醫管局「特別用藥計劃」或相關的政府資助用藥項目，管理局會立即同步啟動修訂《藥劑業及毒藥規例》(第 138A 章)的工作，以減省藥物註冊所需的時間。截至二零一九年一月，衛生署以優化程序處理了 17 種含有新藥劑或生物元素的藥劑製品。優化程序推行後，處理藥劑製品的註冊申請所需時間一般可縮短兩至三個月。

8. 至於把新藥物納入醫管局藥物名冊供公立醫院和診所使用方面，醫管局設有既定機制每季評估新藥物，以期擴大藥物名冊的涵蓋範圍。評估過程以實證為本，主要考慮藥物的安全、療效和成本效益。二零一九至二零年度財政預算案將增撥四億元經常資助，供醫管局擴大藥物名冊，特別是藥物名冊內的通用及專用

藥物涵蓋範圍。醫管局於二零一九至二零年度用於藥物的總開支將增至約六十億元。醫管局亦已設有程序，讓臨床醫生可在特殊情況下，為個別病人處方藥物名冊以外或未經註冊的藥物，以確保病人得到最適切的治療。

9. 治療不常見疾病的藥物價格可以十分高昂，而有關藥物可能僅經初步醫療驗證，且不同病人對用藥的臨床反應亦各有差異。因此，醫管局的相關委員會在評估這類不常見疾病藥物時，會因應相關的特別因素，包括就這類藥物難以有大規模的科研數據以證明其療效，而作相應考慮。此外，醫管局已設立獨立專家小組，負責制訂特定不常見疾病的昂貴藥物治療方案，包括藥物名冊以外的藥物，並評估個別病人接受藥物治療的實際療效。專家小組已根據既定的治療指引，逐案檢視個別不常見疾病病人就使用極度昂貴藥物的申請，當中考慮到病人的臨床情況，並參考海外的治療指引及現有最新的臨床實證。

提供藥物資助

10. 在現時的醫療政策下，我們致力確保所有病人不會因經濟困難而得不到適當治療。因此，我們一直透過高補貼、低收費的模式，為市民提供醫療服務。目前，醫管局透過政府提供的經常撥款、撒瑪利亞基金和關愛基金醫療援助項目，為患有不同疾病的病人(包括不常見疾病患者)提供藥物資助。

11. 鑑於藥業市場出現價錢極度昂貴的藥物，以及不常見疾病患者接受極度昂貴藥物治療的需求與日俱增，政府和醫管局於二零一七年八月推出新的關愛基金醫療援助項目，名為「資助合資格病人購買價錢極度昂貴的藥物(包括用以治療不常見疾病的藥物)」(關愛基金極度昂貴藥物項目)。該項目的資助範圍現正逐步擴大，會按病人的個別臨床需要，資助他們接受特定藥物治療。由二零一七年八月至二零二零年三月期間，關愛基金已預留約共3億8,000萬元為該項目於上述期間的預算上限。截至二零一九年一月，該項目下有21宗申請獲批，資助總額約為7,100萬元，平均每宗申請獲資助約340萬元。醫管局會繼續評估新藥物，並建議合適的新藥物納入關愛基金極度昂貴藥物項目的資助範圍。

12. 為加快把新藥物納入安全網的涵蓋範圍，醫管局自二零一八年起把相關的優次順序編配工作，由每年一次增至每年兩次，以期為病人提供更適時的支援。此外，醫管局於二零一八年七月設

立新機制，用以評估個別病人(包括不常見疾病患者)根據特定藥物計劃提出的申請，讓他們可及早接受新藥物治療。醫管局亦成立了一個談判小組，專責與藥商就指定的極度昂貴藥物洽談成立特別用藥計劃及藥物治療的長遠財務安排。醫管局會把按上述機制下獲支持的藥物提交扶貧委員會審議，以考慮納入關愛基金極度昂貴藥物項目的資助範圍。

支援不常見疾病患者的服務提升

13. 政府和醫管局已在現行機制的基礎上制訂多項針對性措施，以加強對不常見疾病患者的支援。當中的服務提升會着重促進不常見疾病的診斷和讓病人盡早獲得藥物治療。

香港兒童醫院的角色

14. 香港兒童醫院(兒童醫院)在二零一八年十二月十八日開始分階段提供服務，並會在加強支援不常見疾病患者方面發揮重要作用，尤其是不少不常見疾病皆源自遺傳或基因病變。兒童醫院將成為第三層專科轉介中心，處理複雜、嚴重、不常見且需要跨專科治理的兒科病症，當中會支援基因檢測(例如非侵入性的染色體異常產前檢測)和研發更新的基因檢測。為進一步加強遺傳服務，衛生署轄下的醫學遺傳服務將於二零一九年年底遷入兒童醫院，以匯集遺傳篩選方面的先進儀器、專業人才和配套設施。

15. 過去 30 年，醫學遺傳服務的遺傳篩選組為所有在醫管局轄下醫院出生之嬰兒免費提供葡萄糖六磷酸去氫酵素(G6PD)缺乏症及先天性甲狀腺功能不足症之普查。另一方面，醫學遺傳服務下的遺傳輔導組一直為受遺傳病和不常見疾病影響的病人及家庭提供診斷及遺傳輔導服務。醫學遺傳服務轄下的遺傳化驗所配備常規和先進的遺傳檢測技術，為病人提供診斷支援。至今，遺傳輔導組已為超過 38 000 個家庭提供服務，並每年接獲逾 1 500 宗轉介的新病人／家庭個案。此外，遺傳篩選組與醫管局自二零一五年開始合作在醫管局轄下醫院推行初生嬰兒代謝病篩查計劃。該計劃涵蓋 24 種代謝病，旨在及早發現、診斷和介入治療病症。

16. 科研發展方面，兒童醫院將設有研究實驗室和臨床試驗中心等專門基礎設施，以促進與香港大學醫學院和香港中文大學醫學

院的緊密合作，進行與兒科及遺傳疾病相關的基礎和轉譯研究。

不常見疾病的資訊系統

17. 醫管局的臨床資訊系統備存所有病人(包括不常見疾病患者)的臨床數據和不同類別疾病的資料。在取得更多治療不常見疾病的本地經驗時，醫管局亦正累積有關的臨床數據，以期逐步擴充臨床資訊系統內不常見疾病患者的資料庫。這個臨床資訊系統能協助臨床醫生診斷和治療病人，以及促進這方面的研究和政策制訂工作。

18. 鑑於兒童醫院將集中提供遺傳服務，兒童醫院已備有一個數據中心及相關的資訊科技系統，在有新增資源的配合下，將來可處理和整存大量的基因數據。長遠而言，醫管局會參考兒童醫院的模式以期發展一個配有相關臨床數據的中心集中為所有不常見疾病患者提供護理和治療服務。

香港基因組計劃

19. 政府於二零一七年底成立基因組醫學督導委員會(督導委員會)，就本港的基因組醫學發展提出建議。督導委員會正從多方面探討香港的基因組醫學發展策略，當中包括探討基因組醫學在不常見疾病中所擔當的角色。香港基因組計劃是督導委員會其中一個初步的建議。這是一個大型基因組測序計劃，以促進基因組醫學的臨床應用和創新科研發展。

20. 行政長官去年在《施政報告》宣布推行香港基因組計劃。我們期望計劃能夠增加不常見遺傳病的確診率，減輕漫長診斷過程對病人、家屬和醫療系統的負擔，使臨床治理更切合病人所需，並幫助不常見遺傳病人的父母妥善考慮生育計劃。我們已於一月二十一日就計劃的方向諮詢立法會衛生事務委員會，並得到委員會的支持。財政司司長已於今年的財政預算案公布撥款約 12 億元成立香港基因組中心及推展香港基因組計劃，在未來六年進行四至五萬個全基因組測序。政府會繼續與督導委員會及相關的專家小組商討計劃細節。

優化撒瑪利亞基金及關愛基金醫療援助項目的經濟審查機制

21. 為減輕病人家庭的藥費負擔，政府和醫管局於二零一九年年

初推出措施優化撒瑪利亞基金和關愛基金醫療援助項目的經濟審查機制。優化措施包括修訂藥物資助申請中的每年可動用財務資源的計算方法，只納入計算病人家庭資產淨值的 50%，為病人家庭提供資產保障；以及收窄經濟評估所採用的「家庭」定義。

22. 按在二零一七年六月至二零一八年二月期間批出的藥物資助申請數據估計，優化措施將可每年惠及約 1 005 宗現有申請，減少病人所需分擔的費用。除了現有個案的藥物資助額會增加外，隨着優化措施推出令合資格申請資助人數上升而出現的新申請個案亦會帶來財政影響。我們預計優化經濟審查機制及加快把藥物納入安全網後，撒瑪利亞基金及關愛基金醫療援助項目的資助總額會由 2017-18 年度的約 7 億元，增至 2019-20 年度的 15 億元。

23. 我們預期優化措施將可大幅減少病人需要分擔的藥費，為病人家庭提供經濟保障，並讓更多病人獲得藥物資助。

擬定的《條例草案》

24. 我們歡迎可以改善為所有病人(包括但不限於不常見疾病患者)提供護理服務的質素、效益和效率的建議。然而，我們認為無需，亦不宜以立法的方式處理可以透過行政途徑達致的目的。政府和醫管局致力為所有病人(包括不常見疾病患者)提供最適切的護理和治療。現時已有措施支援不常見疾病患者，並與《條例草案》的某些建議相若。為不常見疾病立法未必會有助於幫助不常見疾病患者。

25. 《條例草案》所建議的罕見疾病法定制度會為罕見疾病和非罕見疾病帶來不必要的法定分界，以及使臨床治療的過程複雜化。每種疾病都有其獨特之處，而病人所需的臨床照顧和護理亦各有不同。假如只有屬法定定義涵蓋範圍內的病人才可享有法定權益，我們的支援重點便會轉移至如何劃分界線及檢討定義所涵蓋的範圍，從而偏離照顧個別病人特定臨床需要的重要使命。一個以發病率界定的定義會忽略到其他重要的考慮因素，包括疾病的嚴重性和可行的治療方法等。事實上，不論是罕見疾病或已知疾病，對病人適切的治療，相較於一個法定定義和法定疾病資料庫，更大程度上取決於專業的判斷、疾病的嚴重程度(不單是罕有性)，以及現有的專業知識和資源等。

26. 擬定的《條例草案》亦會為政府帶來政策和財政上的影響。

未來發展

27. 政府和醫管局一直十分關注不常見疾病患者的福祉。現時已設有機制為這些病人提供各方面的支援，包括臨床診斷、跨專科護理及復康服務、引入新藥物，以及資助藥物治療。《條例草案》提出的內容會與現時政府和醫管局在這方面的工作重疊，而不會確保病人得到更好的治療。考慮到上述的因素，政府現階段並不支持就不常見疾病立法。政府和醫管局會繼續與持份者(包括病人組織)保持溝通，以檢討和加強對不常見疾病患者的支援。

食物及衛生局
醫院管理局
二零一九年三月