



香港添馬添美道 2 號  
政府總部東翼 18 樓  
醫務衛生局局長  
盧寵茂教授親啟

盧教授，你好！

## 第六屆特區政府對罕見病的取向

首先，對你在第六屆特區政府擔任醫務衛生局局長這個極具挑戰性的崗位表示讚賞和敬佩！

令人印象特別深刻的，是你在今年 8 月 12 日「國家主席重要講話精神」座談會上提出「政府主導、敢於擔當；引領灣區、創出香港；優化醫療、病有良醫；求同存異、變革共贏」。你更要求同事將習近平主席於七一重要講話中的「四點希望」體現在醫務衛生局（醫衛局）的工作方向上，以保障香港市民健康和提升市民幸福生活指標，並鼓勵醫衛局同事把握習主席重要講話的核心要義，勉勵各同事做好實事，不斷求進，以結果為目標，讓醫衛局成為「行動型」及「執行型」的政策局，以切實的政策措施回應中央及廣大市民的期盼。我們深感你的講話句句箴言，字字珠璣，顯示你對特區醫療衛生政策作出的義無反顧的艱巨承擔！

由罕病患者和照顧者組成的香港罕見疾病聯盟（下稱「罕盟」），成立於 2014 年 12 月，已歷經三屆政府。過去幾年我們親身感受的是：第四屆政府的政策視野尚未察覺「罕見病」這回事；第五屆政府對罕見病是積極有為的，每年的施政報告都或多或少地回應患者的需要和訴求，雖然推出的措施較為零星散亂，欠缺規劃，但部份患者還是得到有效支援和裨益。隨著新一屆政府今年七月上任，多個部門紛紛表示要落實習主席提出的「四點希望」，在罕病患者和照顧者的心中再次燃點起希望。期盼醫衛局言出必行，以實際行動回應習主席的講話精神，透過官商民協作，共同應對罕見病對患者和社會帶來的挑戰！

行政長官在十月發表了本屆政府第一份施政報告，當中也像上屆政府一樣，零碎地回應了罕病患者的個別訴求，並未帶來「開新篇」的感覺。我們理解新一屆政府上任只有幾個月，需要優先處理大量經濟民生議題；也明白局長閣下月來馬不停蹄地為遏止新冠疫情反彈且要同時回應商界和社會的種種訴求而不辭勞苦，絞盡腦汁。因此，罕盟也準備付出最大的耐心和誠意，與政府部門和各界持份者攜手，在本屆政府五年任期內，各司其職，各盡其責，同為罕病開新篇！同為香港開新篇！



罕盟在施政報告發表前提交的意見書向政府提出以下五點建議（詳情請參閱附件）：

- I. 政府主導，成立「罕病策略督導委員會」；
- II. 就訂立本地罕病定義展開研究；
- III. 制訂和落實五年行動計劃；
- IV. 拆牆鬆綁，優化和完善罕病藥物可及性機制；及
- V. 就罕病診治開展與大灣區協作。

局長閣下曾經在港大深圳醫院工作多年，也出席過當地與罕見病有關的活動，相信你對罕見病的問題和中央政府近年大力改善罕見病診治的措施不會陌生。我們明白，罕見病在你主管的醫療政策範疇不是重大議題，不過我們依然充滿期望，冀盼你抽出一點時間過問，在你任期內將政府對罕見病的取向從被動回應改變為主動擔當，跟上中央政府提出的「一個也不能少」的目標。

順帶一提，罕盟近年與醫衛局（前食物及衛生局）交往，過程實在令人失望。我們自去年八月起曾多番嘗試與主事的政務主任聯系，旨在跟進以往幾年施政報告有關罕病措施的落實進度，以及要求安排會面或書面回覆，惟一直不得要領。在過去十五個月期間，我們打過不下數十次的電話，均沒有人接聽，留言也沒有回覆，電郵查詢得不到實質答覆，有時甚至沒有回音，此等「不作為」的態度，與局長提出的「執行型」和「行動型」實在大相逕庭！因此，罕盟渴望習主席提出的「四點希望」中的「要加強政府管理，改進政府作風，樹立敢於擔當、善作善成新風尚，展現良政善治新氣象」，能夠貫徹到醫衛局主事官員的處事作風。

誠望局長閱畢本函後，能在百忙中抽出半個小時，與我們透過線上或實體會面，就本屆政府對罕見病的取向進行交流。崙此 佇候示覆。順頌

時祺

香港罕見疾病聯盟  
會長

曾建平敬啟

附件：就《2022 年施政報告》公眾諮詢提交的意見書

副本送：行政長官李家超先生

二零二二年十一月二十四日

## 香港罕見疾病聯盟 就《2022年施政報告》公眾諮詢提交的意見書 (2022年9月)

香港罕見疾病聯盟（下稱「罕盟」）成立於2014年12月，是全港首個由跨類別罕見疾病患者和親屬組成，並得到有關專家學者支持的病人組織。我們代表患者和照顧者，致力透過與持份者協作，提升對罕病的認知，共同推動改善罕病政策和服務，令罕病患者的醫療、社會支援、教育、生活等各項基本權利，與其他所有市民一樣得到尊重和保障。

新一屆政府將於今年十月提出施政報告。這將是特首在香港優化選舉制度後和愛國者治港的新氣象下，作出的首份政策宣示，罕盟翹首以待。

上屆政府任期內針對罕病提出了一些措施，有助處理和解決個別病種的具體問題。然而這些措施只是著眼臨床，零星局部，欠缺系統和佈局，就全面應對罕病的成效而言，只能說是強差人意。罕盟期望新一屆政府具有階段性跨越的視野，一改過往被動回應的取向，樹立主動擔當的心態，從零星到整體，從臨床到策略，從措施到規劃，提出具前瞻性、長短兼容的方案。罕盟就本屆政府應對罕病的工作提出下列五項建議，希望得到考慮和採納：

- I. 政府主導，成立「罕病策略督導委員會」；
- II. 就訂立本地罕病定義展開研究；
- III. 制訂和落實五年行動計劃；
- IV. 拆牆鬆綁，優化和完善罕病藥物可及性機制；及
- V. 就罕病診治開展與大灣區協作。

各項建議內容詳述如下：

### I. 政府主導，成立「罕病策略督導委員會」

罕盟自2019年起，每年就施政報告提交的意見書，均倡議成立政府主導的「罕病策略督導委員會」（以下簡稱「督委會」）。

近幾年香港各界對罕病的關注與日俱增，隨著政府連年推出新措施，促進了大學、科研機構、創科企業、醫療製藥等多個界別對罕病的關注和投入；醫院管理局（醫管局）從管理層到前線臨床專家對篩查、診斷和治療罕病的經驗不斷積累；政府主事官員對罕病議題的了解也更為全面和深入。在已有基礎上，集結各方熱誠和力量，有效協調專業知識和資源，定能發揮官、商、民協作互補的巨大效應，令政府和各方持份者的努力事半功倍。新一屆政府如具備有效應對罕病挑戰的意志和決心，牽頭成立「督委會」應是勢在必行。

罕盟倡議成立的「督委會」，是由政府主導，由醫務衛生局局長任主席。成員包括政府官員、醫管局、兩所醫學院、罕病專家、病人組織以及商界代表等。委員會的核心職責是：

1. 在已有的實踐基礎上，參照歐美和內地的經驗，制訂香港應對罕病的政策目標和中長期策略；
2. 制訂及分階段推行符合香港實情的「香港罕病行動計劃」，包括人力資源、病人名冊、卓越中心、跨境協作、復康支援等；
3. 統籌推行行政長官提出的各項罕病措施，並監察執行進度及向行政長官匯報；及
4. 因應工作需要，「督委會」設立不同職責和功能的專責委員會或小組，集合官方和民間各方專才，攜手應對罕病挑戰。

## II. 就訂立本地罕病定義展開研究

罕盟以往每年就施政報告提交的意見書，都提出香港應有本地的罕病定義，以利相關政策措施有效執行。政府至今仍以國際上沒有統一的罕病定義，以及訂立定義後會影響服務的公平性為由，予以拒絕。

這些隨手拿來的所謂「理由」，謹停留在臨床服務的實務，遠遠不是為政者的思維層次和視野，暴露主事官員的怠政不作為心態。試問全球各地都推動扶貧，國際間沒有統一的貧窮線，為何香港又能成功訂立和不斷調整本地的貧窮線？難道這又不怕對極為接近但未落入貧窮線的低收入市民造成不公？

我們明白訂立本地罕病定義是複雜的，難以一蹴而就。但現屆政府不應該繼續左閃右避，以蒼白無力的理由簡單地說「不」，起碼應該組織持份者展開研究，借鏡一些有效應對罕病的國家和地區的經驗，探討訂立本地罕病定義的利與弊，客觀分析對社會整體是利多還是弊多，得出符合香港實況的結論，表現新一屆政府敢於擔當的施政風格。

## III. 制訂和落實五年行動計劃

政府年前曾經在向立法會提交的文件表示：「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。」罕盟一直認同政府的主張，在2019年已向當時的行政長官建議，由政府牽頭制訂及分階段落實官、商、民三方協作的「香港罕病行動計劃」，可惜幾年來未有得到正面回應。罕盟再次向新一屆政府提出這項倡議，期望行動計劃應訂立本屆政府五年任期的目標和每年的執行進度。

行動計劃應至少涵蓋但不限於以下範疇：

## 1. 人力編配及專才培訓

要有效應對罕病的篩查、診斷、治療、復康和研究等工作，受過專門訓練的各類人才（例如臨床遺傳科醫生、遺傳諮詢師、專職護士等等）是不可或缺的。應在醫管局設立相關職位編制，為有志投身的專才提供事業發展階梯，才能有效加強對患者的服務。

## 2. 病人名冊

上屆政府曾經承諾為若干類別的罕病建立病人名冊，新一屆政府應承先啟後，在五年任期內陸續增加名冊內的罕病種類。

## 3. 一站式覆診和卓越中心

罕病診治往往涉及多個專科，患者覆診需要遊走十個八個科目，費時失事，早已為人詬病。年前香港兒童醫院開始為個別罕病試行一站式覆診，效果良好，受到患者歡迎。這種以病人為本的服務模式，應逐步推廣至更多聯網醫院和罕病種類，並在此基礎上，展開建立罕病卓越中心的規劃。

## 4. 新生兒篩查

新生兒篩查是早診早治的有效方法，據悉當局已就新生兒篩查計劃引入個別罕病進行研究和試驗。政府應在未來幾年加強這方面的工作，將新生兒篩查範圍延展至更多已有有效治療和技術可行的罕病類別。

## 5. 跨境協作

政府近年大力推動各領域的跨境協作，特別是與大灣區融合。跨境協作對於罕病診治同樣有其需要和得益（詳見本文第 V. 點），政府應就罕病診治跨境協作事宜制訂具體計劃，才能有效落實。

## **IV. 拆牆鬆綁，優化和完善罕病藥物可及性機制**

對於一班身體機能日漸衰退的罕病患者來說，他們最著急的是能否及時得到適切的治療。如依循一般的藥物註冊和入藥程序，他們往往要苦等數以年計才有機會服用經已面世的新藥。慶幸地，政府近幾年逐步正視並提出應對罕病的新措施，例如自 2017 年 8 月起資助合資格病人購買極度昂貴的藥物（包括用以治療所謂「不常見疾病」的藥物）。現時列入「關愛基金極度昂貴藥物項目」的其中兩種藥（Tisagenlecleucel 和 Tafamidis）由獲批註冊到納入關愛基金的時間平均只需約 13 至 14 個月，而 Nusinersen 更可以特快時間在註冊後四日納入安全網，讓有需要的病人得以早日用藥。

罕盟喜見醫管局這種靈活彈性的處理手法。近年一些個案表明，加速罕病藥物納入《醫管局藥物名冊》和安全網是可行和有例可循的。就此，罕盟於今年 4 月向政府和醫管局

呈交了題為《拆牆鬆綁，優化和完善罕病藥物可及性機制》的意見書，提出以下七項措施，以優化和恆常化罕病藥物可及性的機制：

1. 優化罕病藥物註冊申請文件的要求和審批程序；
2. 加強醫管局「總藥劑師辦事處」與藥劑業界的協作；
3. 省略「藥事委員會」(DTC) 在入藥過程的非必要工作；
4. 調整「藥事管理委員會」(DMC) 的會議時間和模式；
5. 走出「先有雞還是先有蛋」的因果困境，協調審理醫療檢測和入藥的兩個機制；
6. 執行醫療科技早期預警 (又稱 horizon scanning)，及早規劃資源分配的優先順序；及
7. 推行「罕見病藥物試用期」，有系統地收集和應用真實世界數據，為加快病人使用罕見病藥物提供更多實證。

罕盟至今尚未收到當局對以上建議的回應，期望新一屆政府認真考慮和採納。

## V. 就罕病診治開展與大灣區協作

內地中央政府和各省市近年推出了大量加強診治罕病的政策措施，例如：2015 年國家衛生和計劃生育委員會成立了「罕見病診療與保障專家委員會」，反映罕病已進入國家政策的視野；2016 年成立了國家罕見病登記系統，整合全國性的罕病數據；2018 年國家衛健委公佈了第一批罕病目錄共 121 種罕病；2019 年國家衛健委建立全國罕見病診療協作網，在全國範圍遴選 324 所醫院組成（其中位於大灣區的醫院有 13 所），並公佈首部《罕見病診療指南》。

香港擁有優秀的醫療設施和人材，然而政府一直欠缺積極主動的診治罕病的整體策略和長遠規劃。開展跨境尤其是與大灣區的協作，將達至優勢互補的格局，令本地的醫療服務和患者得到兩地融合的好處。

以下是罕盟就香港與大灣區罕病診治密切協作提出的初步建議：

1. 香港指定醫院（可考慮香港兒童醫院、瑪麗醫院或瑪嘉烈醫院）參與全國罕見病診療協作網，與其中位於大灣區的 13 所指定罕病醫院在臨床診斷和治療進行密切合作，有需要時並在條件許可下可相互轉介個案。（行動單位：醫務衛生局、醫院管理局）
2. 香港醫管局的罕病個案納入全國罕見病登記系統，重點與大灣區 13 所指定罕病醫院進行緊密的數據和科研交流合作。（行動單位：醫務衛生局、醫院管理局、港大和中大醫學院）
3. 香港兩所醫學院獲國際認可的「臨床試驗中心」(Clinical Trial Center) 與大灣區 13 所指定罕病醫院合作，吸引跨國和內地藥企的創新藥物在港開展臨床試驗。（行動單位：港大和中大醫學院）
4. 檢視香港與內地藥物監管法例和規定的差異，作出有效協調，促進融合。香港衛生署

接納中國藥品監督管理局（National Medical Products Administration）為認可的藥物監管機構。（行動單位：醫務衛生局、衛生署）

5. 利用策略性採購，與大灣區醫保機制協作，選購價格更合理的罕病用藥。（行動單位：醫院管理局）

由於香港與大灣區就罕病的跨境協作是新事物，期待政府部門和有關專家就以上建議進行討論研究，盡快付諸行動，成熟一項，推出一項。

罕盟預期，如果香港與大灣區融合診治罕病，本地業界和患者會得到下列好處：

1. 透過診療協作網進行實時臨床交流，促成病例個案大量增加，專家可以利用更多數據和臨床經驗，加快為患者作出診斷和制訂治療方案。
2. 隨著越來越多創新罕病藥物在香港進行臨床試驗，香港患者有優先試藥的機會，也有助收集累積用藥的本地數據。
3. 內地生物醫學產業突飛猛進，承認內地藥監部門有助香港患者盡早得到內地新藥的治療。
4. 內地醫保議價能力強大，在大灣區進行策略性採購，有助香港患者獲得質優而價格更為合理的藥物。

## 結語

國家主席習近平在本屆政府就職典禮上發表的重要講話中提出四點希望，要求「切實排解民生憂難。……新一屆特別行政區政府要務實有為、不負人民，把全社會特別是普通市民的期盼作為施政的最大追求，拿出更果敢的魄力、更有效的舉措破難而進，讓發展成果更多更公平惠及全體市民」。

在醫務衛生局「國家主席重要講話精神」座談會上，盧寵茂局長提出「政府主導、敢於擔當；引領灣區、創出香港；優化醫療、病有良醫；求同存異、變革共贏」，要求同事將習主席七一重要講話中的「四點希望」體現在醫務衛生局的工作方向上，以保障香港市民健康和提升市民幸福生活指標，共建「健康香港」，以至融入國家的「健康中國」。

罕盟對新一屆政府的工作抱有期望，寄望決策者和執行部門都能做到坐言起行，知行合一，同為香港開新篇，同為罕病患者開新篇！

～ 全文完 ～