



## 香港罕見疾病聯盟

### 就《公營醫療收費改革的實施情況及成效 (包括藥物的資助安排)》提交之意見書 (2026年5月)

#### 一、每位患者的真實故事，都是改革的考卷

公營醫療收費改革以加強「貧、急、重、危」病人保障為核心承諾。額外收費所得將全數用於提升醫療服務，例如支援癌症、罕見疾病等重病患者。罕盟歡迎改革方向，亦相信政府的善意。但我們必須坦誠地說：對罕見疾病患者及其家庭而言，「貧、急、重、危」四個字並非抽象的政策原則，而是每一天的真實生活。

一名患有軟骨發育不全症的幼童，出生後即面對多種嚴重併發症——三個月大發現呼吸困難送入深切治療部，須在胃部開造口餵奶，每晚佩戴呼吸機 12 小時，11 個月大又因脊椎狹窄接受減壓手術。他的媽媽說：「如果有藥物能從源頭減少併發症風險，對他的未來定有莫大幫助。」。同患此症的十七歲少女，自八歲起接受數次肢體延長手術，每次留院停學半年至一年，至今仍與各種術後併發症周旋——但她的生長板已閉合，已錯過用藥窗口。早前她站出來發聲，只為讓年幼的病友不再重覆自己的路。

這些家庭的故事，正是「貧、急、重、危」承諾最真切的試金石。

#### 二、「一人罕病、全家罕病」——被忽視的社會成本

罕見疾病的影響從來不止於患者個人。有照顧者或家長由於需要長期照顧重病親人而被迫放棄工作，家庭負擔百上加斤，身心靈健康不斷耗損。父母辭去工作全職照顧、兄弟姊妹的成長被忽略、家庭收入驟減、婚姻關係受壓、最終照顧者亦不堪勞累、年邁致殘、「以殘顧殘」的情景橫生——這些「社會成本」往往不在醫療開支的統計數字之中，卻真真實實地侵蝕着整個家庭的生活質素和向上流動的可能。

我們必須認識到：罕見疾病藥物的定價確實較常見病藥物為高，但若患者無法獲得有效治療，他們在住院、覆診、復康訓練、手術介入等方面的終生醫療開支同樣極為龐大——以軟骨發育不全症患者為例，據醫療專家估計，依賴傳統手術治療、住院、及後續跟進等手段管理，預計終生醫療費用或超過一千萬港元。與此同時，社區照護、患者失學失業、照顧者的犧牲等社會成本實應全盤考慮。

事實上從醫療經濟學的角度分析，藥物投放的槓桿效應十分顯著。2024/25 年度醫管局藥物總開支約 127.5 億元，僅佔醫管局整體經常開支約一成多；即其他開支、包括營運成本佔整體開支逾八成。公營醫



院部分病房的佔用率長年超過 100%，病床緊絀是不爭的事實。然而，**病床本身不會治癒疾病——根源性治療藥物或手術才會**。每一位因缺乏有效藥物治療而反覆住院、接受多次手術、長期佔用病床和覆診名額的罕見疾病患者，都在持續消耗遠比藥費更為昂貴的系統資源：醫護人手、手術室時間、深切治療部病床、跨專科協調等。若適度增加藥物投放能從源頭減少住院和手術需求，所釋出的床位、人手與服務容量，不僅足以抵銷藥費增幅，更能惠及其他有需要的患者。

治好一位患者，不僅是拯救一個生命，更是解放一個家庭的生產力，讓照顧者重返職場、患者本身接受教育和就業，促進階級向上流動，令更多市民能在全員健康的環境中貢獻社會。這正是「一人罕病、全家罕病」的深層意涵，亦是投資創新醫療的社會回報。

### 三、創新療法正在改寫命運——兩個活生生的例子

#### （一）軟骨發育不全症：從「術後修補」到「源頭治療」

軟骨發育不全症的 C 型利鈉肽類似物是全球首個針對該病病因的藥物。過往患者只能在併發症出現後以手術處理——肢體延長手術需切斷骨頭、安裝外置支架、每日拉伸，住院長達兩年，部分患者需經歷多次手術。C 型利鈉肽類似物面世後，透過調節過度活躍的 FGFR3 信號促進軟骨細胞正常發育，不僅改善骨骼生長，更能從源頭減少腦積水、睡眠窒息、脊椎狹窄等嚴重併發症的風險，降低猝死威脅，讓患者有機會避免多次高風險手術。

本港一名患者自 11 歲起接受治療，約三年八個月間身高增加 24.5 厘米，從生長圖表最低四分位升至最高四分位。更重要的是，藥物帶來的不僅是身高改善，還包括肢體變形矯正、關節疼痛減輕、體能增強、自理能力提升和社交生活改善。藥物已獲美國 FDA、歐盟 EMA、日本等批准，全球 45 個國家或地區已納入醫療資助，超過 3,000 名兒童已接受治療。

然而，藥物須在患者生長板閉合前（約 15 至 18 歲）使用方能發揮最佳效果。本港約有 30 名 0 至 14 歲患者正處於黃金治療期，每延遲一年，部分患者將因生長板閉合而永久失去病因治療機會——他們的遺憾，不應在下一代重演。

#### （二）重型乙型血友病：從「終生注射」到「功能性治療」

近年醫學界在基因治療屢屢取得突破成就，全球首個獲批用於乙型血友病的基因治療亦於 2022 年上市，透過單次靜脈輸注將功能性凝血因子基因導入肝臟細胞，使患者自身持續產生凝血因子。傳統治療需要終生每週注射一至兩次凝血因子，每年注射次數可高達約 50 次，患者仍面對突發出血、關節損傷及生



命威脅。臨床數據顯示，絕大部分患者在接受基因治療後成功停止預防性注射，年出血次數較治療前大降九成，達至「功能性治癒」，徹底改變患者的生活模式。

該藥物已獲美國 FDA、歐盟 EMA、英國 MHRA、加拿大等批准並提供資助，英國 NHS 更透過「創新藥物基金」以管理准入協議向患者提供資助。藥物亦已於 2024 年 12 月在香港衛生署註冊，但至今尚未納入藥物名冊或安全網。本港約有 40 多名乙型血友病患者，而當中病情最嚴重的患者人數只有寥寥數人，群體規模極為有限且容易識別，財政承擔可預測、可管理——這恰恰是最適合率先引入條件式資助的藥物之一。

這兩個例子清楚說明：創新療法已從根本上改變了罕見疾病的治療格局，不再是「有沒有藥」的問題，而是「何時能讓患者用上藥」的問題。

#### 四、風險分擔——各界已準備好承擔責任

---

我們理解政府在審批藥物時須考慮多重因素。但必須指出的是，藥業界、社福界、病人組織及專家學者已在積極提出「風險分擔」和「多元共付」的方案。這些方案並非空談——封頂治療價格（藥廠承擔超出上限的費用）、按療效付費（療效未達標準則藥廠退款）、分期繳付一次性基因治療費用（將高額單次費用攤分至多年）、以及管理准入協議（先資助使用並同步收集真實世界數據，再作長期決策），在國際間乃至本港均已有的實際運作的先例。

英國 NHS 為上述乙型血友病基因治療採用的管理准入協議，便是在收集五年長期數據的同時先讓患者獲得治療的成功範例；多個國家亦已為軟骨發育不全症藥物設立風險分擔安排。這些機制的共同理念是：政府、藥廠與病人三方共同承擔不確定性，而非將所有風險轉嫁給最脆弱的患者。

各方已準備好共同分擔風險與責任，我們期望政府能盡快搭建可對話、可合作、能具體實踐的平台。

#### 五、「國際醫療創新樞紐」需要藥物可及性的支撐

---

政府致力推動香港成為國際醫療創新樞紐。「1+」藥物審批機制至今已有 21 款新藥獲批註冊，「第一層審批」已於 2026 年 3 月 31 日起分階段實施，「引進創新藥物及醫療器械辦公室」亦將於 2026 上半年成立——這些都是重要的制度基建。

但一個真正的「國際醫療創新樞紐」，不能只吸引藥企來港註冊而讓本地患者無法使用；不能只有審批速度的提升而無資助機制的配合。如果已在全球 45 個國家和地區獲得資助的罕見疾病藥物、已在香港註冊超過一年的基因治療，在本港仍然遲遲未能納入安全網，不但令患者蒙受不必要的痛苦，亦會削弱國



際藥械企業對香港市場的信心。唯有在引入、審批、資助三個環節同步推進，讓本港市民率先受惠於創新療法，才能對國際社會展示香港醫療體系的誠意與實力。

## 六、罕盟建議

**(一) 盡快將已在港註冊、獲國際廣泛認可的罕見疾病創新藥物納入安全網。**讓正處於治療黃金窗口的患者及時受惠，回應「急」和「重」的承諾。

**(二) 為罕見疾病藥物建立「快速評估通道」及「條件式資助」機制。**參考英國「創新藥物基金」的管理准入模式，先在最適合的患者中納入資助並同步收集本地真實世界數據，以支持後續再評估。醫管局將新藥引入藥物名冊的時間由十個月減至五個月、安全網從十八個月縮短至九個月的目標值得肯定，但罕見疾病的不可逆治療窗口，確實需要更快的「落地」速度。

**(三) 引入風險分擔及多元共付安排。**與藥廠及社福機構合作，探索封頂價格、按療效付費、分期繳付等創新支付方案，在撒瑪利亞基金及關愛基金的框架下減輕患者及家庭的經濟壓力，長遠亦應探索重大疾病保險等融資可能，為醫療發展建造更好根基。

**(四) 採用全面價值評估框架。**在評估罕見疾病藥物資助時，全面納入減少併發症、減少手術和住院、提升患者及家庭生活質素、減輕照顧者負擔、釋出公營醫療系統服務容量等價值元素，而非僅以藥價或傳統成本效益比率作為唯一決策依據。

**(五) 確保「引進創新藥物及醫療器械辦公室」將罕見疾病藥物列為首批優先處理項目。**並設定明確的工作時間表，定期向立法會匯報進度。

**(六) 公布改革新增收入用於藥物資助的具體安排及可量度績效指標。**例如每年新增納入資助的罕見疾病藥物數量、新藥由完成評估至「落地可用」的平均時間等，讓公眾看到「貧、急、重、危」承諾的兌現進度，以回應市民對收費改革的疑慮。

## 七、結語

改革的成效不應只以收入增加或濫用減少來衡量，更應以「最有需要的病人是否更快獲得更好的治療」來檢驗。罕見疾病患者的病情等不起、治療窗口不可逆、藥費耗資高——他們正是「貧、急、重、危」承諾最真切的對象。病床不會治癒疾病，藥物才會。讓創新療法及時惠及每一位有需要的患者，便是對這場改革最好的回報。

我們懇請委員會將罕見疾病藥物資助列為改革成效的重要一環，讓每一個等待中的孩子、病友及其家屬至親，都能看到希望，活出更好人生。



### 關於香港罕見疾病聯盟

香港罕見疾病聯盟成立於 2014 年，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，會員目前涵蓋超過 270 種罕見疾病。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。致力為罕見疾病患者爭取更完善的醫療及社福支援服務。

—— 意見書正文完 ——



## 附件一：醫療經濟分析

——罕見疾病藥物資助的成本效益與社會回報

本附件為香港罕見疾病聯盟就正文第二節及第六節第（四）項建議提供的補充分析。

### 一、藥物開支在公營醫療體系中的真實比重

2024/25 年度，醫管局藥物總開支約 127.5 億元。這一數字看似龐大，但放在醫管局整體經常開支中，僅佔約一成至一成三。相比之下，營運成本——包括興建醫院、醫護人手、病房運作、手術室使用、設備維護等——佔醫管局整體經常開支逾八成。

這組數字揭示了一個關鍵的結構性事實：**公營醫療系統的「大頭」從來不是藥物**。藥物開支的適度增加，如果能有效減少住院日數、手術次數和跨專科覆診需求，其所釋出的系統資源價值——以醫護人手時間、病床佔用、手術室排期等計算——往往遠超藥費本身。

### 二、「不治療」的隱性成本：以兩個例子說明

#### 軟骨發育不全症

患者若依賴傳統手術路徑，一生中可能經歷以下醫療介入：肢體延長手術（每次住院長達兩年，部分患者需經歷多次）、腦積水引流手術、脊椎減壓手術、O 型腳矯正手術、睡眠窒息症相關的持續氣道正壓治療及監測、以及因猝死風險所需的心肺監控。據醫療專家估計，患者依賴傳統手術治療的預計終生醫療費用或超過一千萬港元。

與此同時，每一次手術都佔用手術室時間、骨科及深切治療部病床（住院數月至數年）、以及多個專科的覆診名額（骨科、神經外科、呼吸科、耳鼻喉科、兒科等）。在公營醫院部分病房（例如：骨科及內科）佔用率長年超過 100% 的背景下，這些資源的消耗對整體系統的壓力不可忽視。

針對病因的 C 型利鈉肽類似物能從源頭促進骨骼正常發育，減少上述併發症的發生風險，讓患者有機會避免多次高風險手術。即使藥物的年度費用較高，從終生醫療成本的角度分析，「源頭治療」的投入與「術後修補」的累計消耗相比，前者具有顯著的成本節省潛力。更重要的是，減少手術和住院需求所釋出的病床、手術室時間和醫護人手，能直接惠及其他正在輪候的患者。



## 重型乙型肝炎

現行標準治療依賴終生定期注射第九凝血因子，每年注射次數可高達約 50 次，年度費用可達數十萬至百萬港元——而且是終生持續。即使在持續預防性注射下，患者仍面對突發出血風險，導致急症室就診、緊急住院、關節退化所需的骨科手術及康復治療等額外醫療消耗。

基因治療雖然前期投入較高，但作為一次性治療，從生命週期成本角度分析具有明確優勢：單次治療後患者自身持續產生凝血因子，絕大部分患者成功停止預防性注射，年出血次數大降九成。這意味着：終生注射費用歸零、突發出血相關的急症和住院大幅減少、關節退化放緩從而減少骨科介入。英國 NHS 正是基於類似的生命週期成本分析，透過管理准入協議為患者提供資助。

## 三、「病床不會治癒疾病——藥物才會」

公營醫院的床位緊絀是社會高度關注的議題。病房佔用率長期超過 100%，輪候時間不斷延長，「迫爆」新聞屢見不鮮。在這一背景下，我們需要重新審視醫療資源配置的邏輯。

每一位因缺乏有效藥物治療而反覆住院的罕見疾病患者，都在持續佔用遠比藥費更為昂貴的系統資源。一張公立醫院住院病床的每日成本（計入醫護人手、設備、營運等）遠超大多數藥物的每日費用。以公立醫院非符合資格人士住院收費為參照，普通科病床每日 7,400 元，深切治療部病床更高達每日 35,600 元——這些數字反映的是服務的實際成本水平。相對的，當有效的創新藥物能從源頭控制病情、減少住院和手術需求時，藥物投放實際上是在「釋放」系統容量，而非「消耗」預算。

將此邏輯應用於罕見疾病藥物資助的決策，結論是清晰的：**適度增加藥物投放，是紓緩公營醫療系統壓力的策略性手段，而非額外的財政負擔。**罕見疾病患者人數雖少，但每位患者對系統的長期消耗卻高度集中且持續——正因如此，精準投放藥物資源於這些患者身上，其「單位投入的系統效益」極高。

## 四、建議採用全面價值評估框架

現行藥物評審機制偏重「增量成本效益比」（ICER），這一指標在評估常見病藥物時有其合理性，但應用於罕見疾病時存在結構性局限：患者人數少導致臨床試驗規模受限，傳統的隨機對照試驗數據量往往不及常見病充足；罕見疾病的全面影響（包括併發症預防、手術避免、照顧者負擔減輕、患者社會參與改善等）難以被單一的 ICER 指標所捕捉。

我們建議醫管局在評估罕見疾病藥物時，採用更全面的「多準則決策分析」框架，除傳統臨床療效和成本效益外，額外納入以下價值元素：減少併發症發生率及嚴重程度、減少手術次數及住院日數、釋出公



營醫療系統的服務容量（病床、手術室、專科覆診）、提升患者自理能力及社會參與度、減輕照顧者負擔及其勞動力回報、以及疾病的嚴重程度與治療選項的稀缺性。

此一框架已被歐洲多國（包括荷蘭、意大利、瑞典等）用於罕見疾病藥物的評審決策，並得到國際藥物經濟學與成果研究學會（ISPOR）的支持和推廣。

## 附件二：國際基準比較

### ——罕見疾病藥物可及性的全球視野

本附件為香港罕見疾病聯盟就正文第五節提供的補充資料，旨在以國際比較突顯香港在罕見疾病藥物可及性方面與先進經濟體之間的異同。

### 一、軟骨發育不全症 C 型利鈉肽類似物：全球資助版圖

國家／地區	批准時間	資助狀態
歐盟（含德國、法國等）	2021 年	已透過國民保險資助
美國	2021 年	已獲 FDA 批准，多數商業保險及 Medicaid 覆蓋
日本	2022 年	已納入國民健康保險
澳洲	2023 年	已納入藥物福利計劃（PBS）
台灣	2025 年 5 月起	已納入健保給付
內地 26 城市	陸續推出	逐步納入輔助性商業保險「惠民保」特藥清單
<b>全球合計</b>	—	<b>45 個國家或地區已納入醫療資助</b>
<b>香港</b>	<b>2025 年 4 月註冊</b>	<b>未納入安全網</b>

本港約 30 名 0 至 14 歲患者正處於治療黃金期。藥物須在生長板閉合前使用方能發揮最佳效果，每延遲一年，受惠人數將不可逆地縮減。在全球 45 個國家或地區已向患者提供資助的背景下，香港作為國際都會，其患者的藥物可及性與上述國家或地區之間的落差，難以向國際社會解釋。

## 二、首款重型乙型血友病基因治療藥物：國際資助進展

國家／地區	批准時間	資助模式
美國	2022 年 11 月	FDA 批准，商業保險覆蓋
歐盟	2023 年 2 月	EMA 批准，多國透過國民保險資助
英國	2024 年	NICE 透過「創新藥物基金」以管理准入協議資助
加拿大	2024 年	已批准並資助
法國	透過「直接進入」制度於 2023 年 12 月通過	歐盟批准後即向患者提供治療
香港	<b>2024 年 12 月註冊</b>	<b>尚未納入醫管局《藥物名冊》安全網</b>

英國的經驗尤其值得香港參考。英國 NICE 最初因長期效益不確定性而未推薦常規資助，但其後與 NHS England 及藥廠達成管理准入協議，透過「創新藥物基金」在五年數據收集期間先行資助患者使用。這一「邊用邊評」的模式，既回應了患者的迫切需要，又為長期決策累積了真實世界證據——政府、藥廠與患者三方共同分擔不確定性，而非讓患者獨自承受等待的代價。

本港約有 40 多名乙型血友病患者，而當中病情最嚴重的患者人數只有寥寥數人，群體規模有限且可識別，採用類似的管理准入協議，財政承擔完全可預測、可管理。

## 三、差距的本質：「審批快了，資助沒跟上」

「1+」藥物審批機制是香港藥物制度的重要突破，至今已有 21 款新藥獲批註冊，其中 7 款已納入醫管局藥物名冊。「第一層審批」已於 2026 年 3 月 31 日起分階段實施，醫管局目標為將新藥引入藥物名冊的時間由原來的十個月減至五個月、入安全網從十八個月縮短至九個月。而「引進創新藥物及醫療器械辦公室」亦將於 2026 上半年成立。

這些進展值得肯定，但必須指出：新藥從「衛生署獲批註冊」到「正式納入醫管局《藥物名冊》安全網、患者實際受惠」之間的時間差，仍然是制度鏈條中最薄弱的一環。對罕見疾病患者而言，這一時間差的代價尤為沉重——因為他們面對的往往是不可逆轉的治療窗口。



一個致力成為「國際醫療創新樞紐」的城市，其核心競爭力不僅在於審批速度和產業招商，更在於本地患者能否及時使用已獲國際認可的創新療法。如果已在全球數十個國家獲資助的罕見疾病藥物，在香港仍遲遲未能「落地」，不僅令本港患者蒙受痛苦，亦會向國際藥械企業傳遞負面信號：在香港註冊了藥物，不等於患者能用上——這將直接削弱企業對香港市場的信心，使各項策略部署難以發揮預期效果。

#### 四、建議

- 一、將「藥物可及性」與「審批速度」並列為「國際醫療創新樞紐」的核心績效指標，在國際推介香港醫療體系時，能夠展示本地患者的實際獲益數據。
- 二、參考英國「創新藥物基金」及管理准入協議的模式，為已在港註冊的罕見疾病創新藥物建立「條件式資助」機制，在收集本地真實世界數據的同時先行向患者提供治療。
- 三、確保即將成立的「引進創新藥物及醫療器械辦公室」將罕見疾病藥物列為首批優先處理項目，主動聯絡藥廠探討風險分擔方案。
- 四、在每年向立法會提交的醫療服務報告中，加入「罕見疾病藥物可及性國際比較」的專題章節，以透明、可量度的方式向公眾展示香港與國際標準之間的差距及縮窄進度。

—— 意見書全文完 ——