



# 罕病患者如何能夠 早日用藥？



曾建平  
香港罕見疾病聯盟會長  
2021年3月

# 大綱

- 罕病藥物的研發
- 罕病藥物在香港註冊和臨床使用
- 罕病患者如何能夠早日用藥?
- 案例
- 結語

# 罕病藥物的研發

- 一般藥物研發大約需時十年，投資不少於十億美元，成功率很低。
- 罕病藥物研發比常見病藥物難度更大。
- 發達國家對研發罕病藥物在審批、稅務、財政及專利權等提供誘因，鼓勵藥廠研發。
- 罕病藥物被認可合法使用，必須得到藥物監管部門的批准。

# 罕病藥物在香港註冊和臨床使用

- 藥物註冊：由衛生署負責，條件是該藥物獲得美國、歐盟、加拿大、日本、澳洲等其中兩個國家的藥物監管部門批准，即可在港註冊。
- 申請者提交所需文件（藥劑製品證書，**CPP**）後，約兩三個月可完成註冊。

# 罕病藥物在香港註冊和臨床使用

## 臨床使用：

- 藥物經衛生署註冊後，私家醫院和醫生便可處方供臨床使用。

## 醫管局的程序：

1. 由臨床醫生提交建議，經聯網「藥物治療委員會」（**DTC**）審批；
  2. 然後提交醫管局總部「藥物建議委員會」（**DAC**，基本上每三個月開會一次）討論，可能一次獲批，可能退回兩三次重新討論，或不獲批。
  3. **DAC**批准後，醫管局的醫生便可按照臨床用藥指引處方藥物。
  4. 昂貴藥物如需納入安全網，須提交「藥事管理委員會」（**DMC**）審批，每半年開會一次）討論，可能要反覆提交或不獲納入安全網。
- 回顧往績，從前線醫生提出建議到納入安全網，需時**1.5 – 3年**甚至更長。

# 罕病患者如何能夠早日用藥？

## 多方協作：

- 藥廠提供資料；
- 臨床醫生提供專業意見；
- 患者講述親身經歷；
- 罕盟與政府部門和醫管局磋商；
- 傳媒報導引起公眾關注。

# 案例一：IPF（特發性肺纖維化）

- 兩次提交DAC被拒門外；
- 罕盟牽頭與專科醫生、社區藥房及藥廠協作，推出「民間安全網」，惠及到公立醫院或私家醫生求診的患者；
- 罕盟繼續去信並帶同患者約見醫管局陳述訴求；
- 醫管局在「民間安全網」推出後約一年將藥物納入名冊，約一年半納入「撒瑪利亞基金」。

## 案例二：

# FAP（家族性澱粉樣物多發性神經病變）

- ▶ 患者家人上書行政長官，罕盟電郵交至林鄭；
- ▶ 罕盟安排患者向政府官員遞信，傳媒現場採訪報導；
- ▶ 罕盟偕同患者及家屬與醫管局磋商；
- ▶ 上書後約一年藥物納入名冊及由關愛基金資助。



## 結語

- 患者走出第一步親身講故事很有震撼性，其他伙伴難以取代。
- 臨床醫生支持及提供專業意見極其重要。
- 罕盟會與病友攜手協作，促成其事。



# 香港罕見疾病聯盟

RARE DISEASE HONG KONG

罕盟網頁（加入會員）

<https://rdhk.org/>



臉書

<http://www.facebook.com/RareDiseaseHK>

