

# 病人對香港罕病政策的期待

文：曾建平（香港罕見疾病聯盟會長）



罕見疾病泛指患病率偏低的疾病，雖然個別罕病的病例甚少，但若綜合全球逾7000項罕見疾病計算，全球罕病患者估計逾三億人。罕病涵蓋大部分先天遺傳疾病，一些非常罕見的傳染病、自體免疫疾病及罕見癌症也屬於罕病。

罕病患者具有以下特性：

所有身體結構及器官均有可能出現病變，引致身體和智能嚴重傷殘，甚至死亡；

病例稀少，臨床數據和實證非常有限；

診斷過程十分複雜漫長，涉及幾乎所有專科；

為延續生命，控制病變，緩解病癥，需長年服用價格高昂的藥物，然而他們絕大多數無能力長期自費負擔；

不同患者的護理及社會支援需要差異性大，極需個人化且協調得當的跨專業支援和服務。

現時香港的醫療服務資源分配僵化地遵循患者人數、臨床數據實證、成本效益等準則。當決策者把這些準則凌駕於病人的健康和生命時，罕病患者實質上已被排拒於公營醫療服務之外，成為名副其實的孤兒。社會支援機制亦顯得僵化和欠人性化，未能有效保障他們有尊嚴和有質素地生活的權利。



行政長官早前站在一名罕病病友身邊，對著電視機鏡頭，表示政府將會為她提供藥物治療。這顯示政府在聽到罕病患者過去一年的強烈訴求後，作出正面回應。然而，行政長官不可能為每一名罕病病人站台，不可能過問每一種罕病藥物，不可能介入每一個診治護理環節。她和她的問責團隊應該做的，是制訂大政方針，有願景、有承擔、有策略、有規劃、有統籌、有效地應對罕病對香港的挑戰，例如：

1. 在香港兒童醫院設立「罕病專科中心」，提供跨專科協調檢測、診斷、治療、復康等一站式服務；並由該中心統籌全港罕病的臨床服務、科學研究及培養專材等工作。
2. 在醫院管理局開設臨床遺傳專科醫生以及遺傳諮詢師職位，為這些專材建立事業晉升階梯；加快培訓相關專材。
3. 設立罕病用藥臨床研究的專項撥款。
4. 為患者盡早提供及時適切的藥物治療，保障他們的生存權。
5. 設立罕病病人名冊，為臨床治療、統籌護理和制訂政策規劃，提供完整的科學數據。
6. 為全港初生嬰兒提供罕病篩查，並逐步增加檢測項目。
7. 設立「罕病患者全人個案經理」，回應罕病患者的全人支援需要，涵蓋覆診、治療轉介、復康、求學、就業、婚姻、社區生活支援，以至精神健康等範疇。
8. 為罕病患者提供維持生命所需的津助，包括家居及交通工具改裝、購置器材設備及醫療消耗品等等；優化家居暫托服務。

期待行政長官下次在電視機鏡頭前，說的是：「政府決定訂立香港的罕病定義，制訂短、中、長期策略，全面回應罕病患者的需求和訴求。」