

# 罕見疾病立法

## 病人參與

### 罕見疾病政策委員會組成



### 罕見疾病評估小組組成



## 未來路向

1. 提出在衛生事務委員會討論
2. 動議議員議案辯論
3. 提交條例草案

## 關注罕病立法

[bit.ly/HKrare Diseases](https://bit.ly/HKrare Diseases)



## 聯絡我們

電話：(852)2613 9200

電郵：[info@cheungchiuhung.org.hk](mailto:info@cheungchiuhung.org.hk)

## 甚麼是罕見疾病(「罕病」)?

罕病泛指患病率極低、人數極少的疾病。不少罕病是由基因突變或遺傳的基因缺陷導致，患者於幼年或嬰孩時發病，對患者的健康構成嚴重及長期的威脅，部份甚至會致殘及致命。

罕病機率雖低，卻是每一個新生命誕生都需要承擔的風險。人體約有25,000個基因，婚孕的男女如有同一隱性致病基因，或是某一方有家族遺傳病史，或是基因偶發地產生突變，下一代都可能出現基因異常的罕病。

香港較多人認識的罕見病類包括：黏多醣症、結節性硬化症及肌肉萎縮症等。

## 香港罕見疾病患者的現況



正式定義



具體支援政策



罕病個案及資料庫



患者難以得到及時適合的藥物



張超雄立法會議員辦事處

## 國際經驗



台灣 《罕見疾病防治及藥物法》 2000年



日本 《藥事法》 1993年  
《2014年難治／罕見疾病患者  
醫療及社會支援法》 2014年



南韓 《藥事法》 2001年  
《2015年罕見疾病防治法》 2015年



美國 《孤兒藥品法》 1983年  
《罕見疾病法》 2002年



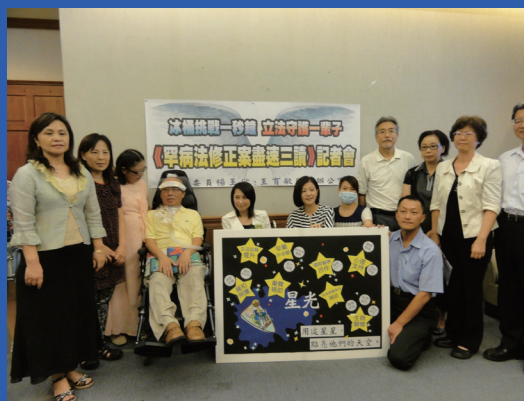
歐盟 《歐洲聯盟孤兒藥品規例》 1999年

## 台灣的立法經驗

當時罕病家庭面臨包括：專業醫生與醫療資源的嚴重不足、罕見疾病相關學術研究乏人問津，再加上孤兒藥物取得困難、藥商缺乏誘因不願引進，甚至全民健保無法提供藥物給付等困境。促使本會深刻領悟到一個民間的非營利組織並無法全面解決罕見疾病的所有議題，因此必須透過公部門的介入，才能產生全面性、一致性與持久性的成果，透過依法行政、依法編列預算的情況下，才能解決上述的諸多困境，並讓罕見疾病藥物及防治等工作朝法治化邁進。

(台灣罕見疾病基金會)

直至現在，台灣已將220種疾病列入罕病名單，患者超過14,000人；102種藥物列為罕見疾病藥物。透過健保計劃，就醫療、藥物、特殊營養品等向低收入戶提供全額補助，其他家庭則獲八成費用補助。



## 我們的倡議

### 正式定義

#### 設立罕見疾病評估小組

1. 評估某疾病是否罕見疾病及向食物及衛生局局長建議其認定；
2. 保存罕見疾病藥物、罕見疾病治療或罕見疾病產品的名冊。
3. 在以下情況下，小組認定為罕見疾病  
-該疾病是在臨床可界定的；及  
-該疾病影響不多於一萬份之一香港人口。

#### 訂定罕見疾病列表

#### 設立罕見疾病政策委員會：

1. 就罕病政策的策略性發展提供建議；
2. 監察政府實行罕病政策方面的工作；
3. 向行政長官就罕病政策作出報告及建議。

#### 食衛局局長必須建立並維持罕病資料系統，包括：

1. 所有罕病的已更新清單；
2. 關於罕病流行率及其患者的人口信息；
3. 關於罕病藥物、治療或產品使用的數據。

#### 政府負責資助罕病藥物或治療費用的計劃

1. 計劃確保為罕病患者提供安全、優質、有效和負擔得來的罕病藥物和治療，而成本效益不應為首要考慮因素。
2. 上述計劃應為累進制，並參考有關人士的負擔能力。

### 具體支援政策

### 罕病個案及資料庫

### 資助適合的藥物