

《罕見疾病條例草案》簡介

張超雄立法會議員辦事處

2018-2019年度

條例目的

1. 為以預防、診斷和治療罕見疾病以及確保患有罕見疾病的人的福祉為目標的罕見疾病政策訂定基本條文；
2. 設立罕見疾病政策委員會及罕見疾病評估小組；為罕見疾病認定機制訂定條文；

條例目的

3. 為罕見疾病藥物、治療或產品名冊訂定條文；
4. 為就患有或懷疑患有罕見疾病的人而設的法定資助計畫訂定條文；
5. 並就相關目的訂定條文，以確保患有罕見疾病的人在《聯合國殘疾人權利公約》下的權利得以妥當實踐。

釋義

罕見疾病(Rare disease) 指 —

- (a) 附表一所列的疾病或失調；及
- (a) 其他影響不多於一萬份之一香港人口，並經食物及衛生局局長在罕見疾病評估小組的建議下確認的疾病或失調；

罕見疾病關注組織 (Rare disease concern group) 指根據《社團條例》(第151章)註冊，並有支援患有罕見疾病的人或其照顧者的功能或目標的社團；

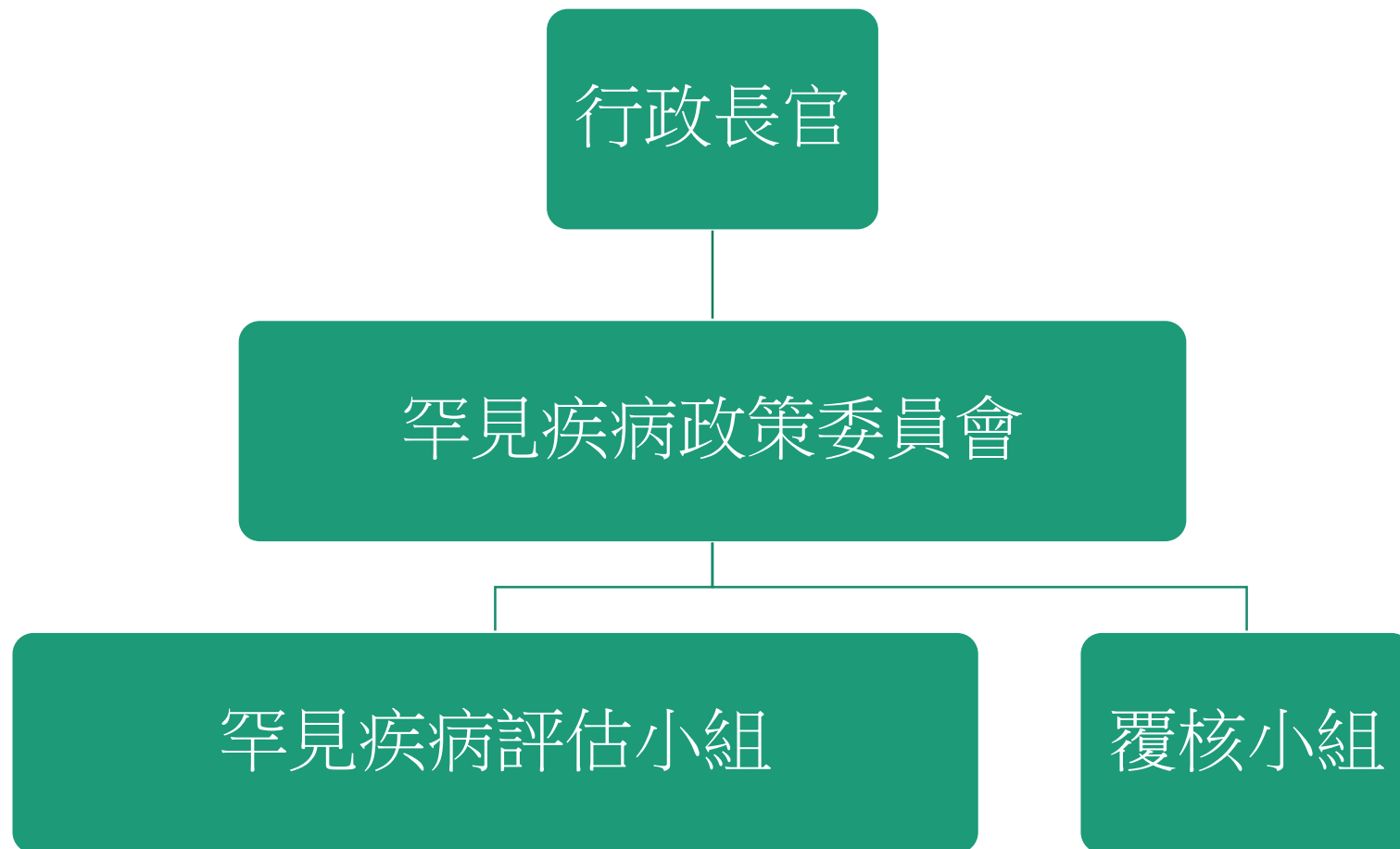
釋義

病人代表(Patients' representative) 指—

- (a) 是，或曾是患有罕見疾病的人；及 / 或
- (b) 作為罕見疾病關注組織幹事的人；及 / 或
- (c) 患有罕見疾病的人的照顧者。

《病人代表選舉規例》 (Patients' Representative Election Regulation) 指根據第29(2)(a)7條訂立的規例；

組織架構



罕見疾病政策委員會

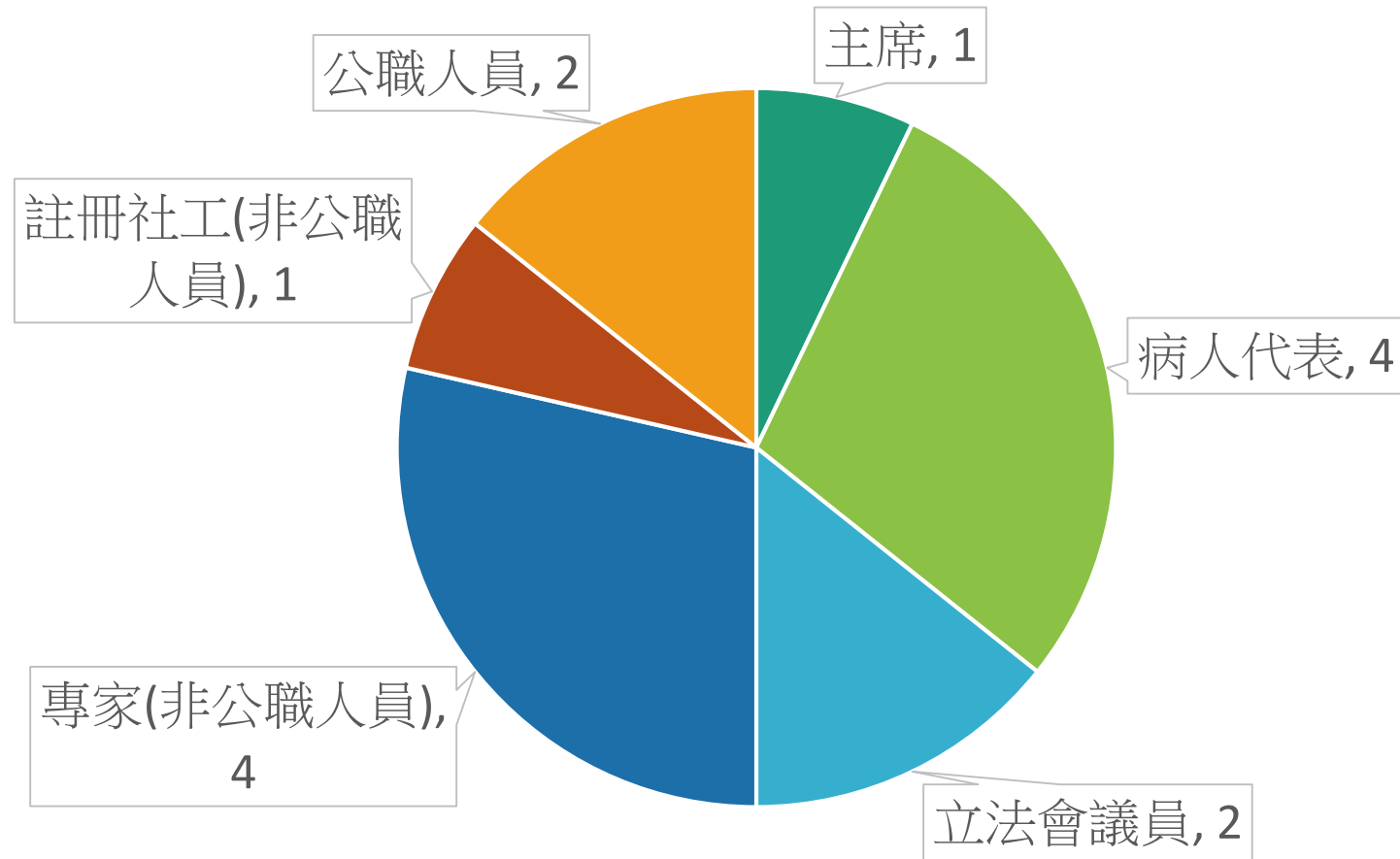
罕見疾病政策委員會組成

- 1名主席，非公職人員或罕見疾病評估小組成員，由特首委任
- 4名病人代表，由病人團體選出
- 2名立法會議員，由立法會議員互選產生
- 4名非公職人員，由特首委任，而其中 —
 - 3名醫學專家，具罕見疾病研究或臨床治療方面知識或經驗；
 - 1名具有醫療、護理及社康照顧規劃方面專業或經驗的人；

罕見疾病政策委員會組成

- 1名註冊社工，非公職人員，由特首委任
- 1至2名公職人員，由特首委任
- 成員總數13-14名
- 委員會成員不得包括多於2名同時兼任罕見疾病評估小組成員
- 成員一般任期為5年及只能再獲特首委任一屆

罕見疾病政策委員會組成



罕見疾病政策委員會職能

1. 協助政府實現附表二所訂明的一般原則；
2. 就罕見疾病政策的策略性發展向提供建議；
3. 監察政府部門及機構在實行罕見疾病政策方面的工作；
4. 監察罕見疾病評估小組的工作；
5. 應行政長官的要求，向行政長官會同行政會議就有罕見疾病政策作出報告及建議。

罕見疾病政策委員會職能

6. 委員會具有本條例其他條文或行政長官以書面賦予的任何其他職能。
7. 委員會可向罕見疾病評估小組發出建議。

罕見疾病政策委員會報告

- 至少每三年向特首作出報告
- 首份報告在本條例生效後十八個月內作出
- 委員會的報告，應包括對以下事項的現狀分析和建議：
 - 政府關於預防、診斷或治療罕見疾病以及患罕見病的人的福祉的整體政策；

罕見疾病政策委員會報告

- 委員會的工作；
- 小組的工作；
- 罕見疾病的認定；
- 罕見疾病藥物、罕見疾病治療或罕見疾病產品的可及性、使用、研究及開發；
- 與罕見疾病有關的資料系統的運作；

罕見疾病政策委員會報告

- 為預防、診斷、治療或研究罕見疾病的國際合作舉措。
 - 向公眾發出諮詢文件；
 - 考慮在諮詢過程中向它提交的意見；及
 - 分析及考慮來自任何研究或調查的數據，及考慮該等研究或調查所包含的任何其他資料。
- 行政長官須盡快公開該報告，不得遲於接獲報告後一個月公開。

罕見疾病評估小組

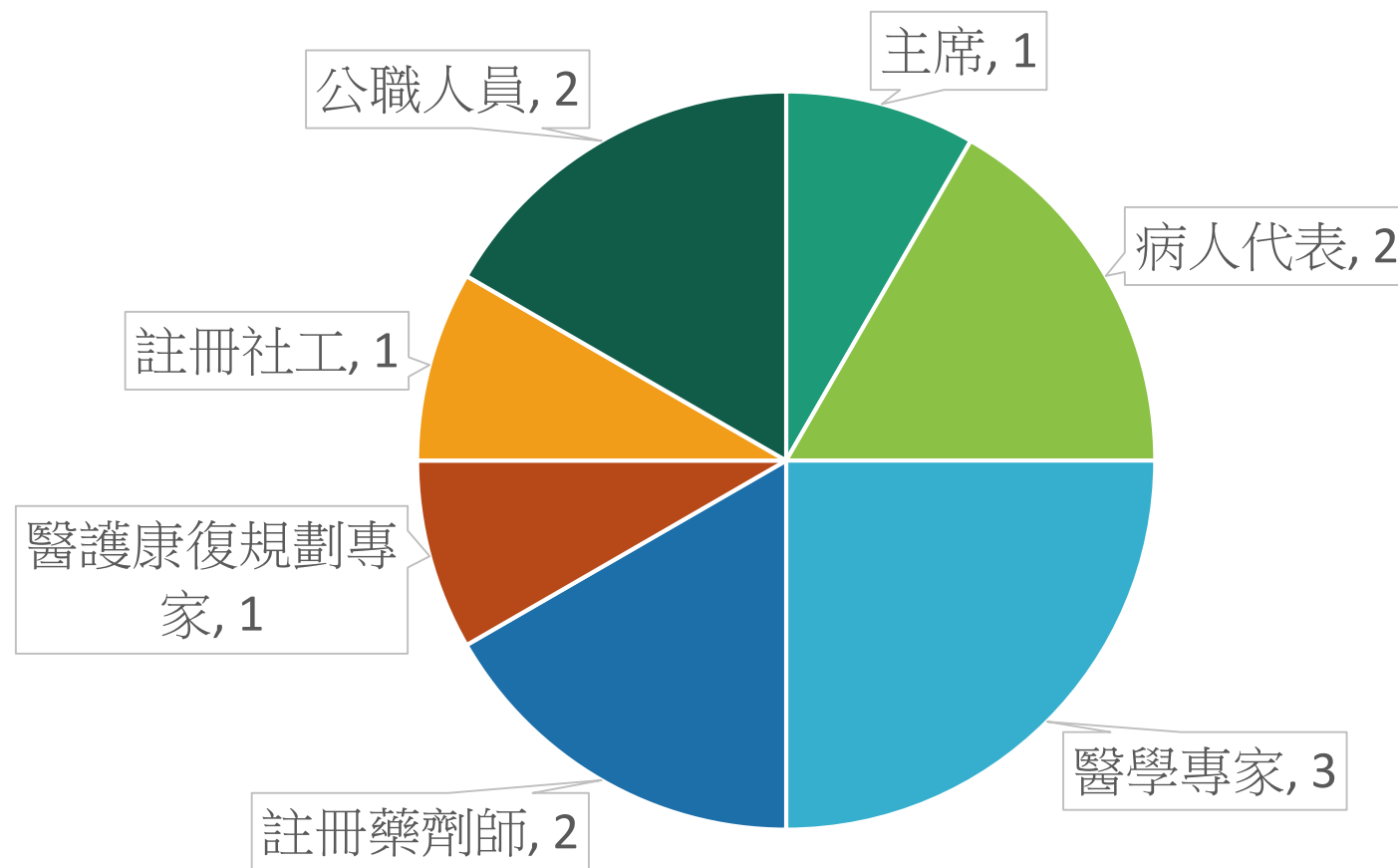
罕見疾病評估小組組成

- 1名主席，由罕見疾病政策委員會選出非公職人員擔任；
- 2名病人代表，由病人團體選出，非公職人員或罕見疾病政策委員會成員；
- 7名獲委任的非公職人員，而其中 —
 - 2至3名具罕見疾病研究或臨床治療方面知識或經驗的醫學專家；

罕見疾病評估小組組成

- 2至3名經香港藥學會提名的註冊藥劑師；
 - 1名具有醫療、護理及社康照顧規劃方面專業或經驗的人；
 - 1名註冊社工
-
- 1至2名公職人員
 - 共有11至12名成員

罕見疾病評估小組組成



罕見疾病評估小組成員的任免

- 一般成員任期3年
- 有資格連續再獲委任不多於兩屆任期；

罕見疾病評估小組職能

1. 協助政府實現附表二所訂明的一般原則；
2. 主動作出或應申請就疾病或失調作出評估，以決定該疾病或失調是否符合本條例下的罕見疾病；
3. 就任何符合為罕見疾病的疾病或失調，向食物及衛生局局長建議其認定；及

罕見疾病評估小組職能

4. 保存罕見疾病藥物、罕見疾病治療或罕見疾病產品的名冊。
5. 委員會具有本條例其他條文或行政長官以書面賦予的任何其他職能。
6. 小組在執行其職能時，須顧及附表二所訂明的一般原則。

罕見疾病的認定

- 罕見疾病的認定應由罕見疾病評估小組主動或申請進行評估，並由食物及衛生局在小組建議下予以確認。
- 在以下情況下，小組認定為罕見疾病
 - 該疾病或失調是在臨床可界定的；及
 - 該疾病或失調影響不多於一萬份之一香港人口。

罕見疾病的認定

- 當一疾病或失調缺乏任何適用於香港人口的臨床數據，但小組認為：
 - 該疾病或失調是可識別並有合理的診斷精確度；
 - 該疾病或失調看來具有顯著地低的患病率；

罕見疾病的認定

- 有關的醫療經驗或研究提供的證據表明，在沒有有效治療的情況下，該疾病或失調導致患有該疾病或失調的人的特定年齡預期壽命顯著減少或帶來發展障礙；

罕見疾病的認定

- 則委員會有權：
 - 分析和考慮與其他國家有關同一疾病或失調的任何數據或情況；及
 - 建議該疾病或失調被，在一不超過5年的訂明時期，暫時認定為罕見疾病。

罕見疾病的認定

- 食物及衛生局在收到小組的建議後，須盡快及不得遲於一個月內，通過憲報公告確認被建議的疾病或失調為罕見疾病。

就罕見疾病認定作出申請

- 未被認定為罕見疾病的病人，可自行或授權代表，聯同負責其個案的註冊醫生向小組作出申請
- 所有申請必須盡快及3個月內處理。如果不切實可行，小組必須在期限屆滿前說明原因，及在收到申請起6個月內作出決定。
- 如果申請被拒絕，必須書面說明理由。
- 拒絕申請的決定維持有效最多兩年或委員會訂明的較短期限

罕見疾病藥物、治療及產品

罕見疾病藥物、治療及產品

- 小組負責備存罕見疾病藥物、罕見疾病治療及罕見疾病產品的登記冊。
- 當一藥物、治療或產品有治療或緩解罕見疾病或其症狀的跡象時，小組可主動或應一患有相關罕見疾病或故障的人，或代表其授權的人；或有利害關係的人的申請，進行評估，將該藥物，治療或產品註冊為罕見疾病藥物、罕見疾病治療或罕見疾病產品。

罕見疾病藥物、治療及產品

- 在任何罕見疾病藥物、治療或產品被註冊為藥物，小組必須滿意其安全性、質量和效用。小組有權諮詢任何其認為合適的專家。
- 小組必須盡快以書面通知結果。如申請被拒，必須說明理由。
- 任何註冊在食物及衛生局局長確認後生效。該確認必須在收到小組的書面通知後不遲於一個月內作出。

津貼

為罕見疾病藥物和治療提供津貼

- 政府負責資助罕見疾病藥物或治療費用的計劃。
- 計劃確保為患有罕見疾病的人提供安全、優質、有效和負擔得來的罕見疾病藥物和治療，而成本效益不應為首要考慮因素。
- 上述計劃應為累進制，並參考有關人士的負擔能力。

為罕見疾病藥物和治療提供津貼

- 在考慮有關人士的負擔能力時，其可動用收入和可動用資產應納入考量。
- 年滿18歲的病人，計算負擔能力的單位為該人及其配偶(如有的話)；
- 18歲以下的病人，計算負擔能力的單位為其父母；

為罕見疾病藥物和治療提供津貼

- 有關人士不應就該罕見疾病藥物或罕見疾病治療費用，負擔就其可動用收入和可動用資產而言，超乎合理的比例。
- 低收入有關人士應免於分擔罕見疾病藥物或罕見疾病治療的費用。
- 小組可合理調整參加本土的臨床試驗或有效性評估的申請人的後續申請的津貼金額，以鼓勵此類參與。

為罕見疾病藥物和治療提供津貼

- 所有申請必須在收到申請後的3個月內處理。如不切實可行，小組必須在期限屆滿之前書面通知原因，但必須在收到申請之日起6個月內作出決定。
- 小組必須以書面形式，連同小組在決定津貼金額或拒絕給予任何津貼時作出計算或原因，通知申請人有關其申請的任何決定。

為罕見疾病藥物和治療提供津貼

- 政府須負責向患有或懷疑患有罕見疾病的人提供津貼，補貼以下項目所招致或預計會招致的費用—
 - 任何用以識別或診斷罕見疾病的檢驗、測試或檢查
 - 任何用以識別或診斷影響下一代的罕見疾病的婚前或產前檢查；
 - 任何罕見疾病產品；

為罕見疾病藥物和治療提供津貼

- 診斷、治療或緩解罕見疾病所需的任何醫療或營養諮詢；
- 用以維持其生命或日常生活的家居儀器及設備；及
- 在本土無法進行的海外診斷或治療。

上訴與覆核

就評估小組的決定提出上訴

- 可就罕見疾病的認定、罕見疾病藥物、治療及產品的登記，及津貼金額的決定，或未能在期限作出決定事宜，提出上訴。
- 委員會必須在收到申請後的1個月內決定——
 - ▣ 如委員會信納評估小組的決定合理，並符合條例及附表2的一般原則，則維持該決定；
 - ▣ 否則，委員會則委任小組進行覆核。

覆核小組組成

- 委員會決定須覆核評估小組的決定後1個月內，必須委任小組，

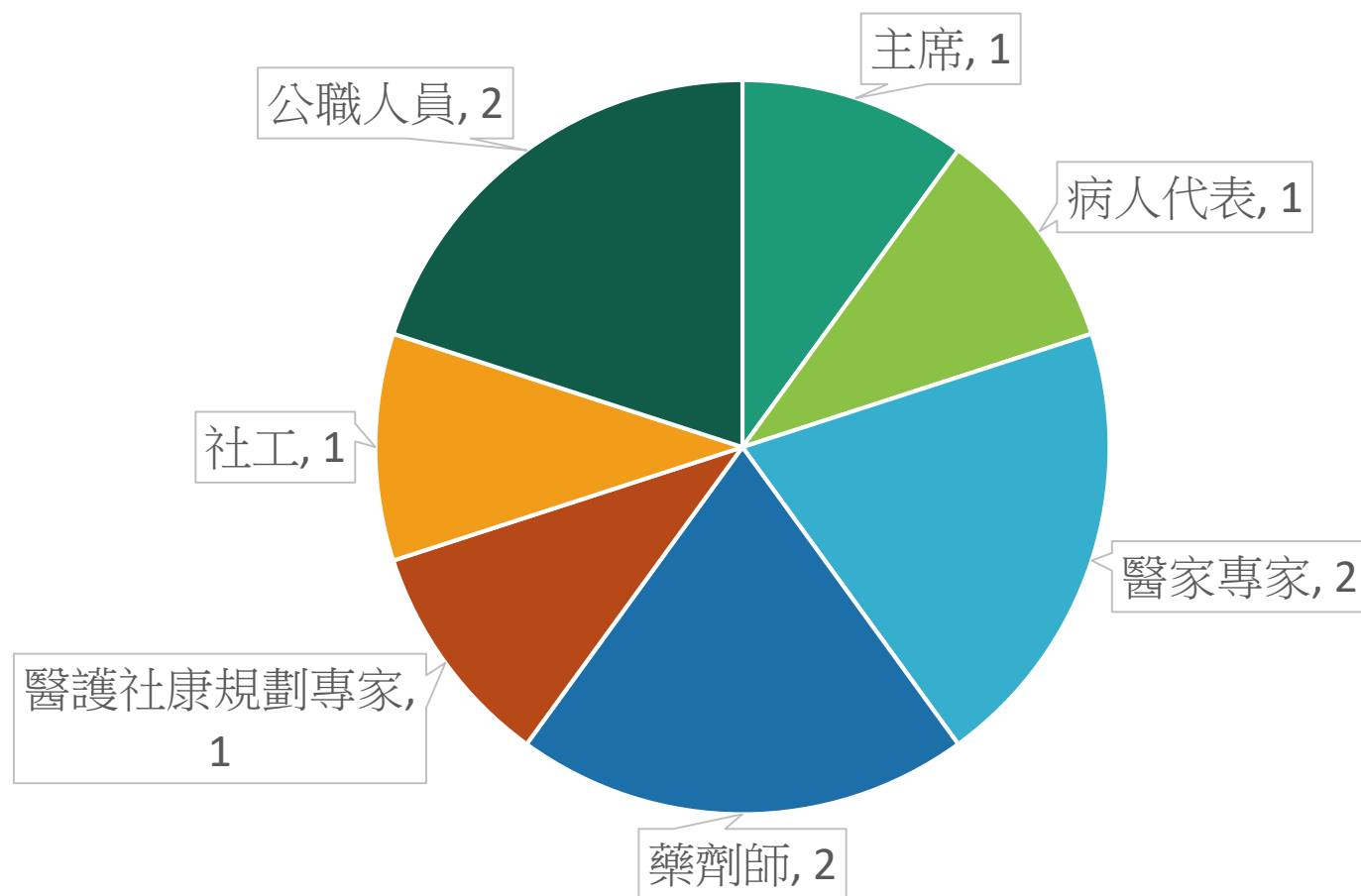
成員包括：

- 1名委員會的成員擔任該小組的主席；
- 1名獲選到委員會或罕見疾病評估小組的病人代表；
- 2名不是公職人員，並具有罕見疾病研究或臨床治療的知識或經驗的醫學專家；

覆核小組組成

- 2名不是公職人員、香港藥學會提名的註冊藥劑師；
- 1名具有醫療、護理及社康照顧規劃方面專業或經驗的人；
- 1名註冊社工；及
- 至少1名、但不多於2名屬公職人員的其他成員。

覆核小組組成



覆核小組職權

- 在進行覆核或評估時，小組承擔罕見疾病評估小組與處理相關申請有關的職責和權力。
- 小組的決定，經委員會確認後，與罕見疾病評估小組作出的決定具有相同的法律效力。
- 小組的決定是最終及不可推翻的決定，不得根據第24條提出上訴。

罕見疾病資料系統

罕見疾病資料系統

- 食物及衛生局局長必須建立並維持一個罕見疾病資料系統。
- 該罕見疾病資料系統，除其他之外，必須包括—
 1. 所有罕見疾病的已更新清單；
 2. 關於罕見疾病流行率及的其患者的人口信息的數據；
 3. 關於罕見疾病藥物，罕見疾病治療或罕見疾病產品的使用的數據。

罕見疾病資料系統

- 資料系統中包含的所有資料，除非公眾利益另有需要，否則必須讓公眾在合理時間內，通過互聯網或類似的電子網絡出版，或任何其他食物及衛生局局長認為適當的方式免費查閱。

不得在罕見疾病資料系統中披露的資料

- 資料系統不得報告患有罕見疾病的人的保密及私人資料。
- 在沒有正當理由或病人的同意下，不得披露任何此類信息。
- 保密及私人資料，包括病人或其照顧者的姓名、身份證明文件編號、地址及聯絡資料，但不包括病人的年齡、性別、種族等人口信息。

附表一：罕見疾病列表

附表一：罕見疾病列表

- 參考台灣衛生署公告罕見疾病名單，及香港現有已知的罕見疾病
- <https://goo.gl/wUMFDk>

附表二：一般原則

一般原則

1. 預防、診斷和治療罕見疾病，以及確保患有罕見疾病的人的福祉而提供全面且綜合的政策是符合公眾利益的。
2. 正如《聯合國殘疾人權利公約》所承認，患有或懷疑患有罕見疾病的人，與任何其他的人一樣，應享有可達到的最高身心健康標準及有權獲得及時且優質的醫療服務。

一般原則

3. 患有或懷疑患有罕見疾病的人的意願、尊嚴和隱私在任何時候都應被尊重。
4. 政府負責提供旨在預防、診斷和治療罕見疾病，並確保患有罕見疾病的人的福祉的全面綜合政策。

一般原則

5. 食物及衛生局局長主要負責有關罕見疾病的政策。所有其他有關政府部門均須協助該等政策、此一般原則以及本條例的全面實施。每個有關的政府部門以及整個政府均有責任為執行該等政策、此一般原則以及本條例分配預算。
6. 政府應採取措施，確保患有或懷疑患有罕見疾病的人得到及時和優質的醫療服務。

一般原則

7. 政府應制度化一個全面且綜合的產前和新生兒檢查系統，以便及早識別影響胎兒、嬰兒或期待孕婦的罕見疾病。
8. 在識別一患有罕見疾病的人後，除醫療支援外，政府亦應致力為在患者及其照顧者提供他們可能需要的心理和社會方面的支援。勞工及福利局局長主要負責提供此等支援。

一般原則

9. 政府應制度化一個全面且綜合的計劃，為患有罕見疾病的人、其家人及其照顧者提供資料、諮詢及建議，除其他之外，包括發展的短期、中期或長期可能對該人的身體健康、日常生活、成長、產生的影響；對該人繁殖下一代的潛在影響；對該人的後代可能產生的影響；任何可能需要的調整或支援；以及從政府機構或非政府組織獲得的建議、照顧及支援的方法。

一般原則

10. 政府應通過提供規管和財政誘因，致力鼓勵有效和能負擔的罕見疾病藥物、治療和產品的研究、開發、製造、進口和提供。

一般原則

11. 政府應通過提供規管和財政誘因，致力鼓勵個人及機構積極參與為預防、及早診斷和治療罕見疾病的臨床或學術研究，以及國際合作項目。
12. 政府應致力建立一個可持續的系統，通過投資於相關領域的人力資源發展，為預防、及早診斷和治療罕見疾病提供足夠的本地專家。

一般原則

13. 政府應致力支持罕見疾病關注組織及以提高認知、能力培養、資訊交流、豐富社會聯繫以及外展接觸與孤立患者或其照顧者的活動。
14. 政府應致力協調國際和本地的非政府組織、私營部門、學校、學術機構、康護專業人士的組織以及大眾媒體，籌辦關於罕見疾病的教育及公眾意識活動。