



在香港現行藥物註冊制度下，日常用藥要成功獲批已十分困難，癌症和罕見病患者的救命藥更要「過五關斬六將」才能讓病人受惠。除要通過註冊制度一關，還須通過醫管局審批進入藥物名冊，醫生才能處方。若要獲藥物資助，讓病人用得起，就要再進入「安全網」，對十萬火急的病人而言是一種折騰。患結節性硬化症的瑤瑤險些成為僵化制度下的犧牲品，最後在母親、一眾罕見病患者和家屬四出奔波下，終成功將新藥引入「安全網」，從藥物面世到有需要病人獲資助用藥，足足耗時10年，有病人更因等不到用藥的一天而離世。 專題組

罕見病組織力爭獲資助  
審批僵化關係難過

# 苦等新藥救命 病人折騰十年

■ 阮佩玲(左)捱過多少磨難，才能與女兒瑤瑤過上有明天的生活。

不少柔弱女子成為人母後，或會「為母則強」。任職秘書的香港結節性硬化症協會主席阮佩玲自從誕下瑤瑤後，就由一名「女人仔」搖身變成「女戰士」，帶着患結節性硬化症的女兒、一班罕見病患者和家屬，披荊斬棘挑戰香港僵化的藥物制度。

本報記者日前造訪她一家，寓所裏張貼瑤瑤大大小小的畫作和生活照，增添不少暖意。24歲的瑤瑤雖然不能像普通人那樣流利地表達自己，但母女倆的默契心照不宣。記者與阮佩玲聊着聊着，坐在一旁的瑤瑤若有所思，阮佩玲馬上意會到，「瑤瑤鍾意飲咖啡，而且鍾意同媽咪一齊飲。」阮佩玲於是轉位到女兒身旁，母女倆共享一杯咖啡，頑皮的瑤瑤咕嚕咕嚕大口喝，阮佩玲連聲說：「瑤瑤，你將媽咪嘅都飲晒啦。」

此情此景，是阮佩玲熬盡苦難、流乾淚水爭取得來的。她的噩夢要從瑤瑤5個月大時說起，當時瑤瑤經常抽筋，四處尋醫才發現腦部異常，確診為結節性硬化症。此症是一種基因突變導致的良性腫瘤疾病，全港目前約有300名患者。雖為良性腫瘤，但患者從大腦開始至全身軟組織、器官，包括腎臟、心臟、肺部等都可能長出腫瘤。隨着腫瘤增大，壓迫器官和神經，會導致智力下降、器官衰竭等。過去一直未有專門藥物可根治，不少患者20歲以後便可能由於腫瘤壓力過大而爆裂，大量出血而死。

「以前我經常問自己，女兒還能跟我們一起多

久？」阮佩玲憶起當年揪心之痛，眼淚不由自主從眼眶溢出。眼神與記者交集之際，她馬上轉頭望向正在唱歌的瑤瑤，調適心情。

瑤瑤確診後，阮佩玲辭掉工作白天照顧女兒，晚上挑燈夜讀醫學書籍，無意中得悉美國透過開頭顱手術，切除部分腫瘤，可令患者恢復部分活動能力。明知是豪賭，但不甘女兒就此被判「死刑」的阮佩玲決定賭一把，隻身帶女兒到陌生的美國求醫，最後這場賭注她贏了，手術為瑤瑤換來約十年病情穩定期。

阮佩玲形容，自己當年一心只想「買時間」，希望延緩病情惡化直至醫學昌明。終於在2009年，瑞士藥廠成功研發全球首款治療該症的專用藥，不久香港也有此藥註冊，但光是註冊對病人來說未必有用，須通過醫管局審批加入藥物名冊，公院醫生才能處方。單是「入冊」最少動輒半年至兩年，而「入冊」初期沒有資助，病人每月要自費兩三萬元服藥。

藥廠為收集臨床數據，對未「入冊」的藥物推出試用計劃。2014年，瑤瑤在醫生推介下，參加為期9個月的試藥計劃，期間病情顯著改善，腎臟一顆直徑超過一厘米的腫瘤縮小一半，抽筋次數也大幅降低至每月僅數次。不過，試藥計劃完結後，瑤瑤再次無藥可服，阮佩玲說：「無藥，我認命，但現在是有藥無得用，如果輸在體制上，我不甘心。」

## 病友立會哭求 12天後離世

翌年，她與5個病友家庭組織該協會，爭取加快把該藥納入名冊。「我哋幾個師奶無資源、無人脈、無策略，心口掛住勇字不停跑立法會，同藥廠開會，接受傳媒訪問。」

2017年，30多歲病友池燕蘭在立法會公聽會上哭求政府，僅僅12天後，她就因腎臟腫瘤爆裂大量出血不治。

池燕蘭離世數月後，醫管局就將該藥納入藥物名冊，並很快納入「安全網」，由此藥面世到病人獲資助以低廉藥價服藥，歷時足足10年之久。成功爭取後不少傳媒來電致賀，但阮佩玲無法高興起來，她向記者說：「這是一場以生命為代價的慘勝，如果沒有病友去世，什麼時候才將該藥納入名冊和『安全網』呢？還有幾多新藥因為這個制度而未能來港註冊，未入名冊，未能處方予公院病人？」

■ 上帝並未關上瑤瑤所有的窗戶，罕見病未影響她的作畫天賦。



## 第三代標靶藥 香港貴內地七倍

香港新藥審批制度的門檻高，除了令部分有效藥物無法來港外，也使本港藥物市場十分封閉，選擇少、競爭低，衍生藥價偏高問題，尤其是治療病危的處方藥。外國研究的同款抗癌藥物在香港和在內地差價最高達數十倍，例如由英國阿斯利康研發的第三代肺癌靶向藥奧希替尼(Osimertinib)在內地和香港獲批註冊時間相差不足一年，香港大部分肺癌患者要自費購買，每月開銷約5萬港元，但在內地自費買該藥每月只需5,580元人民幣，兩者相差約七倍。

臨床腫瘤科專科醫生區兆基表示，內地及本地生產不少同類第三代標靶藥，競爭劇烈下，令藥價在內地不斷下降，但由於香港藥物審批制度的限制，內地同類標靶藥，以及國外副廠藥物都未能進入香港註冊，「本地患者不得不捱貴藥。」

### 兩地部分標靶藥每月自費開銷對比

類別	藥物	香港(港元)	內地(人民幣)
第一代	厄洛替尼(Erlotinib)	9,600元	2,268元
第二代	阿法替尼(Afatinib)	14,000元	5,600元
第三代	奧希替尼(Osimertinib)	約5萬元	5,580元

註：用藥量及價格或因患者體重而不同，網上價格僅供參考