



在香港現行的藥物註冊制度下，日常用藥要打破壟斷已經十分困難，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。它們除了要通過註冊制度一關，還必須通過醫管局審批進入藥物名冊，醫生才能處方。若要獲得藥物資助，讓病人用得起，就要再進入「安全網」，而對十萬火急的病人而言，這是一種折騰。患有結節性硬化症的瑤瑤險些成為這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的病人獲資助用藥，足足耗時10年，有病人就因為等不到用藥的一天而離世，「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？」

◆文/圖：香港文匯報專題組



◆上帝並未關上瑤瑤所有的窗戶，罕見病未扼殺她的作畫天賦。香港文匯報記者廣濟 攝

病危藥「入冊」難

罕疾者等到死

新藥「過五關斬六將」始納「安全網」從面世到病人獲資助耗時10年



◆阮佩玲(左)熬盡多少磨難，才能與女兒瑤瑤過着有明天的生活。香港文匯報記者廣濟 攝



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。

女患結節性硬化症 母奔波求藥

香港文匯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，四處尋醫才發現其腦部異常，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，隻身帶女兒在陌生的美國求醫，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。

「若輸在體制上，我不甘心」

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，其間病情顯著改善，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。」

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。」

質問若無病友去世 新藥是否無期

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致電致賀，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？」

自費肺癌標靶藥 港貴內地十倍

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，尤其是治療危病的處方藥。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標靶藥奧希替尼（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5,000多元人民幣，兩者相差十倍。臨床腫瘤科專科醫生區兆基表示，內地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。」

內地產藥有競爭 價格不斷下調

以奧希替尼為例，2016年在港註冊。儘管已納入醫管局藥物名冊，但仍屬自費藥物，每月藥費約5萬元。該藥也在醫管局關愛基金資助範圍內，但申請有條件限制，除家庭收入須滿足一定上限外，病情亦要惡化到一定程度方可申請使用。區兆基表示，香港大部分肺癌患者都無法成功申請資助，使用該藥就需要負擔昂貴費用。

在內地，該藥於2017年註冊，起初價格昂貴，超過5萬元人民幣，但由於內地藥廠的創新研發，已有不少同類藥物面世，內地副廠生產的該配方藥物也獲准上市，因此正廠藥面對競爭，價格不斷下調。2018年醫保談判，內地憑強大的談判能力，硬把每盒價格壓至15,300元人民幣，去年再降，即使自費也只需5,580元人民幣，如果以最高70%的醫保報銷比例計算，患者只需月付1,674元。

區兆基表示：「在香港不少正廠藥無競爭，價格自然高企，惟有改善藥物審批制度，讓內地同類藥、國內外副廠藥有機會在港註冊，患者才能以更低的價格買藥，也讓不同患者有更多選擇。」

內地鼻咽癌藥療效佳

無緣打入港市場

鼻咽癌是中國華南地區和南亞常見癌症，發病率約比美國高100倍。歐美藥廠甚少投放資源研發相關藥物，而內地近年致力鑽研新藥。2018年，上海一間藥廠獨立研發的注射藥物取得突破性療效，並在不少國際性權威醫學期刊發表研究成果，重燃本港病人阿強和無數末期癌症病人的希望，但內地研發的免疫治療藥物多次到美國FDA闖關均無功而回，相信在此現行制度下亦難進入香港市場，令患上末期鼻咽癌的阿強失望地放棄所有治療，等待生命倒數。

香港對鼻咽癌的治療仍只限於傳統療法，包括放療、化療、外科手術等，尤以晚期復發或轉移性鼻咽癌的療效最差強人意，化療方案的存活期中位數為8個月。2018年，上海一間藥廠研發注射藥物「特瑞普利單抗」（Toripalimab）獲批在內地上市，配合化療的存活期為11.7個月；化療方案有63.3%患者存活期超過兩年，若配合該藥則有87.1%患者存活期超過兩年，國際醫學期刊也發表了該研究的成果。

40多歲的阿強在2018年被診斷患鼻咽癌，當時已是第四期（末期），經過初期的化療和放療治療後，兩年內病情受控，但去年復發，內地製的「特瑞普利單抗」是他延續生命的曙光，但由於該藥未在歐美地區註冊，也無法來港註冊，令阿強再次失望。

像阿強的鼻咽癌患者若想試該藥，唯一方法是往內地治療，但在修例風波和疫情影響下，阿強思前想後，最終打消到內地醫病的念頭。

他的主診醫生臨床腫瘤科專科醫生區兆基向香港文匯報表示，晚期復發性鼻咽癌，在化療之外還要配合免疫治療（包括特瑞普利單抗等藥物），相比傳統療法能延長患者存活期，且該藥價格相較不少癌症藥物並不貴。有資料顯示，全自費的情況下，3個月費用約為9,900元人民幣。

末期病人緣慳 接受善終服務

區兆基指出，對阿強這樣癌症末期病人來說，錢以外，還有太多考慮因素，「藥物雖然不貴，但返內地醫治的其他費用（住宿、療養等）全部要自掏腰包，並且人生地不熟，病人和家屬最擔心的還是『客死異鄉』。」最後，阿強不單放棄前往內地，亦不再積極治療，唯有接受善終服務。

最新消息指，該藥廠將向美國、英國和歐盟申請註冊，但區兆基直言：「機會甚微。之前內地研發的免疫治療藥物，不少已經在著名的國際醫學會議中發表過研究結果，但所有內地研發的免疫治療藥物都被美國FDA拒絕。」