

出國報告（出國類別：參加研討會）

世界罕病日 2018 研討會(香港)

「罕病廣角鏡：從政策到起居」

服務機關：衛生福利部中央健康保險署

姓名職稱：李伯璋署長、連恆榮科長

派赴國家：香港

出國期間：107 年 2 月 24 日至 2 月 27 日

報告日期：107 年 3 月 21 日

摘 要

本次參加 2018 年在香港舉辦的世界罕病日 2018 研討會，為香港罕見疾病聯盟邀請健保署李伯璋署長參與此盛會，並擔任講員，分享台灣全民健保之罕病用藥支付政策。這次研討會由香港罕見疾病聯盟及香港大學李嘉誠醫學院生物醫學系合辦，主題為「罕病廣角鏡：從政策到起居」。研討會另外邀請國際罕見疾病聯盟主席 Durhane Wong-Rieger 博士暢談以病人的核心需要綜覽罕病政策，並由香港罕見疾病聯盟會長曾建平先生講述病人對香港罕病政策的期望以及邀請香港大學兒童及青少年科學系臨床副教授鍾侃言醫師針對罕病藥物創新的挑戰與機遇進行演講。

香港罕見疾病聯盟對於香港政府在罕見疾病政策訴求為，應建立香港的罕見疾病定義，罕見疾病患者具有大多數病人沒有的特性，例如，病例稀少，診斷過程複雜漫長，須長期服用昂貴藥物以及須個別化專業支援與服務等，所以應該有與其他疾病類似的合情合理待遇，鍾侃言醫師則針對罕見疾病診斷之困難與香港專業人士之缺乏提出說明與建議，認為香港對於罕見疾病上有諸多挑戰，例如如何定義罕見疾病，罕見疾病的社會負擔問題，缺乏罕見疾病的專業人員，仍有許多未經確診的罕見疾病無法受到良好的照護等。

另香港罕見疾病聯盟安排 Durhane Wong-Rieger 博士與李伯璋署長分別與香港立法會的議員、香港科研製藥聯會以及醫院管理局進行罕見疾病政策，醫療給付與相關經驗的分享，在香港立法會上針對國際及香港罕見疾病的制度進行交流，會中立法會議員針對台灣大數據的運用有極大興趣，而與香港科研製藥聯會交流上則對國際藥廠在罕見疾病用藥之藥價訂定與提供進行相關討論，以及在醫院管理局，則對藥物的管理與訂價問題等進行交流，會上李伯璋署長以台灣對病人的照護政策的推動以及健保經費的管控經驗提供香港政府部門參考。

本次至香港參與世界罕病日 2018 研討會及進行相關交流活動，主要是提供台灣對罕見疾病健保照護的相關經驗，此行應該對香港罕見疾病患者照護的相關團體在推動香港對罕見疾病照護的相關政策上有所助益。

目 錄

壹、緣起及目的.....	4
貳、行程紀要.....	5
參、主辦單位簡介	7
肆、研討會及相關交流重點記要	8
伍、心得及建議	12

壹、緣起及目的

香港罕見疾病聯盟近年來於每年的世界罕病日均會舉辦相關活動，2018 年世界罕病日，香港罕見疾病聯盟則舉辦世界罕病日 2018 研討會，特別邀請李伯璋署長參與此盛會，並擔任講員，分享台灣全民健保之罕病用藥支付政策。此外，香港罕見疾病聯盟特別安排國際罕見疾病聯盟主席 Durhane Wong-Rieger 博士與李伯璋署長與香港立法會的議員、香港科研製藥聯會以及醫院管理局進行罕見疾病政策，醫療給付與相關經驗的交流。

研討會由香港罕見疾病聯盟及香港大學李嘉誠醫學院生物醫學系合辦，以「罕病廣角鏡：從政策到起居」為主題舉辦一天的研討活動。研討會除邀請健保署李伯璋署長外，另外邀請國際罕見疾病聯盟主席 Durhane Wong-Rieger 博士從病人的核心需要綜覽罕病政策，由罕盟會長曾建平先生講述病人對香港罕病政策的期望，以及香港大學兒童及青少年科學系臨床副教授鍾侃言醫師針對罕病藥物創新的挑戰與機遇進行演講。

香港罕見疾病聯盟邀請李伯璋署長進行台灣全民健保之罕病用藥支付政策的演講，以及與香港立法會的議員、香港科研製藥聯會及醫院管理局進行交流，係希望將台灣的經驗分享給香港立法單位，醫院管理局等單位，對於社會大眾也有相當的幫助，了解到台灣對於罕見疾病的照護現況，此行，確實達到分享經驗的目的，但也實際了解到對於罕見疾病照護的香港政府部門的想法以及民間團體的訴求，台灣曾經走過這段路，深刻了解政策的推動確實需要時間進行溝通以及想法的相互了解。

貳、行程紀要

一、行程

日期	行程／工作紀要
2月24日(星期六)	起程(桃園-香港)/陸委會代表迎接
2月25日(星期日)	開幕及研討會/上午9:20專車送往香港大學李嘉誠醫學院研討會會場進行演講
2月26日(星期一)	交流
2月27日(星期二)	返程(香港-桃園)

二、研討會

活動流程 2018年2月25日

時間	活動內容	
8:15-9:00	登記入場	
9:00-9:20	開幕典禮	
	歡迎詞	香港罕見疾病聯盟會長曾建平先生
	賀詞	食物及衛生局副局長徐德義醫師
	謝詞	香港大學李嘉誠醫學院助理院長(研究課程及學生事務)陳振勝教授
	啟動及合照	Representatives of co-organisers and guests of honour
9:20-10:30	香港政策概覽:香港在何處?	
	從病人的核心需要綜覽罕病政策	國際罕見疾病聯盟主席 Durhane Wong-Rieger 博士
	病人對香港罕病政策的期望	香港罕見疾病聯盟會長曾建平先生
10:30-11:00	答問及討論	
11:00-12:20	罕病藥物創新與病人的角色	
	罕病藥物創新的挑戰與機遇	香港大學兒童及青少年科學系臨床副教授鍾侃言醫師
	台灣全民健保之罕病用藥給付政策	台灣衛生福利部中央健康保險署署長李伯璋博士

12:20-13:45	問答及討論 午餐及聯誼	
13:45-14:00	罕老師與醫學生	
	香港大學醫學院學生分享	香港大學醫學院學生
14:00-15:45	智慧起居	
	社會資源小貼士	李焯翹博士(註冊社工)
	物理治療幫到你	香港耀能協會-物理治療師
	職業治療之多少	香港耀能協會-職業治療師
	吞嚥有妙法	香港耀能協會-言語治療師
	康健服裝如何支援罕見疾病患者	香港理工大學綾緻康健服裝中心唱、辦人及總監吳秀芬博士
	自由參觀服務攤位，與專業護理人士交流	

三、交流活動

2018年2月26日

時間	活動內容
8:45-9:15	專車送往香港立法會
9:15-10:45	與立法會議員會面交流
11:00-12:00	離開立法會至香港科研製藥聯會
12:00:13:40	與香港科研製藥聯會董事會成員會面交流
13:40-14:00	離開香港科研製藥聯會前往醫院管理局
14:00-15:15	與醫院管理局人員會面交流
15:15	離開醫院管理局

叁、主辦單位簡介

此次主辦單位為香港罕見疾病聯盟，其現任會長為曾建平先生，香港罕見疾病聯盟成立與未來的目標為增加香港罕見疾病患者、照顧者及家屬對罕見疾病的認識，促進病友發揮互助自助精神，積極活出豐盛人生，另推動香港罕見疾病的公眾宣傳教育工作，增強社會人士對罕見疾病患者、家屬及自助組織的關注、了解和支持。透過政策倡議工作，反映香港患者及家屬的需要及意見，促請香港政府及相關機構制訂罕見疾病支援政策，謀求患者在醫療、復康、教育、福利及社會參與等方面，獲得適當的制度保障，並支持及協助罕見疾病相關學術研究，團結香港罕見疾病患者、家屬、自助組織、醫護科研人員、傳媒及其他相關者，加強交流合作，促進香港及世界各地罕見疾病組織的溝通、諮詢和合作。

香港罕見疾病聯盟期待香港政府為罕見疾病確立定義，建立罕見疾病數據庫，加強罕見疾病遺傳專科服務，加強對罕見疾病醫護團隊的培訓，進一步制訂相關支援及保障政策，並於 2018 年落成的「兒童醫院」增設「罕見疾病中心」。而在未來計劃，香港罕見疾病聯盟將團結更多罕見疾病患者、家屬自助組織醫護科研人員，及海內外其他相關者，共同推動政策倡議工作。(摘自香港罕見疾病聯盟網站)



香港罕見疾病聯盟

Hong Kong Alliance for Rare Diseases

肆、研討會及相關交流重點記要

香港的罕見疾病照護政策，在罕見疾病相關的民間團體的積極遊說與推動下，已有相當的成果，但是在香港政府對於罕見疾病照護的政策邏輯與想法，藥品費用昂貴，罕見疾病藥物因市場過小，跨國藥廠不引進藥物的問題下，還有許多急需解決的事情。

國際罕見疾病聯盟主席 Durhane Wong-Rieger 博士在演講中提到，世界各國的罕見疾病照護及藥品政策幾乎都是病人團體倡議後制定，所以可以說政策制定歷史就是病人團體的歷史，大部分病人團體的成立是由病人及其父母開始，一些是由罕見疾病藥物的發展開始的，所以病人團體及相關聯盟在罕見疾病政策的推動上，在未來還是相當重要的。演講中亦說明，世界各國罕見疾病相關法規制定的時間，例如美國在 1983 年，日本在 1993 年，澳洲在 1997 年，歐盟 1999 年，台灣在 2000 年，韓國在 2003 年，美國與歐盟則在 2007 年統一法規，並對各個國家在罕見疾病政策的發展做了說明，對於罕見疾病，Durhane Wong-Rieger 博士最後總結提到，罕見疾病政策各國均不相同，但是其組成卻是一樣的，例如診斷，專業照護，治療的可近性(法規或基金)，社區的支持(病人團體或相關的支持團體)，後續的研究等，而罕見疾病政策在國際上並無單一的模式可以一體適用，罕見疾病照護計畫或策略則仍須持續倡議及病人參與政策，以全球性的罕見疾病政策發展去促使國家或是地區對於罕見疾病照護政策做出一些承諾。

香港罕見疾病聯盟曾建平會長在演講中提到，民間團體對於香港政府在罕見疾病政策訴求為應建立香港的罕見疾病定義，罕見疾病患者具有大多數病人沒有的特性，例如，病例稀少，診斷過程複雜漫長，須長期服用昂貴藥物以及須個別化專業支援與服務等，所以應該有與其他疾病類似的合情合理待遇，並對於香港政府在對民間團體在罕見疾病政策訴求上的回應進行剖析，香港政府認為國際間對於這些不常見的疾病並無一致的定義，不同國家的定義會因應各自的醫療系統和情況而有所不同，並說明香港醫院管理局因個案數量不易掌握，病因的可靠資料或數據不足，治療方式尚短，所以尚未針對不常見的疾病有定義，不過醫院管理局

的醫師會為求診病人按照既定程序就其病情作出評估，作出診斷後，依病人臨床情況及治療指引，提供適切的醫療護理服務。曾建平會長則認為，即使國際公約有一致定義，香港也不一定實施，所謂的既定程序，病人必須遊走於各專科間，費時浪費金錢，而是否真正的診斷，還是在延誤診斷，還是誤診？並倡議罕見疾病病人應有適切於他們的服務，而不是要病人適切於現有服務。曾建平會長在演講中更提出英國衛生部在 2013 年發表的醫療白皮書中提到，政府的願景是把公眾放在首位，將「與我相關的決策，我都得參與」成為規範，讓每一個人對自己的醫療護理有更多的發言權，有更多機會作出知情的決策，作為確保最佳的醫療護理及更佳成效的手段。

鍾侃言醫師提出罕見疾病目前有 7000 種不同類型的罕見疾病和障礙，其中 75% 為兒童，其中有三分之一的兒童在 5 歲前就不幸離世，罕見疾病中八成是屬先天性遺傳疾病，而有 95% 的罕見疾病目前是沒有藥物可以治療的，而藥物要能夠取得，能夠治療，有著許多問題需要解決，例如診斷問題，疾病對病人及社會的負擔，藥物使用的政策制訂等，而對於世界各國罕見疾病的定義，在不同地區不同國家有所不同，也做了一些說明，例如亞洲部分，大陸是 10 萬分之 76，印度是 10 萬分之 51，澳洲是 10 萬分之 9，台灣是萬分之一，韓國是 10 萬分之 5，日本則是 10 萬分之 39 等，而對於罕見疾病患者個人的求診經驗，依照歐洲罕病聯盟的資料，25% 的病人要疾病發作後 5-30 年才有正確診斷，40% 的病人最初的診斷是錯誤的，鍾侃言醫師提出香港每 67 人就有 1 人有罕見疾病，還有很多未確診的病人，大於 90% 未確診。整體來說，鍾侃言醫師針對罕見疾病診斷之困難與香港專業人士之缺乏提出說明與建議，認為香港對於罕見疾病上有諸多挑戰，例如如何定義罕見疾病，罕見疾病的社會支出問題，以及缺乏罕見疾病的專業人員，仍有許多未經確診的罕見疾病無法受到良好醫療照護等。

隔日與立法會議員、香港科研製藥聯會董事及醫院管理局人員進行交流，主要議題主要在於罕見疾病政策推動、執行，以及罕藥進口，收載以及藥價等範疇上進行交流。

香港立法會是香港的立法機構，本屆是立法會第 6 屆，共有 70 個席次，經 2016 年 9 月 4 日的選舉產生，分為地區直選和功能界別選舉，分別選出 35 位議員，議員的任期為 4 年，香港立法會職權為：

- 根據香港特別行政區基本法規定並依照法定程序制定、修改和廢除法律
- 根據政府的提案，審核、通過財政預算
- 批准稅收和公共開支
- 聽取行政長官的施政報告並進行辯論
- 對政府的工作提出質詢
- 就任何有關公共利益問題進行辯論
- 同意終審法院法官和高等法院首席法官的任免
- 接受香港居民申訴並作出處理
- 就針對行政長官的彈劾案，在獲得通過後報請中央人民政府決定
- 在行使上述各項職權時，如有需要，可傳召有關人士出席作證和提供證據。

香港於 1998 年、2000 年、2004 年、2008 年、2012 年及 2016 年舉行立法會選舉，1998 年及 2000 年的立法會議員是經由地方選區、功能界別及選舉委員會產生，2004 年起的立法會選舉，議員則經地方選區及功能界別產生。(摘自香港立法會網站)

Durhane Wong-Rieger 博士與李伯璋署長與立法會議員見面時，Durhane Wong-Rieger 博士就其目前不同國家在罕見疾病立法進展以及政策推動的現況進行簡要說明，另李伯璋署長亦說明了台灣健保在罕見疾病藥物所投入的資源，以及利用大數據進行資源的管控，這些經驗及數據的運用使香港立法會議員提出更進一步的詢問，而香港立法會議員也說明了香港在立法上面對的公平與資源利用的疑慮與挑戰，議員們認為香港需要社會大眾對於罕見疾病議題有極高的關注，才有助於相關法案的訂定與預算的編列，議員們對於世界各國以及台灣在罕見疾病照護的支持與經費的挹注的狀況也加以詢問了解。

香港科研製藥聯會創立於 1968 年，目前共有 41 個基本會員，所有會員皆屬跨國性的科研藥品生產商，包括名列全球前 20 大的藥廠，其會員供應的藥品佔全香港治療性藥品 70%以上。

香港科研製藥聯會的成立目標是為會員提供有關香港醫藥市場的最新資訊，並為會員與政府及各個與醫療有關的學會建立良好的工作關係，致力就醫療政策及制度提出意見，以促進香港市民的健康。(摘自香港科研製藥聯會網站)

與香港科研製藥聯會的交流，主要在於對於藥廠罕藥價格訂定及進口進行討論，亦對於藥物臨床試驗，醫學倫理道德相關議題進行意見交流。而針對罕見疾病藥品的價格問題，藥聯會則表示藥廠提出一些與罕見疾病患者間的費用分攤方案，進行風險分攤，此目的是希望讓患者能盡快獲得藥物治療。

香港醫院管理局是一個法定機構，於 1990 年成立，自 1991 年 12 月起，醫院管理局負責管理全香港公立醫院及相關的醫療服務，並透過食物及衛生局局長向香港特別行政區政府負責，而食物及衛生局則負責制定醫療政策和監察醫院管理局的工作。截至 2017 年 12 月 31 日，醫院管理局共有僱員約 76,000 人，管轄 42 間公立醫院和醫療機構、48 間專科門診及 73 間普通科門診。(摘自香港醫院管理局網站)

因醫院管理局採用實證為本的方針和依循藥物的安全性、療效及成本效益三大原則評審藥物入藥物名冊的申請，所以醫院管理局人員對於藥物註冊、藥物進口使用、以及藥物價格討論機制等提出詢問與討論，而對於醫療費用預算的編列，建立香港罕見疾病病人名冊也進行意見交換，李伯璋署長亦傳達予醫院管理局人員，對於民眾有利的事就應該積極去做的理念。

伍、心得及建議

這次受邀參加香港罕見疾病聯盟所舉辦的世界罕病日 2018 研討會，並與立法會議員、香港科研製藥聯會董事及醫院管理局人員進行交流，實際了解到香港罕見疾病病人追求合情合理待遇的努力、立法會議員在立法與預算監督建議的挑戰與困難，對於管控醫療費用支出的政府單位，希望以醫療成本效益來面對公平與資源分配的考量，確實這些也是台灣初期在推動罕見疾病照護所遭遇到的問題，台灣走過才知道。

罕見疾病病人及家屬心力的投入，尋求社會大眾及媒體的支持，透過遊說立法部門等方式是推動罕見疾病法規立法成功的關鍵點，世界還有許多國家尚未有罕見疾病相關法規，或提供足夠的照護，醫療人權的問題是需要世界共同面對的課題，誰該受到照護，該享有多少資源，醫療照護多少才足夠？香港罕見疾病聯盟透過邀請 Durhane Wong-Rieger 博士以及李伯璋署長於研討會分享國際民間團體在政府政策上推動的經驗以及台灣在藥品給付及預算控管的概念與機制，讓罕見疾病相關團體，病人、家屬以及支持罕見疾病病人的團體，了解世界各國罕見疾病民間團體如何與政府部門進行政策的溝通以及台灣對於罕見疾病病人的醫療照護現況，並透過安排與香港立法部門及行政部門交流，讓立法部門及行政部門了解國際的照護現況，民間的想法以及其他政府部門在照護罕見病人的政策決策歷程，這次的香港行應對香港在罕見疾病照護政策推動上有極大助益。

罕見疾病就如同其他疾病是不分國別的，因此在照護上也不該在不同國家而有所不同，而在民間團體的推動政策與政府部門的溝通方式，雖然國家間文化與資源不同，但是民間團體間的交流確實可以相互協助，腦力激盪，想出對於當地最好的政策鼓吹與推動方式。

台灣已走過一段艱辛的路，未來在罕見疾病照護上仍有許多亟待處理與解決的事，例如罕見疾病種類持續增加，新的高價藥品上市，醫療照護費用增加，無效醫療的退場等，台灣雖然目前已有不錯的運作模式，但是面對這些問題，也不得不審慎思考運作模式的調整，例如加強罕見疾病醫療照護的後續評估，治療藥

品的實際使用效益評估，醫療照護及藥品使用管控，讓資源有效運用。

台灣罕見疾病照護工作在罕見疾病及藥物法立法後，已走了 19 個年頭，未來何去何從?台灣罕見疾病照護工作可以被提到國際會議中發表，台灣健保制度也是國際爭相了解與學習對象，這些要永續經營，管理思維需改變，管理邏輯需轉型，進行健保大數據以及人工智慧的運用應該是未來智慧管理的方向，確實台灣已走在這條路上了。



與香港罕見疾病聯盟曾建平會長合影



與香港會議員面交流



與香港科研製藥聯會會成員合影



與香港醫院管理局人員合影

