

每年需250萬 醫管局藥廠談減費無果

黏多醣症7歲男童：幾時有藥醫我？

【本報訊】「求求你們，救救我」。患有罕見黏多醣症四型的7歲男童蕭曉進，因無法負擔昂貴藥物，身體機能每日惡化，手腳彎曲。過去兩年他不斷求藥吊命，惟醫院管理局與藥廠交涉無果，局方希望藥廠提供10年用藥減費安排，但對方只肯5年，雙方拉鋸至今。藥物無期，曉進原定去年底進行的腳部手術也需押後，等待時日消逝，發出最後呼喊，「幾時有藥醫我？」記者：王家文

曉進3歲半時確診患上黏多醣症四型，因身體缺乏某種酵素而未能分解體內的黏多醣，積聚過多令體格及關節受破壞及變形，無法正常生長，他的身高，永遠停留在2歲只得92厘米。這病無法根治，暫可用藥物減慢病情惡化，但每年藥費需約250萬元，並要持續用藥，直至曉進預期壽命約30歲為止。

雙腿內翻 走路時間短

「媽媽，幫我撕開佢」。愛吃糖的曉進雖已7歲，但雙手乏力，軟如無骨，撕開糖紙也要母親代勞。過去兩年，蕭太多次去信政府，盼為兒子提供藥物治療，但一直沒進展。新學年剛開始，曉進升讀特殊學校一年級，但他胸骨依舊凸起，幾乎貼近下巴，雙腿內翻更見嚴重，呈「X」形彎曲乏力，走不上5、6分鐘路程就要人扶抱。

美國藥廠早年研發治療黏多醣症四型的藥物Vimizim (Elosulfase Alfa)，並於2015年6月在港註冊，但不獲納入藥物名冊，曉進需自費用藥。據了解，醫管局考慮到黏多醣症四型患者需長期用藥，曾與藥廠交涉，望能為曉進提供10年用藥減費，但被拒絕。

「一年250萬，如果一年可以醫到佢，我可以千辛萬苦去籌、去借，但佢唔係一年就可以解決問題」。蕭太坦言，基層家庭難長期應負昂貴藥物，兒子原定去年底在膝蓋植入鋼板，「醫生話先打咗酵素針會好啲，有機會長番直，最好8歲前幫佢做呢個手術」，如今卻無了期等待。她說兒子走不了遠路，每次累了，都會問她，「幾時有藥醫我？」、「唔想有咁嘅病」。

藥廠BioMarin亞太區商業營運部副總裁盧詩韻回覆查詢時表示，由2015年至今，向醫管局提出4個不同方案，包括建議為全港同類型的確診病人買藥，局方所需支付的藥費會封頂，用多由藥廠包底。她指，今年6月也提出為曉進提供3年用藥減費方案，由藥廠和醫管局共同承擔藥費，藥廠承擔的藥費比例會逐年遞減；其後藥廠將減費年期延至5年，但局方都不接受。

至於為何未能提供10年用藥減費，她指藥廠沒有前例，也有困難，因始終要有經濟效益，才能繼續研發藥物。她表示，會繼續與醫管局商討，盡快為曉進提供持續及可行方案。

醫管局回應指，一直密切留意藥物Vimizim (Elosulfase Alfa) 的最新臨床和科研實證，如對病人有正面藥效，需要長時間服用，有限度的短期藥物安排並不符合病人的利益。發言人表示，現正與藥廠商討曉進的長遠藥物安排，強調啟動治療前必須考慮要素，如得到廠方正面積極的回應，期望可在數個月內為曉進展開相關的藥物治療。

「想做正常小朋友」

協助曉進的立法會議員張超雄認同，安排10年長遠用藥是理想方案，擔心若5年用藥減費過後，藥廠回復原本藥價，甚至「吊高嚟賣」；但醫管局仍只「睇餸食飯」，最終只害苦曉進。他促藥廠與醫管局盡快達成共識，「唔好再拉扯」，長遠應將罕見病藥納入藥物名冊，並改革藥物政策，讓病人得到援助。

「我個願望係想有藥醫，可以做番一個正常嘅小朋友，一樣快高長大……」曉進今年4月在立法會公聽會上發言，雙腳站不穩要由家人扶持，好不容易才說到最後，「唔好畀我惡化落去，求求你們，救救我」。接着曉進發言的，是結節性硬化症患者池燕蘭，但今年4月底已離世。