

專家小組監察罕有遺傳病者

醫家講你知

每年5月15日是國際黏多醣症日。黏多醣症是罕有遺傳性溶酶體病的其中一種，另外還有法柏氏症、龐貝氏症、高球氏症等。雖然現時醫學上並無根治罕有遺傳病的有效療法，但醫院管理局一直關注患者的治療需要，以多元化治療去紓緩患者的不適，今年度（2010-11）亦獲政府額外撥款約3,500萬元，將六種極昂貴的酵素替代治療納入藥物名冊，為患者提供更全面的治療。

公立醫院一直透過兒科、骨科、耳鼻喉科、眼科、胸肺科等多個專科的合作及遺傳輔導，並配合適切的支援藥物、外科手術及復康治療，減輕患者的不適和治療病症引致的併發症，以提高患者的生活質素和延

長他們的存活期。

透過政府的額外撥款，醫管局將會把六種酵素替代藥物納入醫管局名冊，為有關病人提供治療，詳情如下，藥物名稱及臨床應用範圍，分別為拉羅尼酶，黏多醣症第一型；艾度硫酸酯酶，黏多醣症第二型；加硫酶，黏多醣症第六型；阿糖苷酶 α ，龐貝氏症；阿加糖酶 β ，法柏氏症及伊米苷酶，高球氏症。

平衡公帑資助藥費效益

由於有關藥物面世時間較短，僅有初步驗證及極為昂貴，醫管局必須謹慎審視藥物對個別病人的實質療效和用藥會否對病人造成其他影響，因此成立了有關罕有遺傳性溶酶體病酵素替代藥物治療的專家小組，制定特定藥物的治療指引和病人用藥的評核準則。



■ 蘇絲黃與黏多醣患者Stephen。（網上圖片）

專家小組會逐一評估每位病人的臨床情況，決定病人是否適合接受有關藥物治療，及藥物對病人的臨床情況是否有所裨益，同時平衡公帑資助藥費的成本效益及公平使用公帑的原則。 資料提供：醫院管理局