



九龍亞皆老街 147B
醫院管理局大樓
醫院管理局行政總裁
高拔陞醫生

敬愛的高醫生：

急切要求藥物建議委員會 (DAC) 把治療 NMOSD 新藥通過藥物名冊及納入安全網

本會知悉醫院管理局的藥物建議委員會 (DAC) 將會審核治療 NMOSD 新藥 Ravulizumab，特意致函 貴局，要求儘快通過該藥物並納入安全網資助範圍。

NMOSD- 全港只有約 300 人的罕見病

視神經脊髓炎 (NMOSD) 在全球都被公認為一種罕見的自體免疫疾病，患者自身免疫系統，錯誤把中樞神經系統的正常細胞，當作入侵者進行攻擊，尤其是患者的視覺神經和腦脊髓神經，引致受損及發炎，有機會導致永久失明和癱瘓，甚至有生命危險。視神經脊髓炎患者主要以女士為主，女士及男士的發病率為 10:1。¹而在香港，每 10 萬名市民，便有 3.3 人有視神經脊髓炎，一般是中年發病。²

復發率高達 94%，超過半數遺留永久性傷殘

視神經脊髓炎復發率極高，患者 5 年的復發率約為 94%，而且復發的中位數間隔，只有短短 10 個月。³⁻⁵換言之，一年內，便有機會要面臨兩次復發威脅。接近一半患者，在 2 年內會經歷至少一次復發。同時，每一次復發，均會增加患者的殘障程度。有脊髓炎的患者，76% 未能完全康復，甚至有三分之一患者會經歷永久神經受損。^{6,7}若未接受適當治療，62% 患者會在 5 年內失去視力，而 50% 患者需使用輪椅。⁸

現供藥物未能有效防復發 令患者遺留永久傷殘和心理創傷

現時香港可供防復發藥物極少，而且全是標示外使用 (off-label use) 藥物，從未經臨床證實有效及批准用於治療 NMO 用途上。故此在傳統治療的 3 種治療方案中：口服類固醇藥物 (Prednisolone)、口服非類固醇免疫抑制劑 (Azathioprine 及 Mycophenolate Mofetil)、CD20 單株抗體 (Rituximab)，仍存有三至五成患者會經歷復發。⁹較早前，香港視神經脊髓

炎協會 (NMOHK) 透過問卷調查，訪問了本地 47 名患者，了解他們復發情況，後遺症和對引入治療視神經脊髓炎新藥的意願。¹⁰

調查結果指出，本港超過半數患者曾出現復發情況，而復發的比例會隨著患病時間而上升，患病超過兩年的患者，每 4 個人中，便有 3 個人有復發情況。即是就算患者使用防復發藥物，都有約六至七成機會復發，顯示香港現可供藥物並未足夠有效防復發。

調查結果亦顯示，本港視神經脊髓炎患者，七成半有視力或/和活動能力問題，六成有神經痛和情緒問題，近四成人曾有輕生念頭。由此可見，若然不幸患上視神經脊髓炎，可謂影響餘生。

九成八患者強烈要求引入新藥

事實上，本地患者對引入新藥的意願極為強烈。調查指出，逾八成患者擔心現時的防復發藥未能阻止復發，逾八成患者亦認為藥物選擇不足。有見及此，高達 98% 患者認為香港需要引入視神經脊髓炎防復發新藥，亦有 94% 患者認為政府應設立「視神經脊髓炎專門診所」，集合醫療資源去累積治療經驗，讓視神經脊髓炎醫學專家去集中治療患者。¹⁰

新型治療大幅減低復發風險

據悉近期已有新型治療面世，適用於 AQP4 抗體陽性的成人患者，有效減低 NMO 復發率。¹¹ 研究顯示 Ravulizumab 補體抑制劑 (Complement Inhibitors) 可有效降低 98.6% 復發風險。年度復發率為 0。¹² 另外藥物整體耐用性良好，大多患者能持續接受治療，亦可避免復發帶來的額外風險，例如無須服用高劑量類固醇，高劑量類固醇會產生眾多副作用，包括骨質疏鬆、白內障、糖尿病、體重增加等。

藥物名冊中一直欠缺核准用於治療 NMO 藥物

本地患者一直在沒有選擇情況下只可使用 off-label 藥物防復發，苦等臨床證實成功防復發新藥達 20 年之久，難得現在出現接近 0 復發的藥物，極度希望政府可批准新藥物引入醫管局藥物名冊中。另外因藥費十分昂貴，實非一般家庭能負擔，若因負擔不起藥費而不能使用有效藥物，對一眾 NMO 患者來說，又是一次希望燃起後瞬間幻滅的打擊。

本會急切呼籲 貴局能聽取患者強烈訴求，盡早把新藥 Ravulizumab 納入藥物名冊和安全網資助範圍，解決患者燃眉之急，避免香港患者暴露於 NMO 兇猛復發風險中，導致永久不可逆轉的永久傷殘，讓 300 個香港患者及其家庭重拾正常生活。我們的卑微心願：不求會康復，但求「不再復發」！一次復發也嫌多！



專此奉達，敬希早日回覆！

Chris Chan

香港視神經脊髓炎協會主席

陳寶婷謹啟

副本送：

香港特別行政區行政長官 李家超先生

醫務衛生局局長 盧寵茂教授

二零二四年七月三日

資料來源：

1. NMOHK. NMO 在世界各地患病率. 2021.
(<https://www.nmohk.com/nmo%E5%9C%A8%E4%B8%96%E7%95%8C%E5%90%84%E5%9C%B0%E6%82%A3%E7%97%85%E7%8E%87>).
2. Li R, Cheng S, Chan K, et al. Central nervous system demyelinating diseases in Hong Kong. *Neurology and Clinical Neuroscience* 2021;9(4):292-300. DOI: doi:10.1212/01.wnl.0000903068.75712.b8.
3. Khalilidehkordi E, Clarke L, Arnett S, et al. Relapse Patterns in NMOSD: Evidence for Earlier Occurrence of Optic Neuritis and Possible Seasonal Variation. *Front Neurol* 2020;11:537. DOI: 10.3389/fneur.2020.00537.
4. Liu YH, Guo YC, Lin LY, et al. Treatment response, risk of relapse and clinical characteristics of Taiwanese patients with neuromyelitis optica spectrum disorder. *J Formos Med Assoc* 2022;121(9):1647-1656. DOI: 10.1016/j.jfma.2021.11.002.
5. Royston M, Kielhorn A, Weycker D, et al. Neuromyelitis Optica Spectrum Disorder: Clinical Burden and Cost of Relapses and Disease-Related Care in US Clinical Practice. *Neurol Ther* 2021;10(2):767-783. DOI: 10.1007/s40120-021-00253-4.
6. Kitley J, Leite MI, Nakashima I, et al. Prognostic factors and disease course in aquaporin-4 antibody-positive patients with neuromyelitis optica spectrum disorder from the United Kingdom and Japan. *Brain* 2012;135(Pt 6):1834-49. DOI: 10.1093/brain/aws109.
7. Jarius S, Ruprecht K, Wildemann B, et al. Contrasting disease patterns in seropositive and seronegative neuromyelitis optica: A multicentre study of 175 patients. *J Neuroinflammation* 2012;9:14. DOI: 10.1186/1742-2094-9-14.
8. Wingerchuk DM, Weinshenker BG. Neuromyelitis optica: clinical predictors of a relapsing course and survival. *Neurology* 2003;60(5):848-53. DOI: 10.1212/01.wnl.0000049912.02954.2c.
9. Mealy MA, Wingerchuk DM, Palace J, Greenberg BM, Levy M. Comparison of relapse and treatment failure rates among patients with neuromyelitis optica: multicenter study of treatment efficacy. *JAMA Neurol* 2014;71(3):324-30. DOI: 10.1001/jamaneurol.2013.5699.
10. NMOHK. 本港視神經脊髓炎 NMO 患者的問卷調查結果. 2024.
(<https://www.youtube.com/watch?v=iUJjmGPQzXY>).
11. Kumpfel T, Giglhuber K, Aktas O, et al. Update on the diagnosis and treatment of neuromyelitis optica spectrum disorders (NMOSD) - revised recommendations of the Neuromyelitis Optica Study Group (NEMOS). Part II: Attack therapy and long-term management. *J Neurol* 2024;271(1):141-176. DOI: 10.1007/s00415-023-11910-z.
12. Pittock SJ, Barnett M, Bennett JL, et al. Ravulizumab in Aquaporin-4-Positive Neuromyelitis Optica Spectrum Disorder. *Ann Neurol* 2023;93(6):1053-1068. DOI: 10.1002/ana.26626.