

致行政長官李家超先生:

就《2024 年施政報告》公開諮詢提交意見書

本會就有關本年施政報告的公眾諮詢提交意見書，冀望當局積極回應香港大約 300 個的視神經脊髓炎譜系疾病(NMOSD)病人及其家庭的需要。

香港視神經脊髓炎協會一直致力關注香港視神經脊髓炎譜系疾病 (NMOSD- 下簡稱 NMO 視神經脊髓炎) 病人及其家庭需要，就這罕有一群面對著的社會問題，本會建議如下：

1. 引入治療 NMO 新藥物和將現有 Off Label 藥物列為標準收費項目
2. 設立三間「NMO 視神經脊髓炎專門診所」為長遠目標
3. 在未設立「NMO 視神經脊髓炎專門診所」前的過渡性安排

現謹附上本會的意見書，以供參考

任何垂詢，請聯絡本人

本會網頁: www.nmohk.com

敬祝 台安

香港視神經脊髓炎協會 主席

二零二四年八月十九日

就《2024 年施政報告》公開諮詢提交意見書:

背景簡介:

NMOSD- 全港只有約 300 人的罕見病

視神經脊髓炎譜系疾病 (NMOSD – 下簡稱為 NMO 視神經脊髓炎) 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。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。¹

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。²⁻⁴ 換言之，一年內，便有機會要面臨兩次復發威脅。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。^{5、6} 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。⁷

本地問卷調查 超過九成患者強烈要求引入新藥和設立專門診所

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。⁸

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「NMO 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。⁸

我們面對的難題一

藥物名冊中廿年來欠缺核准用於治療 NMO 藥物 病人暴露於 30-50%復發風險

NMO 雖然兇猛，但其引致的殘障是由每次病發遺留，較少不病發下進展式退化，即是說 NMO 引致的殘障是有機會避免。只要有效防復發，就有機會避免致殘，故此藥物能否有效防復發非常重要。但以今天醫管局可供藥物來看，讓病人仍存留 30-50%復發風險，引致本可避免的傷殘。我們苦等臨床證實成功防復發新藥達 20 年之久，至今仍沒有一種已獲 FDA 核准治療 NMO 的藥物可成功列入香港醫管局藥物名冊中，病人一直只可用 off label 藥物，就算 FDA 最新批准藥物 Ravulizumab 最近向香港醫管局申請納入藥物名冊亦不獲批准 (7/2024)，政府此舉猶如罔顧 30-50% NMO 病人不斷復發致殘而不理。

我們懇切向政府建議:

1. 引入治療 NMO 新藥物和將現有 Off Label 藥物列為標準收費項目

1A. 盡快把暫時最有效的新藥 Ravulizumab (可降低 98.6%復發風險)⁹ 引入藥物名冊，和納入安全網，拯救 30-50%仍不斷復發的病人免致失明和癱瘓

1B. 把現有 off label 生物製劑 Rituximab 的 biosimilar (Truxima) 由病人自費項目改為標準收費藥物，專供給口服藥也不能控制病情的病人使用

我們面對的難題二

300 幾位 NMO 病人分散治療 難讓醫生累積治療經驗

現時政府沒有設立 NMO 疾病專門診所，難集中醫護人員和資源去醫治和認識這病，全港 300 幾個 NMO 病人分散各區腦神經科和眼科專科覆診，每個腦神經科/眼科醫生每年可能只接觸到幾位 NMO 病人，在病人與醫生也不集中處理的情況下，造成治療方法不統一，醫療資源與培訓太分散，醫院間欠交流溝通平台，難累積臨床知識和經驗。

NMO 是由 2004 年才定立為獨立新病，一個只有 20 年歷史的罕見病就算香港專科醫生都欠缺廣泛認識的機會，若再沿用現時病人分散治療機制，再過十年廿年都未必對這病有更多理解。NMO 雖然不能根治，但絕對是可以避免復發，關鍵就是有效防復發藥物和醫生治療經驗。又因 NMO 此病狡猾多變，就算具有效藥物，若欠缺對此病的豐富治療經驗，都是功虧一簣，得物無所用。

我們懇切向政府建議:

2. 設立三間「NMO 視神經脊髓炎專門診所」為長遠目標

我們建議設立結合醫療、教學與研究於一身的 NMO 專門診所，由兩間大學醫學院的腦神經免疫學科和神經眼科的教授主導，由醫管局撥出資源，全港設立 3 間 NMO 專門診所，建議港九新界各一所，每所都有熟悉 NMO 的腦神經免疫科和神經眼科醫生主理

運作模式:

建議參考英國的 NMO 專門診所模式，每名 NMO 病人同時由新設的 NMO 專門診所和現有分區腦神經科/眼科診所共同治療 (shared care system)，NMO 專門診所與分區腦科/眼科診所可互相溝通及共同協作下醫治病人，角色互補，沒有排斥性和重疊。前者提供長遠治療方案建議和監察，後者負責定期提供藥物、血液檢測、康復跟進、後遺症舒緩... 兩者醫生可在醫健通系統內就有關個案互相溝通和協調。

香港視神經脊髓炎協會

www.nmohk.com

contact@nmohk.com

- **NMO 視神經脊髓炎專門診所**– 新設全港 3 間
- **分區腦神經科/眼科診所** – 按照現時全港約十數間保持不變

建議「**NMO 視神經脊髓炎專門診所**」的角色和提供服務:

- 為已確診 NMO 病人給予長期治療用藥方向及監察康復進度
- 為各醫院醫護提供有關 NMO 的專業意見支援: 給予各醫院腦神經或眼科醫生有關 NMO 診斷和治療的醫學建議及支援，及按需要就個別個案作為病人主診醫生的諮詢對象
- 遇有懷疑 NMO 急性病發個案可即時為病人作入院安排，及時診斷 (MRI) 和一切急性治療方案 (IVMP 脈沖類固醇、PLEX 血漿置換)
- 遇有難診斷個案可提供專業判斷意見
- 遇有難治療復發個案可批出新藥物甚或使用臨床試驗藥物治療
- 設立醫生支援熱線或電郵: 由 NMO 專門診所醫生主理，為有需要的各醫院醫生作適時診治諮詢解答
- 設立病人支援熱線: 由專業受訓護士接聽，為疑似急性病發病人作初步電話評估，視乎危急情況而作即時入院安排
- 累積和整合香港本地治療 NMO 經驗，定立清楚統一的急性和慢性治療指引和建議，同時不斷更新最新國際治療資訊，給予各腦神經科和眼科醫生參考
- 集合 3 間專門診所的病人數據，制定香港 NMO 病人中央名冊

3. 在未設立「NMO 視神經脊髓炎專門診所」前的過渡性安排:

- 設立治療 NMO 專家小組，由腦神經免疫科 Neuro-Immunology 和神經眼科 Neuro-Ophthalmology 中對 NMO 熟識的醫學專家負責，定立清楚統一的急性和慢性治療指引

包括:

急性治療完成吊類固醇 3-5 天後病情仍無改善病人應接著盡快展開血漿置換療程

由急性治療轉至長期防復發治療過程，遞減口服類固醇和增加免疫抑制劑的互相配合劑量和進度指引

服用長期防復發藥物仍出現復發個案，訂立轉藥或加藥或兼用口服類固醇的統一方案/指引...

- 增設 “No wait card 特急卡” 派予已確診 NMO 病人，一但復發可從政府醫院急症室特快在 24 小時內轉介腦神經科/眼科作即時診治

- 增設眼科和腦神經科醫生為疑似 NMO 急性病發個案發出特急照 MRI (priority 級別) 的申請配額

- 政府資助與 NMO 疾病相關學會主辦學術活動，推動本地醫生和病人對 NMO 疾病的醫療資訊 (如: NMO 醫學會議，編印 NMO 病人手冊，設立 NMO 支援專線或 whatsapp 諮詢熱線...)

本地與 NMO 疾病相關學會:

HKNIS – HK Neuro-Immunology Society - <https://hknis.hk/>

HKMSS – HK Multiple Sclerosis Society - <https://hkmss.org/>

資料來源：

1. 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.
2. 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.
3. 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.
4. 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.
5. 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.
6. 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.
7. 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.
8. NMOHK. 本港視神經脊髓炎 NMO 患者的問卷調查結果. 2024.
https://www.nmohk.com/希望引入治療_nmo_新藥意願問卷調查
9. 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