

第 002 期  
2015 年 8 月份

Little People, Big Steps

## 編輯委員會

總編輯

陳振勝教授

編輯

朱凱欣女士, 譚閻勳博士

趙淑文女士, 鄭笑芬女士

美術編輯

陳卓榮博士



## 頭條故事:

## 小而同聯同香港大學舉辦「小個子, 大作為」關愛行動

香港大學生物化學系於 2014 年 7 月開展了一項「知識交流計劃」, 名為「小個子, 大作為」關愛行動, 合辦機構是小而同罕有骨骼疾病基金會及香港大學聖約翰學院。關愛行動的目的是讓社會大眾更關注「小個子」所面對的種種困難, 並為患者家人、教育工作者及政策制定者提供一個討論交流平台, 希望藉此令公眾對罕有骨骼疾病患者有更多的了解和接納。

2015 年 4 月 25 日舉行「我是小個子: 你的學校能接納我嗎?」研討會

研討會的目的是提高公眾對罕有骨骼疾病患者的關注, 以及推廣包容性學習環境。我們很榮幸邀請了平等機會委員會主席周一嶽醫生及香港大學李嘉誠醫學院助理院長陳振勝教授出席並致歡迎辭, 他們發言時特別強調平等教育機會對「小個子」的重要性, 內容發人深省。醫學專家、家庭治療師、患者及家人在研討會上交流分享「小個子」在醫療方面的需求, 以及他們在學校所面對的挑戰, 包括欺凌問題。此外, 還有來自兩家學校的校長及老師分享經驗, 這兩家學校都接受了「小個子」兒童入讀。他們的經驗證明, 「小個子」在一個包容性的學習環境可以有卓越的表現。在答問環節, 台下觀眾踴躍發問, 與嘉賓講者一起討論怎樣為「小個子」爭取平等教育機會及給予支援, 熱心參與討論的觀眾包

括有教育工作者、社工、護士及律師等。

2015 年 9 月出版罕有骨骼疾病患者知識交流書籍

這本書籍是香港第一本以「小個子」為主角的出版物, 作者包括醫生、醫科生及患者家長, 他們筆下的真人真事, 都是關於罕有骨骼疾病患者的各種遭遇, 悲喜交織, 鼓舞人心。我們希望這本 60 頁的小冊子能為患者和家人提供適切的指引, 並且令公眾對「小個子」在日常生活面對的障礙有更多了解和關注。這本書計劃於 2015 年 9 月出版, 將派送到學校、公共圖書館、醫院、企業及相關政府部門。



2014/15 同步成長大哥哥大姐姐計劃

在「同步成長計劃」下, 香港大學約 20 位大學生與我們小而同的家庭配對成組, 一起參與活動, 例如「齊來做 Cupcake」、「海洋公園暢遊」及「新春團拜」等。

2015 年 2 月 28 日國際罕見疾病日的願望樹

與去年一樣, 我們今年也在國際罕見疾病日舉行了新春團拜活動, 邀請我們兩位榮譽顧問醫管局主席梁智仁教授及行政會議成員陳智思先生出席參與。當日, 小而同家庭與香港大學的大哥哥大姐姐一起建造一棵願望樹, 象徵我們希望社會大眾能更加接受和支持侏儒症患者, 讓他們能夠好好成長, 發展潛能。

## 醫療 同步



### 藥物研發過程：由實驗室到推出市場

- 在實驗室以細胞系作測試，篩選數千個具開發潛力的藥物，並選取最佳藥物作進一步測試
- 評估篩選前的藥物及藥理作用，以動物作試驗，以確定其效果
  - 盡量改良藥物，以加強藥物的作用，並以動物作臨床前試驗
  - 如情況合適，以靈長類動物作測試
  - 第一期臨床試驗（以病人測試藥物的安全性和藥理作用）
  - 第二期臨床試驗（在第一期臨床試驗顯示的安全性及療效後進行）
  - 第三期臨床試驗
  - 由本地有關當局審批及推出市場

## 軟骨發育不全症有藥可醫嗎？

治療軟骨發育不全症的藥物一直缺乏。近年藥廠正研發兩種可能有效的藥物，為軟骨發育不全症患者帶來希望。

### VOSORITIDE

什麼是 Vosoritide?

它是一種由 BioMarin 製藥公司研發，能促進骨骼生長的藥物，亦稱 BMN111。

此藥如何能幫助患有軟骨發育不全症的病人？

在一個為期六個月的第二期臨床試驗中，對象是年幼病人（他們的生長板仍未接合），對他們施以高劑量藥物，結果顯示這些兒童的骨骼生長速度，較其正常生長率最多增加 50%。

此藥是否正進行臨床試驗？

現時正展開一個為期十八個月的跟進研究，對象是使用高劑量的第二期臨床試驗病人。計劃在未來進行第三期臨床藥物試驗，對象將包括 5 歲以下的兒童。

此藥有沒有副作用？

第二期臨床試驗的報告顯示此藥有輕微副作用，包括，注射範圍出現反應、頭痛、低血壓、背痛和咳嗽。暫時仍不知道，若長期使用該藥物，骨骼能否持續增長。

參考資料:

<http://investors.bmrn.com/>

Nature. 2014 Sep 25;513(7519):507-11

### STATIN

什麼是「他汀」(statin)？

「他汀」是一種現時用來治療高膽固醇的藥物。

此藥如何幫助患有軟骨發育不全症的病人？

在利用軟骨發育不全症病人細胞作藥物篩選的實驗中，「他汀」被發現能刺激病人細胞製造較佳品質的軟骨組織。在以老鼠做對象的實驗中，發現「他汀」某程度上增加患病老鼠的骨骼長度。

此藥是否正進行臨床試驗？

現時「他汀」並沒有任何以患軟骨發育不全症兒童為對象的臨床試驗。科學家正考慮申請進行第一期臨床試驗以確定「他汀」在兒童身上的療效和藥理的安全性，因為「他汀」具降低膽固醇的藥效，可能會影響兒童的成長（膽固醇是建立細胞膜和腦部發展必需的物質）。有建議作更多研究以改良「他汀」的效能，使其可以促進骨骼的生長，但又不會影響膽固醇水平。

有沒有副作用？

有報告指「他汀」對成人的副作用包括：增加肝酶的濃度；增加患上糖尿病、肌肉問題、失去認知能力和患上神經病的各類風險。



## 小而同 快訊

### 教育工作，政策及公眾關注



2014年10月 | 教育與公眾關注

「同步成長大哥哥大姐姐計劃」的其中一個活動是「齊來做 Cupcake」，藉活動宣揚「國際關注侏儒症月」。



2014年11月 | 教育與公眾關注

副會長陳振勝教授、委員鍾侃言醫生、會長朱凱欣女士在香港公開大學護理及健康學部主持兩小時講座，向註冊護士及學生講解罕有骨骼疾病病理及病人需要。



2014年12月 | 教育

委員會成員杜啟峻醫生、陳振勝教授、方緯谷先生、朱凱欣會長出席香港大學深圳醫院舉辦的罕有骨骼疾病醫學研討會兼骨科病友聚會，並作專題演講。



2015年1月 | 公眾關注

會長朱凱欣女士及委員方緯谷先生擔任商業電台節目「有誰共鳴」的嘉賓主持。在節目上他們分享作為侏儒症小朋友的父母的個人體驗，並宣揚小而同罕有骨骼疾病基金會的使命。



2015年2月 | 教育與公眾關注

「新春團拜」是「同步成長大哥哥大姐姐計劃」的其中一個活動，當日參與者一同推廣「國際罕見疾病日」。



2015年3月 | 教育

透過「知識交流計劃」之「小個子，大作為」關愛行動，小而同舉辦了一次高桌晚宴講座，題目為「爭取尊重的漫漫長路」。



2015年4月 | 教育與公眾關注

透過「知識交流計劃」之「小個子，大作為」關愛行動，小而同舉辦了「我是小個子：你的學校能接納我嗎？」研討會。

### 患者及家庭支援



2014年11月/海洋公園暢遊

海洋公園暢遊是「同步成長大哥哥大姐姐計劃」其中一項活動。七個家庭與13位港大學生義工在海洋公園度過愉快的一天，在鯊魚館、冰極天地、大熊貓館等多個景點留下歡樂回憶。

2015年7月 | 「共樂共融」音樂會

小而同會員獲邀請參與兒童音樂基金會主辦之「共樂共融」音樂會。



2015年7月 | 陶藝班

安永會計師事務所義工隊 Helping Hands 與小而同罕有骨骼疾病基金會合辦陶藝班，讓小朋友與家長共享陶藝樂趣。

## 羽毛球場上的「小巨人」



Tim 是個活力充沛而好動的年青人，臉上常掛著笑容，令人感覺溫暖。他日間在某金融機構的資訊科技部門工作，晚上就一變而成為羽毛球場上的巨星。他是香港羽毛球代表隊（身型矮小組別）的成員，剛在英國參加了國際比賽歸來。

Tim 接觸了患罕見骨骼疾病的外國運動員後，感慨說道：「外國現時對患者的支援確實比香港多。」他看有些國家的人口龐大，患罕見骨骼疾病者的人數亦比香港多，而且外國的病人組織享有較多財力資助，並有很多興趣小組籌辦各種活動，例如籃球隊、游泳隊、羽毛球隊等，為年幼患者而設的課業輔導及遠足等社區活動、擇偶婚配的支援等也較多。

當問起「小而同」，Tim 稱讚道：「小而同成立的日子雖淺，但各方面的工作都做得不錯。」他將本港與外地的病人組織相比，認為「小而同」有很大空間在現有基礎上擴大。



同話  
故事

### 小而同動向

知識交流計劃「小個子，大作為」關愛行動  
公眾座談會

「遺傳性骨骼疾病」

2015年9月12日（星期六）上午10時

香港中央圖書館（地下演講廳）

講者：

鍾侃言醫生

（香港大學李嘉誠醫學院兒童及青少年科學系）

杜啟峻醫生

（香港大學李嘉誠醫學院矯型及創傷外科學系）



### 加入小而同

如閣下想成為「小而同之友」或「小而同義工」，請到 <http://lphk.org/> 下載表格並電郵到 [info@lphk.org](mailto:info@lphk.org) 或郵寄到 香港薄扶林道 82 號聖約翰學院新翼二樓《小而同罕有骨骼疾病基金會》收。

### 捐款支持小而同

支票

請將抬頭為「Little People of Hong Kong Foundation Limited」的劃線支票，郵寄至香港薄扶林道 82 號香港大學聖約翰學院新翼二樓《小而同罕有骨骼疾病基金會》收。如需收據，請在支票背面註明姓名、地址和聯絡電郵地址或電話。

銀行賬戶存款

捐款可直接存入基金會銀行賬戶：

東亞銀行賬戶：015-514-68-013177

請在銀行入數紙上註明姓名、地址和聯絡電郵地址或電話，並把資料傳真至+852 2817 5624、電郵至 [info@lphk.org](mailto:info@lphk.org) 或寄回上址。捐款港幣一百元或以上可以向本會索取收據。

