

For immediate release

PRESS STATEMENT

Forging solidarity amidst rarity - IDEAS' report calls for equitable reforms for rare disease patients and their caregivers

Kuala Lumpur, 20 October 2023: Today, the Institute for Democracy and Economic Affairs (IDEAS) Malaysia launched a policy report titled [Solidarity Amidst Rarity: Reforms for Equitable and Sustainable Rare Disease Management](#). This report seeks to amplify the voices of rare disease patients in their pursuit of equitable access to quality healthcare.

With approximately 5,000 to 8,000 types of rare diseases in existence worldwide, effective treatments are available for fewer than 10% of them, reflecting the stark underrepresentation of rare diseases as a public health priority. In Malaysia, 40% of rare disease patients go untreated, painting the grim reality of rare disease treatment and management. This report adapts Levesque's framework for a robust assessment of the gaps in rare disease management, examining healthcare access for rare disease from a two-fold perspective: the shortcomings and challenges faced by the healthcare system and the patients' own capacity.

While some notable strides have been made in regards to rare disease diagnosis, the study shows that rare disease patients and their caregivers still face disproportionate challenges in navigating the patient pathway. Even at the preliminary stage of seeking healthcare, rare disease patients and caregivers are faced with a multitude of barriers that come into play, these being the lack of public awareness, limited knowledge among healthcare professionals, and a dearth of diagnostic facilities. This is also compounded by the fact that most healthcare facilities and expertise are concentrated within the Klang Valley, while those residing outside this central area are ultimately left in a healthcare '*desert*'.

Upon the recognition of specific healthcare needs, a different set of barriers—primarily associated with financial costs—arise which impede patients from utilising the necessary treatment. "Our current rare disease financing policy heavily relies on substantial out-of-pocket expenses and at times, ad-hoc government budget allocations. We need a more sustainable and innovative financing approach that not only encourages the development of orphan drugs for rare diseases but also ensures fair access while controlling costs," says lead researcher of the report, Dr. Asrul Akmal Shafie who is the Professor of Pharmacoeconomics and Director of the Institutional Planning and Strategic Centre at Universiti Sains Malaysia (USM).

Rare disease patients and their caregivers often find themselves spending on diagnostic tests, treatments, materials, and supplements which are not covered by the Malaysian public healthcare system. The report underscores the need to enhance healthcare resource capacity in the short-term to expedite diagnosis and develop sustainable rare disease financing solutions that balances the orphan drugs market through regulatory incentives while ensuring affordability through risk sharing mechanisms. Beyond healthcare, the recognition of social protection schemes beyond medical considerations to provide comprehensive support that promotes the empowerment of individuals with rare diseases and their caregivers.

Having identified these gaps throughout the patient pathway, this report delineates the way forward for the Malaysian healthcare system through four holistic pillars of reform, stratified according to their complexities. Dr Tricia Yeoh, Chief Executive Officer of IDEAS Malaysia comments, “To date, the government has taken steps to tackle sustainable funding for rare diseases by setting up the Rare Disease Trust Fund. The report suggests the next steps which would include detailing the scope of this fund while ensuring the existing model clearly defines governance and ensures sustainability to address the unmet needs of rare disease treatment affordability.”

IDEAS Policy Paper No. 78, **Solidarity Amidst Rarity: Reforms for Equitable and Sustainable Rare Disease Management** can be downloaded from the IDEAS website [HERE](#).

--- END ---

For enquiries, please contact:

Aira Azhari
Senior Manager
aira@ideas.org.my

About IDEAS

The Institute for Democracy and Economic Affairs (IDEAS) is a nonprofit research institute, dedicated to promoting solutions to public policy challenges, focussing on three overarching missions – advancing a competitive economy, ensuring trust in institutions and promoting an inclusive Malaysia. IDEAS is Malaysia’s first independent think tank, free of personal interests and partisan influences. For more information, visit www.ideas.org.my.

Untuk siaran segera

KENYATAAN MEDIA

Membentuk solidariti dalam kenadiran - laporan IDEAS seru pembaharuan yang saksama untuk pesakit penyakit jarang jumpa dan penjaga

Kuala Lumpur, 20 Oktober 2023: Hari ini, Institut Demokrasi dan Hal Ehwal Ekonomi (IDEAS) Malaysia melancarkan satu laporan dasar bertajuk [Solidariti Dalam Kenadiran: Pembaharuan untuk Pengurusan Penyakit Jarang Jumpa yang Saksama dan Mampan](#). Laporan ini bertujuan untuk memperkuat suara pesakit penyakit jarang jumpa dalam usaha mereka mendapatkan capaian yang saksama kepada penjagaan kesihatan yang berkualiti.

Dengan kira-kira 5,000 hingga 8,000 jenis penyakit jarang jumpa yang wujud di seluruh dunia, rawatan berkesan tersedia untuk kurang daripada 10% daripadanya, mencerminkan kekurangan representasi penyakit jarang jumpa sebagai keutamaan kesihatan awam. Di Malaysia, 40% pesakit penyakit jarang jumpa tidak dirawat, menggambarkan realiti suram rawatan dan pengurusan penyakit jarang jumpa. Laporan ini menyesuaikan rangka kerja Levesque untuk penilaian yang teguh terhadap jurang dalam pengurusan penyakit jarang jumpa, memeriksa capaian penjagaan kesihatan untuk penyakit jarang jumpa daripada dua perspektif: kelemahan sistem penjagaan kesihatan dan kapasiti pesakit.

Walaupun beberapa usaha signifikan telah dilakukan dalam hal diagnosis penyakit jarang jumpa, kajian kami menunjukkan bahawa pesakit penyakit jarang jumpa dan penjaga mereka masih menghadapi cabaran yang tidak seimbang dalam mengharungi laluan pesakit. Malah, pada peringkat awal mendapatkan penjagaan kesihatan, pesakit penyakit jarang jumpa dan penjaga mereka menghadapi pelbagai halangan, termasuk kurang kesedaran umum, pengetahuan yang terhad dalam kalangan profesional penjagaan kesihatan, dan kekurangan kemudahan diagnostik. Hal ini juga diburukkan lagi oleh hakikat bahawa kebanyakan fasiliti penjagaan kesihatan dan kepakaran berpusat di Lembah Klang, manakala mereka yang tinggal di luar kawasan utama ini pada akhirnya terabai.

Setelah pengiktirafan keperluan penjagaan kesihatan yang khusus, rintangan yang berbeza - terutamanya berkaitan dengan kos kewangan - telah timbul yang menghalang pesakit daripada menggunakan rawatan yang diperlukan. "Dasar pembiayaan penyakit jarang jumpa semasa kita sangat bergantung kepada perbelanjaan sendiri pesakit dan kadangkala peruntukan kerajaan secara *ad hoc*. Kami memerlukan pendekatan pembiayaan yang lebih mampan dan inovatif yang tidak hanya menggalakkan pembangunan ubat-ubatan terpencil untuk penyakit jarang jumpa tetapi juga

memastikan capaian yang adil sambil mengawal kos," kata penyelidik utama laporan ini, Dr Asrul Akmal Shafie yang juga merupakan Profesor Farmakoeкономи and Pengarah Pusat Perancangan Institusi dan Strategik di Universiti Sains Malaysia (USM).

Pesakit penyakit jarang dan penjaga mereka sering berbelanja untuk ujian diagnostik, rawatan, bahan dan makanan tambahan yang tidak dilindungi oleh sistem penjagaan kesihatan awam Malaysia. Laporan ini menekankan keperluan untuk meningkatkan kapasiti sumber penjagaan kesihatan dalam jangka pendek untuk mempercepat diagnosis dan membangunkan penyelesaian pembiayaan penyakit jarang jumpa yang mampan yang mengimbangi pasaran ubat-ubatan tanpa paten melalui insentif kawal selia sambil memastikan kemampuan melalui mekanisme perkongsian risiko. Di luar penjagaan kesihatan, pengiktirafan skim perlindungan sosial di luar pertimbangan perubatan untuk menyediakan sokongan menyeluruh yang menggalakkan pemerkasaan individu yang mempunyai penyakit jarang jumpa dan penjaga mereka.

Setelah mengenal pasti jurang ini di sepanjang laluan pesakit, laporan ini menggambarkan langkah ke hadapan untuk sistem penjagaan kesihatan Malaysia melalui empat tunggak reformasi holistik, disusun mengikut kerumitannya. Dr Tricia Yeoh, Ketua Pegawai Eksekutif IDEAS Malaysia mengulas, "Sehingga kini, kerajaan telah mengambil langkah-langkah untuk menangani pembiayaan lestari bagi penyakit-penyakit jarang jumpa dengan menubuhkan Dana Amanah Penyakit Jarang Jumpa. Laporan ini mencadangkan langkah-langkah seterusnya yang termasuk menentukan skop dana ini sambil memastikan model sedia ada dengan jelas mentakrifkan tadbir urus dan memastikan kelestarian untuk menangani keperluan yang tidak terpenuhi dalam penjagaan kesihatan bagi penyakit jarang jumpa".

Kertas Laporan Dasar IDEAS No. 78, **Solidariti Dalam Kenadiran: Pembaharuan untuk Pengurusan Penyakit Jarang Jumpa yang Saksama dan Mampan** boleh dimuat turun di laman web IDEAS melalui [PAUTAN INI](#).

--- TAMAT ---

Untuk pertanyaan, sila hubungi:

Aira Azhari
Pengurus Kanan
aira@ideas.org.my

Tentang IDEAS

Institut Demokrasi dan Hal Ehwal Ekonomi (IDEAS) merupakan sebuah institut penyelidikan bukan berasaskan keuntungan, mengkhususkan kepada mempromosikan penyelesaian terhadap cabaran dasar awam, menumpukan kepada tiga misi menyeluruh - memajukan sebuah ekonomi yang berdaya saing, memastikan keyakinan dalam institusi, dan mempromosikan sebuah negara Malaysia yang merangkumi semua. IDEAS merupakan badan pemikir bebas pertama Malaysia, tanpa kepentingan peribadi serta pengaruh berpihak. Untuk maklumat lanjut, lawati www.ideas.org.my.