

调查被遮蔽的事实

2023年2月17日 星期五 编辑 田茹 美编 杨妙霞
编辑电话:(010)65369721 E-mail:jksb16@jksb.com.cn

线索征集

健康维权，责无旁贷：在您的健康生活中，有没有遇到过——烦恼事、困惑事、愤怒事，请登陆健康时报网-监督频道，点击“我要举报”提供调查线索；下载健康时报app，点击左上角电话按钮，可在线报料。也可拨打健康时报电话(010—65363351、13001005428)或发送邮件至jksb16@jksb.com.cn提供调查线索。线索一经采用，有现金或精美礼品赠送。

媒体平台

阅读更多健康权威内容，请关注健康时报全媒体平台



健康时报客户端：
健康尽在掌握间



健康时报微信：
因专业而信赖



健康时报网：
精品健康新闻
健康服务专家



人民名医直播：
我与名医零距离



@健康时报微博：
微健康
随时随地不随意



视频大夫说：
权威专家
说尽健康事儿



快手：
健康时报原创短视频



抖音：
健康时报原创短视频

十四届健康中国论坛： 第五届人民名医盛典：
新阶段新理念新格局 推举医者榜样
引领尊医舆论

版权说明

未经本社书面授权或同意，任何单位和个人，不得以任何形式转载、转贴、深度链接或以其他方式使用本社全媒体上如纸媒、网站、微信、微博及其他介质上的作品。凡在人民日报健康客户端、健康时报官方任一载体上刊发、上线的所有作者的各类文图视听产品，视为认可本社规则，即本社有权在包括但不限于本社其他载体上，如纸媒、网站、微信、客户端、微博以及结集出书、在包括但不限于如今日头条、喜马拉雅等其他社会平台上开设的官方公号等其他形式的使用。本社支付的稿酬中包含了上述各类载体的所有报酬。

罕见病用药二氟尼柳停产 患者面临用药困境

健康时报记者 高瑞瑞 赵萌萌 石梦竹

“我们的‘救命药’二氟尼柳突然买不到了，希望能帮帮我们”“二氟尼柳是治疗转甲状腺素蛋白淀粉样变的有效药物，现在买不到药，这对我们来说无疑是雪上加霜”……

由于二氟尼柳突然停产，转甲状腺素蛋白淀粉样变(ATR)患者正面临无药可用的困境。

临床症状不具有特异性，该病诊断率不足1%

2020年，张娟(化名)在北京确诊患有转甲状腺素蛋白淀粉样变。

北京大学第一医院神经内科副主任医师孟令超告诉健康时报记者，转甲状腺素蛋白淀粉样变(ATR)是人体TTR基因突变引起的一类遗传性疾病，该病是一种罕见的、进行性加重的疾病，很多转甲状腺素蛋白淀粉样变患者都伴有家族病史。

张娟是典型的家族遗传患者，深深理解患上这种疾病的无助和绝望。“我的父亲和伯父都是40岁左右发病，父亲得病一年后去世，伯父是病后三四年左右去世，2022年，我堂哥也因为这种病去世了。”张娟记得，堂哥的病情发展到最后，完全瘫痪在床，不停地打止疼针，这让她非常害怕。“停用二氟尼柳的这段时间，我的心情也一直很焦虑。”张娟说。

“那个时候维万心刚刚进入中国的市场，价格还很贵，对于家庭负担比较重，所以一直听大夫的建议，确诊后主要用药就是二氟尼柳和维达全，二氟尼柳大概二三十块钱一盒，能吃三四天左右。”张娟向健康时报记者回忆道。

同样深陷焦虑的还有来自重庆的晓晨(化名)，“从2021年底开始，我们发现这个药涨了一点价格，后来逐渐在一些平台买不到，一直到2022年底，我们发现在各个平台上彻底没有药了。”晓晨告诉健康时报记者，她的父亲由于患有转甲状腺素蛋白淀粉样变(ATR)，长期服用二氟尼柳，进口药太贵了，于是在医生的建议下服用二氟尼柳，发现确实有效，这对于他们

一家人来说像是救命药一样。

孟令超医生告诉健康时报记者，由于认知程度低，临床症状不具有特异性，常与其他疾病混淆，患者往往在确诊前辗转各地，错过最佳治疗时机。目前，我国该病诊断率不足1%，患者确诊后平均存活时间也只有2~5年。

原材料短缺，二氟尼柳目前停产

“二氟尼柳原本是用于治疗关节炎，是一种非甾体抗炎药。但是后来研究发现对转甲状腺素蛋白淀粉样变(ATR)患者有一定的效果，但是从临床观察来看，患者的效果并不十分理想。”孟令超表示，在临幊上一般不会首推二氟尼柳，但它对ATTR确实有一定的延缓作用，而且价格便宜，因此仍有相当一部分患者在应用该药。

健康时报记者查询国家药品监督管理局官方网站发现，目前二氟尼柳相关的药品批文共有7个，涉及远力健药业、中盛药业、巨化集团、泰丰制药、罗欣药业等6个生产厂家，状态均无异常。

随后，健康时报记者查询了京东大药房、天猫大药房等电商购药平台，结果显示，各种规格、各种品牌的二氟尼柳目前均已断货。

健康时报记者致电郑州泰丰制药有限公司，对方工作人员表示，“由于原材料短缺，基本上所有生产二氟尼柳药企都已经停产了，我们更是很久之前就已经停产了，大概今年6月份能够恢复供应。”

山东罗欣药业工作人员告诉健康时报记者，“由于原材料短缺，一年前我们就已经不生产二氟尼柳了，具体恢复时间还不知道。”

在买不到二氟尼柳的一百多天里，晓晨一家人始终生活在病情恶化的恐惧中。而她所在的患者群里，二百多个家庭同样也面临着买不到药的困境。

“现在我们最大的希望是二氟尼柳能尽快恢复生产，很多病友已经在打听国外代购二氟尼柳，但如果二氟尼柳这种很普通

的基本用药，我们都要去代购的话，治疗的经济负担将会非常大。”张娟说。

专家呼吁各地医保将有效药物尽快落地

“目前，药物治疗是转甲状腺素蛋白淀粉样变最主要的方法。”孟令超介绍，目前治疗转甲状腺素蛋白淀粉样变的药物主要有三类，一是二氟尼柳，二是氯苯唑酸药物，三是国外基因治疗药物。二氟尼柳这款药物应用得最早也最便宜，但效果不太理想，很多患者使用之后，疾病仍会出现明显进展。

目前我国已上市用于治疗ATTR的药物，仅有两款产品：氯苯唑酸葡胺软胶囊和氯苯唑酸软胶囊(维达全/维万心)，分别于2020年2月、9月获批上市。在临幊上比较常用的是辉瑞公司生产的氯苯唑酸，这类药物有两种剂型：20毫克维达全和61毫克维万心。

“2022年3月到6月，我终于用上维万心，但服用后副作用太大，一直呕吐，此外，职工医保报销之后，维万心4500元多一盒，对于普通家庭来说依然价格高昂，所以三个月之后，我又换成二氟尼柳，但没想到现在停产了。”张娟说。

“维万心目前已经进入罕见病医保目录，北京、上海等大城市患者可以进行医保用药，但其实还有很多省市还没有落地。另一款药维达全目前没有进入医保，一盒大概5万元，价格比较贵，很多人都接受不了。”孟令超说。

孟令超表示，目前国内针对ATTR最有效的治疗药物，临幊上还是积极建议患者用药，同时也呼吁各省市尽快推进维万心医保报销落地，切实减轻患者负担。

此外，孟令超也积极呼吁尽快引入国外基因治疗药物。“毕竟这种病的病情进展快，即使是些年轻患者，也仅有大概6~12年的时间，很快会危及生命，不管是哪一种基因治疗药物，如果有很好的替代治疗方式，可以先引入中国，让患者有更多的用药选择。”孟令超说。