

全国政协委员、山东大学齐鲁医院副院长、血液科主任彭军始终关注着罕见病患者群体。2月26日，彭军告诉健康时报记者，去年两会闭幕后，他收到了来自安徽、广东、江西等16个省市罕见病患者家属的来信。这些信件寄托着他们对政策支持的殷切期盼，促使彭军决定继续将儿童罕见病作为今年提案的重点。

# 罕见正被看见

健康时报记者 徐婷婷 王艾冰 石梦竹

2月28日，是第18个国际罕见病日。“救命药”国产氯巴占上市、“天价药”进入医保……人民日报健康客户端“看病用药投诉留言板”后台，收到千余条罕见病患者留言，从留言到政策落地，罕见逐渐被看见。

据中国政府网最新数据，脊髓性肌萎缩症（SMA）、戈谢病、重症肌无力……目前已有90余种罕见病用药被纳入国家医保药品目录。

## 终于可以生一个健康的宝宝

2月21日，健康时报记者在北京市石景山区见到了30岁的阿豪和他即将分娩的妻子。

“还有2个月，宝宝就要出生了，很感恩能生出一个健康的宝宝。”阿豪开心地跟记者分享他的喜悦。

在此之前，阿豪习惯侧过左半边脸和人交流，因为从出生起，他的右脸和头部就有神经纤维瘤的印记，这是一种良性神经系统罕见疾病，属于常染色体显性遗传病。

在阿豪身上，这些肿瘤不止长在外部，脑袋里也在生长，有很大遗传概率。姥姥、妈妈和舅舅都是他的“病友”。

2021年5月，阿豪加入了罕见病组织“泡泡家园神经纤维瘤关爱中心”，和病友们一起在人民日报健康客户端看病用药投诉留言板上留言，希望改变神经纤维瘤患者“确诊难、治疗难、无药可用的困境”。

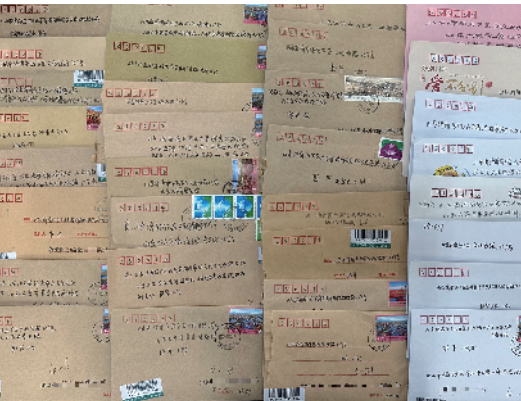
“希望药物尽快在国内获批上市”“希望能尽快纳入罕见病目录”“希望药物能够纳入医保”……从留言到政策落地，这些呼声很快等来回应。

2023年4月28日，司美替尼在国内获批，用于治疗3岁及以上患有症状性、无法手术的Ⅰ型神经纤维瘤病儿童患者。同年9月，神经纤维瘤病被纳入《第二批罕见病目录》。治疗药物司美替尼成功纳入医保，并于2024年1月1日起生效。

“现在很多医生都知道这个疾病，还有很多新药临床试验的项目找到我们，如今试管技术还可以避免我的孩子遗传到致病基因。”阿豪说，“等孩子出生就要告诉他，爸爸的脸上是天使留下的记号，为了让爱我的人能够更快找到我。”

“防止罕见疾病遗传，建立覆盖产前、产中、新生儿筛查三级罕见病防控体系至关重要”，全国政协委员、山东大学齐鲁医院副院长、血液科主任彭军始终关注着罕见病患者群体。

2025年2月26日，彭军告诉健康时报记者，去年两会闭幕后，他收到了来自安徽、广东、江西等16省市罕见病患者家属的来信。这些信件寄托着他们对政策的殷切期盼，促使彭军决定继续将儿童罕见病作为今年提案的重点。



## 难治性癫痫用上国产氯巴占

“国产氯巴占纳入国家医保目录，并于1月1日起执行”，得知这一消息的阿楠（化名）喜极而泣。2月25日，阿楠的女儿已经用上进入医保的国产氯巴占，一天仅需4元医药费。

阿楠是一位难治性癫痫患儿的妈妈，女儿曾吃遍所有能买到的抗癫痫药都无济于事，只能试试一款叫氯巴占的药。那时还没有国产氯巴占，国内也没有进口，只能代购。

人民日报健康客户端看病用药投诉留言板也第一时间关注了这一群体，连续刊发稿件《为儿买药被认定贩毒，代购“救命药”的情与法》《千余位罕见病患者家属联名求助》等。

随后好消息接踵而至。2022年6月，国家卫健委、国家药监局发布《氯巴占临时进口工作方案》；2022年9月，进口原研药氯巴占开出全国首张处方、国内首仿氯巴占获批上市；2024年12月，国家医保药品目录调整结果公布，国产氯巴占入选……

“国内开出第一盒药的时候大家都好激动，感觉像一场梦，梦醒了，我们的愿望都实现了。”阿楠告诉记者，现在她经常陪着女儿说话，告诉她，“一切都在变好，你也会慢慢变好。”

一位业内专家建议，以罕见病药品为试点，优化罕见病药品进口流程，为药物研发、审批上市等提供强有力的政策支持与保障。尝试建立“罕见病药品进口便利化”试点，基于风险原则制定罕见病药品的专项进口检验办法，采取减少检验批次，以关键质量和安全指标代替全检，平行检验，适当减少样品数量等方式

上图为2022年3月，山东大学齐鲁医院副院长、血液科主任彭军（右）在查房。

左图为2024年两会闭幕后，彭军收到的罕见病患者家庭寄来的信件。

受访者供图

持续优化进口药检流程。

## 建立多层次医疗保障支付体系

2月26日，法布雷病患者小茵（化名）告诉记者，目前在用药后各项指标稳定，病情明显延缓发展。法布雷病患者人数极少，“目前在北京登记注册的法布雷病患者家庭不到三十个。”北京法布雷病患者群负责人、法布雷病患者家属王兰（化名）介绍，一个家庭往往存在多人患病的情况。这些患者若不进行有效治疗，会对多个器官产生损害，甚至危及生命。

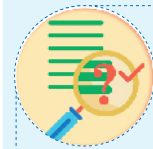
之前，该疾病的长期酶替代治疗药物一年费用高达一百万元以上，且需终身服用。2021年5月，法布雷病患者群体抱着试一试的想法在人民日报健康客户端看病用药投诉留言板留言，诉求是解决法布雷病患者用药难、用药贵的问题。

如今，法布雷病的特效药瑞普佳已被纳入到国家医保药品目录。“单针价格由1.2万元降至3100元，经过医保报销后，多数病友一年自费大概3万~5万元。”王兰说。

全国政协委员、对外经济贸易大学保险学院副院长孙洁告诉记者，多年来探讨和研究发现，建立多方筹资、多层次支付的医疗保障机制，能有效解决罕见病高值药的支付问题。建立罕见病专项保障基金是多层次医疗保障支付体系中的重要一环，目前浙江、江苏等多地探索和实践建立罕见病专项基金，建议总结地方经验，开展罕见病专项基金地方试点，推动国家级罕见病专项保障基金的建立。

“得到这么多关注和支持，我们对未来充满信心。”小茵说。

## ■投诉留言



## 回诊能否签到 避免“插队”尴尬？

健康时报记者 刘静怡

“去医院检查完再找大夫，就得站在门口等别的患者出来了赶紧进去，插队回诊非常尴尬。医院是否也能回诊签到？”2月27日，北京市朝阳区孙女士在人民日报健康客户端留言。

2月27日，健康时报记者实地体验了解到，北京朝阳医院本部及常营院区已上线复诊签到功能，由医生开具检查，检查完毕后患者在签到机器上再次签到，即可按顺序等待叫号。此外，北京大学人民医院怀来院院区、北京清华长庚医院同样可以回诊签到。北京中医药大学东直门医院、首都医科大学宣武医院、北京中医医院等医院表示已有不少患者反馈，将进一步考虑推动功能落地。

“这一功能主要是为了解决患者当天检查完再就诊的麻烦，让回诊的患者能够尽早进入排队序列设置，同时也能医生营造一个有序的接诊环境。”北京大学人民医院怀来医院发文表示。



## 男方可以领取生育津贴吗？

健康时报记者 谭琪欣

2月14日，北京市朝阳区王先生在人民日报健康客户端留言提问，妻子要准备生娃，听说男士也可以领取“生育津贴”，具体应该如何领取呢？

生育险并非女性的特权，男方若连续缴纳生育险，也是可以在妻子生育期内享受生育津贴的。2月14日，12333社保热线电话工作人员回复健康时报记者称，男性在合法配偶生育后也可以领取生育津贴，但要求是必须为在职职工，且由单位持续缴纳社保10个月以上才行，男性的生育津贴内容跟女性有所不同，只包含2项：陪产假、报销相关手术费用。

人民日报健康客户端

留言板直通车

我给两会提建议

2025两会健康策

购药用药

医院看病

医保报销

疾病预防

困惑事、烦恼事、求助事.....均可留言  
我们会把你的留言传递给代表、委员

献策入口

文策/张博博 吕庆凯 赵利/刘恩宏 设计/陈林微