

迈向全民健康这五年③▶▶▶

建立全国诊疗协作网络 开通药物上市绿色通道

# 应对罕见病 中国在行动

本报记者 熊建



罕见病是一类发病率和患病率极低的疾病，但由于中国人口基数大，罕见病在中国仍有较大群体，估计发病人数超过2000万。罕见病是医学问题，也是社会问题。

党的十八大以来，在党中央、国务院的坚强领导下，国家卫健委、国家药品监督管理局、国家医疗保障局等有关部门在罕见病的诊疗、药品准入及医疗保障方面推出了一系列政策措施，无不揭示着中国在推进罕见病防治事业和推行全民健康国家战略目标上的决心。

左图：2019年，国家卫健委发布通知，要求各地重视罕见病病例诊疗信息登记工作，并做好组织管理、信息登记和日常管理。  
王 鹏作（新华社发）

“在罕见病的诊疗方面，中国做的工作真的非常惊人，贡献也是很惊人的。”国际罕见病联盟主席杜汉在日前举办的“2020年中国罕见病大会”上如此表述。

此次大会由国家卫健委、国家药监局指导，中国罕见病联盟主办。与会人士就中国这些年应对罕见病的成效和经验，进行了深入探讨。

北京协和医院院长、中国罕见病联盟理事长赵玉沛院士表示，近年来，在健康中国战略的指导下，罕见病防治工作得到了党和国家的高度重视，各项推动罕见病防治工作发展的政策密集出台，中国罕见病相关工作迈向了新的阶段。

## 中国约2000万人被罕见病困扰

据国家卫健委罕见病诊疗与保障专家委员会主任委员、北京协和医院副院长张抒扬介绍，罕见病是指“在一般人群中很少或很少发生”的疾病，通常是慢性的、退行性的、危及生命的，往往严重影响人们的身体、感觉、精神或智力能力。

在已经制定罕见病政策的国家中，美国将“罕见”定义为受影响人口少于20万人。欧盟设定的门槛是每1万名公民中有5人。日本和韩国规定，罕见疾病患病率为0.4‰。

世界上有超过7000种罕见疾病，而且数量在不断增加，每年大约有250种新疾病加入名单中。据估算，全球受罕见病影响的人群有2.63亿—4.46亿人，中国约有2000万人。

张抒扬表示，罕见病是一个日益显现的社会问题，不仅影响到人们的

生命健康和生活质量，也使得受其影响的个人与家庭在医疗、教育、就业、社会融入和社会保障等诸多方面遇到重重阻碍，甚至陷入生活的绝境。疾病所造成的社会不平等严重剥夺了人们有尊严地生存和发展的权利。

应对罕见病，面临缺医少药的困境。“能看罕见病的医生比罕见病人还要少。”四川大学华西医院神经内科副主任商慧芳说，“很多罕见病没有纳入医学院校的课程，需要在工作中去积累经验。但如果毕业后进入的并不是非常大的医院，几年都没有见过这种病，如何从中学到诊疗经验？”

据张抒扬介绍，目前几乎没有罕见病可以被治愈，只有5%—10%的已知罕见疾病有药物可治疗。

## 病罕见，爱常在

病罕见，爱常在。各界对罕见病人的关爱，首先体现国家的重视上，其次体现在各种组织机构的建立上。

2018年5月，国家卫健委、国家药品监督管理局会同其他部门发布了《中国第一批罕见病目录》，包括121种罕见病。并提出，目录今后会继续调整和扩充。之后，一系列与罕见病医疗保障相关的政策和措施相继出台。

2018年10月，中国罕见病联盟成立。联盟由超过50家医疗机构、大学、科研机构和企业等共同组成，自成立以来，在聚集研究人才、融合学科优势、强化协同创新、连接各界推动中国罕见病事业发展方面，开展了卓有成效的工作。推动多学科诊疗，开展罕见病诊疗培训，开展罕见

病注册登记和推动罕见病直报；开展理论与政策研究，探索中国特色的罕见病药物和医疗保障方案。

2019年2月，国家卫健委发文明告建立全国罕见病诊疗协作网，首批医院包括全国各省份的324家医院。

中国还建立了中国国家罕见病注册系统，以期形成统一的罕见病注册统计的技术规范和标准，从而联合全国罕见病研究的优势单位，形成协作网络。

“中国建立了全国罕见病网络，我觉得这是非常出色的工作。”世界卫生组织罕见病全球协作网顾问马特说，“这些医院可以联合起来，形成全球罕见病网络的枢纽，形成医院和患者组织的联系纽带，能够相互合作，去支持罕见病患者。这些枢纽应该最终成为国际范围内的罕见病研究、教育、技术发展的灯塔。”

在中国罕见病联盟和北京协和医学院等单位的大力推动下，一系列具有重大临床意义的医学指南相继出版，包括2018年的《中国第一批罕见病目录释义》和《罕见病诊疗指南（2019年版）》。

## 36种药品纳入国家医保目录

罕见病之所以难以诊断，因为很多情况下涉及多学科。“有时候这个病人并不只是一个系统受累，如果医生的知识面很局限，那就会造成延误诊断，所以多学科合作在罕见病诊疗过程中非常重要，这也是为什么很多家医院都建立了多学科的合作门诊、转诊团队，共同为罕见病人服务，这也是提高诊疗能力的一个方面。”商

慧芳说。

药物方面，据张抒扬介绍，罕见病药物的上市有了明确的绿色通道。2019年，新修订的《中华人民共和国药品管理法》明确规定，国家鼓励研究和创制新药，对临床急需的罕见病新药、儿童用药开设绿色通道，优先审评审批；对于治疗严重危及生命且尚无有效治疗手段的疾病的新药，在临床试验已有数据显示疗效，并且能够预测临床价值的条件下可以附条件审批，以提高临床急需药品的可及性。

“这缩短了临床试验的研制时间，使那些急需治疗的患者能第一时间用上新药。对于罕见病患者而言，无疑是极为有利的政策。”张抒扬说，自2018年以来，已经有38种急需的罕见病用药，因符合国家药品监督管理局快速简化审批的条件而被批准上市。整体来看，有61种可以治疗中国第一批罕见病目录内疾病的药物已经在国内上市，其中，有36种药品已纳入国家医保目录。

国家药监局副局长陈时飞指出，国家药监局建立了罕见病药品的优先审评审批程序，为符合要求的临床急需境外已上市罕见病药品建立了快速通道，60天内完成审批。在满足临床急需方面，已经遴选发布了两批临床急需境外新药评审的名单，其中罕见病治疗药品超过总量的50%。

工信部副部长王江平指出，工信部印发的蛋白类生物药和疫苗重大创新发展实施方案和医药工业发展规划指南中，均将罕见病药物列为重点支持对象。并将罕见病药物产业化项目纳入产业转型和技术改造专项支持范围，将临床急需的罕见病药品纳入工程化攻关重点任务。

# 内蒙古不断完善医疗保障制度 加大对贫困人口支付倾斜力度

本报呼和浩特11月2日电（记者张彬）日前，记者从内蒙古自治区医疗保障局召开的新闻发布会上获悉：今年以来，内蒙古医保部门不断巩固完善基本医疗保险、大病保险和城乡医疗救助三重保障制度，形成综合保障机制，梯次减轻参保患者医疗费用负担。

据悉，截至9月底，内蒙古全区基本医疗保险参保人数为2171.6万人（职工为540.4万人、城乡居民为1631.2万人），参保率达到95%，政策范围内报销比例分别达85%和75%左右。全区14个统筹区全面实现基本医疗保险基金市级统筹统收统支。2020年内蒙古全区城乡居民医保财政补助标准达到每人550元，个人缴费280元，各级政府财政补助水平达总筹资金额的66%。

同时，内蒙古提高大病保险倾斜力度，增强医疗救助托底保障功能。大病保险实现城乡居民医保参保人员全覆盖，降低并统一大病保险起付线为1.4万元，政策范围内支付比例达到60%以上。目前，特困人员、低保对象、农村建档立卡贫困人口在年度救助限额内住院救助比例达到70%以上。

内蒙古还对建档立卡贫困人口实施动态监测，确保建档立卡贫困人口应保尽保，加大大病保险对建档立卡贫困人口的支付倾斜力度，起付线降低50%，支付比例提高5个百分点，全面取消建档立卡贫困人口大病保险封顶线，将贫困人口大病集中救治病种扩大至30个并确定支付标准，基本解决了建档立卡贫困人口基本医疗有保障问题。截至目前，各地建档立卡贫困人口在普通门诊、门诊慢病、住院费用报销等方面均符合国家政策规定要求。

此外，面对突发新冠肺炎疫情，内蒙古医保部门及时会同财政、卫生健康等部门，相继出台多项特殊医疗保障政策措施，确保确诊、疑似患者和医学观察人员不因费用、目录限制等问题得不到及时救治，确保救治定点医院不因支付政策影响救治。截至9月底，完成新冠肺炎（确诊及疑似）患者结算347人次，结算金额达380.37万元。印发阶段性减征及缓缴职工基本医疗保险费实施方案，支持企业复工复产，已为企业实际减负14.74亿元。采取“先预拨后清算”的模式，向定点医院预拨上半年医保基金21.13亿元，缓解医疗机构受疫情影响面临的资金压力。及时出台便民政策，实现医保服务“不见面办”“及时办”“便民办”“延期办”“放心办”，简化参保人员异地就医备案手续。

医声▶▶▶

## 第十九届“产业集群与区域发展”学术会议召开 生物医药创新集群开始显现集聚趋势

本报北京11月2日电（记者熊建）10月31日，第十九届“产业集群与区域发展”学术会议（专题会议）在北京中关村药谷生物产业研究院举行。会议以“跨越分隔 重塑纽带——生物医药产业集群发展探索”为主题，聚焦生物医药产业，从培育创新体系、服务公众健康着眼，探索生物医药产业发展新方向。

北京市大兴区副区长杨蓓蓓致辞时指出，目前京津冀生物医药产业集群式合力发展的愿望越来越强烈，希望通过本次会议，广大生物医药产业的从业者能够汲取各位专家的研究成果与其他地区的发展经验，努力京津冀生物医药产业集群做大做强做出贡献。

会议总召集人、北京大学城市与区域规划系教授王缉慈表示，中国生物医药产业的技术创新与发达国家相比还有一定差距。鼓励国产创新药的发展，需要借鉴全球生物医药创新集群的发展经验。创新集群是企业制定竞争战略、开发核心产品和研究关键技术的地方；是整合本土优势、在全球获得竞争优势的母国基地。生物技术的前沿创新扎根于基础科学研究，从创新到市场化，需要经历漫长的研发实验，面对各种失败与挫折。同时，生物技术基础研发具有多学科性质，需要跨学科的分工协作网络，因此集聚机制特别重要。

据介绍，中国90%以上的地级市都有生物医药企业，其中30%集中在北京、上海、深圳、成都、重庆、广州、天津、苏州、石家庄、杭州等10个城市，集聚趋势开始显现。

## “生命英雄·免疫英雄”推选活动启动

本报北京11月2日电（记者喻京英）为助力织密织牢公共卫生防护网，构建强大的公共卫生体系，进一步展现新时代公共卫生队伍的精神风貌，“生命英雄·免疫英雄”推选宣传活动10月31日在北京正式启动，广州、沈阳、重庆、杭州、成都等10个分会场同步视频参加。

免疫规划工作者既是侦察兵，又是战斗员，与百姓的健康息息相关。启动会上，健康报社党委书记、社长邓海华介绍，在新冠肺炎疫情防控阻击战中，包括疾控人员在内的广大卫生健康工作者不惧生死、冲锋在前，为疫情防控取得重大战略成果做出了贡献。公共卫生人员通过流行病学调查，科学研判疫情走势，开展核酸检测和环境消杀，与病毒零距离接触，默默地守护着人民群众的健康。他们是不畏生死、不计回报的幕后英雄。

据介绍，“生命英雄”推选宣传活动是在国家卫生健康委相关司局支持下，由健康报社发起的一项品牌公益活动，迄今已连续开展了7届。活动旨在弘扬医药卫生、免疫规划等领域工作者敬佑生命、救死扶伤、甘于奉献的职业精神，展示卫生健康工作者的良好精神风貌。本次活动将寻找那些默默奉献的免疫规划工作者，并通过多种渠道传播免疫规划工作者为保障群众健康服务的奉献精神。活动预计历时6个月，最终评选出96位优秀者。

## 黑龙江中药材种植面积增44.4%

本报哈尔滨11月2日电（记者张艺开）记者从日前召开的第二届黑龙江中药材种植和产业发展高峰论坛上获悉：2020年，黑龙江全省中药材种植面积达到260万亩，同比增长44.4%。目前，全省中药材累计获得国家地理标志认证19个，刺五加、板蓝根、关防风等药材品种在国内市场占有率有较大份额和影响力。

据介绍，黑龙江成立了全省中医药发展领导小组，编制出台了《黑龙江省中医药产业发展规划》，确立了全省中医药产业千亿元目标，将之作为推进脱贫攻坚、促农增收的重要产业，从政策引领、项目支撑、人才资源、营商环境等多个层面给予倾斜扶持。



来自辽宁省沈阳市法库县的王唯佳是罕见病“庞贝病”患者。“庞贝病”会导致肌肉无力，脊椎侧弯，还有呼吸暂停的危险，每步行走都很困难，但他凭借顽强的毅力在今年高考中取得了662分的好成绩，被南开大学计算机类（信息科学与技术类试验班）录取。

病魔让王唯佳步履蹒跚、身形消瘦，脊柱愈发向右弯曲，身高和肌肉力量也远低于同龄人。躺着是

## “庞贝病男孩”向着梦想出发

王唯佳缓解身体疲劳最直接的方式，但为了学习，他每天要坐10多个小时。3年高中时光，王唯佳每天早上不到6点就起床，一直到晚上10点下晚自习。即使肌肉无力让他连写字都困难，即使从教室到洗手间仅70多步的距离要走10多分钟，即

什么时候，他身边总有一个同学，伸出一双手，借给他一个肩膀；为减轻这个农村家庭的经济负担，学校给他母亲安排了保洁工作，还给他安排了单独宿舍；爱心人士给王唯佳捐款捐物……爱与坚强让王唯佳的生命更加灿烂。

9月10日，王唯佳和父母乘坐着G400次高铁从沈阳北站出发，奔赴南开大学，开启新的人生。

新华社记者杨 青摄

使需要整夜使用呼吸机，王唯佳从来没有想过偷懒和放弃。

王唯佳得到学校和社会的极大关爱。他走路不稳经常摔跤，高中三年来就一直坐在讲台边上离门口最近的位置，他所在的班级为了他没换过教室，一直留在一楼；无论