



百种小品种药实现稳定供应

赶走『药荒』不再『心慌』

本报记者 王美华



在市场上，小品种药（短缺药）是部分患者急需的救命药，但由于利润低、成本高、市场需求小等因素，供应不稳定，有时甚至出现断货。一旦出现短缺，不少患者或被迫购买高价进口药，或面临无药可用的境地。小品种药关乎民生，如何保障这些临床必需的小品种药供应稳定？国家相关部门出台对策。

唑片出现“药荒”问题，有的地区甚至“一盒难求”；2017年初，可治疗“肝豆状核变性”这一罕见疾病的药物“青霉胺片”在全国范围内出现大面积断货停产；2019年年中，部分心血管疾病患者的“救命药”国产硝酸甘油一度在国内多地断货……

“小品种药短缺现象的成因十分复杂。”上海医药副总裁、上药信谊董事长顾浩亮表示，除了原料短缺的核心问题外，还涉及工艺因素、环保因素、市场因素、成本因素等多个方面，因此小品种药的保供一直都是世界性难题。

小品种药短缺时有发生，“救火式”应急只能解一时之困，建立保障药品供应的长效机制才是长远之计。

2017年6月，原国家卫生计生委、工信部等9部门印发《关于改革完善短缺药品供应保障机制的实施意见》，提出完善短缺药品监测预警和清单管理制度，建立短缺药品供应保障分级联动应对机制，实行短缺药品供应保障分类精准施策。

2018年2月，针对小品种药市场用量小、企业生产动力不足等实际情况，工信部会同有关部门印发《关于组织开展小品种药（短缺药）集中生产基地建设的通知》（以下简称《通知》），共同组织开展小品种药集中生产基地建设。

2019年，两批小品种药集中生产基地名单发布，认定共6家企业分别牵头组建联合体。通过协调解决小品种药文号转移、委托生产、集中采购、供需对接等问题，支持企业集中产业链上下游优质资源，推动落实集中生产基地建设目标任务。

2020年底，中国实现了100种小品种药的集中生产和稳定供应，小品种药供应保障能力日益增强。

构建小品种药长效保供的闭环管理体系

百种小品种药集中生产和稳定供应，是如何做到的？

《通知》明确，建设小品种药集中生产基地的企业应是医药工业百强企业，拥有20种以上小品种药生产文号和原料药配套生产能力，符合在产药品（疫苗）剂型全、质量控制能力强、配送网络覆盖广等要求，能够履行稳定生产和保障供应的责任义务。

经过考察评估，2018年7月，在工信部、卫健委等部门的指导支持下，上海医药集团股份有限公司联合国内24家重点医药企业成立全国首家药品供应保障联合体（以下简称“药联体”），2019年有两家企业新

加入药联体，保供队伍进一步壮大。

药联体以责任书形式，明确成员单位需定期报送保障品种生产计划、库存及市场供应等情况，着力搭建短缺药信息交流平台，实施药品停产报告制度，逐步建立药品研制、生产、储备、供应（经营）全过程的有效管控和预警机制，构建小品种药（短缺药）长效保供的闭环管理体系。

“作为国家首批小品种药（短缺药）集中生产基地，我们承诺的保供品种有32个。”顾浩亮表示，当前上药集团已投资2亿元，开展小品种药集中生产基地建设，通过产业投资扩大了产能，形成了小品种药规模化生产，为全国短缺药及国家基本药物的供应提供基础保障。

“要解决小品种药（短缺药）的供应问题，核心是要解决原料药和其他原材料的配套供应问题。”顾浩亮表示，药联体成员单位覆盖贸易、原料、辅料、包材、制剂、研发等产业链上下游生产企业，所有成员单位达成共识，构建长期、稳定的药品供应保障体系，促进原料制剂产业链一体化。

从“救火式”应急迈向常态化保障

短缺药中不乏一些罕见病药物。在中国，尽管罕见病发病率低，但由于人口基数大，患者群体超过2000万人，不少罕见病患者面临用药难困境。

2018年，国家五部委联合发布

了《第一批罕见病目录》，共纳入121种罕见病。

“上海医药是国内拥有罕见病药品批文最多的企业，目前现有产品中，被用于治疗罕见病的共有17个品种，涉及18个适应症。自2019年下半年推进罕见病业务平台以来，目前已恢复了维A酸片等4个产品的生产。”顾浩亮说，目前上海医药也将罕见病药物作为企业四大创新发展板块之一，确保供应。

“短缺药的供应保障是重大民生问题，也是药品生产企业履行社会责任的体现。”顾浩亮表示，他们从患者用药需求出发，提升生产供应量，同时与国家卫健委商议药品价格，以减轻患者治疗负担，确保短缺药不再短缺。

“我们也要求药联体各成员单位不以量小而不为，不以利小而不为。因为对于药品生产企业来说，承担社会责任也能保障企业的长远发展。”顾浩亮说，6家重点企业开展集中生产基地建设是实现短缺药供应“未雨绸缪”最直接、准确、有效的方式，从而保障短缺药品供应从“救火式”迈向常态化、系统化。

“我们已经将小品种药保障工作提升为企业重要的发展战略之一。”顾浩亮呼吁更多企业加入到药联体中来，通过这一平台加强与政府间的沟通，促成市场化的保供机制，同时丰富保供产品范围，进一步加强短缺药研发，探索短缺药、罕见病用药国家医保和高保政策的结合机制，让更多的老百姓吃上放心药、低价药，努力争取让中国2000万罕见病患者有药可医。

医说新语

患者也是医生的老师

张宏伟

求医过程中，患者和家属听得最多的就是：一定要遵医嘱，听医生的话，只有这样，疾病才能治好。临床上，这甚至已经成了“金科玉律”和“真理”。但在前几天的门诊上，就遇到了一位没听医嘱、反而受益的患者。

这是一位61岁的海绵状血管瘤患者，15年前因左侧面部麻木、疼痛，来门诊找到我。看过影像资料，结合症状，我判断为海绵窦内的海绵状血管瘤，大小约4厘米。

这个位置的海绵状血管瘤和颈内动脉、眼球运动神经等重要结构关系密切，手术难度大，以当年国内外的手术水平做这种类型的手术，风险非常大，甚至很多神经外科医生那时还将这种肿瘤错误诊断为“脑膜瘤”。因此，我当时建议患者先放疗，再定期复查，根据复查结果决定下一步治疗方案。我给出的这个诊疗方案基本上也是当时医学界的共识。

但患者却担心：放疗使肿瘤缩小后，与其他神经组织粘连得更加紧密，以后连手术都不能做了。就这样，患者没有听医生做放疗的建议，而是选择了不去管它。令人奇怪的是，患者彻底拿定主意后，面部麻木症状持续了几个月后消失了。

这期间，患者还是定期复查，每一次复查发现肿瘤都没有变大，也没出现任何不适症状，日常工作也不受影响。患者退休后还游山玩水去了很多国家，对待生活积极向上、乐观。

前不久，患者又感到左侧面部麻木，“是不是肿瘤变大了？”有点忐忑不安，又来到门诊。通过检查，发现肿瘤大小、体积和15年前几乎完全一样，尽管现在手术切除这个肿瘤已经不是很难的事情，但鉴于面部麻木症状不重、肿瘤也未明显增大，我还是建议患者继续观察，如果期间出现了新症状，再及时就诊。

这位患者15年前跑遍了北京各大神经外科突出的医院，医生给出的治疗意见，可以说在当时的医疗水平条件下，代表了国内最顶尖医生的权威看法。但患者“硬”是没有听医嘱，按照自己的想法行事，从现在来看患者的选择是正确的。目前国际上对海绵窦内海绵状血管瘤的治疗指南中有一条：对个别患者可以进行医学观察。

这个病人的求医历程给了我深深的触动：医学不是万能的，是有局限的，它是一门实践科学、是在不断发展进步的。在这个发展过程中，患者才是医生最好的“老师”。或者说医学本身就是不完美的，这种不完美不仅体现在医学和医生在某种疾病治疗上的无能为力，也体现在医学和医生对某种疾病认识程度上的局限性。但正是这种不完美和局限性，才鞭策医生孜孜以求，促进医学不断进步，攻克医学难题。疾病是医生和患者共同的敌人。

在15年前的技术水平条件下，医生对海绵状血管瘤这种疾病的认识程度，从治疗上来说只有两种：手术为首选，如果无法手术就要放疗。但这位患者的就医历程告诉我们，一直不生长的情况也是存在的。目前这也成为了神经外科界对海绵状血管瘤疾病的共识。相信这个共识的取得，是很多医生经历了像我遇到的这位患者的经历后收获的。

最后还是要提醒患者，不要因为一个个案，就否定了遵医嘱的重要性，以为就可以不听医生的建议了。医学是一门经验科学，医生给出的治疗建议，往往是在治疗了成百上千、上万患者后得出的经验，甚至是整个业界对疾病的共识。这些共识和经验适用于绝大多数甚至99%以上的患者，所以大家还是要遵医嘱，听从医生的治疗建议。

（作者为首都医科大学三博脑科医院神经外科主任）

2型炎症性皮肤病临床研究与均质化诊疗项目启动 建设全国协作网 对抗过敏流行病

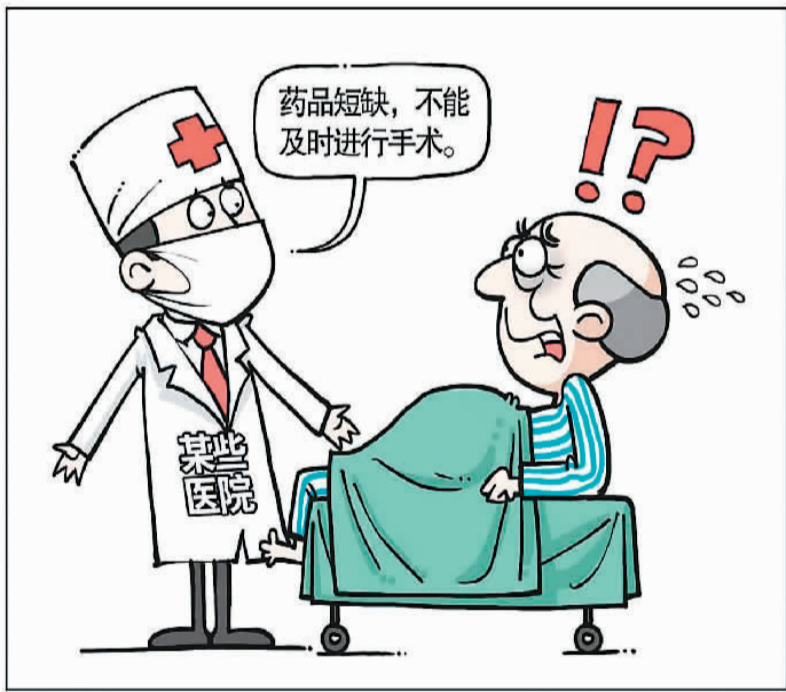
本报北京电（记者王美华）日前，中国2型炎症性皮肤病临床研究与均质化诊疗项目暨2型炎症相关皮肤病全国协作网建设项目在北京启动。该项目由国家皮肤与免疫疾病临床医学研究中心与中国医药教育协会联合主办，计划在2021年首批建立至少100家符合标准的2型炎症性皮肤病协作单位，多方联手搭建专注2型炎症疾病领域的规范化诊疗中心。

什么是2型炎症性皮肤病？国家皮肤与免疫疾病临床医学研究中心主任李若瑜介绍，它是指一系列和过敏相关、以2型炎症为发生机制的疾病，例如特应性皮炎、荨麻疹、结节性痒疹、自身免疫性的大疱病，很多是高发常见病，患者罹患其中一种后，患其他2型炎症疾病的风险会增加，疾病共存易加剧疾病负担。需要重视的是，2型炎症的免疫机制决定了过敏性疾病是一种系统性疾病，症状长期且可能反复发作。

由于患者和医生认识不足、长期规范治疗比较欠缺，中国2型炎症疾病规范化诊疗管理水平有较大提升空间。

“本次启动的项目希望通过建立规范化诊疗流程和临床规范，提高医生规范化治疗的认知和实践，从深度和广度全面提高皮肤科在此领域的诊疗和科研能力。”国家皮肤与免疫疾病临床医学研究中心常务副主任、北京大学第一医院皮肤科主任李航表示，要在全国范围内普及均质化诊疗路径，帮助患者实现早期诊断和规范治疗，让老百姓享受到高水平、均质化的医疗服务。

该项目还将建设中国2型炎症性皮肤病临床诊疗数据库，长期追踪患者生活治疗、诊疗结果，探索中国2型炎症性皮肤病临床特征与诊治规律，建立有中国特色的2型炎症性皮肤病诊疗路径。借助项目，协作医院将广泛开展临床研究、学术交流、人才培养、成果转化、推广应用和科普宣教，并且通过技术培训和远程教学等途径，提高中国2型炎症性皮肤病的诊疗均质化水平。



大巢作（新华社发）

多方构建诊疗生态圈 中国血友病“0计划”启动

本报北京电（记者熊建）4月17日是世界血友病日，中国红十字会、基金会、中国血友病协作组、北京生命绿洲公益服务中心、北京血友之家罕见病关爱中心与罗氏制药中国，共同举办中国血友病“0计划”暨中国血友儿童生存调研启动发布会。

活动旨在聚集各方力量，进一步建立完善血友病诊疗生态圈，给予患者及其家庭全方位的支持。项目将组建专家委员会与临床组、检验组、护理组、儿童组、平台组，助力血友病诊疗实现从专业领域到疾病科普等各方面的升级完善。

据介绍，血友病是一种遗传性凝血障碍性疾病，其特征是活性凝

血酶生成障碍，凝血时间延长，患者终身具有轻微创伤后出血倾向，重症患者没有明显外伤也可发生“自发性出血”。

南方医科大学南方医院血液科副主任孙竟说：“血友病最常见的出血表现为关节出血。如果形成靶关节，也就是关节持续反复出血，则可能导致慢性滑膜炎，进而破坏软骨导致关节僵硬，最终形成关节功能障碍、畸形和残疾。因此，预防靶关节是血友病日常管理的一大重点，于血友病家庭而言也是一大难点。”

项目专家委员会成员、中国医学科学院血液病医院血栓止血诊疗中心主任杨仁池表示：“中国血友病‘0计划’代表着患者们‘0出

血’‘0关节’的梦想，也意味着诊疗路径的闭环。这些目标不仅依赖于创新、有效的治疗手段，更离不开社会各界的群策群力，在血友病诊疗的各个环节，真正做到‘以患者为中心’的全程管理。”

规范化预防治疗是帮助血友病患者回归正常生活的重要治疗方法。非因子治疗作为《血友病治疗中国指南（2020年版）》推荐的预防治疗方式，开启了血友病预防治疗的新时代。

“艾美赛珠单抗作为首个非因子治疗药物，能显著降低患者出血风险。一项专注于中国患者的临床试验显示，接受艾美赛珠单抗预防治疗的患者出血风险显著降低96%。”首都医科大学附属北京儿童医院血液肿瘤中心主任吴润晖说，“不同于传统预防治疗需要频繁静脉注射，艾美赛珠单抗每周一次皮下注射的给药方式，解决了尤其是儿童患者的静脉可及性及依从性难题，让更多中国血友病患者有机会回归学校，健康成长。”

基层医护听诊能力提升计划在海南澄迈启动

培训儿科医生 听懂孩子“心”声

本报海口电（记者黄晓慧）4月20日，国家儿科基层医护培训项目——基层听诊能力提升计划在海南澄迈启动。根据这一计划，未来5年，全国将有10万名基层儿科医护人员接受听诊能力培训，以达到儿科医疗服务能力同质化的目标，让基层儿科医生更听得懂孩子的“心”声。海南省是这一计划的首个试点省，澄迈县则是海南首个实施培训项目的县。

据介绍，“基层医护听诊能力提升计划”利用人工智能技术培训基层医师的创新培训项目，在全国范围内进行先天性心脏病意识普及与推广，旨在提高基层医生对于这一疾病的筛查和诊治能力，提升基层儿科心血管专科队伍的能力水平。该项目由中华

医学会儿科分会牵头，依托中国医师协会儿科医师分会心血管病专委会组织实施，将人工智能技术与听诊基础技能培训相结合。基层医生在手机上即可进入模拟听诊场景，接受心音听诊技能培训。

数据显示，先天性心脏病是我国出生缺陷第一大疾病，占我国出生婴儿的比例高达8.9%，每年约有15万—20万先天性心脏病患儿出生。上海交通大学医学院附属新华医院院长孙锟教授表示，先天性心脏病患儿中的大部分可以根治，而且不会留下后遗症。但前提是能够及时发现、早发现、早治疗。“受限于我国基层儿科听诊筛查水平和基层医疗条件，先天性心脏病的漏诊率高达30%。很多患儿和家

长并不知道有病，失去了最佳治疗时机。而据我们2015年的调查，我国基层儿科医生32%仅有中专文凭，亟须提高专业的听诊能力”。

孙锟教授是此次“听诊能力提升计划”的主要研发者和领衔实施者。他介绍，与以往的对面对面培训不同，该项目运用了智能设备、培训套件对学员进行实训，结合理论学习，着重听觉、视觉两个维度强化培训，从而全面提升基层医生心音听诊技能。本次培训计划分为基础培训、进阶培训、专科培训等三个阶段，参与培训的医护人员在正式接受培训前需要先经过基础能力考核来决定受训课程。完成每个阶段培训后有对应的考核项目，最终依据学员完成的阶段颁发相应的资格证书。