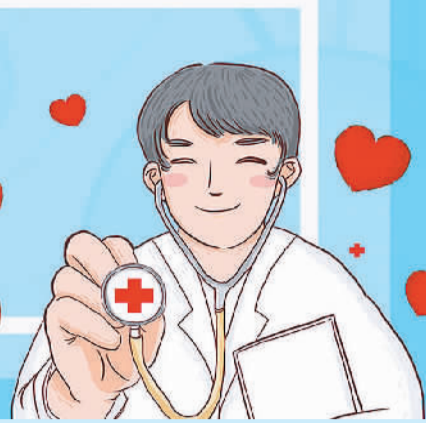


鼓励新药研发，动态调整目录，降低用药价格

# 罕见病防治 创出中国模式

本报记者 熊建



## 大健康观察

随着国家医疗保障制度的逐步完善，罕见病治疗及保障问题越来越受到关注。

在日前召开的2021年中国罕见病大会上，国家医疗保障局副局长李滔介绍，截至目前，国内共有60余种罕见病用药获批上市，其中已有40余种被纳入国家医保药品目录。2021年共有7个罕见病药品谈判成功，价格平均降幅达65%。

本届中国罕见病大会由国家卫健委、中国红十字会总会指导，中国罕见病联盟、中国红十字基金会、中国医药创新促进会、中国医院协会主办。

会上，全国人大常委会副委员长、中国红十字会会长陈竺表示，党的十八大以来，罕见病这一特殊领域日益受到国家和社会各方的关注。国家卫生、科技、药监、医保等相关部门通力合作，在加强政策研究和制度建设的基础上，通过制定罕见病目录、建立全国罕见病诊疗协作网、加强区域协作和远程支持等措施，形成工作合力，探索出破解罕见病防治难题的“中国模式”，共同推进罕见病防治与保障事业迈上了新的台阶。

## 关注罕见病 体现生命至上

罕见病的防治研究具有非常重要的意义。

国家罕见病诊疗与保障专家委员会顾问钟南山院士指出，第一，罕见病虽罕见，但在中国，任何一种罕见病的患者绝对数量很多，这是一个容易被忽视的弱势群体。对罕见病的关注体现了党和国家“生命至上”的国策。

第二，在临床医生对很多种疾病的分析综合中，罕见病常常是最后发现的或者确诊的，这实际上带动了我们对很多疾病诊断和鉴别诊断的认识水平。要搞清楚一个罕见病，必须要对很多所谓的常见病或者少见病要有比较多的认识以后，排除了以后，再经过一些特殊诊断来得到一个正确的结论，对很多疾病的认识会有一个很大的提高。

第三，中国对罕见病的深入研究将为国际上该领域的防治提供新思路。

## 研发有平台 提升供应能力

“十三五”期间，卫健、工信等五部门联合印发《第一批罕见病目录》，收录121种罕见病，目前83种治疗药品已在中国上市。

工业和信息化部副部长王江平表示，工信部密切关注罕见病患者用药需求，通过实施《医药工业发展规划指南》《“十四五”医药工业发展规划》等，引导企业加强研发治疗罕见病的特效药物，将罕见病药物产业化项目纳入工程攻关重点任务，推动建立罕见病药物研发平台，支持鼓励企业在罕见病药物研发中充分发挥主体作用。同时，将罕见病药物纳入小品种药、短缺药管理，开展集中生产基地建设和生产供应监测，推动罕见病药物供应保障能力得到持续提升。

王江平表示，工信部将着力打造良好产业政策和市场环境，持续推动医药产业高质量发展；着力调动科研机构、生产企业开发罕见病药物的积极性，尽快实现罕见病治疗药品研发生产；着力加强罕见病药物生产供应监测和供需对接，推

动建立短缺药品供应保障联盟，充分发挥国家医药储备蓄水池作用，为满足人民群众健康需求和美好生活向往不断作出新的贡献，一如既往全力支持罕见病防治与保障工作。

## 审批在优化 加快上市速度

“今年国家药监局新批准了利司扑兰口服溶液用散、布罗索尤单抗注射液等10个罕见病药品，用于治疗脊髓性肌萎缩症（SMA）、青年帕金森、高氨血症等罕见病。”国家药监局副局长陈时飞说，“这些药品填补了国内相关罕见病治疗用药的空白，为更多罕见病患者延缓病情发展、提高生活质量带来了希望。”

近年来，国家药监局不断优化审评审批程序，加快罕见病新药上市速度。

2020年，新修订的《药品注册管理办法》明确了将具有明显临床价值的防治罕见病的创新药和改良型新药纳入到优先审评审批程序，对于临床急需的境外已上市境内未上市的罕见病药品在7日内审结。在所有药品上市申请中，罕见病药物审评审批时限最短。

同时，将境外已经上市罕见病新药纳入专门通道审评审批。目前已经遴选发布三批临床急需境外新药品种名单，其中罕见病治疗药品超过遴选药物总量的50%。列入专门通道的罕见病治疗药品在3个月内审结。

陈时飞表示，国家药监局积极搭建沟通平台，陆续出台了《药物研发与技术审评沟通交流管理办法》、《接受药品境外临床试验数据的技术指导原则》等一系列技术指导原则，指导罕见病治疗药品的研发。同时加强与其他部门联动，配

合财政部对罕见病治疗药品实施税收优惠。首批21个和二批14个品种的罕见病药品按照简易办法依照3%征收率计算缴纳增值税，鼓励罕见病制药产业发展，降低患者用药成本。

## 好药入医保 价格大幅降低

自2018年成立以来，国家医疗保障局连续4年每年一次动态调整医保药品目录，累计将507种新药、好药纳入了目录，通过目录调整实现了用药保障范围不断扩大和结构的优化。

李滔指出，截至目前，国内共有60余种罕见病用药获批上市，其中已有40余种被纳入了国家医保目录，涉及25种疾病。同时，通过对罕见病药品的谈判准入，大幅度降低罕见病用药的价格，今年共有7个罕见病药品谈判成功，平均降幅达65%。尤其是脊髓性肌萎缩症注射液大幅降价纳入目录，从年均70万元的天价降至3万多元的平民价，再加上纳入医保的费用报销，基本上解决了脊髓性肌萎缩症患者用药问题，极大降低了患者的经济负担，挽救了不少罕见病患者的生命。

“但我们同时也应看到，目前基本医保定位仍是保基本，必须坚持尽力而为，量力而行。下一步，国家医保局将会同各方一道，共同采取一系列措施，不断推动罕见病患者用药的保障水平。”李滔说，一方面持续推进医保药品目录调整，对符合条件的罕见病药品优先纳入医保药品目录；另一方面，积极推进完善多重医保体系的建立，发挥基本医保、大病保险、慈善救助等多种保障作用，进一步提升罕见病的医疗保障水平。



新视野

## 破解罕见病“天价药”难题

熊先军

当前，绝大多数罕见病药品已经纳入医保范围，还有极少数没有纳入，重要原因之一在于这些药品价格太高，有的罕见病药品年治疗费用定价甚至在百万元以上。

### 罕见病药品价格应降低

近些年，罕见病药品价格的逻辑基本形成——由于罕见病患者相对较少，而罕见病药品研发费用高，所以罕见病药品价格较高，产生的医疗费用较多。因此，从逻辑推演看，要减轻罕见病患者的负担，需要提高其保障比例。

从定性的角度看，这个逻辑的因果关系是不错的，基本反映了市场经济规律的要求及一个国家的医疗保障的目的。患者的多少、研发费用的高低、药品价格的贵贱以及报销比例，实际上都涉及度量问题。假定罕见病药品的定价在欧美发达国家是合理的，我们就要比较影响价格的各个度量在中国和欧美

发达国家的关系。

罕见病患者相对于其他患者较少，这是肯定的。但由于中国人口基数大，国外可以被定位为罕见的疾病，在中国可能并不罕见。除了部分与人种相关的罕见病以外，理论上大多数罕见病发病率在不同国家是一致的。随着近年中国对罕见病的日益重视和医疗水平的提高，从人数来看，中国每一种罕见病患者的数量都远远大于欧美发达国家，也就是说，中国的罕见病市场要远远大于欧美发达国家。因此，从需求的角度看，罕见病药品在中国的价格就应当比欧美市场要低。

### 罕见病药品研发费用的成本分摊应合理

罕见病药品研发费用高，这也是事实。但研发费用高不是罕见病药品独有的特征，所有的创新药物研发费用都很高。目前罕见病药品一般是在欧美国家研发

的，研发费用对于药品生产企业而言是支出，对于其他产业而言就是收入。

研发费用的收入在欧美国家，研发费用的成本分摊也应该在欧美，不应该在中国这类的发展中国家。同时，罕见病药品一般首先在欧美上市，其后是在发展中国家上市，所以为什么要发展中国家来分摊一部分研发费用？治疗SMA（脊髓性肌萎缩）的诺西那生钠，研发费用约为10亿美元，它在欧美市场上前几年的销售额已经达到了20亿美元，企业的研发费用早就收回了，为什么还要发展中国家来分摊这类药品的研发费用呢？

研发费用是企业定价时要考虑的一部分，但药品价格与研发成本高低关系不大，最终由市场决定。如果企业方想卖高价，而市场无法接受，企业的报价就无法成为市场价格。

从目前纳入中国医保目录的药品看，大多数罕见病药品年费用不上万元，有的达10万元到20万元不

等，比一般药品要贵。但是贵要有度，特别是药品，作为必需品，再贵不能超过一个市场的购买能力。如果企业所卖的价格太贵，超过了市场购买能力，药就卖不出去，患者得不到治疗，保障就无从谈起。

一个药品的市场购买力，只能由一个社会的平均收入水平来决定。罕见病药品作为必需品不能细分为高端、中端、低端市场，特别是在我们这样一个发展中国家，罕见病患者绝大多数属于中低收入群体。因此，购买力的衡量就只能以绝大多数的收入、中下群体的水平来衡量。

### 罕见病保障机制应在现行多层次医保框架内发挥作用

根据测算，一种罕见病药品的年治疗费用超过30万元，就可视为天价药品。从这几年医保谈判的情况来看，罕见病药品在中国是可以降到年费用30万元以内的。随着罕见病药品竞争性增强，企业可能把药品年费用降至30万元以内。说明在竞争状态下，企业在药品定价低于30万元时往往依然有利可图。

面对中国这样市场广阔而购买力水平相对较低的情况，相关药企无论是否处于垄断地位，建议都先把昂贵的罕见病药品价格降下来，否则就没有市场。罕见病药品的医保准入，需要先谈价格再谈保障。

罕见病保障机制绝不是建立在天价药基础上的保障机制，也不是脱离现行的保障机制另搞一套，应该在现行的多层次医保框架内发挥作用。也就是说，罕见病保障机制应该是在基本医保、大病保险、医疗救助的基础上，通过政府引导，发挥慈善等社会力量的作用，使罕见病患者的负担减轻。

（作者为国家医保局医药服务管理司司长。本报记者王美华整理）

本报北京电（记者熊建）新冠肺炎疫情发生以来，世界各国都实施了一系列疫情防控政策，比如关闭学校工厂、关闭交通、取消公共活动等，这些措施对遏制疫情起到了效果，同时也给人们的日常生活带来不便，对社会经济造成了一定影响。严格的防控措施是否必须？哪些防控措施更有效？日前，由钟南山院士团队与腾讯公司联合发表的最新研究成果，让这些问题有了更确切的答案。

这项研究成果已发表在国际著名医学期刊《健康价值》上。研究表明，更快、更精准地实施防控，才能有效遏制新冠肺炎疫情。

### 防控要快

7-14天“起效”

借助大数据分析，研究者对措施实施时长和时间点对疫情控制的影响，进行了深入的计算分析。研究结果显示，大多数疫情防控措施在实施后约7至14天开始起效。而且，防控效果随着时间的推移而增强，在25至32天内达到最大效果，随后效果逐渐衰减。

研究还指出，在疫情暴发早期（感染缓慢增长期）实施的防控措施，措施越严格、持续时间越长，最终感染人数会越少。但是，处于疫情中后期（感染快速增长期）实施防控措施的话，结果则正好相反——防疫措施越严格，持续时间越久，最终感染人数反而增加。

论文第一作者孙继超博士指出，造成这一结果的原因并非疫情防控措施失效，而是反向因果关系导致：到了感染人数快速增长暴发的时期，才开始制定严格的管控措施，此时已经收效甚微。这意味“亡羊补牢”为时已晚，在疫情出现苗头的时候尽快行动，才能实现最大效果。

### 防控要准

三种政策效果最显著

研究者利用反事实推理模型对8种常见防控措施的效果进行了单独评估，以找出抑制病毒传播最有效的精准防控措施。8种防控措施包括关闭学校、关闭工作场所、取消公共活动、限制人群聚集、公共交通管制、居家生活建议、限制国内流动、限制国际旅行。

结果显示，在各国政府普遍采取的防控措施里，取消大型公共活动、关闭学校、关闭工作场所3项防控措施对病毒的抑制作用最为显著。研究者推测，这3项措施均属强制性措施，执行可行性和依从性更高，因此，更有可能对遏制疫情生效。

研究通过大数据分析找到了更可靠的证据，印证了疫情防控措施对抑制新冠肺炎疫情的定量影响，并建议在疾病流行的早期，实施更严格的疫情防控措施，以更好地遏制疫情。

## 山东东营：“健康下乡”暖寒冬



日前，山东省东营市东营区新区医院医护人员在龙居镇海棠小镇敬老院为老年人讲授冬季健康养生知识，通过讲解慢性病、养胃护胃、高血压等预防知识，增强老人自我健康管理意识，受到老人们的欢迎。 海霞摄（人民视觉）

医声

丁香园联合健康报发布报告

## 超七成基层医生对现状满意

线上学习成重要习惯

本报北京电（朱玉娟）日前，丁香园丁香医生数据研究院与健康报移动健康研究院联合发布了《2021中国基层医生洞察报告》（简称“报告”）。报告调研了1000余名四级及以下城市医院及基层医疗卫生机构的基层医生，综合分析指出，虽然接受调研的基层医生目前普遍感到工作时长、工作压力较大，且迫切渴望提高薪酬待遇，但同时保持着学习进步的心态，积极通过互联网线上渠道展开专业技能学习，对工作的整体满意度并不低，热情不减。

基层卫生服务体量虽然巨大，但是面对繁忙的工作，基层医生仍积极投身于职业发展。报告指出，基层医师的职业发展动力主要以增加收入、降低医疗风险为代表的基本需求，以及增长知识为代表的进阶需求为主。

接受调研的基层医生表示，他们的工作困扰主要体现在工作量大、要求高、收入水平较低等问题上。约超过60%的医生表示目前工作压力大或非常大。同时今年以来，超八成的基层医生遇到过非理性就医行为。同时，79%的基层医生都希望增加收入。

值得一提的是，在接受调研的基层医生中，超过七成都对目前的工作感到满意。由此看出，虽然基层医生普遍压力较大、客观物质条件不足，但他们对工作的整体满意度并不低，保有较高的热情。

在较高强度的工作下，基层医生对学习的热情却很高，学习时间占生活时间的比重达到近10%。他们会在工作日抽出近1.6小时用于学习，休息日的学习时间更是达到了2.2个小时。

过去，基层医生大多只能通过传统的线下渠道获得专业培训学习，现如今，线上渠道在基层医生群体中已达到很高的渗透率。98%接受调研的基层医生都表示曾在线上渠道上进行医学知识学习，丁香园、医脉通等医学专业网站及APP和医考培训类平台是他们最常使用的平台。另外，更有超一半的基层医生经常使用药物助手、药典等辅助诊疗工具，对线上学习工具表达出较强的需求。

钟南山院士团队与腾讯联合发表研究成果

疫情及时防控  
效果最大