

# 7种罕见病用药进入国家医保目录

■中国城市报记者 邢 灿

近日,《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录(2021年)》发布,共计74种药品新增进入目录,11种药品被调出目录。

值得注意的是,此次共有7种高值罕见病用药被纳入医保目录,其中包括脊髓性肌萎缩(SMA)治疗药物诺西那生钠注射液。这是自2016年以来,高值罕见病药物首次被纳入医保目录。

## 70万元一针罕见病药降价到3.3万元以下

什么是脊髓性肌萎缩(SMA)?公开资料显示,脊髓性肌萎缩(SMA)是一种常染色体隐性遗传性疾病,患者脊髓内的运动神经元受到侵害,会逐渐丧失包括呼吸、吞咽在内的各种运动功能,是导致2岁以下儿童中死亡的首位遗传疾病。

数据显示,我国目前约有

SMA患者3万多名。根据2020年发布的《脊髓性肌萎缩症遗传学诊断专家共识》显示,SMA发病率约为1/10000,人群携带率约为1/50。这意味着,大约每10000个活产婴儿中就有一个被诊断为SMA。

时间回到2019年2月,全球首个SMA治疗药物、渤健公司的诺西那生钠注射液获批在中国上市,这也成为了国内第一个治疗SMA的药物。当时一针诺西那生钠注射液售价近70万元,被患儿家长们称为“天价救命药”。

诺西那生钠注射液虽然在2019年获批,但因不符合医保谈判条件,因此并未参加当年的医保谈判。2020年医保谈判中,根据当时工作方案,虽然诺西那生钠注射液符合谈判标准,但因为未过综合评审,再次与无缘谈判。

在此次药品目录谈判中,诺西那生钠注射液经历8轮价格协商,最终以低于3.3万元/针(具体价格受保密协议保护未公布)的价格谈判成功。

除了渤健的诺西那生钠,7种被纳入医保目录的高值罕见病用药还包括武田旗下用于治疗法布雷病的药物阿加糖酶α注射用浓溶液。该药于2020年8月份获批进入中国市场,其年治疗费用也不便宜,达到百万元级别。

此次高值罕见病用药被纳入医保目录释放了怎样的信号?“一方面是反映了国家医保部门高度重视罕见病患者的用药保障工作,通过制度保障形式减轻罕见病病人用药负担。另一方面,对于符合条件的罕见病用药,国家医保部门会按程序纳入医保药品目录,应保尽保。”中国政法大学政治与公共管理学院副教授廖藏宜告诉中国城市报记者。

## 罕见病医疗保障任重道远

罕见病虽然被称为“罕见”病,但是种类非常之多。根据世界卫生组织的定义,患病人数占总人口数0.65‰至1‰的

疾病或病变即为罕见病。

资料显示,目前全球范围内已确认的罕见病约有6000种至7000种,占人类疾病的10%左右,其中80%是遗传疾病。

值得注意的是,和庞大的罕见病种类相比,这些罕见病中大约只有5%的疾病有治疗药物,目前大部分病症都处于无药可医的状态,进入国内市场后的药物更是少之又少。

中国药学会和中国医疗保险研究会此前联合发布的《医保药品管理改革进展与成效蓝皮书》数据显示,2009年版医保目录包含22个罕见病用药,覆盖13个病种的罕见病;2020年版医保目录包含45个罕见病用药,覆盖22个病种的罕见病。

相关专家表示,目前,我国罕见病药品的可及性和可获得性较低且保障水平不足。国外最新的药物进入国内难度大,即便进入,价格也高到难以承受。因此,需要进一步制定罕见病药品研发的鼓励性政策并

提供经费支持,健全罕见病药品的支付体系;加快已在国外上市、尚未在国内注册的罕见病用药在中国上市。

## 进入医保目录仅仅是第一步

在受访专家们看来,进医保只是高值药品迈向普通老百姓的第一步。

业内人士介绍,罕见病用药入保的执行也是医保体系落地的“深水区”,牵涉到各地地方医保和商保细则的更新落实,在新的医保目录落地后,定点医疗机构和定点零售药店的“双通道”需要尽快满足药品供应保障和临床使用,打通患者用药“最后一公里”。

医药战略营销专家史立臣在接受中国城市记者采访时提醒,虽然成功纳入医保报销范围,会极大地减轻无数家庭的治疗负担,但高值用药进入医保目录并不意味着患者就可以完全免费了,乙类药物的报销比例有限。

廖藏宜向记者表达了相似的观点:“纳入医保目录以后,相关部门还应进一步跟踪了解患者实际的负担水平。由于高值罕见病用药价格本身较高,除去报销部分,患者可能还需要自己承担很大一部分。这种情况下,相关医疗救助或慈善机构应及时进行跟进,进一步减轻患者经济负担。”

与此同时,廖藏宜提醒,相关部门还要跟进关注用药保障问题。很多罕见病用药,由于用量极少,流通和储备的成本很高,对疫情等因素表现得更为敏感,极易出现断供。相关部门要谨防出现罕见病用药进得了医保,进不了医院的现象。

此外,廖藏宜建议加强进入医保后的药品质量跟踪,防止药品降价之后出现质量下降。相关部门要加强管理,对参与降价的药品严格把关。



# 国家医保局:跨省异地就医住院费用直接结算已覆盖全国

■中国城市报 张芝桃

12月10日,国务院新闻办公室举行政策吹风会,国家医保局相关负责人介绍了跨省异地就医直接结算工作进展情况。

目前,跨省异地就医住院费用直接结算服务已覆盖全国所有省份、所有统筹地区、各类参保人员和主要外出人员,接入联网定点医疗机构5.29万家,基本实现定点医院的全覆

盖以及每个县至少有一家联网定点医院的目标。今年1—11月,全国住院费用跨省直接结算397.62万人次,涉及医疗费用965.33亿元,基金支付561.23亿元,基金支付比例为58.1%,人均减少垫付1.41万元。

国家医疗保障局副局长李滔介绍,今年年初,在全国打通京津冀、长三角、西南5省先行试点地区的基础上,国家医保局会同财政部进一步扩大跨省直接结算范围,新增山西等15

个省份为国家门诊试点省份,结算由区域试点转向全面推开。截至11月底,所有省份和新疆生产建设兵团均已启动,覆盖全国97.6%的统筹地区,联网定点医药机构超过12万家,全国91.7%的县至少有一家联网定点医疗机构。

今年初,重庆、四川、贵州、云南、西藏5省(区、市)以高血压、糖尿病两个门诊慢特病病种为突破口,探索门诊慢特病跨省直接结算区域试点。在此

基础上,今年9月份,国家医保局会同财政部印发文件,围绕参保群众关心、各地普遍开展的高血压、糖尿病、恶性肿瘤门诊放化疗、尿毒症透析、器官移植术后抗排异治疗等5种门诊慢特病相关治疗费用开展跨省直接结算探索。目前,已开通北京市、天津市、黑龙江省鹤岗市、浙江省本级和嘉善县、江西省萍乡市、海南省、贵州省本级、云南省昭通市、甘肃省本级和兰州市、青海省本级和海南

藏族自治州、新疆维吾尔自治区本级和乌鲁木齐市共计15个统筹地区,作为参保地和就医地实现5种门诊慢特病相关治疗费用跨省直接结算。

跨省异地就医直接结算工作采取备案制管理。目前,全国所有统筹地区都可以依托国家医保服务平台实现异地就医线上备案跨省通办。今年1—11月,通过国家统一的线上备案渠道成功办理备案58.58万人次。