

2022年3月21日 星期一

本版责编 刘蕾 本版美编 冀庆泽

罕见病患者迎来春天

“加强罕见病用药保障”再提速

■中国城市报记者 刁静严

在今年刚刚结束的全国两会上，“加强罕见病用药保障”被写入《政府工作报告》。

“渐冻人(肌萎缩侧索硬化)(ALS)”“蝴蝶宝贝(遗传性大疱性表皮松解症)(EB)”“瓷娃娃(成骨不全症)(OI)”……在这些名字的背后，都有一个共同身份，那就是罕见病患者。

目前，我国已有超2000万名罕见病患者，且每年新增患者超过20万人。在我国庞大的人口基数下，罕见病也变得不那么罕见了。近年来，越来越多的人关注罕见病，罕见病药物纳入医保按下“加速键”。

艰难生存的罕见病患者

前几年，风靡全球的冰桶挑战进入大众视野，活动的意义是让更多人关注肌萎缩侧索硬化(ALS)患者——“渐冻人”。常见的罕见病还有白化病、血友病、脆骨病、成骨不全病等。

什么是罕见病？罕见病区别于常见疾病，世卫组织将罕见病定义为患病人数占总人口的0.65‰—1‰的疾病或病变，我国将其定义为患病率小于1/50万或新生儿发病率小于1/10000的疾病。截至今年2月，全球已知的罕见病已经超过7000种，罕见病患者超3亿名。

由于流行率低、疾病少见、医疗信息和认知缺失等原因，许多罕见病患者经历过无数次看病与治疗，但通常需要几年

时间才能确诊。

每种罕见病人背后，都有一些辛酸而曲折的故事。在患病更多的时间里，罕见病人望着身后的阴影，却难以窥见原貌，不知道自己患的究竟是什么病。他们经受着身体的疼痛与心理的折磨，很多都是慢性症状，无法对症下药，得不到有效治疗，罕见病患者的生活变得难上加难，治疗费用让很多患者家庭“一夜返贫”。

全国政协委员、复旦大学附属妇产科医院院长徐丛剑表示，罕见病大多数都是遗传病。如果是单基因遗传病，目前利用生殖手段进行罕见病的家族遗传阻断比较容易，但需要社会给予更多的关注和支持，并形成这方面的政策。

基于国家卫健委公布的《第一批罕见病目录》中的121种罕见病，86中罕见病在全球有治疗药物，其中77种在中国有治疗药物，9种罕见病面临“境外有药，境内无药”的窘境。

“罕见病由于存在临床上病例少、高漏诊、用药难等问题，往往被称为‘医学的孤儿’。”全国政协委员、广西南宁市第四人民医院艾滋病科护士长杜丽群表示，确诊难、没药用是罕见病患者患病最初的两大痛点，而罕见病药物研发成本高、用户规模小、产量低，造成罕见病药物定价高昂，药物上市之后，很多罕见病患者又面临买不起的困境。因此，杜丽群提议，应进一步加大罕见病医疗保障力度。

将罕见病用药纳入医保势在必行

为什么要将昂贵的罕见药纳入医保？

国家医保局谈判代表、福建省医保局药械采购监管处处长张劲妮说：“因为每一个小群体都不应该被放弃。”

弗若斯特沙利文联合北京病痛挑战公益基金会于2月27日发布《2022中国罕见病行业趋势观察报告》指出，罕见病的诊疗技术远落后于常见疾病，仅5%的患者有药可医。罕见病患者面临“诊断难、用药难、保障难”的困境。不过近年来一系列利好政策不断推进，罕见病在诊断、用药和支付保障等方面得到改善。

罕见病药物的重要性不言而喻，它连接着生与死的界限，被患者视为“救命药”。然而，由于患者数量少、研发成本高，许多患者需要终身服药，巨大的医疗费用和药品价格让患者家庭望而却步。

2021年12月，国家医保药品目录谈判中，7种罕见病用药被纳入国家医保目录，价格平均降幅达65%。其中，治疗罕见病脊髓性肌萎缩症的药物诺西那生钠注射液在经过一个半小时的谈判后，由70万元降至3.3万元，降幅超过95%。值得注意的是，这是我国首次实现高值罕见病药品进医保，为无数患者及家庭点燃了希望之灯，这次谈判也被网友们称为“灵魂砍价”。

治疗罕见病最难在，不

仅公众对罕见病了解甚少，医务人员同样对罕见病欠缺认知。根据中国罕见病联盟对38634名医务工作者的调查，有近70%的医务工作者认为自己并不了解罕见病。

临床工作中，罕见病通常难以确诊，大多数罕见病需要多学科、跨专业的临床专家及医学遗传专家协作才能精准诊断。根据中国罕见病联盟对20804名患者的调查，42%患者曾被误诊，患者平均超过4年才能得到确诊。

相关国产医药研发相对落后，许多患者需要依靠进口药，每年需要花费几十万元到几百万元不等，面对“没有药”“用药难”的困境，一般患者家庭难以承受巨大的经济负担。

阿斯利康全球执行副总裁王磊表示：“作为药品供给方，企业应当加强自身研发能力和对外合作，创新具有高临床价值的罕见病药物，支持建设多层次支付保障体系，助力搭建罕见病诊疗生态圈，让创新的罕见病药物及诊疗方案满足患者未尽之需。”

健全多层次保障体系
减轻患者用药负担

近年来，为推进罕见病用药，我国在罕见病领域作出了许多努力，不断推动罕见病诊疗服务体系建设。

记者梳理数据发现，目前我国共上市60余种罕见病用药，其中40余种被纳入国家医

保药品目录，涉及了近30种罕见病种类。仅2019—2021年三年内便有19种罕见病药品被纳入医保范围。今年的《政府工作报告》更是提及“加强罕见病用药保障”，表明国家对此越来越重视。

还应注意，2018年以来，国家医保局等部门开展药品集中带量采购，以量换价，包括安立生坦在内的罕见病用药已纳入药品集中带量采购范围，并实现了从试点到全国扩围和常态化运行，逐步将罕见病用药在内的更多品种纳入到药品集中带量采购，通过开展药品集中带量采购有效降低药品价格。

2019年2月，国家卫健委宣布建立全国罕见病诊疗协作网，该平台涵盖了324家医院，通过区域协作和远程支持，提高罕见病综合诊疗能力，构建罕见病病例信息登记管理体系。

2020年12月，国务院关税税则委员会发布公告，对第二批抗癌药和罕见病药品原料、特殊患儿所需食品等实行零关税。这对于降低罕见病药物研发及生产成本，推动国内罕见病相关制药业发展，减轻患者经济负担有着重要意义。

对于罕见病药物进医保，不少人担心，罕见病药品单价高，纳入医保会造成极大负担。实际上，研究表明，由于罕见病患者人数较少且数量稳定，罕见病药物占我国医保基金药物支出不足1.5%，支出占比规模可行可控，不会挤占医保基金过多资源。

全国政协委员、北京大学公共卫生学院卫生政策与管理系主任吴明表示：“应科学评估罕见病用药对医保基金影响，通过综合措施，推动更多包括罕见病治疗药在内的创新药准入，逐步提高医疗保障水平，减轻群众用药负担。”

不过，目前被纳入医保范围内的罕见病药品还是少数，光靠国家医保可能不太现实。全国政协委员、中国医院协会副会长方来英表示，总体上看，罕见病药物的使用量很低，可能在某个地区无法形成规模化的生产销售。因此，他建议国家相关部门牵头制订政策，调动社会、企业等多方面力量，进一步健全多层次保障体系，统筹设计国家医保、商业健康保险、各种慈善基金、公益组织互助等，以此减轻罕见病患者用药负担，保障更多患者利益。

河北临城：
健康教育革命老区行

3月15日，河北省邢台市临城县人民医院医护人员到赵庄乡驾游村开展“健康教育革命老区行”活动。

近年来，临城县人民医院作为全国首批36家创建“健康教育示范学校”试点医疗机构之一，主动到群众“家门口”开展健康教育服务，让服务“多跑腿”，群众少走路。拟用三年时间完成覆盖辖区内慢病患者的宣教目标，提高群众的健康风险防范意识。

人民图片