

热点聚焦

对不少患者而言,一些救命药即便实施“腰斩价”,自付费用仍是难以承受的经济重负

一针70万?!罕见病“天价药”之困期待破解

■本报记者 唐闻佳

今年高校开学季,邢益凡的名字受到众人关注:今年18岁、体重18公斤的他,坐着轮椅到北京航空航天大学报到,一句“我就想看看,我还能走到哪一步,想再往前奔一奔”,引得全网“破防”。

邢益凡患的是渐冻症,这是一种得病率约十万分之一的罕见病。在他顽强人生的背后,也有医学进步的烙印:越来越多罕见病患者得以打破“活不到成人”的魔咒,得以“被看见”。

而“看见”,仅仅是开始。随着罕见病新药、新治疗手段问世,诊疗费用也逐步成为社会关切。近来,一针70万元、4天花费55万元的“天价”治疗费经由媒体报道后,频繁触动大众神经。

罕见病如何实现病有所医、医有所药、药有所保?不少专家认为,要让“天价药”变成患者可负担的救命“神药”,罕见病保障体系亟需进一步完善。

“天价”救命药,谁来埋单?

9月初,一张医院就诊费用单引发关注。有媒体报道,一名不满2岁的患儿在西安交通大学第二附属医院儿童医院被确诊为脊髓性肌萎缩症(SMA),这是一种罕见病,4天花费553639.2元,其中西药费550177.2元,使用的治疗药物是诺西那生钠注射液。

“1岁女婴住院4天花费55万”,瞬间吸睛无数。不过,医院、患者家属达成共识,并第一时间回应:治疗完全符合指南,也是很有必要的。

舆论因当事人的及时发声,没有持续发酵,但罕见病“天价药”情况确实存在。

公开资料显示,2019年2月,诺西那生钠注射液正式获得我国国家药监局批准,用于治疗SMA,并成为中国首个治疗SMA的药物。

诺西那生钠在中国上市后,单支价格为69.97万元,患者在第一年需要注射6支,之后每4个月注射1支。这意味着,治疗这种罕见病,第一年需要花费400多万元外,此后每年还需要花费200多万元。

【速读罕见病】

目前,90%以上的罕见病缺乏有效治疗手段,大部分患者需要终身服药。在临床上,约65%的罕见病患者曾被误诊,患者平均需要花5.3年才能被确诊。由于延误诊断、获得药物困难等原因,许多罕见病患者开始接受治疗的时间较晚,病变往往已经不可逆,给患者及其家庭造成沉重负担。早期发现、早期诊断、早期干预,是延缓罕见病患者病情进展、提高生活质量的重要手段。

图片来源:视觉中国
制图:冯晓瑜

- 全世界大约有**7000种**罕见病,仅有不到**10%**的罕见病目前有药可治
- 中国大约有**2000万**患者,且每年新增患者超过**20万**
- **80%**以上的罕见病由遗传因素导致,**50%**在出生或儿童期发病
- 中国首部《罕见病诊疗指南(2019年版)》正式发布,为**121种**罕见病诊疗提供依据
- 我国已上市罕见病相关药物**70余种**,涉及**60余种**罕见病

围绕罕见病高值药保障,上海等地通过将罕见病纳入大病医保、建立专项基金制度、推行政府型商保、鼓励参与医疗救助等方式,逐步探索罕见病用药保障新机制。

罕见病并不罕见,一系列政策出台为患者“减负”

罕见病又称“孤儿病”,国际公认的罕见病7000多种,我国目前有各类罕见病患者约2000万人。

“罕见病,在中国并不罕见。”上海市罕见病防治基金会理事长李定国在多个公开场合都曾强调过这一点。近日,在上海举行的中国罕见病立法与医疗保障多学科研讨会上,这一话题再度让多位专家打开话匣子。

华东政法大学党委书记郭为禄援引统计数据谈到,全世界有3亿多人属于各类罕见病患者,这个数字其实很庞大。以我国为例,大约要保障2000多万罕见病患者的用药,可见,这一患者群体人数很多,且每个患者的背后都关联着一个不幸的家庭。“要实现全民健康,不能忽视这些罕见病患者的生命健康。”

事实上,罕见病涉及的不仅是医学问题,也同时涉及经济学、社会学、公共

管理和法学问题。

近年来,我国在罕见病救治和保障方面的立法有不小进步。有法学专家介绍,2019年修订的《药品管理法》和《药品注册管理办法》,从法律层面确立了罕见病药物优先审评审批制度;2020年6月实施的《基本医疗卫生与健康促进法》明确提出,国家支持罕见病药品的研制生产;2020年修订的《医疗器械监督管理条例》规定,可以对用于治疗罕见疾病的医疗器械附条件批准上市使用等。

“我国已上市罕见病相关药物70余种,涉及60余种罕见病,这些罕见病患者在我国已‘有药可医’。在2019年和2020年,有多种罕见病高值药进入中国,让患者看到了希望。”上海市卫生和健康发展研究中心主任金春林称,为鼓励罕见病药物引进、研发和生产,国家出台一系列政策加速新药审评审批,提供税收优惠,让患者“有药可用”;为降低罕见病患者经济负担,国家医保目录调整持续关注罕见病用药,为患者“减负”。

虽然利好消息不断,但专家们也表示,当前仍要清醒地看到,罕见病并未达

到“病有所医、医有所药、药有所保”。

有专家统计,在我国公布的首批121种罕见病目录中,仍有20余种罕见病的患者不得不“超适应症”用药;从全国罕见病制度层面来看,仍有较多罕见病药物未被纳入医保,年治疗费用超过30万元的高值罕见病药物进入国家医保还未实现“零”的突破。

建长效机制,补齐罕见病用药保障“最后一公里”

再等等?对于很多未解难题,这也是一种态度。但对许多生命而言,似乎又等不起。

金春林注意到,当前,一些创新支付保障的实践,正被应用于解决罕见病高值用药支付困境。

比如,国家鼓励地方积极探索创新罕见病医疗保障模式,通过建立罕见病专项基金、大病医保、政策性商业保险、医疗救助等方式,化解了部分罕见病患者“用药贵”的困境。同时,地方罕见病医

疗保障模式的实践,也为罕见病立法提供了参考。

记者在采访中获悉,围绕罕见病高值药保障,上海、浙江等地通过将罕见病纳入大病医保、建立专项基金制度、推行政府型商保、鼓励参与医疗救助、倡导慈善帮扶、企业捐赠、个人一定比例自付等方式,逐步探索罕见病用药保障新机制。

不过,也有专家指出,这其中亟需完善的环节依旧很多。比如,在地方探索中,个人自付比例的地方差异大。再如,罕见病患者人数少,药价谈判空间有限;政策性商保在快速发展中产品设计不够成熟,难以形成长效机制等。

“各地过去10年的探索证实,仅靠单方向力量解决罕见病的医疗保障是不够的。”越来越多的专家提出进一步建议:通过立法明确企业、商业保险的社会责任,强化商业保险作为国家医保的重要补充作用,遵循政府主导、国家统筹、多元筹资、社会共付的原则,实现对罕见病高值药物的医疗保障,由此补齐罕见病用药保障“最后一公里”。



上海世纪出版(集团)有限公司

迁址公告

即日起至**10月30日**,

上海世纪出版(集团)有限公司

搬迁至闵行区世纪出版园办公,

敬请各界垂注。

入驻闵行世纪出版园的单位

上海世纪出版(集团)有限公司

上海世纪出版股份有限公司

上海人民出版社

学林出版社

上海远东出版社

上海书店出版社

格致出版社

北京世纪文景文化传播有限责任公司

光启书局

上海文艺出版社

上海文化出版社

上海咬文嚼字文化传播有限公司

上海故事会文化传媒有限公司

上海人民美术出版社

少年儿童出版社

上海音乐出版社

上海科学技术出版社

上海古籍出版社

上海教育出版社

上海书画出版社

上海辞书出版社

辞海编纂处

汉语大词典编纂处

中西书局

上海译文出版社

英汉大词典编纂处

上海科技教育出版社

上海世纪宏图投资管理有限公司

上海数字世纪网络有限公司

上海壹周文化传媒有限公司

上海世纪文创物业管理有限公司

上海印刷集团印前服务中心

新址: **上海市闵行区号景路159弄1-5号**
邮编: 201101

电话总机 (021) **53201888** 转接