

# 编织罕见病患者兜底“保障网”

丁思月

罕见病患者从出生开始便经历层层磨难，患病率低、临床样本量少导致确诊困难，好不容易确诊却又面临着吃不起药的局面，高昂的医药费让很多罕见病患者家庭无力承担，只能望药兴叹。

随着2021年两款高值罕见病治疗药品诺西那生钠注射液、Zolgensma进入医保，高价格罕见病药品保障作为当下医疗保障的痛点，愈发引起社会关注。

## 先谈价格，再谈保障

国家医疗保障局医药服务管理司原司长熊先军在2021年中国罕见病大会罕见病医保政策分会场中谈到，随着国家医疗保障制度的逐步完善，绝大多数罕见病药品都已经纳入医疗保障的范围，极少数药品因价格过高，暂时未被纳入医保。

为何高价格罕见病药物暂时不能被纳入医保？对此，熊先军总结了以下几点原因：

一是市场供需关系。尽管罕见病的治疗已经国际化，但在每一个市场，依然是以区域市场的供需关系决定价格。我国人口基数决定了罕见病患者数量相对较多，加上罕见病药物价格高，因此会给医保体系造成无法承受的负担。

在罕见病病人数量方面，熊先军称，除部分与人种相关的罕见病，绝大多数罕见病在国内外发病率一致，以中国人口基数衡量，我国各类罕见病病人数量都要远远高于欧美发达国家。以市场大小衡量，我国罕见病药物的价格应远远低于欧美。

二是国外罕见病药企垄断药物研发并制定高额销售价格。熊先军表示：“很多企业不愿意将药品降到30万元以内，最主要体现了企业处于垄断的支配地位。”

他认为，随着罕见病药品竞争性加强，部分药品年费用已降至30万元以内。这意味着在竞争状态下，企业价格低于30万元仍然有利润空间。同时，罕见病药品一般都是先在欧美上市，之后在发展中国家上市，在欧美市场上市后可能早已收回研发费用，因



图片来源:699pic.com

现在还是在求索的路上，还要付出更多的努力与探索，慢慢地探索符合中国国情的罕见病医疗保障制度。

而要求发展中国家分摊其研发费用并不合理。

三是罕见病药物的定价远远超过了我国罕见病市场的购买力，无论是个人还是政府都无法负担。他建议，相关企业应考虑中国实际购买力，无论是否垄断，都必须把价格降下来，否则就没有市场。“目前没有被纳入中国医保的罕见病药品，年费用都在百万以上，中国患者难以承受如此高价。”

四是当前罕见病医保报销政策无法兼顾社会公平。熊先军认为，部分罕见病病人治疗费用确实很高，但报销比例可以根据人群的收入水平确定，而不能根据疾病不同确定，否则对其他疾病人群不公平，因此基本医保和大病医保不可能专门对罕见病病人给予倾斜性的报销政策。

熊先军认为，建立罕见病特殊保障机制，通过价格谈判，首先降低罕见病药物的价格；其次，通过多层次医保机制分担罕见病治疗的各项费用，同时将慈善机制纳入到罕见病治疗机制中，与医保合力建立罕见病特殊保障机制，保障罕见病患者的生命安全。“我们最终的目的，是要使贫困的罕见

病患者尽量少承担医疗费用、负担轻一点。”

## 形成共识并得以转化

对于罕见病医疗保障的问题，北京罕见病诊疗与保障学会副会长刘军帅表示，要充分考虑到时代发展的阶段性以及行业本身的进步等。虽然目前很难寻求一种很理想的医保，但可以将其设为目标，也可能永远达不到，但必须沿着这个轨迹往前走。

“我们希望达成共识并转化共识，转化共识就是把共识的价值落地。这是构成罕见病医疗保障的核心命题。”刘军帅介绍道，共识机制对罕见病医疗保障的影响十分重要，医保最终是保障老百姓的医疗权益，让老百姓用得上药，共识转化一定是立足于现实，促进老百姓获得更多的医疗权益，享受到政策红利，最终享受健康。

在罕见病医疗保障领域，目前业内已经形成最大共识的是高值药保障与多方共付，下一步将在定价机制、付费创新机制、风险分担机制方面逐个突破取得共识。

结合目前已有的成果，刘军帅提出，应先从容易形成最大共识保障模式开始改革与创新。对于保障水平方面的改革分歧，各方需要慢慢去孵化、分阶段去完成。

以付费制度来说，专项基金制度建设是最易取得的共识。不管是什么样的专项基金模式，用专项基金制度创新去做，然后整合思路，就会出现一些

很明确的创新点，再从共识理念和共识机制的角度归纳出新的改革点。

谈到罕见病医疗保障体系建设时，刘军帅表示，“现在还是在求索的路上，还要付出更多的努力与探索，慢慢地探索符合中国国情的罕见病医疗保障制度。”

## 借鉴国际经验探索我国医保政策

全球孤儿药并未满足医疗的需要，目前业内正在寻求罕见病药品的研发许可、定价、报销补偿过程的最优化策略。复旦大学公共卫生学院教授胡善联表示，孤儿药药品政策不断发展的主要目的是希望能够提高罕见病患者药物的可及性。

孤儿药药品政策中包括价格规制、鼓励药物研发等多项内容，在激励市场以提高罕见病药品可得性以及患者的药物可及性的同时，支付方式对孤儿药的费用尤为重要。孤儿药费用高，患者人数少，所以既要确保罕见病患者对孤儿药费用的可承受性，又要确保生产孤儿药的企业有足够的投资回报，促使罕见病药物能够得以持续。

胡善联认为，我国可以借鉴各国孤儿药政策经验，利用价格谈判保障孤儿药价格和供应数量间的动态平衡。他举例：“德国通过强势的价格谈判，对孤儿药进行成本效益的分析；比利时孤儿药的上市申请需要经过许可人进行药品管理合同谈判。我国孤儿药的价格也应该根据它的疗效、安全性、适应性进行价格调整；荷兰等国家则是有条件的补偿，每4年左右对孤儿药评估一次。这些经验都值得借鉴。”

胡善联建议，我国在进一步探索罕见病保障经验时，首先要建立、健全罕见病登记报告制度，巩固、完善全国的登记报告制度；其次，除了已实施的第一批121种罕见病目录病种管理外，还要不断更新增加罕见病目录病种；第三，要探索建立中国罕见病立法制度；第四，要探索以政府为主导的多元筹资方式，鼓励地方探索专项基金方式，总结地方经验并为最终出台全国性罕见病的医疗保障政策提供支持。