

罕见病药物的“最后一公里”卡在哪

●本报记者 张思玮 实习生 阚宇轩

今年2月29日是第十七个国际罕见病日,今年的主题是“关注罕见、点亮生命之光,弱有所扶,践行人民至上”。

全球最大的罕见病数据库(Orphanet)显示,目前全球已知罕见病种类超过7000种。其中,出生或儿童期发病的罕见病占比50%~70%。

近10年,全球有关罕见病的临床前和临床开发阶段的药物数量不断增加。数据显示,从2012年至2022年,全球研发中的罕见病药物从682个增加至5215个,年增长率为24%。我国研发中的罕见病药物也从62个增加至840个,年增长率为34%。

然而,罕见病药物供应保障系统仍存在着“市场失灵”与“系统失灵”问题。对于部分区域的罕见病患者而言,纳入医保目录的罕见病药物依然存在“最后一公里”的障碍。比如,药品进院难、用药难、自负比例高等。

鉴于此,本报记者采访了全国政协委员、对外经济贸易大学保险学院副院长孙洁和华中科技大学同济医学院药政策与管理研究中心主任陈昊,就当前罕见病患者的用药支付现状、罕见病国谈药医保落地“最后一公里”的痛点难点问题进行了采访。

不断提高患者满意度

记者:我国政府关于罕见病患者用药出台了哪些政策?

孙洁:近年来,国家层面相继出台一系列改革,逐步改善罕见病的诊疗可及性、药物可及性以及经济可及性等,包括全国罕见病诊疗协作网的建立、《罕见病目录》的发布与更新、罕见病药物优先用药审评审批、降低进口关税、通过医保谈判和国家医保药品目录调整将罕见病药物纳入医保等。

2016年,电影《我不是药神》引发公众对罕见病的广泛关注。2018年可以说是我国罕见病诊疗的元年,同年我国公布了《第一批罕见病目录》,共包括121种罕见病。2023年《第二批罕见病目录》又新增86种罕见病。目前,中国已有207个病种纳入罕见病目录。

值得一提的是,国家医保局自

2018年成立以来,加强了对罕见病用药的支持,加快药品审批和上市进程,不断将更多罕见病用药纳入医保目录。目前,在国内获批上市的75种罕见病用药中已有超过50种药品被纳入医保目录。并且通过医保谈判,至少有26种罕见病用药平均降价超过50%。

记者:但不可否认,罕见病患者用药保障依然存在问题。

陈昊:其中一个痛点就是入院难。虽然罕见病用药被纳入了医保目录,但一些高值的罕见病用药受到了支付的限制。医院作为一个客观运营的实体,需要考虑资金、用药的周转,包括罕见病用药配备所形成的资金占压以及罕见病患者的特有难题。在这种情况下,医院必须考虑配备罕见病用药在客观上形成的负担。

另外一个痛点就是费用高。即使我国在政策上采取了单列支付以及大病医保制度等综合性救助措施,患者长期用药的自付部分依然较高,存在难以持续规范用药的情况。

同时,部分地区的医保等部门也表示,罕见病患者用药金额大,长期带病生存会对医保整体费用产生一定压力。此外,还会担心因实施特殊政策导致“罕见病患者移民”等现象发生。因此,医保部门在提高罕见病用药报销额度时也会持谨慎态度。

费用是关键问题

记者:那么,我们该如何解决“最后一公里”的问题呢?

陈昊:首先,医疗机构要对罕见病用药的配备树立一个正确的认识。具体表现为:第一,对于医疗机构而言,罕见病患者用药规模始终是有限的,不可能无限扩张;第二,罕见病用药应基于医院具体的诊疗能力、诊疗范围和诊疗水平等,制定科学、合理的配备方案。一味要求所有医疗机构都配备罕见病药物是不客观、不科学且不必要的。应该依据罕见病流行病学数据等,将罕见病药物配备于地区罕见病诊疗中心。

另外,“双通道”政策也是国谈药落地保障政策中重要的一环。所谓“双



图片来源:摄图网

通道”就是在医院之外的社会药房进行配备。在这种情况下,我们既要充分利用医院的优势,也要调动社会药房的资源,以实现医院和社会药房之间的合理布置和配备。

解决“最后一公里”问题,需要全社会相关部门持有科学的预期,包括患者、医疗机构、医保部门、卫生管理部门等。

记者:这其中,最关键的问题就是费用。

孙洁:是的,罕见病用药费用支付涉及医保、商业保险、第三方支付以及个人支付等方面。

对于费用分担,我们应该逐渐形成对罕见病患者“基本医保+单列支付+大病医保”的三重保障,进而有效减轻其长期用药的负担。

另外,提升“惠民保”的可持续性以及对罕见病的保障效能。现在各地推出的这600多款“惠民保”中,多数产品都覆盖了若干种罕见病的用药。下一步,我们建议优化“惠民保”,对地方高发的一些重特大疾病(罕见病)进行二次分组,在此基础上进行医保、大病保险之后的第三次报销。

我们应该在将罕见病和重特大疾病纳入商业健康险的背景下,将“惠民保”细分并拉开价格差距,对需求比较大的部分患者,提供分层次的保障。否则以低保费、低门槛、高保额、高保障为特点的“惠民保”很难具有可持续性。

尚无完美支付模式

记者:在罕见病患者用药支付保障

方面,我国哪些地区有可借鉴的经验?

陈昊:对于罕见病的保障,国家基本医保做了积极的探索,比如将更多罕见病用药纳入保障范围,并在地方医保制度中采取单列支付、大病救助和保险延伸等措施,在满足医保管理要求的情况下进一步报销延伸。

国内很多地方都做了先期的探索,比如青岛、深圳、浙江、江苏等。青岛针对部分罕见病高值用药开展谈判,降低相应的价格和费用,同时地方财政提供支持,拿出一部分费用为所谈判的罕见病用药提供保障。深圳则通过出资购买商业性保险作为基本医保的补充,解决一部分罕见病用药保障的问题。而江苏和浙江则探索了罕见病专项基金的模式,确保患者权益得到保障。

但各地的探索各有特点,还未出现非常完美或具有强烈推广意义的做法。

孙洁:的确,国内现在各个地方有不同的模式。总体上,这与当地经济发展水平紧密相关。在经济较为发达、财力充足的地区,相关的探索更为深入,保障能力也更强。我认为,罕见病医疗保障的理想模式是,个人自费部分可以设定一个封顶值,超出部分由政府、企业、捐赠方及慈善机构等多方共同分担,这或许是我们未来努力的方向。虽然现阶段不一定能实现,但从医保的国际共识来看,罕见病的个人自费封顶是一个值得探索的模式。