

疾病虽然罕见,但社会关爱不罕至。继部分抗癌药降价、进医保后,“保障2000万罕见病患者用药”提上议程,备受关注成立中国罕见病联盟、对罕见病药品给予增值税优惠……我国破解罕见病难题迈出关键步伐。

从多发病常见病,到罕见病、疑难病,国家打出“组合拳”,满足重大疾病患者“一粒药”的期待。

# “一粒药”的期待何解?打出组合拳

## 制定罕见病目录,加强新药开发,对罕见病药品减税

### 罕见病防治打出“组合拳”

罕见病由于临床上病例少、经验少,导致高误诊、高漏诊、用药难等问题,往往被称为“医学的孤儿”。

北京协和医院副院长张抒扬认为,“从关心重视多发病、常见病,逐渐走向关注关爱少见病、疑难病,特别是预后差的罕见病,对罕见病患者的关怀是社会发展和文明的体现,也代表着医疗的公平公正。罕见病诊疗的规范和孤儿药的开发,也将带动医学整体水平的发展。”

过去的一年,是国家逐渐规范罕见病诊疗的一年。

2018年版《国家基本药物目录》、国家卫生健康委员会等5部门联合制定的《第一批罕见病目录》等陆续出台……癌症及罕见病患者迎来了希望。

近期,从癌症到罕见病,国家再次对重大疾病防治出台“组合拳”。

继2016年12月国务院把扶持“孤儿药”纳入“十三五”深化

医改的重点任务后,今年2月11日,国务院常务会决定对罕见病药品给予增值税优惠。从3月1日起,对首批21个罕见病药品和4个原料药,参照抗癌药对进口环节按3%征收增值税,国内环节可选择按3%简易办法计征增值税。

2月15日,国家卫健委官网发布《国家卫生健康委办公厅关于建立全国罕见病诊疗协作网的通知》,遴选出了罕见病诊疗能力较强、诊疗病例较多的324家医院作为协作网医院,组建罕见病诊疗协作网。

据国家药品监督管理局药品注册司司长王平介绍,对临床急需的境外新药建立了专门的审评机制,遴选了第一批临床急需的48个品种,包括罕见病的治疗药品和治疗严重危及生命的一部分药品,对于罕见病治疗药品的审批时间是3个月内审结,对于其他的急需的治疗药品是6个月内审结。2018年批准的抗癌新药18个,比2017年增长157%。

### 群众热盼的还有哪些“药方”?

在基层,重大疾病患者用药还有哪些热切的盼望?

——加强新药研发,提高患者用药的“可及性”。

保障“孤儿药”供给是罕见病患者“保命”的基础。

来自北京、广州的罕见病专家认为,对罕见病来说,很多罕见病患者容易早期致残、年轻死亡已经是不争事实,医院先把药买来是当务之急。

武汉儿童医院肿瘤科副主任李晖等专家认为,对罕见病的治疗主要还是依靠药物,药品花费在罕见病患者的主要医疗支出中所占比例往往达80%甚至更高。进口环节税收优惠,给罕见病药物市场带来了积极影响。要想让罕见病患者用得起高端药,根本解决之道还是要加强自主药物生产研发。

安徽医科大学第一附属医院妇科主任颜士杰认为,“孤儿药”需要国家政策扶持,定向生产,减免税费,同时建立国家储备体制和报警机制,及时调剂供需。

——加快完善癌症等重大

疾病诊疗体系,推进罕见病、癌症筛查和早诊早治,努力降低死亡率。

早筛查、早治疗是第一道防线——据临床统计,八成以上的罕见病都是遗传导致的。北京儿研所主任医师李龙认为,建立产前筛查、儿童体检等机制,是防治罕见病最低廉高效的手段。此外,在全国范围内完善对罕见病的规范诊疗,尤其加强预防性治疗,可提前预防,减少罕见病致残致死。

刘丽认为,组建国家罕见病协作网,就是为了让罕见病诊治相对集中和双向转诊,减少误诊、误治,给予已发病的罕见病患者更合适的诊治方案。

——优化医疗保障体系。临床专家认为,一些靶向药、免疫疗法等成本高昂,需要尽快建立多层次保障体系和多元付费体系。

中国医疗保险杂志社社长郝春彭认为,要建立多层次的医疗保障制度,通过医疗救助和公益慈善进行社会兜底,通过商业保险进行多样高端层次的补充,保证人们对医疗的不同层次需求。

### 观点

### 对抗罕见病 需社会救济政策特事特办

随着罕见病名录的确定,我们国家的罕见病治疗应该迎来新的转机。但不管怎么改变,如果不能解决药品和资金问题,对罕见病人的关爱,可能就只是昙花一现。

2017年,全球罕见病药物的市场总额达到了703亿美元,对任何一家药厂而言,都是巨大的市场需求。可是在这巨大的市场需求中,我国厂家能占据的份额却几乎可以忽略不计,这不能不说是巨大的遗憾,也给我国家罕见病患者造成巨大障碍。其带来的现状就是全球上市的罕见病治疗产品大概600多个,国内市场上能找到的不过200多个。

要解决这样的问题,减少审批环节,加快各类产品在我国上市的速度外,如何加强我们自己的研发能力,推出自己的罕见病治疗产品,恐怕也是不容忽视的环节。

我国目前也有很多技术领先的大型制药厂,完全可以根据当前罕见病市场的需要,让医药主管部门牵头给予政策乃至科研资金支持,进行大型制药厂的联合研制工作。当这些企业的科研力量集中,能够共同行动来攻克某一两个罕见病的治疗产品,就可以打破国外企业对罕见病治疗的产品垄断。这样,我们国家在罕见病产品的采购中,也可能拥有更多话语权,可以提高对罕见病药品的议价能力,丰富产品来源的广泛性。

同时,在罕见病人的资金保障上,也应该逐步跳出依赖医保的惯性思维。从本质上讲,一个国家的医保,是基本医疗保障体系,其着力点就应该是常见病、多发病和常规人口。对于罕见病的保障,应该作为一种特殊的情况进行特事特办并因此出台相应的政策,比如设定专项基金,或者将其和科研相结合,或者将吃不起药品的家庭列为贫困人口,按照扶贫政策来提供资金保障。这样,就能避免因罕见病动用太多的医保资金,进而影响到对我国普通人群的医疗保障的力度。

应该说,自2017年10月以来,国务院出台了一系列关注罕见病,支持罕见病药物研发的政策,这为我国罕见病患者的医疗保障提供了良

好的提升平台,但这只是万里长征的第一步。下一步,则需要我们跳出现在的模式,进行更加积极的探索努力。

■据新华社、光明网