

# 罕见病SMA口服药每瓶直降6万元

利司扑兰下月起正式纳入医保,脊髓性肌萎缩症患者治疗更加便利



扫码看视频

还记得2021年“国家队”灵魂砍价吗?成功将罕见病脊髓性肌萎缩症(简称“SMA”)的“救命药”诺西那生钠注射液从70万元一针降至3.3万元入选国家医保目录,为罕见病治疗迎来新希望。

在16个“国际罕见病日”来临前夕,再传好消息,SMA口服治疗药物利司扑兰也正式被纳入医保,并于3月1日起正式落地执行新医保谈判价格,价格由每瓶63800元下降至每瓶3780元,为这些被疾病缠住的家庭再次注入了一缕曙光。

■文/视频 三湘都市报全媒体记者 李琪 通讯员 姚家琦 徐丽 李芬 实习生 刘杰

## 70万元“天价药”降价后,为她的家庭带来新希望

“我们在坚持用药,效果还不错,女儿状况慢慢好转了。”今日下午,三湘都市报记者电话联系上何维(化名)时,她详细地介绍起女儿的病情。

何维是邵阳人,一个SMA患儿的妈妈。三年前,何维的女儿婷婷出生,孩子聪明伶俐。可到了快1岁的时候,婷婷还不能翻身。湖南省儿童医院医生怀疑孩子患的是SMA。

2021年4月份检测结果出来了,“脊髓性肌萎缩症”!

何维和丈夫想尽办法救孩子,但得知这种病药物治疗要近70万元一针,全家陷入了绝望。

幸运的是,2021年12月3日,SMA的“救命药”诺西那生钠注射液纳入医保药品目录,从70万元一针降至3.3万元入选目录。

2022年1月5日,婷婷注射了第一针,之后一直坚持治疗,目前状况已经大大好转。

“我一直关注SMA的药物,听说口服液也纳入医保的事情,很开心,希望今后有更多这样的好消息。”何维表示。

## 重症SMA患儿不救治,多数会在2岁内夭折

湖南省儿童医院神经内科主任、主任医师吴丽文介绍,SMA属常染色体隐性遗传病,是一类由脊髓前角运动神经元变性导致肌无力、肌萎缩的疾病。

根据患者起病年龄和临床病程,将SMA由重到轻分为4型。随着病情的进展,肌无力可进一步导致骨骼系统、呼吸系统、消化系统及其他系统异常。

重症SMA患儿如不进行有效治疗,多数会在2岁内夭折。近几年来,随着新治疗药物的研发和治疗水平的提升,更多患者可以获得更长的生存期。

由于罕见病患病人少,市场需求有限,因此,罕见病药物也被形象地称为“孤儿药”。此外,即使罕见病有药可医,一些罕见病药物的“天价”也超出绝大部分人的支付能力,让患者望而却步,陷入无助的境地。



罕见病患儿家属在向吴丽文主任医师咨询SMA用药问题。  
通讯员供图



让“罕见”被看见。2月26日,由湖南省蔻德罕见病关爱中心发起的“国际罕见病日”宣传活动在长沙举行,广大市民纷纷打卡为罕见病群体发声。

李琪 配图

## 天价药纳入医保后 SMA口服药也即将降价

本轮医保谈判再次聚焦罕见病患者等特殊人群,SMA口服治疗药物利司扑兰正式被纳入医保,成为中国首个SMA口服疾病修正治疗药物。

吴丽文表示,利司扑兰适用于2月龄及以上的SMA患者,它是一个靶向的小分子修正药物,可以穿透血脑屏障,同时作用于中枢和外周,提高全身多系统SMN的蛋白水平,患者受益更广。研究数据表明,利司扑兰治疗后的1型SMA患者生存率显著提高,呼吸和吞咽功能获得改善,2型和3型SMA患者用药后运动功能及生活独立性获得改善。

口服给药的形式也让SMA治疗更加便利,医生可根据患者年龄和体重设定好给药剂量,患者在家就可以治疗,有助于提高治疗依从性。对进一步改善我国SMA患者生存现状、实现SMA长期规范诊疗管理都有着重要意义。

据了解,利司扑兰将于2023年3月1日正式落地执行新医保谈判价格,价格由每瓶63800元下降至每瓶3780元。湖南省内患者使用该药可按双通道政策进行报销,居民医保报销60%,职工医保报销70%,按照患者年龄和体重可推算出患者报销后所需的年自付费用在0.9万至4万之间。同时,口服给药方式让居家治疗成为可能,有效节约住院、手术、家庭陪护、往返等经济成本,极大地降低了家庭负担。

## 活动

### 让“罕见”被看见 长沙启动罕见病公益活动



扫码看视频

三湘都市报2月26日讯 “熊猫宝宝”(戈谢病)、“瓷娃娃”(成骨不全症)、“蝴蝶宝宝”(大疱性表皮松解症)、“不食人间烟火的孩子”(苯丙酮尿症)……在2月28日“国际罕见病日”即将来临之际,这些美丽的名字被带入大众视野,它们的背后都有一个共同的身份,那就是罕见病患者。

今日,在长沙橘子洲景区高喷广场、五一广场平和堂7mall屏处、黄兴路步行街中心广场,一场由湖南省蔻德罕见病关爱中心发起的“国际罕见病日”宣传活动火热进行,广大市民纷纷参与打卡为罕见病群体发声,让“罕见”被看见。

“你知道罕见病吗?”“全球已知的罕见病有6000—8000多种,按总量算其实一点都不罕见!”“中国目前预计约有2000万名罕见病患者,可能在我们的身边就有患病的朋友”……

在橘子洲景区高喷广场,往来的人群因罕见病科普宣传而驻足,不少年轻人说:那些曾经

只在电视节目中见过的令人动容的故事,没想到竟然就在我们的身边发生。

活动现场,罕见病遗传优生咨询、爱心义卖、现场手工制作、罕见病常识趣味问答、月捐劝募等活动同步展开。广大市民在进一步了解罕见病知识的同时,也为罕见病病友的绘画、义卖作品所打动。

“真没想到,这个竟然是出自他们之手,他们阳光、积极、心灵手巧,一点都不像身患重疾的病人。”年轻的妈妈指着罗萍的一幅画作向自己的孩子说道。

现场还有众多市民自发参与打卡转发朋友圈行动。

## 援助

### “无罕之路”,帮罕见病家庭阻断疾病传播

据了解,橘子洲、五一广场及黄兴路步行街的活动,是湖南省蔻德罕见病关爱中心开展的国际罕见病日宣传周的第一站宣传,活动由湖南省中信湘雅爱心助孕基金会、长沙岳麓山风景名胜区橘子洲景区管理处和长沙市新媒体协会共同协办。

“我们希望,通过这样的活动,让罕见被更多人看见,一起传递给罕见病家庭更多的爱与温暖。”湖南省蔻德罕见病关爱中心负责人戴俊武介绍道。

罕见病又称“孤儿病”,指发病率极低的疾病,诊断困难、误诊率高、可治愈率低。80%的罕见病是由于遗传基因突变所导致的,50%在出生或儿童期即发病,仅有少于6%的罕见病具备有效治疗方法,患者生存及生活质量严重受损。

2019年11月,湖南省蔻德罕见病关爱中心在我国著名生殖医学与医学遗传学家卢光琇教授和黄如方先生的发起下成立。项目实施三年来,共资助了139个来自全国各地的罕见病患者家庭,涵盖19个省份65个地市州、85种遗传罕见病,至今受助家庭中已诞生32个健康宝宝。

■全媒体记者 李琪 视频剪辑 谢佳燊  
通讯员 郭欣怡 洪雷 实习生 刘杰