



经济调查

经常一药难求 还需摸清家底

罕见病用药进医保之难

中青报 中青网记者 王林

张笑总会随身带着一个小药瓶,空的。这是她2016年从台湾带回来的,里面装着治病的特效药。

因为患有黏多糖贮积症I型这种罕见病,27岁的张笑仍然保持着童年的身高,一度无法自己完成洗头、穿袜子等动作,走路也得小心翼翼。这是一种溶酶体累积病,目前无法彻底根治,最有希望的治疗法是特异性酶替代治疗和基因治疗。

今年6月,国家医保局公示了751个通过2020年国家医保药品目录调整形式审查的药品,艾而赞入列。但医保目录调整的流程漫长而复杂,艾而赞要纳入医保还有相当长的距离。

张笑和病友们陷入了另一个困境:不是无药可用,但却用不起。查阅医学资料,张笑了解了艾而赞在国外的定价,那是一个绝大多数患者都负担不起的价格。

目前,在我国获批上市的55种罕见病治疗用药中,已有32种被纳入国家医保药品目录,适用于19种罕见病。张笑很希望艾而赞能被纳入医保目录,但她也明白这个过程有多不容易。

能活到现在,我已经赚了。面对医生和护士,张笑经常这样说。看起来越来越多罕见病用药纳入医保目录,她心里又燃起了希望。

他们也许还有更多选择。

一药难求

因为并发症,张笑的视力不好,爬坡上坡时还有些颤颤巍巍,但从地铁站、公交站到协和医院门诊楼的那段路却走得非常稳当。从1997年被确诊为黏多糖贮积症I型开始,她就一直在北京协和医院就医。

在这里,身材小小的张笑是个“小明星”。从医生护士,到门口保安,许多人都认识她。近20年来,她一直在这里看病,从协和的楼楼看到新楼,从儿科看到物理医学康复科。有医生打趣:“哪个医生更好说话,笑笑没准比我们还清楚。”

张笑来自一个普通的职工家庭,为给她看病,家里花费甚巨。大毕业后,张笑只身“北漂”,在北京一边工作一边看病。求医多年,她跟很多专家都认识,有号贩子看这一点,撮掇她一起倒卖专家号,但她一次也没同意。

她确实很需要钱。微薄的工资只够她在北京基本的生活,要看病、买药还得想别的办法。从初中开始,她就有了存钱的习惯,有时是五毛一块,有时是十块一百,攒到今天终于凑够了买艾而赞的钱。

我就想在有生之年能打上针,体验一下身体里面有那种酶是什么感觉。

能用上药,能看到特效药进医保,是许多罕见病患者共同愿望。

我们也经常会觉得没希望,但每次看到有其他的罕见病进入罕见病目录,或者被纳入医保了,总会觉得更有奔头。

刘金柱告诉中青报 中青网记者。他被称为“涛子哥”,是北京蝴蝶结节性硬化症罕见病关爱中心的负责人,也是这种罕见病的患者。

这是一种个体差异较大的罕见病,常常累及多个器官和系统,容易被误诊及延误治疗。患者的救命药是氨己烯酸片(商品名:喜保宁),但在境内尚未获批上市,既没有厂家生产也没有商家销售,大多数患者只能找人代购。受新冠肺炎疫情影响,一些蝴蝶结节性硬化症患者一度还要合着“拼药”,所幸这一局面从4月底开始逐渐得到缓解。

涛子哥 他们都在坚持,我们有什么不能的。并蒂莲关爱中心发起人钟琪(化名)说。她是另一种罕见病——基底细胞癌综合征的患者。这是一种常染色体显性遗传的罕见病,因为太过罕见,许多医生都诊断不清楚,她在网上也只找到寥寥几个病友。

前几天,刘金柱和钟琪都在北京参加了一场罕见病群体的合作交流。刘金柱把这种交流活动视为罕见病界的武林大会:就像金庸小说里的帮派,偶尔开武林大会碰一下,其实还是应该多碰一碰,多交流一下。

罕见病用药如何进医保

在上述罕见病交流活动中,各种罕见

病患者、病友组织,以及医药企业、政府机构人士聚集在一起,讨论了许多议题。其中,最重要又最敏感的一个议题是罕见病用药该如何纳入医保?

近年来,全社会对罕见病群体的关注逐渐增多。2018年《第一批罕见病目录》出台,2019年全国罕见病诊疗协作网成立,此后多项罕见病支持政策不断出台。

蔻德罕见病中心发布的《中国罕见病医疗保障城市报告2020》指出,截至2020年5月18日,以《第一批罕见病目录》为统计依据,有38种罕见病药物被收录在国家医保目录中,涉及21种罕见病。还有14种罕见病药物(其治疗的8种疾病虽然尚未被收录于《第一批罕见病目录》)但已经是国际社群广泛认可的罕见病)也已被纳入国家医保目录中。

地方层面在医保和医疗救助上的灵活探索,已经成为罕见病保障的重要推动力量。据了解,有4种罕见病(包括戈谢病、庞贝病、BHD缺乏症和高苯丙氨酸血症)已被部分省市纳入当地医保支付或医疗救助中,这在一定程度上缓解了部分地区罕见病患者的用药及需求。

例如,山西、湖南、浙江、四川成都等省市已尝试将部分罕见病药物纳入省级或市级大病保险用药范围,在基本医疗保障报销之外的费用,由大病保险来承担,报销额度从几万元一年到几十万元一年不等。

2015年,浙江省将恩而赞等3种罕见病特殊药品纳入大病保险支付范围。2018年,浙江又将地拉罗司、醋酸兰瑞肽等8种罕见病药物与其他20种药物一起纳入大病保险支付范围。

此外,浙江还在全国第一个建立省级统筹的罕见病用药保障专项基金,按每人每年2元标准,实行全省统一保障范围、统一待遇水平、统一诊治规范、统一用药管理。据蔻德罕见病中心测算,浙江省每年罕见病用药保障专项基金可用预算为1.09亿元。

不过上述报告也提醒,目前仍有14种罕见病涉及的所有治疗药物均未被纳入我国医保目录,其中高值、特别昂贵的药物保障问题尤为突出。

前段时间引起广泛关注的70万元一

针的天价药——诺西那生钠注射液就是其中的缩影。这是一种罕见病脊髓性肌萎缩症(SMA)治疗的特效药。在一些国家,这款特效药已被纳入医保,或者有其他药品福利计划,购药成本大大降低。而在中国,因为这款药在2019年2月才获批上市,错过了参加当年医保谈判的机会,没能纳入医保。

如何摸清家底

对于上述SMA 天价药 的问题,国家医保局曾回应称,除了药物的原材料、研发成本等,药企也会考虑利润问题,该药处于市场垄断,已被纳入医保谈判过程。暂未拿到医保谈判入场券的诺西那生钠注射液原研药企渤健公司也公开表示,正在积极争取推动罕见病药物进入医保。

罕见病用药纳入医保,是大多数罕见病患者的共同心愿,但从医保的角度考虑,罕见病用药支付仍然是个复杂的决策过程。病人有多少?都在哪里?有哪些用药需求?在决定是否纳入医保前,一系列问题都等着回答。

2010年,中华医学学会遗传学分会将罕见病定义为患病率低于50万分之一的疾病,或新生儿发病率低于万分之一的遗传病。北京大学医药管理国际研究中心主任史文表示,照此估算,我国罕见病患者大约有2000万人,这是一个庞大的弱势群体,其治疗所需“孤儿药”(罕见药),用于预防、治疗、诊断罕见病的药品的可及性亟待提高,罕见病的法律制度设计、政策应对等方面也远远滞后于医学发展和社会需要。

一系列问题不仅困扰着政策研究者,也是许多罕见病患者及家属的关切。90后王军的小侄女是戈谢病患者,他从2016年开始积极参与戈谢病防治的社会倡导工作。他的家乡山西,已经将戈谢病治疗药物纳入省级医保统筹。但他有些遗憾地告诉记者:“我们能联系到的病友大概就三四百人。而按发病率估算,全国应该有戈谢病患者上千人,但这些人去哪儿,我们不知道。”

刘金柱接触了很多罕见病患者及家属。他说,因为大多数罕见病都是遗传疾

病,所以很多父母都不愿暴露自己或者孩子的身份,也不太愿意参与病友组织的交流活动。

钟琪则有更直接的担心——公开身份后会影响本职工作。她是一位公务员,此前多年体检结果都没有异常。她还一度为罕见病感到自卑和愧疚,感觉自己欺骗组织了。但她后来才了解到,许多医生也不了解她最后确诊的基底细胞癌综合征。帮我确诊的医生也就接触过2个病例。

中国罕见病联盟发布的《2019年中国罕见病综合社会调研》显示,在对全国44761名医务工作者开展调研后发现,有65.9%的受访者不了解罕见病,38.5%的受访者从未诊治过罕见病,只有12.5%的受访者熟悉国家罕见病政策,有43.1%的受访者表示罕见病医疗信息获取困难。

怎么摸清罕见病群体的“家底”?在8月22日举行的2020第二届罕见病合作交流会,北京协和医院党委书记、副院长张抒扬教授指出,出台罕见病目录、开展病患大数据分析和打造全国罕见病诊疗协作网,是近年来为支持罕见病群体在顶层设计上推出的三大举措。

据介绍,国家卫健委医政医管局已组建由全国324家医院组成的罕见病诊疗协作网:由北京协和医院提供多学科综合诊疗、远程医疗支持,32家省级牵头医院接收区域转诊,实施诊疗方案;291家成员单位进行患者初诊判断,汇总上报病情。

此外,国家卫健委指导建立了中国罕见病诊疗服务信息系统,实现病例直报,目前已有40余万条罕见病诊疗服务信息。北京协和医院还率先建设了罕见病临床队列研究和注册登记系统,从2016年12月运行至今,已有54840例罕见病注册登记档案。

只有深入了解全国罕见病发病基数、哪些疾病相对高发,了解哪些疾病更易致残、致贫、危及生命,才能向国家建言献策,有助于国家合理科学作出规划。张抒扬说。

怎么跑赢用药 最后一公里

对于患者规模的数据,赛诺菲特效药

事业部罕见病与罕见血液病业务负责人俞蕾也非常关心。在她看来,一些罕见病用药若想享受医保谈判资格,还需要经过清晰的基金测算,这就需要患者数据。

赛诺菲在罕见病领域耕耘多年,研发了治疗戈谢病、庞贝病、冻疮症、多发性硬化等罕见病的特效药,从1999年开始与慈善组织合作,为一批戈谢病患者提供无偿药品援助20年。

之前是很孤独的,那个其实未必是一个可持续的东西。俞蕾认为,对于罕见病用药问题,最关键的还是要建立可持续的模式,其中的关键是政府、企业和患者都要付出最大的努力,建立起1+N多方共付的合作模式。

这也是业内较为认可的罕见病用药支付保障模式,其中1指的是医保,N指的是其他途径。

病痛挑战基金会秘书长王奕鸥认为,任何一方都无法独自解决罕见病的挑战,需要价值共创的合作。患者、医生、企业等,可以探索不同模式,推动各相关方共同参与、通力合作。

自2018年发起设立以来,病痛挑战基金会的罕见病医疗援助工程已募集700余万元善款,帮助500余名罕见病患者。据王奕鸥介绍,这项工程能在已有罕见病保障政策的地区发挥作用,比如在贫困家庭自付费用10万元上限封顶的情况下,该工程提供上限为5万元的援助金,作为政府的补充力量。

俞蕾提到,在医保压力较大的情况下,引入商业保险的合作很值得尝试。普惠型商业保险也可以保障罕见病等重大疾病的治疗,但前提是很高的参保率,这就需要政府机构的参与。

事实上,此类尝试已经在广东佛山悄然开始。今年1月1日起,佛山实施商业补充医疗保险——平安福医保,2020年该保险缴费标准为185元/人/年,可最高报销239.6万元。有别于一般商业保险,该保险不排除儿童、高龄老人、已患病人群(含重大疾病患者),无等待期、无目录限制,保障范围涵盖住院及门诊慢性病种、门诊特定病种和癌症特药。

作为药企中人,俞蕾坦言1+N模式中的1(医保政策)是最重要的:没有这个1,剩下的是很难集合成力量的。

百济神州中国区总经理兼公司总裁吴晓滨也认为,要解决罕见病用药的保障问题,最重要但也最难的还是政策层面的推动。

如果从事罕见病用药研制的人很少,又没有医保,药企也没办法研发药品。在他看来,罕见病人群规模小,但罕见病用药所需要的研发时间、资金和费用可一样都不少,急需特殊政策来帮助简化审批流程。

发达国家都有政策,我们国家现在在逐渐建立这个政策,可以再快一点。他说。



9月20日,在菏泽市鄄城县旧城镇六合社区(三合村村台)选房后王庄村村民在办理用电入户登记。

安居梦 经过三年的规划建设,9月20日,位于鄄城县的山东省菏泽市鄄城县旧城镇六合社区(三合村村台)、七街村台、大那庄村台和安庄村台全部投入使用,首批迁建安置村民按照排序顺序,统一选房,准备乔迁新居。

2017年,山东省启动编制《山东省黄河滩区居民迁建规划》,通过外迁安置、就地就近筑村台、筑堤保护、旧村台改造提升、临时撤离道路改造提升等5种方式,到2020年年底完成60万滩区群众的迁建安置。

新华社记者 郭绪雷/摄



图片新闻

马军胜:只有40%的快递能够真正进入村里

金秋草原生产忙

新华社记者 彭源/摄

金秋草原生产忙

新华社记者 彭源/摄

金秋草原生产忙

新华社记者 彭源/摄

金秋草原生产忙

新华社记者 彭源/摄

金秋草原生产忙

新华社记者 彭源/摄

金秋草原生产忙

新华社记者 彭源/摄

金秋草原生产忙

新华社记者 彭源/摄

金秋草原生产忙

新华社记者 彭源/摄

金秋草原生产忙

新华社记者 彭源/摄

金秋草原生产忙

新华社记者 彭源/摄

金秋草原生产忙

新华社记者 彭源/摄

金秋草原生产忙

新华社记者 彭源/摄

金秋草原生产忙

新华社记者 彭源/摄

金秋草原生产忙

新华社记者 彭源/摄

目前,贫困地区的市场推广工作,有相当一部分已经依靠政策扶持完成了。但科学素质和生产技术这两课,还得经过长久的磨练才能内化于心,最终锻造出在市场上硬碰硬的能力。

中青报 中青网记者 李晨赫

19省40余县 这是国家食用菌产业技术体系首席科学家张金鑫交出的扶贫答卷。从1987年技术支援国家贫困县湖南永顺开始,张金鑫已经在科技扶贫的道路上耕耘了33年,也让小蘑菇成了脱贫致富的大帮手。今年,她被提名全国脱贫攻坚奖创新奖。

从装满废罐头瓶的洗衣盆出发

从河南到湖北,从陕西到甘肃,从贵州到广西,张金鑫深入贫困县现场指导菌种生产、栽培管理、保鲜加工和菌渣利用,对当地的技术中心进行指导。其中,最有代表性的技术支持,便是河北省承德市平泉县。如今,平泉县依靠小食用菌,摘掉了贫困的帽子,更赢得

了中国食用菌之乡的美誉。

平泉县位于燕山-太行山山脉。在平泉,食用菌种植已经有30年的历史了,当地农法生产已经有九成以上达到适度规模。但直到本世纪初,平泉依旧没有摘掉贫困县的帽子。

适逢2000年年初,全国食用菌产业高速发展,商业版图重塑,平泉县的相关领导和群众也想乘上这股东风,走上扩大规模、工业化生产的道路。

但这热情被张金鑫浇了“冷水”。为啥?

这和她对我国食用菌市场的把握密不可分。1981年张金鑫硕士毕业后,一头扎进食用菌的科研领域。她从废品收购商贩那儿买废罐头瓶,用大号洗衣盆清洗,手工拌料装瓶灭菌、接种培养优质菌种,甚至到农民家里为农民制作菌种,走家串户进大棚指导农民种蘑菇。

从装满废罐头瓶的洗衣盆出发,张金鑫成长为国家食用菌产业技术体系首席科学家、国家973计划项目首席科学家。有20项食用菌的国家(行业)标准都由她参与制(修)定。

蘑菇种植太“金贵”

太辛苦,风险太大,技术含量太高太密集。有一点儿闪失,就出毛病。张金鑫太了解蘑菇种植多金贵。今年多下两场雨、夏天有两天特别热,之前的努力可能就全白费了。

然而种蘑菇的地区,很多都是穷地方。这个被不少人认为门槛低的产业,成为很多地方摆脱贫困的首选。

种蘑菇的门槛确实低:买块大塑料布挡风,编个草帘子遮光,光热条件就算调控了。钱多有钱少的干法,一两千元的投入也有产出。精心着点儿,就差不多能有收入。满足“精心”的前提,是科学素养达到基本水平。

在村里,张金鑫叮嘱农户,温度上来了,快把帘子撩起来,要不里面蘑菇该坏掉了。

好!知道了!农户答应得痛快,但可能没当回事儿。蹦蹦回家才想起来,这帘子还挡着。算了!明天再撩吧!可就这一夜,一棚的菌棒就可能烂

一大半,最后无钱可赚。

张金鑫告诉中青报 中青网记者,目前,贫困地区的市场推广工作,有相当一部分已经依靠政策扶持完成了。但科学素质和生产技术这两课,还得经过长久的磨练才能内化于心,最终锻造出在市场上硬碰硬的能力。

张金鑫说,上世纪90年代中后期,我国食用菌迎来规模化农业栽培。2005年前后,食用菌行业迎来爆发期,专业化的食用菌种植模式得以广泛推广应用。如今经过近40年的发展,食用菌已经从规模性增长转为提质增效型增长。产品的质量和市场价值决定着生产的价值。为此,她建议,平泉继续保持农法栽培、夏季菇、单元适度规模生产的生产模式,更新品种,改造菇棚,提升夏季菇的品质。

如何提质增效?必须从技术上想办法。夏天最热的时候如何降温、冬天最冷的时候如何升温?条件都满足了,才能种出优质菇。

因此,每到夏季出菇的季节,就是张金鑫最忙碌的时候。2018年以来,她带领团队常驻平泉。在平泉县的400多天里,她

们不停地试验,终于攻克香菇菌种质量控制技术难关。试制的菌种棒单产提高15.3%-25%,优质菇率提高了40%,纯利润增加0.9元-1.35元/棒。假设贫困户采用本项技术种植1个大棚,种植食用菌1万棒,纯利润能够增加9000元-1.35万元。这项新技术预计在2020年将为平泉菇农增加纯收入5.4亿元-8.1亿元,并已经在辽宁凌源、河南卢氏、湖北随州、贵州安龙等地贫困县广泛推广。

经过十几年的努力,平泉香菇成为我国夏季优质香菇的代名词,平泉县于2018年4月退出贫困县序列。

打开致富之门的金钥匙

六盘山区、秦巴山区、武陵山区、燕山-太行山区、滇桂黔石漠化区、大兴安岭南麓山区、大别山区等连片特困地区;甘肃舟曲、川藏高原的雅江、亚东、新疆伊犁的察布查尔等贫困县 张金鑫马不停蹄。为了给当地节约资金,坐着长途汽车奔波,白天工作、夜间赶路是常事。近几年,她也欣喜地看到,脱贫攻坚工作给

食用菌种植业带来了新的机遇。一些经验,具有推广价值。

例如,为啥平泉能做成“中国食用菌之乡”除了和京津冀等消费市场近,相关政策有延续性之外,老百姓吃苦耐劳,才是打开致富之门的金钥匙。

平泉海拔较高,昼夜凉快,甚至能低到十四五摄氏度。在这种温度下采摘蘑菇,蘑菇的后熟能够得到抑制,变老的速度慢,能卖个好价钱。当地种户半夜一两点,头顶着矿灯采蘑菇,不怕辛苦。

除了吃苦耐劳,张金鑫发现,通过合作社机制,企业被引入农村。贫困地区的农民眼界被打开,思想上渐渐跟市场接轨。这是真正从根本上帮助农民脱贫的办法。

食用菌和粮食不同,作为非刚需的食品品类补充,它必须高度满足市场需求。头脑灵活、对市场把握更准确的农户,会根据市场的新需要及时调整种植品种和品类。本来能挣一块钱,换个思路能赚一块五、两块钱。同村的村民看到了也能效仿,这就是小小蘑菇上的先富带动后富。

张金鑫表示,目前,我国85%左右的食用菌种植仍以农业化方式为主。这种投入门槛相对低、离家近的种植方式,更适合农民。不过,食用菌市场也是近饱。对这些地区来说,当务之急是尽快与科研单位建立长期的合作关系,同科技机构展开服务合作。