



新增7种罕见病用药纳入医保

为流逝的生命按下减速键

三面财经

中青报 中青网记者 王 林
见习记者 袁 洁 王雪儿

罗氏的利司扑兰口服溶液用散(商品名:艾满欣)进入国家医保了,成交价格 是 3780 元/支。不久前听到这个消息,罕见病脊髓性肌萎缩症(SMA)患者王炎和许多病友一样感到振奋和开心。

让王炎和其他 SMA 患者感慨的不仅仅是更低的药价,还有更多的用药选择。此前,同样用于治疗 SMA 的药物诺西那生钠注射液从最初上市的 70 万元/针,经过 2021 国谈 后以 3.3 万元/针左右的价格进入医保目录。因为诺西那生钠注射液需要鞘内给药,而许多 SMA 患者患有严重的脊柱侧弯,所以在使用诺西那生钠时会比较疼痛,给药难度也比较大,而新纳入国家医保药品目录的利司扑兰解决了这些痛点。

1 月 18 日,国家医保局公布的名单显示,有 7 种罕见病用药新增进入 2022 年国家医保目录,涉及多发性硬化、肺动脉高压、遗传性血管性水肿、肌萎缩侧索硬化、脊髓性肌萎缩症和视神经脊髓炎谱系疾病。此前,已有 45 种罕见病用药被纳入医保目录,覆盖 26 种罕见病,极大地降低了罕见病患者的负担。

《中国罕见病定义研究报告 2021》指出,新生儿发病率小于万分之一、患病率小于万分之一、患病人数小于 14 万的疾病被定义为罕见病。国家卫健委等机构此前公布的数据显示,我国现有各类罕见病患者 2000 多万人,每年新增患者

在 2022 年国家医保谈判中,灵魂砍价 再次上演。此次加入 国谈 的利司扑兰口服溶液用散(规格为 60 毫克每瓶)上市价格是 6.38 万元,经过医保局多轮 砍价 后降价为 3780 元,降幅约 94.08%。

超过 20 万人。

灵魂砍价 再次上演,罕见病 药有所保

听到 SMA 治疗药品再次纳入国家医保的消息,对王炎来说 就像在黑暗中出现了一缕阳光,有人在为我飞快流逝的生命上按下了减速键。

王炎在 1 岁时还不会走路,也站不稳,后来几经辗转转去了福州医科大学附属医院和首都儿童重症医院检查后才确诊患有 SMA 罕见病。2022 年,治疗 SMA 的药物诺西那生钠注射液进入国家医保目录,王炎赶紧报名用药,先后注射了 5 针诺西那生钠,用药后虽然体力仍然没有好转,但体质、体重都有所改善。医生告诉他,这款罕见病药品在第一年需要打 6 针,往后每年只需要打 3 针。

美儿 SMA 关爱中心等机构此前发布的《中国 SMA 患者生活质量研究》显示,自诺西那生钠进入国家医保目录以来,开始使用该药的患者家庭大幅增加。调研时正在使用诺西那生钠注射液的患者中,有 76.4% 是在医保覆盖后开始用药。整体而言,无论是使用诺西那生钠还是利司扑兰,用药患者,尤其是长期用药的患者,与不用药的患者相比,其日常活动的自主程度有明显改善,生活质量平均得分

也更高。大部分患者家庭的药物负担也大大减轻。

在 2022 年国家医保谈判中,灵魂砍价 再次上演。此次加入 国谈 的利司扑兰口服溶液用散(规格为 60 毫克每瓶)上市价格是 6.38 万元,经过医保局多轮 砍价 后降价为 3780 元,降幅约 94.08%。

从过去 70 万元/针(患者)根本用不起,到现在能够用得起,又有了新选择,这本身其实也是整个医保制度完善和进步的表现。北京病痛挑战公益基金会信息研究总监郭晋川表示,近几年越来越多罕见病患者迎来了 病有所医、医有所药、药有所保 的希望。

事实上,研发罕见病治疗药物的药企也通过纳入医保实现 薄利多销。以治疗 SMA 的诺西那生钠为例,根据中科技 CHIS 开思的数据,这款药物在进入 2021 版医保药品目录后,在 2022 年上半年全国等级医院销售额为 3.79 亿元,同比增长 5 倍,是 2021 年全年销量的 2.5 倍。

供需两端发力,让罕见病 好药不愁卖

在春节前公布的 2022 版国家医保目录中,共有 19 个罕见病药物进入初审,最终成功纳入目录的仅有 7 个罕见病用药。相比此次 国谈 药品总体高达

82.3% 的谈判成功率,罕见病药物的 国谈 不确定性仍然较高。

根据此前业内流传的 谈判规则 ,年治疗费用在 50 万元以内的药品才能够获得谈判资格,年治疗费用不超过 30 万元的药品才能最终进入目录。这意味着,仍有许多高值罕见病药品难以进入医保。《中国罕见病行业趋势观察报告》指出,纳入我国首批目录的罕见病中,有 14 种罕见病的 29 个药物未进入医保范围。

在业内人士看来,罕见病药物的 国谈 成功率不高,是因为国家医保的主要原则是 保基本 ,而动辄几十万上百万元的高值罕见病药物占用医保基金的份额较高。国家医保局此前在答复全国人大建议时也表示,在连续 4 年对独家药品开展准入谈判后,诺西那生钠、麦格司他、氘丁苯那嗪等罕见病用药降价后进入目录,平均降幅超 50%,大幅减轻了罕见病患者用药负担。然而特别昂贵的罕见病药品暂无法纳入医保,也不支持地方单独探索高值罕见病药品保障机制。

保障罕见病用药,不能仅靠医保谈判,还需要多方力量介入,共同构筑 1+X (医保+其他)保障体系。中国政法大学政治与公共管理学院副教授廖蔺宜谈到,现在各地普遍出台的 惠民保 等政策,基本都把罕见病用药囊括在内,对于非既往适应症的报销比例可高达 80%,与基本医保的报销比例持平,这个也是 X 比较好的一个实施路径。

廖蔺宜认为,从市场的角度,由于罕见病患者群体少,在药品注册审批环节,可以通过减少入组患者数量、单臂(单组临床试验)二期成功即获批等鼓励性政策来加快药品的审批上市,为企业切实解决决策障碍,确保上市后快速造福患者。

ChatGPT 来了 AI 企业如何应对

学习或挑战 ChatGPT 的 正确姿势,或许还是在更基础、更底层的原始创新中寻找力量。一些中国企业在芯片、操作系统、AI 大模型等方面持续投入,并且有所产出,ChatGPT 的出现,也是中国 AI 企业加速奔跑,迎来新一轮发展的契机。

员对记者说,他甚至为此对我说 抱歉 。凭借出色的表现,ChatGPT 仅用两个月便吸引了超过 1 亿用户的关注,一跃成为 20 年来互联网领域增长最快的消费类应用。

北京时间 2 月 7 日凌晨,美国科技巨头谷歌紧急入局,宣布基于 LaMDa 大模型的人工智能对话式机器人 Bard 正在进行内测。次日,微软宣布推出由 ChatGPT 支持的最新版本 Bing 搜索引擎和 Edge 浏览器,热潮升温并迅速波及中国。

就在谷歌官宣 Bard 内测的当天下午,百度官宣了大模型新项目 文心一言 (ERNIE Bot),并表示预计在 3 月完成内测。随后一段时间,阿里巴巴、360、科大讯飞、腾讯等多家国内企业纷纷表示对 AI 技术发展的关注。2 月 10 日,京东云宣布旗下言犀人工智能应用平台将推出产业版 ChatGPT--ChatJD。

从科技巨头,到行业龙头,中国企业竞速 AI 赛道,AIGC(利用人工智能技术来生成内容)等人工智能概念在股市一路狂飙,虽然在监管出手后很快平息躁动,但涨势依然存在。中信证券研究报告认为,ChatGPT 在全球的流行正在推动 AIGC 产业化全面提速,将引领创成式 AI 新变革。

ChatGPT 热潮涌动,正处于冷静期的人工智能投资和产业布局迎来小阳春。

用大数据、大算力、强算法 喂养

商企入局,资本关注。ChatGPT 热潮涌动的背后,是 AI 大模型的一次场景化落地。ChatGPT 的成功,意味着 AI 大模型之路的发展成熟。中国信通院云计算与大数据研究所所长何宝宏日前在一篇评论文章中写道。

AI 大模型是人工智能迈向通用智能的里程碑技术,模型可以自动从数据中学习知识,提升性能。GPT 是 OpenAI 推出的 AI 大模型系列。从 2018 年到 2022 年,OpenAI 先后迭代并推出了 GPT-1、GPT-2、GPT-3 和 InstructGPT,此次发布的 ChatGPT 就是在 GPT-3 的基础上通过指令微调后得到的。

2022 年初,OpenAI 团队开始用 GPT-3 构建 ChatGPT。据《财富》杂志报道,通过 GPT-3 训练 ChatGPT 的过程并不顺利,对话的效果并不理想,因此 OpenAI 决定将 ChatGPT 放到 野外 供大众使用。

结果,2022 年年底 ChatGPT 实现了现象级的传播,这出乎制作团队所料。

这绝对令人惊讶。OpenAI 首席技术官米拉 穆拉蒂在接受媒体采访时说,OpenAI 用了 5 年时间在 GPT 大模型迭代上完成了一场自我革命,在对话的场景中实现爆发。

ChatGPT 通过一种非常简单的对话方式,构造了非常好的应用场景。360 创始人周鸿祎认为,ChatGPT 提供的这些应用场景非常贴近大多数人日常的刚需和痛点,所以它才会火起来,能出圈。

出圈是偶然的,但 ChatGPT 的成功却并非偶然,OpenAI 在 GPT 系列模型的人工智能对话式机器人 Bard 正在进行内测。次日,微软宣布推出由 ChatGPT 支持的最新版本 Bing 搜索引擎和 Edge 浏览器,热潮升温并迅速波及中国。

就在谷歌官宣 Bard 内测的当天下午,百度官宣了大模型新项目 文心一言 (ERNIE Bot),并表示预计在 3 月完成内测。随后一段时间,阿里巴巴、360、科大讯飞、腾讯等多家国内企业纷纷表示对 AI 技术发展的关注。2 月 10 日,京东云宣布旗下言犀人工智能应用平台将推出产业版 ChatGPT--ChatJD。

从科技巨头,到行业龙头,中国企业竞速 AI 赛道,AIGC(利用人工智能技术来生成内容)等人工智能概念在股市一路狂飙,虽然在监管出手后很快平息躁动,但涨势依然存在。中信证券研究报告认为,ChatGPT 在全球的流行正在推动 AIGC 产业化全面提速,将引领创成式 AI 新变革。

ChatGPT 热潮涌动,正处于冷静期的人工智能投资和产业布局迎来小阳春。

用大数据、大算力、强算法 喂养

商企入局,资本关注。ChatGPT 热潮涌动的背后,是 AI 大模型的一次场景化落地。ChatGPT 的成功,意味着 AI 大模型之路的发展成熟。中国信通院云计算与大数据研究所所长何宝宏日前在一篇评论文章中写道。

AI 大模型是人工智能迈向通用智能的里程碑技术,模型可以自动从数据中学习知识,提升性能。GPT 是 OpenAI 推出的 AI 大模型系列。从 2018 年到 2022 年,OpenAI 先后迭代并推出了 GPT-1、GPT-2、GPT-3 和 InstructGPT,此次发布的 ChatGPT 就是在 GPT-3 的基础上通过指令微调后得到的。

2022 年初,OpenAI 团队开始用 GPT-3 构建 ChatGPT。据《财富》杂志报道,通过 GPT-3 训练 ChatGPT 的过程并不顺利,对话的效果并不理想,因此 OpenAI 决定将 ChatGPT 放到 野外 供大众使用。

结果,2022 年年底 ChatGPT 实现了现象级的传播,这出乎制作团队所料。

这绝对令人惊讶。OpenAI 首席技术官米拉 穆拉蒂在接受媒体采访时说,OpenAI 用了 5 年时间在 GPT 大模型迭代上完成了一场自我革命,在对话的场景中实现爆发。

把握优势,竞逐 生成式 AI 浪潮

热潮已经袭来,有技术基础的企业在强势突围,没有技术基础的企业准备发

力,尚待进场。而等热潮退去,能否留在场上,还需看清自己的优势和短板。

ChatGPT 是 AIGC 的一种实现。董晓飞认为,在 AIGC 的大模型建设和应用层面,国内企业在技术基础和创新环境上都存在着相对优势。

首先,国内持续投入大模型研发、技术基础扎实。目前,阿里达摩院的多模态大模型 M6 参数量已达 10 万亿,是全球最大的 AI 预训练模型;华为盘古、百度文心等大模型的参数量都超过了千亿,其中百度文心模型参数量已经达到 2600 亿,不逊于 GPT-3。国内有关企业、研究机构近几年在大模型方面已经有了技术积淀。董晓飞说。

其次,国内加快 产业数字化转型、实现人工智能与实体经济融合等政策为人工智能提供了创新发展环境。近日,国务院国资委印发《关于做好 2023 年中央企业投资管理进一步扩大有效投资有关事项的通知》,指出要加大对 5G、人工智能、数据中心等新基建投入。近年来,我国发布了一系列政策文件,为人工智能核心技术攻关、产品落地应用以及探索发展新模式新路径提供支持。

把握优势的同时,也要看到目前面临的一些挑战。如 AI 领军人才相对短缺,AI 与实体经济的融合程度仍需进一步加深等等。对此,董晓飞建议,要特别关注一些底层技术的发展,如大模型框架、算法等,还要进一步拓展 AI 的应用场景。同时他也表示,要进一步提升大众对 AI 的认知,这对于 AI 的发展是有好处的。

但董晓飞也指出,基于大模型的聊天机器人成本投入巨大,企业前期投入需保持一定的谨慎,且需要看清方向。

中国新一代人工智能发展战略研究院发布的《中国新一代人工智能科技产业发展报告(2022)》数据显示,中国人工智能企业布局侧重在应用层和技术层。其中,应用层人工智能企业数占比最高,达 85.18%;技术层和基础层企业数分别占比 12.41%和 2.41%。由此可以看出,我国人工智能发展在应用层面有较大优势。

在董晓飞看来,ChatGPT 的成功出圈模式为企业提供了大模型、生成式 AI、智能对话等技术的商业化应用路径,尤其将助力 生成式 AI 通过更多形式实现在更多行业的探索和应用。

目前来看,国内大模型开发厂商一是布局以大模型为基础的通用对话、生成等能力;二是将其能力整合到搜索引擎、智能客服、智能音箱等产品线中;三是通过能力调用为中小企业满足具体场景落地需求。董晓飞说。

随着 ChatGPT 的爆火,随之而来的安全、隐私保护、知识产权等问题也值得关注。目前国外出现有学生使用 ChatGPT 写论文作弊的情况。模型使用大量的数据进行训练,也存在使用过程中可能提供他人创作的侵权行为风险。董晓飞认为,如何防止 ChatGPT 类产品的滥用对社会产生潜在负面影响亟须得到重视。

更希望我们目前的一些主流企业、科研机构,在生成式 AI 上发力,能引领新时代的 AI 发展。

年,治疗多发性硬化的药物注射用重组人干扰素 β -1b (倍泰龙)进入医保,谈判后降价 28.9%,医保支付标准为 590 元(0.3mg/支)。但进入医保后倍泰龙的销售业绩并不理想,并且在 2019 年医保谈判中未能续约。

这个药在当时就是因为医院根本就开不出,患者也用不上药。郭晋川认为,解决 国谈药 落地难问题有两个路径,一是 双通道 ,即从医院、药店两个通道去解决患者用药问题;二是从 药占比 (即药品占医疗费用的比例)、次均费用 (某医疗机构一段时间内所有病人在该院发生费用的平均数)、医疗机构的用药目录限制等考核机制入手。

2021 年,国家医保局联合国家卫健委制定出台了 双通道 的管理政策,在支持定点医疗机构做好药品配备的基础上,指导定点的零售药店合理配备医保目录内的药品,特别是谈判准入的新药,实行与定点医疗机构统一的报销政策。国家卫健委的数据显示,截至 2022 年 12 月,国家医保目录中 275 个协议期内的谈判药品,在全国大约 21 万家重点医药机构有配备,其中定点医疗机构 5.4 万家,定点零售药店 15.5 万家。

此外,2022 年 9 月,国家医保局给农工党中央的一份答复函中提到,将合理使用的谈判药品单列,不纳入医疗机构药占比、次均费用等影响其落地的考核指标范围,医疗机构不得以医保总额控制、医疗机构用药目录数量限制、药占比等为由影响谈判药品配备、使用。

这些等于给医院配备 国谈药 有了明确的政策说明,对于医院来讲 也就会有一定的灵活性。郭晋川说,具体落地情况可能会有时间差,因此也需要罕见病患者积极表达用药需求。

廖蔺宜指出,目前基本只能在北上广深等一线城市的权威三甲医院才能检查出罕见病,大量基层医院缺乏相应的诊治能力。因此,他建议继续加强药品配备,比如确保每个地级市至少有一家药店供应罕见病药品,对于配备罕见病药品的医院,相关企业、当地政府可以给予适当的补贴等,从而促进罕见病用药在 最后一公里 更加可及。(受访者要求,王炎为化名)

类似的情况在前几年也存在。2017

图片新闻

贵州黔西：
乡镇企业冲刺 开门红

2月8日,青年工人在贵州省黔西市钟山镇一家造纸车间生产线上忙碌。 周训超/摄

山东枣庄：
新春伊始车间工人加快生产进度赶订单

2月11日,山东枣庄,在山东省枣庄市永安镇一家高科技生产企业,技术人员在车间生产高端磁性器件。 视觉中国供图