



“不用药孩子就蔫了”

罕见病戈谢病用药纳入医保,让家属看到了希望;2023年国家医保目录新增126个药品,覆盖15种罕见病等多领域,而目前获批的75种罕见病用药有50余种纳入医保

“每一个小群体都不应该被放弃。”这是在罕见病药物医保谈判现场响起的话语。日前,国家医保局公布2023年国家医保药品目录调整结果,126个药品新增进入目录,其中,新冠、抗感染用药17种,糖尿病、精神病、风湿免疫等慢性病用药15种,罕见病用药15种,谈判或竞价成功的药品价格平均降幅61.7%。从今年的国家医保药品目录申报范围可看出,再次向罕见病患者、儿童等特殊人群适当倾斜。用于治疗戈谢病的酒石酸艾格司他胶囊、治疗阵发性睡眠性血红蛋白尿(PNH)等疾病的依库珠单抗注射液等罕见病药物成功纳入医保。

医保谈判博弈的背后是场双向奔赴,为了每一名患者的翘首以盼,对垒的焦点不仅是小小“一粒药”,更承载着患者的希望、考量着医保的负担、牵扯着企业的利益,也凝聚着背后无数促成这场谈判的心血与努力。



别担心, 我们来了

罕见病用药 纳入医保

建隆漫画

现状:公认的罕见病近7000种 很多无有效治疗药物

罕见病名为“罕见”,却并不罕见——目前,国际公认的罕见病近7000种。对于罕见病患者来说,无药可用是他们大部分时候面临的困境。

有统计显示,目前全球范围内只有不到5%的罕见病有有效的治疗药物。但即便在这5%以内,一些患者和他们家庭仍然要面临另一道经济难关。据《中国罕见病高值药物医疗保障研究报告》,一

些有药可医的罕见病治疗费用年均约百万元,有些甚至达到数百万元,这样的天文数字对于普通家庭来说无疑是不可承受之重。

2021年,治疗罕见病脊髓性肌萎缩症的诺西那生钠注射液通过谈判进入医保目录,让罕见病药物纳入医保保障覆盖有了更多探索的可能。但治疗戈谢病的药物此前没能纳入医保目录。

案例:停药后不停流鼻血 肝脾肿大骨痛难眠

今年上大二的方浩然就是一名罕见病患者。2015年刚确诊戈谢病时,他才11岁。爸爸方林玉回忆,孩子10岁时身上经常出现青紫,肚子也经常不舒服。当时方林玉发现孩子吃饭少、肚子大,去检查发现血小板只有20多。从儿子2015年患病到现在8年时间,方林玉和妻子一直在为孩子的病

奔波。这种由1号染色体中隐性遗传致病基因导致的罕见病,会导致患者出现生长发育落后于同龄人、肝脾肿大、骨和关节受累等一系列症状。在方林玉看来,孩子患病后,生活像脱轨的火车一样。他手机里有一个求助信,上面的签名者都是患病孩子的家长。戈谢病用药根据患者

体重计算用量,随着体重不断增加,药费也会随之增加,从一年几十万元,增长到几百万元。“一个患病孩子就能导致一个家庭困难了。”“用药的情况下跟正常人是一样的,不用药的情况下孩子就蔫了。”方林玉坦言,戈谢病停药的后果是患者无法承受的——不停地流鼻血;肝脾肿大;极易骨

折,因骨痛彻夜难眠。而现在相关用药日前首次纳入医保目录,让一家人看到了更多的希望。方林玉说,今后的希望是越来越好的,孩子不久后就可以用上目录内的新药,他更期待,未来儿童用药也有纳入医保目录的希望,“国家现在对这个罕见病越来越关注,这一点我是很相信的”。

医生:让“孤儿药”不再可望而不可即

国家医保局医药服务管理司司长黄心宇在发布会上介绍,此次调整后,目录内药品总数将增至3088种,其中西药1698种、中成药1390种,慢性病、罕见病、儿童用药等领域的保障水平得到进一步提升。此次调整新增15个目录外罕见病用药。

“单基因遗传病是由于单个基因变异导致功能异常引发的疾病,在罕见病中占比80%。”罕见病研究专家、北京协和医院儿科主任医师邱正庆介绍,脊髓性肌

萎缩症(SMA)、戈谢病等都属于单基因遗传病,将这些疾病用药及时纳入医保对患者有重要意义。此外,可用于治疗阵发性睡眠性血红蛋白尿症(PNH)、非典型溶血性尿毒症综合征、难治性全身型重症肌无力3种罕见病的依库珠单抗也成功进入医保。

“依库珠单抗2007年在海外上市,当时一年治疗费300万元,要用一辈子,有多少人能用得起?”在采访过程中,作为PNH专家的北京协和医院血液内科主任

谈判专家:让创新药进医保更快点

近三年,通过医保目录准入谈判,国家医保局已累计将26种罕见病用药纳入医保药品目录,平均降价超50%。叠加其他药品准入方式,目前获批在中国上市的75种罕见病用药已有50余种纳入医保保障覆盖。

前很多进口药受到国际定价策略影响,以戈谢病药物为例,如果使用进口药物,年治疗费用在300多万元,高昂的定价让其难以进入医保目录保障范围。在他看来,通过国产自主创新是能够惠及罕见病患者的一条道路。

此次谈判成功新纳入医保目录调整的酒石酸艾格司他胶囊正是去年年底获批的首仿药。这场谈判进行的时间仅有19分钟,医保谈判方和罕见病药物企业相向而行,兼顾了罕见病患者能用上药、医保保障覆盖三方的共赢。

“更多创新药品纳入医保支付范围,对人民群众是有利的。但创新药价格相对较高,在精准测算的底价范围内,我们带着真心真情探寻真价,并不是一味砍价。”医保谈判专家组第二组组长、云南省医保局副局长金梅表示,谈判组希望找准一个平衡点,让创新药进医保更快点,既有利于医药产业创新,也要促进药品价格回归到科学合理水平。

记者手记

“生命至上”的双向奔赴

谈判环节也是寻求共赢的“双向奔赴”。在参与了多场医保谈判后,记者注意到几乎每次谈判成功后,医保方谈判专家和企业方代表都会松一口气,而每次谈判失败后,双方也无一不是充满遗憾,因为每一场博弈的背后,都是无数患者与家庭的翘首以盼。

外科首席专家支修益说,近年来随着更多我国自主研发抗肿瘤药物的出现,以往一些药品种类只能选择进口药的格局有所改变。

一名参加城镇职工医保的患者给记者算了笔账:假设没有医保报销,抗肿瘤药安罗替尼一年用药费用为7万多元;医保报销后,一年仅需负担约1.5万元。

PNH病友之家发起人佳佳表示,希望新版医保目录正式施行后,罕见病医保通道能更加顺畅,让有需求的病友们都能真正用得起药、用得上药。

“进医保后安罗替尼的价格已大幅下降,提升了肺癌患者用药的可及性和医生的临床用药选择。”首都医科大学宣武医院胸

据悉,通过谈判纳入目录的药品,大部分是近年来新上市、临床价值高的药品,大量新机制、新靶点药物被纳入目录。通过谈判,创新药的价格更加合理,患者可负担性大幅提高,多数出现了销量、收入齐升的情况。

(综合新华社、央视新闻、央广中国之声、人民日报)

日春茶业 RICHUN TEA

真品质 不二价

分类信息

广告热线: 0595-22567990
13505004222

遗失声明

福建子校建筑劳务分包有限公司不慎遗失铜质圆形的公章一枚,印章编号:35058310056269,现声明作废。

遗失声明

泉州市景乐宝平物流有限公司不慎遗失圆形、铜质公章一枚,印章编号:35058110019364,现声明该公章作废。

遗失声明

云霄县马铺乡罗海森遗失残疾人证:35062219480426351942,声明作废。

遗失声明

泉州市科雷得电子科技有限公司不慎遗失公章一枚,现声明作废。