

- 针对一些有确切治疗效果的罕见病药物，可以考虑逐步纳入医保，但到底哪些罕见病治疗药物可以纳入医保范围，有待进一步评估和商榷
- 对高价罕见病药物的负担不应该仅指望医保兜底，还应该探索政府、公益机构、企业及患者个人参与的“多方共付”医疗保障模式，但目前我国的社会支持帮助系统尚未完善，应该放开一些社会力量参与，国家也可通过税收调节等方式鼓励企业资助

一支小小的5毫升注射液，售价70万元。对SMA(脊髓性肌萎缩症)患儿来说，每一滴诺西那生钠都像金子一般珍贵。它意味着患儿有了活下去的希望，但也意味着一个家庭可能倾家荡产。

公开资料显示，SMA是一种罕见的染色体隐性遗传病，以脊髓和下脑干中的运动神经元丢失为特征，导致严重的、进行性肌肉萎缩和无力，在新生儿中发病率约为六千分之一到万分之一。SMA根据患者发病年龄与临床病程由轻至重分为4型，其中最重的分型一般在6个月内发病，如果不进行治疗，大多数患儿无法存活到两岁。

前不久，广东一位SMA患儿的母亲向国家药监局提交信息公开申请，希望了解诺西那生钠注射液的采购方式和国内定价依据。

此事引发社会对于售价70万元一针的诺西那生钠注射液的关注，该不该将其纳入医保、能否“多方共付”、鼓励研制新药还是进行特殊药物仿制成为主要争议点。

特效新药定价高昂

如何压缩利润空间

诺西那生钠注射液是全球首个SMA精准靶向治疗药物，由渤健公司研发，2016年12月23日首次在美国获批，并陆续在欧盟、巴西、日本、韩国、加拿大获得批准用于治疗SMA。2019年2月22日，诺西那生钠注射液正式获得国家药品监督管理局批准，成为中国首个治疗SMA的药物。

据《华夏时报》报道，目前，国内的SMA患儿只有使用这种昂贵的药物，才能有生存的希望。在症状前给药实验中使用诺西那生钠注射液后，患儿100%可以独坐，92%可以辅助行走，88%能独立行走。

《法治日报》记者注意到，诺西那生钠注射液高昂的价格被广泛讨论。

目前，诺西那生钠注射液在国内的售价为每支69.7万元，属于完全自费药物，患者

在第一年内需要注射6支，之后每4个月注射1支，年年如此。

有神经科医生介绍说，就单价而言，我国的公开价格在全球范围内已经是最低水平了。在美国，据此前渤健生物的公开声明，诺西那生钠的单支价格为12.5万美元(折合人民币约87万元)，相较中国单支近70万元的售价，高出约20%。在澳大利亚，政府采购该药品价格为每支11万澳元(折合人民币约55万元)，亦十分高昂。

据中国政法大学医药法律与伦理研究中心主任刘鑫介绍，我国政府已经在削减中间环节、降低药品费用方面作了很多努力和改革，比如提出和实施“两票制”。

“两票”是指药品生产企业到流通企业开一次发票，流通企业到医疗机构开一次发票，目的是减少药品流通环节，使中间加价透明化，进一步推动降低药品虚高价格，减轻群众用药负担。从2016年4月试点，到2016年11月进一步深化，再到2017年1月9日政策终于落地，原国家卫计委、原国家食药监总局等八部委联合发布了《在公立医疗机构药品采购中推行“两票制”的实施意见(试行)》。

2020年1月17日，国家医保局又发布了《国家组织药品集中采购和使用试点方案的通知》，意味着“4+7带量采购”政策正式落地。

“药品的利润空间已经被大大压缩了，很多药品的价格已经明显下降了。”刘鑫说。

据中国医院协会医疗法制专业委员会常务副主任委员兼秘书长郑雪倩介绍，国家已经在努力降低进口药物关税，以减少患者的支出费用，比如根据《中华人民共和国进出口关税条例》相关规定，自2018年5月1日起，以暂定税率方式将包括抗癌药在内的所有普通药品、具有抗癌作用的生物碱类药品及有实际进口的中成药进口关税降为零。但是像诺西那生钠注射液这样的高价罕见病进口药物，不是通过降低关税就能大幅度减轻患者家庭负担的。

一位研究国内医保制度的专业人士说，药物上市阶段，定价是由企业自行决定的。2014年国家发展改革委取消药品最高零售价限价后，药品若未纳入医保，定价决策基本比较市场化。

业内人士普遍认为，新药研发一直被认为是高风险、高收益的活动，针对罕见病的靶向药物成本更高，加上罕见病患者群体小，极有可能出现亏损，药企往往“望而却步”。因此，罕见病的特效新药一旦问世，基本处于垄断状态，且定价较高。

能否纳入医保体系

目前来看仍未可知

该不该将诺西那生钠注射液纳入医保也是此次舆论焦点。

根据渤健公司的声明，截至2020年6月30日，诺西那生钠注射液已在全球50个国家和地区获批，并在40多个国家和地区获得了报销。

澳大利亚药品福利计划网站的公开信息显示，诺西那生钠注射液已被纳入药品福利计划，药品的政府采购单支价格为11万澳元，患者自付费用为41澳元，折合人民币206元。

刘鑫认为，澳大利亚将SMA纳入医保体系，但这只是疾病个例，澳大利亚并没有也无法拥有充足的财力支撑将所有罕见病均纳入医保范围。“哪怕是像英国这类领头实施免费医疗制度的国家，也不是将所有药品都涵盖在免费医疗的药品目录里面，不在目录里面的药物还是需要患者自费。各国的经济水平都没能达到完全免费医疗的程度。”

实际上，国家医保局已经在考虑将诺西那生钠注射液纳入医保。

国家医保局信访办一工作人员在接受媒体采访时表示，诺西那生钠注射液自2019年在国内上市以来，已被纳入医保谈判日程，国家希望和相关药企谈判，将药物价格降下来，进而满足SMA患者的需要。“去年开始国家就在和药企谈判，由专家组研究定价，具体定价多少不清楚。但是纳入医保的事没有谈下来，因药物价格下不来，就始终没办法进入到医保目录。”

根据罕见病发展中心与艾昆纬中国联合发布的《中国罕见病药品可及性(2019)报告》，在中国明确以罕见病适应症注册的药品仅有55种，仅涉及31种罕见病。在这55种药品中，仅有29种药品被纳入国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录，涉及18种罕见病。而根据国家卫生健康委员会、科技部等五部委于2018年5月22日发布的《第一批罕见病目录》，罕见病共涉及121种。国际上确认的罕见病则高达7000多种。

8月5日，渤健公司回复媒体称，公司正在积极准备向国家医保局提交诺西那生钠的资料，若该药品通过专家评审，则将进入医保谈判环节，若确定纳入2020国家医保药品目录，患者将有望以较低价格购买。

不过，多名受访专家分析，罕见病药物纳入医保是一个非常复杂的过程，由于罕见病的病患人数、病情、药物疗效等存在不确定性，而且罕见病药物价格高但惠及人群少，若以医保基金覆盖，是否会给医保基金造成较重负担、对其他人而言是否有

失公平等，都是现实需要考量的问题。因此，诺西那生钠注射液是否会被纳入医保仍是未知数。

7月31日，国家医保局审议通过并公布《基本医疗保险用药管理暂行办法》，其中第四条指出，要坚持“保基本”的功能定位，既尽力而为，又量力而行，用药保障水平与基本医疗保险基金和参保人承受能力相适应。

在刘鑫看来，一国的医保制度是和该国的国力和经济发展水平相适应的，而我国目前是基本医疗保障体系，医疗基金有限，“如果将像诺西那生钠注射液等类似的高价药全部纳入医保，将会影响大多数人的基本医疗保障”。

“这类进口药物的费用，不是通过减少中间环节，进行药企谈判就能直接降下来的，其生产商的原定价就很高，即便通过谈判，也很难将药价降到很低的水平。”刘鑫说。

但北京大学医学人文学院副院长王岳认为，针对一些有确切治疗效果的罕见病药物，可以考虑逐步纳入医保，但到底哪些罕见病治疗药物可以纳入医保范围，有待进一步评估和商榷。

医保无法完全兜底

探索多方共付模式

虽然我国尚未将诺西那生钠注射液纳入医保名录，但在不少省市，已经有一些公益基金会开展了援助项目，为SMA患者减轻负担。

2019年11月，SMA-II型患儿哲哲在苏州大学附属儿童医院注射了诺西那生钠，成为江苏省首例接受该药治疗的患儿。哲哲接受的这项针对SMA患者的援助项目，头4针“打一赠三”，即患者只需自付第一针的70万元；在后面的维持阶段，每4个月打一针，“打一针送一针”，相当于一针35万元。

据渤健公司介绍，上述项目为中国初级卫生保健基金会于2019年5月31日启动的SMA患者援助项目。接受援助的患者第一年的治疗费用约为140万元，和全自费相比可节省约三分之二；之后每年的治疗费用约为105万元，和全自费相比可节省约一半。截至目前，全国已有80多位SMA患者在该援助项目的帮助下获得了药物治疗。

公开资料显示，中国初级卫生保健基金会于1996年经民政部批准成立，是一家由中国农工民主党主办、国家卫健委主管的全国性公募型基金基金会。其官网介绍，该基金会与渤健公司合作筹备患者援助项目，帮助SMA患者减轻支付负担，提高治疗可及

性，目前已在全国14个省市开展，首期覆盖25家中心医院。

除了获得中国初级卫生保健基金会的援助，哲哲还得到了江苏省慈善总会的援助，打一针花费近70万元，大概能报销15万元。

有业内人士表示，对高价罕见病药物的负担不应该仅指望医保兜底，社会也应该探索政府、公益机构、企业及患者个人参与的“多方共付”医疗保障模式，这将是建立罕见病医疗保障体系的必由之路。

比如，专注支持罕见病群体的公益基金会——病痛挑战基金会也于今年在山西省、浙江省，联合多方成立了罕见病专项援助基金。基金将作为省级范围内社会慈善力量参与罕见病医疗保障体系的补充尝试，支持戈谢病、庞贝病等在国家罕见病目录内的患者群体，推动患者的持续有效治疗。

王岳也认为，“多方共付”医疗保障模式的确是建立罕见病医疗保障体系的必由之路，但目前我国的社会支持帮助系统尚未完善，应该放开一些社会力量参与，国家也可以通过税收调节的方式鼓励企业资助。

在郑雪倩看来，需要从多种渠道对罕见病患者及家庭进行帮助：一是社会捐助，可以呼吁建立并监督罕见病基金会，通过社会募捐和企业资助等方式筹措罕见病基金；二是国家救助，在医保范围之外，可以对这些罕见病患者及家庭予以困难补助；三是个人购买商业保险。

鼓励国产药物研发

特殊药物仿制跟进

2019年，浙江省建立了罕见病用药保障机制，根据当地政策，浙江罕见病患者每年自费上限不超过10万元。

刘鑫解读称，该机制存在两个前提条件，一是必须有药物可用，二是该药品必须经谈判纳入浙江基金保障范围内，“否则也无法实现罕见病患者每年自费上限不超过10万元”。

该机制能否在其他地区复制推广？国家医保局信访办一工作人员表示，目前从国家层面来讲还很难实现。

“这与各地经济水平有关，区域性政策不一定适合全国推广，要考虑到经济欠发达地区的实际情况。”王岳说。

根据蔻德罕见病中心和艾昆纬管理咨询团队于今年5月联合发布的《中国罕见病医疗保障城市报告2020》，在我国，罕见病在医保以外的补充保障有七大模式：专项基金模式、大病谈判模式、财政出资模式、政策性商业保险模式、医疗救助模式、医保零星增补模式、自主申报模式。

该报告的主研究员李杨阳介绍称，目前各界共同期待的罕见病保障方案是推行“N+1”模式。“1”就是基本医疗保险对于罕见病的报销，“N”是指由政府、药企、保险公司、公益慈善组织等多方共同合作的补充性帮扶政策。目前这些政策正在国内各地实验性开展，未来有望在国家层面实现多试点、多层次的罕见病治疗保障网络。

《法治日报》记者注意到，基本医疗卫生与健康促进法第六十条指出，国家建立健全以临床需求为导向的药品审评审批制度，支持临床急需药品、儿童用药品和防治罕见病、重大疾病等药品的研制、生产，满足疾病防治需求。

刘鑫也向《法治日报》记者提到，新修订的药品管理法在总则中明确规定，国家鼓励研究和创制新药，增加和完善了10多个条款，增加了多项制度举措。

“这为鼓励创新，加快新药上市，释放了一系列制度红利。这其中包括，重点支持以临床价值为导向，对人体疾病具有明确疗效的药物创新。鼓励具有新的治疗机理，治疗严重危及生命的疾病、罕见病的新药和儿童用药的研制。”刘鑫说。

王岳提到，应该对罕见病药物治疗的法律制度进行完善，从国务院层面出台相关的条例和行动法规，政府有责任帮助这些罕见病患者及家庭在全球范围内获取相关药物和治疗的有效信息，减少信息不对称性。

他同时建议，可设立罕见病办公室，一方面，可对罕见病设置绿色通道，允许家属海外“代购”一些已在欧美上市但尚未通过我国上市批准的药物，适当放宽政策；另一方面，药品监督管理部门有责任了解全球罕见病药物和我国的市场现状，有利于加快对罕见病药物的批准和进入过程。

此外，郑雪倩建议，鼓励国产药物研发、进行特殊药物仿制，这两种方法需要齐头并进。

对于上述两种方法，王岳认为，就目前我国研发能力而言，对罕见病治疗药物进行仿制更有效率，但需要考虑到法律问题，“或许可以考虑借助WTO于2005年通过《TRIPS协议修订议定书》里面的强仿制度，来鼓励国内企业进行仿制，以达到大幅度降低药物价格的目的，甚至可以倒逼原生产企业降价”。（记者 赵丽）