

罕见病药物距“用得起”更近一步 然“最后一公里”仍待推进



■廖木兴/图

近年来,随着国家对罕见病的关注,不少罕见病药物被纳入《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录》。2023版医保目录近日公布,15个目录外罕见病用药谈判成功进入医保,数量创近三年新高,罕见病患者距离“用得起”药也更近了一步。然而,不可忽视的是,不少区域的罕见病患者在国谈罕见病药物医保落地,面临药品“进院难”“用药难”“报销难”等“最后一公里”障碍。专家认为,改善罕见病患者的生存现状不仅是一项医学课题,也是一项重要的社会事务,需要多方共同探讨,积极建言献策,切实提高罕见病患者的诊疗可及性和可负担性。

■新快报记者 梁瑜

1 一年完成四大里程碑,神经纤维瘤病患者迎来“重生”

“12月13日,我们神经纤维瘤病的患者群体非常沸腾,很多患者热泪盈眶,当晚还有一场患教会。”泡泡家园神经纤维瘤病关爱中心邹杨是一名I型神经纤维瘤病(NF1)患儿的妈妈,加入泡泡家园已是第四个年头。她说,“虽然没有公开药物在纳入医保目录后的价格,但至少表明国家看到了我们,医保局也给了我们很多支持,专家的呼吁、患者组织的努力,今天都得到了回报。”

满满的神经纤维瘤病属于基因突变。因为神经纤维瘤病的表现多样,在跑遍了国内各大医院,被多次误诊后,10个月大的满满最终被确诊为I型神经纤维瘤病。统计显示,神经纤维瘤病患者确诊花费的时间是10个月到1.5年。在满满确诊后,原本的三口之家,变成了单亲家庭。孩子患病后,邹杨担起所有,遍寻疾病资料,但她在网上都搜不到一些相关信息,只能查阅国外资料。英文的专业词汇她根本看不懂,只能一句一句地搜索。

“有医生劝过我放弃,因为满满发病的部位在颅内,长的地方也不是很好,风险很大,出现的问题也很多:他右眼的视力已经没有了,脸部也出现了变形,口腔的咀嚼、牙龈都有问题,而且随着满满年龄的增长,肿瘤也伴随着生长,疾病的危害会越来越大。”邹杨说,当时医生说估计满满活不过3岁,但孩子现在已经9岁,打破了医生对他的预判。

作为患者组织中的一员,邹杨和其他泡泡家园的患者家属通过各类官方平台和渠道留言,表达患者的诉求和心声;与罕见病联盟一同作调研,配合医院做患者生存质量、经济负担的系列调研,陈述患者的实际情况……点滴汇聚,终于迎来了让整个神经纤维瘤病群体振奋的2023年。“4月28日治疗I型神经纤维瘤病的创新药硫酸氢司美替尼胶囊在国内获批上市;9月1日正式上市销售;9月20日神经纤维瘤病进入了第二批罕见病目录,而且不分亚型;12月13日,硫酸氢司美替尼胶囊进入新版国家医保目录。一年完成了四大里程碑,这是其他罕见病种很难在短期内做到的。”邹杨难掩激动,“2024年对于我个人,对于神经纤维瘤病群体来说都将是‘重生’的一年。以前,他们的生命在做倒数,有了药后,他们的生命就开始做加法。”

2 罕见病新药纳入新版医保目录将大大改变治疗现状

蔻德罕见病中心数据显示,在2023年国家医保谈判之前,共有30种罕见病药品通过国谈纳入医保,共涉及18个罕见病病种。而今年谈判/竞价成功的药品数量已经达到过去几年的一半,填补了包括戈谢病、I型神经纤维瘤、重症肌无力、阵发性睡眠性血红蛋白尿症(PNH)在内的10个病种的用药保障空白。

四川大学华西医院神经内科主任医师周红雨教授在如全身型重症肌无力等罕见病领域有着丰富的临床经验。她表示,重症肌无力是一种慢性,甚至需要终身治疗的疾病,只有10%左右的患者十年之内能完全治愈且之后不再使用药物。

病人除了对症药——溴吡斯的明以外,以前所用的药,包括免疫抑制剂,基本上都是超适应症用药,即这些药物本身不是针对重症肌无

力,而是用于治疗移植排异反应或其他风湿性免疫性疾病的传统免疫抑制剂,因此使用过程中都需要伦理备案。而且,长期使用免疫抑制剂会带来一些感染、肝肾功能、血细胞等的风险,超过40%的患者生活质量非常差,完全失业;接近20%的患者治疗过程中出现严重呼吸困难、吞咽困难等危象,需要住院治疗;60%-70%的患者症状不能完全控制,无法像正常人一样社交、旅游、工作、生活。

重症肌无力的新药是靶向补体药物如依库珠单抗,2017年在国外获批,价格非常昂贵,进入中国以后,价格对绝大多数重症肌无力患者来说,也是高不可攀的。“通过本次国家医保谈判,让依库珠单抗等罕见病药物成功进入医保,让更多患者获益。”周红雨称。

中华医学会血液学分会罕见病

学组阵发性睡眠性血红蛋白尿症(PNH)协作组组长、天津医科大学总医院副院长、血液病中心主任付蓉教授介绍:PNH患者会发生严重溶血,出现血红蛋白尿,导致贫血,依赖输血,并可发生致死性血栓并发症。

在没有补体抑制剂治疗之前,PNH治疗是以支持和对症治疗为主,解决不了根本问题,10年生存率只有70%,远低于欧美发达国家。去年11月,C5补体抑制剂依库珠单抗进入中国,成为中国PNH治疗史上的里程碑事件,但因为价格太昂贵,PNH患者因病致贫、因病返贫的比例很大。“去年11月才上市,不到一年时间就通过了2023年医保谈判,可见政府和相关部门对罕见病诊疗的重视,还有药品审评审批、两批罕见病目录的发布、建立罕见病诊疗协作网等举措,都在尽力解决患者的用药保障问题。”

3 举全社会之力,打通罕见病用药“最后一公里”

罕见病药物进入医保,让罕见病患者距离“用得起”药更近了一步。不过,不可忽视的是,不少区域的罕见病患者在国谈罕见病药物医保落地,依然可能存在着“最后一公里”的障碍,存在“进院难”“用药难”“报销难”的问题。

罕见病药物“进院难”。付蓉认为,由于医院面临比如DRG收费、考核指标药占比等,部分药物“进院难”,这些困境在一些地区、医院还是存在的。“应该举全社会之力包括政府部门、学会及医院、社会各界共同探索相关制度保障以解决‘最后一公里’问题。”付蓉表示,“罕见病群体终于有药可治且医保可以支付,我们还是应该尽最大努力让他们能用到药,享受到医保。”作为一名临床医生,她认为,尽管DRG、国考对医院来说非常重要,但针对罕见病应该有特殊保障政策,例如为罕见病药物开辟绿色通道,不列入国考指标、DRG系统,医院进罕见

病药没有太大负担,让患者真正实现罕见病药物可及,还能享受医保,这些都是可以探索的。

“‘双通道’的执行解决了高值药‘入院难’问题,也不会推高医院住院费用,但患者必须自己去药房拿药,有可能出现拿错药、药物保管等问题。”专家称。同时,患者也面临门诊结算与住院结算医保报销比例的差异,可能会给患者带来额外支出,这些细则未来可进一步完善。

“从2018年开始,我国罕见病药物陆续被纳入医保目录,以前能够只有10%的患者跑通医保报销途径已是非常不容易,现在基本都非常便利。”周红雨称,但对罕见病患者来说,大多需要长期用药,除了部分核心城市,一些地方的患者,在及时用药和延续用药上,存在一定困难。

“一方面,这些药物普遍来说比较贵,因此医保要求对使用这些药品的患者必须证实有使用指征;

另一方面,目前很多医院在诊断或管理上还存在一些困难——对患者诊断的准确性及诊断后使用药物的合理性,以及使用后如何监测和管理方面还存在一定的不足。”周红雨指出,“以重症肌无力为例,需要做的评分监测包括患者自我感受、客观评分、有否出现药物副作用等,通过监测指标来评价该药是否适合患者,或监测短期、长期使用对患者的风险。”

周红雨表示,一些大城市、大医院,医保政策落地得较好。以华西医院为例,四川医保对医生和患者非常体恤且高度配合理解,会提供很多措施,尤其是对异地患者,通过网上填表申报、邮寄药物等措施,尽量保证患者使用药物的延续性,也是可借鉴的。



扫码获取更多
健康医药资讯