

## 新公益

# 从6万多砍到不足4000元 罕见病用药降价94%纳入医保

今日起广东“双通道”管理药品增至399个

《广东省“双通道”管理药品范围(2023年)》(下称“双通道”)今日起开始实施,“双通道”药品共包含399个药品,其中国家医保谈判(下称“国谈”)药品346个、国家医保竞价药品17个及其他药品36个。在纳入“双通道”的国谈药品中,既有高血压、糖尿病、高血脂、精神病等慢性病用药,也有肿瘤用药和罕见病用药等。脊髓性肌萎缩症(SMA)口服治疗药利司扑兰,就在此次公布的药品范围内。

■新快报记者 黎秋玲

## 罕见病用药降幅高达94%

记者注意到,此前备受关注的罕见病——脊髓性肌萎缩症(SMA)口服治疗药利司扑兰,也在此次公布的药品范围内。SMA是一种高致死率和高致残率的罕见病,经过2021年的“灵魂砍价”,SMA治疗用药诺西那生钠注射液谈判降价进入医保目录,从最开始的70万元一针降价到3.3万元一针,让SMA患者从“有药可用”变成“有药可保”。2023年1月18日,国家医保谈判再现“灵魂砍价”,将首个在中国获批治疗SMA的口服治疗药物利司扑兰从63800元砍到了3780元,降幅高达94%。

知名罕见病诊治专家、中山大学附属第一医院神经内科姚晓黎教授算了一笔账,以2月龄的婴幼儿患者为例,利司扑兰国谈前一年需要自费8.7万元,国谈后、报销前仅需2.3万元;3月1日纳入医

保目录后,经医保报销,住院或门诊报销完一年仅需自费约7500元。对于成人患者,国谈前一年需要自费44.1万元,国谈后报销前仅需11.5万元,3月1日纳入医保报销后,住院患者仅需自费约2.6万元,门诊患者仅需自费约3.7万元(若有购买穗岁康,患者可再报销部分费用),给患者大大减负;而纳入广东“双通道”药品范围后,这意味着患者购药将更为方便。

## 用上了特效药还有医保报销

27岁的广东女生小钟曾是舞蹈学生,在2月28日“国际罕见病日”,她向记者讲述了自己15岁患上罕见病——多发性硬化后,从几近瘫痪,到重新站立行走的求医、治病历程。小钟特别感慨的是,随着国家医保政策的不断推进,她的疾病终于有了针对性的药物,近年医保

纳入报销后,月均药费从1万多降至700多元。“虽然疾病将伴随终生,但我相信有强大的意志,困难都可以战胜的。”小钟说。

小钟回忆说,她是2011年上半年开始出现症状,中考前一个星期,突然右手麻木无力抓不起笔……到2012年1月9日,小钟因腿脚无力,上楼梯时踩空扭到脚去检查,才得知患上了“多发性硬化”,此前小钟从未听说过这个疾病。

辗转多家治疗后,小钟家人带着她来到中山大学附属第三医院神经内科就医,胡学强及邱伟教授团队与多科室对小钟进行MDT综合诊治。经系统治疗后,如今,小钟脸上的痘痘消失了,并重新“学会了走路、生活也可以自理了”。

随着身体状况的好转,小钟重拾了对生活的信心,变得乐观积极,开始学习瑜伽。

2018年,治疗多发性硬化的特效药引入国内,随着治疗多发性硬化的药物进入医保药品目录,如今,小钟每月的药费从当初1万多元降到700元,她坦言,这大大减少了家里的经济压力,也让她更有勇气和底气面对未来的生活。

“一个罕见病患者,通常要跑5家以上的医院,看5个以上的医生才能确诊。尽管很多罕见病还不能被完全治愈,但科学的诊疗手段可以有效控制和缓解疾病症状与发展进程。早诊断、早治疗是罕见病防治的最佳途径。”邱伟教授表示。据介绍,2022年12月,中山三院以神经内科、脊柱外科、感染科及儿科为核心临床架构,依托相关学科与科研平台,成立了“罕见病中心”,以多学科合作模式为基础,致力于规范罕见病的诊治流程,提高罕见病诊治水平和救治效率。

## 关爱如阳光 照耀“罕见”的你

2月28日是“国际罕见病日”,因为公益机构的关爱,不幸的患儿和家庭有了勇气面对罕见病,乐观前行。

“铭仔又度过一个生日了。今年2月初,常常来探访我们家的恤孤助学会志愿者带着自己的孩子来到我家,给铭仔开生日会,他开心极了。”家住广州越秀区的男孩铭仔今年15岁了。过去15年,他和妈妈娴姐一直与脊髓性肌萎缩症(SMA)这种罕见病搏斗。在铭仔身边,总有一群热心街坊和志愿者们常年给他陪伴,为他打气。

“国际罕见病日”前夕,广东公益恤孤助学促进“救病童”项目探访了几名像铭仔这样罹患罕见病的孩子。这部分病童人数并不多,但恤孤助学会常年关注他们,帮助罹患朗格汉斯细胞组织增生症的子烨、黏多糖贮积症的小硕等多个家庭,走出绝望,乐观面对生活。



■2月3日铭仔15岁生日,恤孤会工作人员和志愿者一起为他庆生。

■因为“朗格汉斯细胞组织增生症”复发,子烨又要继续治疗。但他的身边,多了爱心人士给他打气,鼓劲。

## “一起守护生命奇迹”

在越秀区大德路附近的一间小屋里,刚过完15岁生日的铭仔躺在特制的轮椅上听广播,妈妈娴姐每隔15分钟就要帮他调整一次坐姿和轮椅的高度,避免长期卧床,影响脏器功能。铭仔是遗腹子,与妈妈相依为命,家庭经济条件十分薄弱。铭仔8个月的时候,被诊断患有SMA。这种罕见病主要表现在肌肉萎缩,最终还会影响吞咽和呼吸。

“今年铭仔生日的前两天,我们就开始秘密筹备了!”广东公益恤孤助学促进会志愿者花姐告诉记者。而为了让铭仔认识同龄人,该会副秘书长梁栋彬以及几名同行工作人员还带上了自己的孩子,一同到铭仔家庆生。孩子们为铭仔演示“吃鸡”,铭仔被游戏画面吸引得眼睛都忘记眨了。这晚,细心的志愿者为铭仔家换上了新的灯管,为铭仔做康复

训练,还当起“美甲师”。铭仔笑得开心,娴姐亦在大家的陪伴中暂时将疾病给家庭带来的困扰抛诸脑后。

这是公益机构人员与志愿者长期关注罕见病患儿童家庭的一个缩影。

铭仔与恤孤会结缘多年。2018年至2022年12月31日,恤孤会为他筹得定向资助款超过39万元,为他发放救助款和购买慰问物资合计4万多元,使得他在媒体和社会各界爱心人士的接力救助下持续治疗(详见新快报2022年1月3日A5版报道)。

“如果没有热心人士的关爱,铭仔在罕见病面前会十分孤独。现在他认识了许多志愿者朋友,性格也开朗了不少。感谢热心人士关注‘罕见病’,现在我看见儿子开心,自己就能安心,更能平静面对眼前困难,因为我知道,有很多热心人一起守护着铭仔的生命。”娴姐说。

## 有关爱“加持”,罕见病家庭努力前行

罕见病又称“孤儿病”,指发病率极低的疾病,诊断困难、误诊率高、可治愈率低。月亮孩子、蝴蝶宝宝、瓷娃娃……这些美好的特有名字,往往伴随着罕见病的巨大病痛。

今年“国际罕见病日”前夕,恤孤会工作人员梁弋和志愿者队伍再次探访该会“救病童”项目救助过的“脊髓性肌萎缩”男童小百顺、复发后再治疗的“朗格汉斯细胞组织增生症”男孩子烨、与巨额治疗费博弈的5岁黏多糖宝宝小硕等,她欣喜发现,曾经受过资助过、关怀的家庭,都以各种积极的方式与社会互动,支撑着孩子与罕见病共生。

“有的家长开直播卖生活用品,用自己能想到的办法,解决罕见病巨额治疗费的难题;有的家长在视频号上受到热心市民关注,孩子就医时还得到热心人士送汤、送慰问,给孩子打气……从

这些家庭身上,我看见生命的顽强。”梁弋告诉新快报记者,当前,恤孤助学会正探索着通过探访交流,挖掘罕见病童家庭正能量的一面,通过网络传播向更多罕见病群体,传递病友之间的鼓励、支持。

近年来,社会力量在商保、慈善、互助等方面做了不少有益的探索。当中,以恤孤助学促进会为例,2022年该会资助罕见病患者共19名(次)44.98万元。尽管有公益力量在行动,关爱罕见病群体,仍还不够。恤孤助学会副秘书长梁栋彬表示,要守护病童,靠个别人的善意也远远不够,需要数量,也需要质量。有志愿者指出,社会环境的变化对社会组织筹资带来了更多挑战和压力,针对个人发展需求的慈善服务仍有待补充,陪伴、教育、情感支持等,都是罕见病群体及其家庭需要的,正亟待志愿者团体和慈善组织接力“织网”。