

浙江着力构建多方救助体系 解决罕见病患者“望药兴叹”

一个罕见病,足以改变一个家庭。

截至2020年2月,我国罕见病患者总数超2000万人,每年新增患者超过20万。

对于疾病,特别是罕见病,医保是患者第一求助对象。但相比常见病,价格高昂的罕见病药物,无法通过单一的医保满足多个罕见病病种用药需求。很多罕见病患者家庭因病致贫,放弃治疗。救助罕见病,国际上通行的做法是建立多层次保障体系——通过患者援助、罕见病专项基金、政府财政拨款、商业健康险和有政府背书的惠民险等多项形式,叠加帮助患者减轻负担。

今年2月28日是第十四个国际罕见病日。近段时间,国家医保局陆续公布160件2020年提案建议回复,其中近20件直接与罕见病相关。国家医保局表示,将研究探索建立政府主导、多方筹资、社会参与的罕见病用药保障机制。

在全社会救助体系逐步完善的过程中,让罕见病患者尽可能畅通地获取现行的各类救助举措,多渠道获得补助资金,才是避免更多悲剧发生的解决之道。

1岁半儿子查出佝偻病 每年百万特效药难承受

2018年8月,林琳(化名)迎来了自己的第一个孩子,新生儿体检显示一切正常。然而,到了蹒跚学步的年纪,林琳却发现孩子走路姿势有点不对劲,一摇一摆像只“小鸭子”。1岁半社区体检时,医生建议她带孩子去大医院检查。

经过多个相关检查及基因检测后,林琳哭了:儿子被确诊为X连锁低磷性佝偻病(XLH),属于低磷性佝偻病的一种。这种病的发病率约

为1/20000-1/60000,已被纳入《罕见病诊疗指南(2019年版)》第51号罕见病。

低磷性佝偻病是一组由于遗传性或获得性病因导致肾脏排磷增多,引起以低磷血症为特征的骨骼矿化障碍性罕见疾病,具有较高的致残、致畸率。发生在儿童期的低血磷性佝偻病,主要表现为方颅、鸡胸、肋骨串珠、四肢弯曲畸形、生长迟缓等。

传统的治疗方法是联合使用活性维生素D(骨化三醇)与口服磷酸盐。然而,患者需严格按照每隔4小时服药一次的频率来服用口感苦涩的磷剂,同时还存在不耐受和并发症的风险。

儿子不满2岁,就要遭受这样的折磨,全家的生活节奏也被打乱。尽管全力治疗,但指标就是降不下来。

前段时间,针对低磷性佝偻病的生物制剂药物——麟平(布罗索尤单抗)获批上市,给林琳一家带来了希望,该药物对低血磷性佝偻病的治疗具有显著疗效和良好的安全性。

然而,由于布罗索尤单抗是罕见病新药,尚未进医保,预估每年需要的100万元用药费用,却让这个并不富裕的小家庭“望药兴叹”。

罕见病往往只有“孤儿药” 许多患者甚至放弃治疗

医疗上,专门治疗罕见病的药物叫“孤儿药”。通常,一种罕见病对应一种“孤儿药”。

目前,全球各个国家对罕见病的认定标准存在一定的差异,但统一的是,罕见病发病率极低,确切病因不明确,



(上接12版)

国家医保局在答复中透露,为加强包括罕见病患者在内大病患者医疗保障工作,国家持续加大资金投入,提高大病保险保障水平,夯实医疗救助托底保障,支持慈善医疗救助发展。近年来,国家持续加大大病保险资金投入,支持普惠性提高大病保障水平和用于对贫困人口倾斜支付。

我国还着力夯实救助托底

保障。答复称,在做好低保对象、特困人员等重点救助对象资助参保和直接救助基础上,将农村建档立卡贫困人口、低收入家庭重度残疾人、老年人、未成年人和重病患者纳入救助范围。通过“病种+费用”方式确定重特大疾病范围,统筹提高大病救助年度限额。同时,完善分层分类的社会救助综合保障格局,鼓励公益



某医药注射剂生产线

多为先天性疾病。

患病人群少,治病药物自然也少。以世界知名制药企业辉瑞为例,深耕罕见病领域30余年,目前拥有8款罕见病产品,涵盖了血液、内分泌代谢、心脏、神经领域的罕见疾病药物。同时在全球拥有10余个在研罕见病药物,其中包括多种创新治疗方式:小分子药物、大分子药物/单克隆抗体,基因疗法乃至治疗设备。

然而,国际上确认的罕见病有7000多种,约占人类疾病的10%,其中约80%为遗传性疾病,50%-60%在儿童期发病。

患病人群越小,药物的研发费用和生产成本越高,能用的药物就越少,药价也就可能越高。甚至有部分罕见病至今尚无药可医,只能进行对症治疗。

最近十年在全球上市的许多罕见病药品都属于“高值药品”,而大部分罕见病患者需要终生用药。在没有医疗保障政策扶持情况下,容易出现药物不可负担,难以维持长期足量和足疗程的治疗。

在重重困难面前,很多患者只能选择放弃,静待命运的安排。无数罕见病患者家庭因病致贫。

浙江十种药物已纳入医保 杭州首推商业补充医保

对于罕见病患者群体,国家一直非常重视。

2018年5月,国家卫生健康委员会等5部门联合制定了《第一批罕见病目录》,收录了121种罕见病。同时对罕见病的确诊、治疗、医疗保障及患者后续

的补助和救助关怀等均出台了一系列的政策。

浙江省是全国率先也是目前唯一落地罕见病专项基金保障模式的地区,截至去年6月,浙江已将10个罕见病药物纳入了省级医疗保障中。

这些被纳入保障范围的罕见病患者,由“基本医保+大病保险+医疗专项救助”逐层分担化解其合规医疗费用。合规医疗费用包括基本医疗保险政策范围内维持诊疗必需的医疗费用、罕见病特殊药品费用,由浙江省财政安排资金,通过专项救助渠道解决。该专项救助资金由浙江省财政通过民政救助渠道予以补助。

今年1月,杭州市推出首个商业补充医疗保险“西湖益联保”,其中就涵盖了基本医疗保险以外的28种创新药品和3种罕见病专用药。起付线1万元,报销比例达60%,杭州地区医保参保人员可带病进保。

打造慈善救助“浙江模式” 患者可申请最高6万元

去年6月,“2020年浙江省罕见病连接健康与社会关怀活动”暨罕见病医疗援助工程-浙江专项援助基金启动会举办。这意味着首个由社会慈善力量参与医保政策体系、联动各方搭建罕见病“多方共付”模式的样板工程落地浙江,助力浙江罕见病医保,并希望为全国罕见病医保体系建设贡献经验。

“罕见病医疗援助工程-浙

江专项援助基金”(以下简称“浙江罕见病援助基金”)由病痛挑战基金会、中华社会救助基金会、浙江省医学会罕见病分会主要专家、浙江省企业权益保护协会社会公益部、水滴公益等机构联合发起。

罕见病患者每年可向该援助工程申请封顶1万元的补助金,同时浙江地区的罕见病患者在此基础上,通过“最后一公里”的医疗援助补充,每年还可申请最高5万元的医疗补助,共计6万元医疗补助。

北京病痛挑战基金会执行秘书长马滔介绍,针对低磷性佝偻病的特效药布罗索尤单抗目前还没有完全落地,正式上市后也会被涵盖在此医疗补助内。这一消息也让林琳有了新的期待。

作为该项工程参与机构之一的水滴公益,2020年与病痛挑战基金会合作帮助浙江省罕见病患者进行援助。截至目前,罕见病医疗援助工程浙江专项的筹款额已达1507098元,已经援助36人,援助金额达857463.90元。

帮扶、药物试验等多渠道 帮助患者降低治疗负担

事实上,罕见病患者还有多个渠道获得医疗救助。

47岁的刘先生是一位转甲状腺素蛋白心脏淀粉样变(AT-TR-CM)患者,虽然已有创新药面市,但每月用药花费仍然较高。幸运的是,他和家人及时了解到,通过社会慈善基金会,可享受该创新药的购药帮扶举措,患者仅需自付50%,加上参保“西湖益联保”可报销60%,这样他每月用药花费仅为原来的20%,大大减轻了经济压力。

最近,他还从主治医生处获悉,不少罕见病新药均有招募临床试验的计划。通过该计划,可尽早用上创新药、专用品,也能大大降低经济负担。

作为罕见病专用药生产厂家,辉瑞中国地区相关负责人向记者表示,辉瑞一直在积极与第三方机构和各地方政府合作,推动旗下罕见病专用药进入各地的医疗保障体系。罕见病患者可通过主治医师、病友群等多个渠道,了解各项慈善帮扶政策。

(据《每日商报》)

目前有160多家保险公司开展了商业健康保险业务。同时,支持商业保险机构参与大病保险承办,给予税收减免和免征营业税、保险业务监管费和保险保障金等优惠。

国家医保局表示,下一步,将在统筹强化三重制度综合保障的基础上,夯实医疗救助托底保障功能,研究探索建立政府主

导、多方筹资、社会参与的罕见病用药保障机制。同时,加强部门协同,提高罕见病患者诊疗服务水平,提升罕见病用药供应保障能力,做好罕见病审评审批,加快发展商业健康保险,鼓励商业保险机构为包括罕见病患者在内的人民群众提供更多的保障产品。

(据《南方日报》)