

福建80多种罕见病“天价药”进医保 让“罕见”人生重焕生命之光

■记者 李晖

今年2月29日是第17个国际罕见病日,主题为“关注罕见、点亮生命之光,弱有所扶、践行人民至上”。

以前,罕见病患者面临诊断难、治疗难、药价贵等问题,在日常生活中备受身体、精神与经济上的多重煎熬。

如今,在福建医保部门与医疗机构的无缝衔接下,越来越多纳入国家医保药品目录的罕见病药品在我省落地,罕见病患者从无药可用到望高价药却步,再到药品降价并叠加医保报销,形成了有药可用、有药能用的良性局面。

省医保局相关负责人表示,每一个小群体都不应该被放弃,这是我省“十四五”全民医疗保障专项规划的具体实践,也是温暖民生的生动呈现。

部门行动: 80多种罕见病药品 纳入医保目录

2021年12月初,国家医保谈判代表与药企代表“灵魂砍价”的新闻和视频走红网络。随后公布的国家医保药品目录中,诺西那生钠注射液名列其中,其适应症是罕见病脊髓性肌萎缩症,简称SMA。

SMA是一种遗传性神经系统疾病,如果患者不能得到及时治疗,最终会丧失行走能力,出现呼吸肌无力导致呼吸衰竭而死亡。媒体对此次谈判及药品目录进行了广泛宣传,使罕见病用药的可及性和可负

担性受到了更多的关注。

深知患者及其家属的不易,省医保局迅速推动国家谈判药品落地:每支近70万元的诺西那生钠注射液,2022年1月1日起降低至每支3万余元,并纳入医保统筹基金支付范围。

“儿子2岁多了。在他9个月的时候确诊SMA II型,我心都碎了。看到他连翻身都需要人帮助,真的很想给他用上特效药,但一年需要100多万元,根本无法承受。”吴女士介绍,2022年2月23日,儿子在福建医科大学附属协和医院打了诺西那生钠注射液,希望他能越来越好,能和正常的孩子一样上学、玩耍。

由于研发成本高、用药人群少等原因,一些罕见病治疗药物的年均费用普遍要数十万元甚至数百万元,这对许多家庭而言难以承受。

“让罕见病患者有药可用、把药用好、用上好药,已经从共识转化为密集行动。”省医保局负责人介绍,目前已有超过80种罕见病治疗药品纳入国家医保药品目录名单并在我省落地,这为福建罕见病患者带来更多福音。

主治医生: 罕见病患者 自付费用大幅降低

“新药也有机会长期使用,这是重症肌无力患者的福音!”近日,年过六旬的刘依姆在福州市第一总医院接受创新药艾加莫德α注射液(简称艾加莫德)治疗后动情

地表示。

据了解,这是福州市属医院在去年12月13日国家医保药品目录公布后,首次把艾加莫德用于重症肌无力患者的临床治疗。

林德琳是福州市第一总医院神经内科一科主任,也是刘依姆的主治医生。

“作为一种罕见病创新药,艾加莫德从获批上市到纳入医保仅用了3个月。作为临床医生,我充分感受到了国家和相关部门希望更快惠及更多重症肌无力患者的诚意和决心,以及医保部门助力罕见病用药保障水平逐步提升的积极作为。”林德琳说。

据介绍,重症肌无力是一种罕见病,早期多数人仅累及眼肌,出现单眼或双眼上睑下垂,活动后加重,休息后减轻,表现为“晨轻暮重”,如不及时治疗,症状会逐渐加重,累及四肢肌后出现站起来或爬楼梯困难,严重影响日常生活并危及生命。

长期以来,重症肌无力患者的治疗以专家经验判断和传统治疗方案为主。由于传统治疗手段在症状控制、治疗副作用等方面存在不足,患者往往需要面对传统药物治疗带来的种种问题,包括对血糖代谢的影响、肝肾毒性、骨髓抑制、感染及远期肿瘤风险等。

“艾加莫德的作用机制独特,在起效时间、疗效、安全性等方面特点突出,有望为患者实现疾病缓解和症状控制,从而达到疾病症状与治疗副作用均最小化的‘双达标’理想治疗状态。”林德琳说。

林德琳表示,纳入医保目录前,按照1年5个治疗周期计算,全身型重症肌无力患者使用艾加莫德的年治疗费用约为40万元;纳入医保后,住院患者报销比例为51%至74%,按照1年5个治疗周期,符合报销条件的患者,医保报销后每年治疗个人自付费用降至最低五六万元。

多措并举: 罕见病药品 纳入“双通道”管理

据悉,我省在国家谈判药品的落地

今年执行的新版医保目录新增15种罕见病药

序号	药品通用名	病种
1	阿伐替尼片	胃肠间质瘤
2	艾加莫德α注射液	全身型重症肌无力
3	氨己烯酸口服溶液用散	婴儿痉挛症
4	氘丁苯那嗪片	亨廷顿舞蹈症
5	骨化三醇口服溶液	低血磷性佝偻病
6	酒石酸艾格司他胶囊	I型戈谢病
7	硫酸氢司美替尼胶囊	I型神经纤维瘤病
8	尼替西农胶囊	酪氨酸血症I型
9	萨特利珠单抗注射液	视神经脊髓炎谱系疾病
10	西罗莫司凝胶	结节性硬化症
11	盐酸奥扎莫德胶囊	复发型多发性硬化
12	佩索利单抗注射液	泛发性脓疱型银屑病
13	注射用司妥昔单抗	Castleman病(MCD)
14	依库珠单抗注射液	阵发性睡眠性血红蛋白尿症; 非典型溶血性尿毒症综合征; 难治性全身型重症肌无力
15	盐酸替洛利生片	发作性睡病

方面持续保持着多部门高效协同、多措并举,确保患者买得到、用得上、能报销。

“为更好满足参保患者合理用药需求,我们联合省卫健委下发了有关加快国家谈判药品落地的通知,并将罕见病药品纳入我省‘双通道’管理药品范围。”省医保局相关负责人介绍。

“双通道”管理是指通过定点医疗机构和定点零售药店两个渠道,满足国家谈判药品供应保障、临床使用等方面的合理需求,并同步纳入医保报销的机制。原先的“单通道”只能将在定点医疗机构发生的购药费用纳入医保统筹基金报销。

与此同时,省医保局助力罕见病患者在参保地就近治疗用药,避免异地就医增加个人负担。比如,2021年底SMA患者在全省只有福州、厦门2个统筹区的3所医院能够开展鞘内注射治疗,现在基本上患者可直接在参保地用药。

为方便患者看病就医,省医保局将罕见病药品全都纳入我省单列门诊统筹支付药品范围,不需住院的患者,在门诊就医购买罕见病药品的费用也可纳入医保统筹基金支付。

此外,为了方便参保患者了解药品目录情况,省医保局积极作为,在“闽政通”App和省医保局官微小程序公开公布药品的配备情况,供广大参保人员查询。

相关链接

罕见病需早筛查早诊断早治疗

不少罕见病患者尤其是来自偏远山区的患者表示,受限于家乡的医疗水平,他们的就诊之路十分波折,花了不少钱,治疗还被延误。

据介绍,约80%的罕见病由遗传引起,约50%为儿童期发病。我国罕见病患者约2000万人,每年新增患者超20万人。罕见病临床常常需要通过遗传学技术协助诊断,这需要医疗机构具备一定的检测条件和检测能力,而相当一部分医院尤其是基层医院无法自行完成。而且,罕见病病种繁多,临床表现各异,单种类型相对少见,医务人员对患者临床表现的症状分析和疾病诊断需要一个认识过程。

2022年7月20日,继福建省医学会成立罕见病分会后,福州也成立了福州市医

学会罕见病分会。“我们希望以此为契机,通过搭建平台、举办多种形式的学术交流活动等,分享国内外专家的临床经验,为提高福州罕见病临床诊治水平提供最新理论依据。”作为该分会的第一届副主任委员,林德琳表示,希望通过大家的努力,能给予罕见病患者更多的关注、更好的诊疗,让“罕见”人生重焕生命之光。

据了解,罕见病如果能够早期识别、早期诊治,是可以有效改善患者症状的。由北京协和医院、中国医药创新促进会、中国医院协会、中国研究型医院学会牵头发起的中国罕见病联盟(网址:https://www.chard.org.cn),目前已经上线了100多种罕见病的临床表现、鉴别诊断等,为罕见病患者提供公益性的诊疗指南。

苗七堂 参茸馆 三七 西洋参 虫草 金线莲等2折起售

★活动时间:3月8日(周五)-3月12日(下周二)



文山三七

市场价:198元/斤
直销价:80元/斤



西洋参

市场价:12元/克
直销价:0.4元/克
直销价:200元/斤

三七产地直营店:1.品质好有保障,拒绝假劣三七。2.由于是自家种植的三七,以文山田间价格销售,因此价格更低。3.本色三七,品相好,无打蜡,营养更充足。4.引进气流式超微粉设备。现场免费打粉2000目,微粉破壁率高,易吸收。



天麻

市场价:0.52元/克
直销价:0.18元/克



铁皮石斛

市场价:1.2元/克
直销价:0.6元/克



大连海参

市场价:3.6元/克
直销价:1.6元/克



燕窝

市场价:19.6元/克
直销价:9.8元/克



金线莲干

市场价:4.0元/克
直销价:1.6元/克



灵芝

市场价:0.32元/克
直销价:0.16元/克

那曲虫草

市场价:258元/克
直销价:158元/克

苗七堂参茸馆:鼓楼区东街武夷中心一楼37号店面(福州一中对面天桥后面) 热线电话:18960800706 请认准苗七堂品牌,品质有保障
可乘19、22、74、102、117、118、301、327路公交车到东街口站下,也可乘5、55、80、88、310、317路公交车到旗汛口站下。也可乘地铁到东街口站下D出口出。