

# 公益组织呼吁降价背后：血友病为何“有药难及”？

本报记者 晏国文 曹学平 北京报道

2022年2月28日是第15个国际罕见病日。

在一周前的2月21日,服务于血友病患者的慈善公益组织北京血友之家罕见病关爱中心(以下简称“血友之家”)发布《2022年国际罕见病日中国血友病患者致罗氏制药的一封公开信》。公开信表示,“比无药可医更令人绝望的是有药难及。”

公开信向上海罗氏制药有

## 公开信呼吁降价

按照销售价格8100元/30毫克的定价计算,患者年治疗费用约为2万元/公斤,体重60公斤的患者年治疗费用将达到120万元。

血友病是一种遗传性凝血功能障碍的出血性疾病,主要可分为血友病A、血友病B、血友病C三类。

据《血友病诊断与治疗中国专家共识》(2017年版),血友病的发病率没有种族或地区差异。在男性人群中,血友病A的发病率约为1/5000,血友病B的发病率约为1/25000。

在国家卫健委2018年5月发布的《第一批罕见病目录》中,血友病作为一种罕见病被收录。

2018年11月30日,国家药监局批准了艾美赛珠单抗注射液(商品名:舒友立乐)进口注册,用于存在凝血因子Ⅷ抑制物的A型血友病患者(先天性凝血因子Ⅷ缺乏)的常规预防性治疗,以防止出血或降低出血发生的频率。

药品信息显示,艾美赛珠单抗注射液上市许可持有人是瑞士的罗氏公司,而生产厂商是日本的日健中外制药有限公司。

据国家药监局介绍,艾美赛珠单抗注射液作为临床急需品种,被纳入优先审评程序加快审评审批。该药临床疗效明

显,风险可控,耐受性良好,给药便利依从性好,在不同种族患者之间未见明确疗效及安全性差异。

艾美赛珠单抗注射液在全球已上市的其他主要国家定价情况是怎样的?艾美赛珠单抗注射液价高导致的“有药难及”,是我国的独有现象,还是世界范围内的共有现象呢?

对此,3月2日,罗氏制药回复《中国经营报》记者表示:“罗

氏公司(以下简称“罗氏制药”)呼吁,调低艾美赛珠单抗注射液的销售价格,为更好地惠及罕见病患者、早日进入国家医保目录迈出实质性一步。

艾美赛珠单抗注射液在全球已上市的其他主要国家定价情况是怎样的?艾美赛珠单抗注射液价高导致的“有药难及”,是我国的独有现象,还是世界范围内的共有现象呢?

对此,3月2日,罗氏制药回复《中国经营报》记者表示:“罗

氏公司(以下简称“罗氏制药”)呼吁,调低艾美赛珠单抗注射液的销售价格,为更好地惠及罕见病患者、早日进入国家医保目录迈出实质性一步。

艾美赛珠单抗注射液在全球已上市的其他主要国家定价情况是怎样的?艾美赛珠单抗注射液价高导致的“有药难及”,是我国的独有现象,还是世界范围内的共有现象呢?

对此,3月2日,罗氏制药回复《中国经营报》记者表示:“罗氏公司(以下简称“罗氏制药”)呼吁,调低艾美赛珠单抗注射液的销售价格,为更好地惠及罕见病患者、早日进入国家医保目录迈出实质性一步。

艾美赛珠单抗注射液在全球已上市的其他主要国家定价情况是怎样的?艾美赛珠单抗注射液价高导致的“有药难及”,是我国的独有现象,还是世界范围内的共有现象呢?

对此,3月2日,罗氏制药回复《中国经营报》记者表示:“罗氏公司(以下简称“罗氏制药”)呼吁,调低艾美赛珠单抗注射液的销售价格,为更好地惠及罕见病患者、早日进入国家医保目录迈出实质性一步。

氏公司(以下简称“罗氏制药”)呼吁,调低艾美赛珠单抗注射液的销售价格,为更好地惠及罕见病患者、早日进入国家医保目录迈出实质性一步。

艾美赛珠单抗注射液在全球已上市的其他主要国家定价情况是怎样的?艾美赛珠单抗注射液价高导致的“有药难及”,是我国的独有现象,还是世界范围内的共有现象呢?

对此,3月2日,罗氏制药回复《中国经营报》记者表示:“罗氏公司(以下简称“罗氏制药”)呼吁,调低艾美赛珠单抗注射液的销售价格,为更好地惠及罕见病患者、早日进入国家医保目录迈出实质性一步。

艾美赛珠单抗注射液在全球已上市的其他主要国家定价情况是怎样的?艾美赛珠单抗注射液价高导致的“有药难及”,是我国的独有现象,还是世界范围内的共有现象呢?

对此,3月2日,罗氏制药回复《中国经营报》记者表示:“罗氏公司(以下简称“罗氏制药”)呼吁,调低艾美赛珠单抗注射液的销售价格,为更好地惠及罕见病患者、早日进入国家医保目录迈出实质性一步。

艾美赛珠单抗注射液在全球已上市的其他主要国家定价情况是怎样的?艾美赛珠单抗注射液价高导致的“有药难及”,是我国的独有现象,还是世界范围内的共有现象呢?

对此,3月2日,罗氏制药回复《中国经营报》记者表示:“罗氏公司(以下简称“罗氏制药”)呼吁,调低艾美赛珠单抗注射液的销售价格,为更好地惠及罕见病患者、早日进入国家医保目录迈出实质性一步。

艾美赛珠单抗注射液在全球已上市的其他主要国家定价情况是怎样的?艾美赛珠单抗注射液价高导致的“有药难及”,是我国的独有现象,还是世界范围内的共有现象呢?

对此,3月2日,罗氏制药回复《中国经营报》记者表示:“罗氏公司(以下简称“罗氏制药”)呼吁,调低艾美赛珠单抗注射液的销售价格,为更好地惠及罕见病患者、早日进入国家医保目录迈出实质性一步。

艾美赛珠单抗注射液在全球已上市的其他主要国家定价情况是怎样的?艾美赛珠单抗注射液价高导致的“有药难及”,是我国的独有现象,还是世界范围内的共有现象呢?

# 检验结果互认办法出台 重复检查有望被终结？

本报记者 苏浩 曹学平 北京报道

“同样是在北京正规医院做的检查,为什么到他们医院还得重新做?”李想(化名)在接受《中国经营报》记者采访时气愤地说。

因几个月前经常出现恶心、乏力等表现,28岁的李想跟随丈夫前往北京一家妇幼保健院做了超声检查,检查诊断为宫内早孕。为确认这一消息,夫妻俩又在医院做了进一步检查,诊断结果同样为宫内早孕且已怀孕6周。原以为拿着上一家医院的超声报告去三甲医院建档时无需重复检查,但李想却被医院告知,其在妇幼保健院做出的检查结果无法被认可,需重新开单检验。

事实上,像李想这样遇到医疗机构之间互不认可检查结果、患者需重复检查的情况并非个例,而日前国家卫生健康委等多个部门联合印发的《医疗机构检查检验结果互认管理办法》(以下简称《管理办法》)或将打破这一现状。

《管理办法》明确,医疗机构应当按照“以保障质量安全为底线,以质量控制合格为前提,以降低患者负担为导向,以满足诊疗需求为根本,以接诊医师判断为标准”的原则,开展检查检验结果互认工作。

虽然业内普遍认为,《管理办法》实施后有望在降低医疗费用、提高诊疗效率、改善群众就医体验方面取得积极成效,但也要清晰地认识到其中所存在的现实障碍。

## 互认效果不容乐观

《管理办法》指出,检查结果是指通过超声、X线、核磁共振成像、电生理、核医学等手段对人体进行检查,所得到的图像或数据信息;检验结果是指对来自人体的材料进行生物学、微生物学、免疫学、化学、血液免疫学、血液学、生物物理学、细胞学等检验所得到的数据信息。检查检验结果不包括医师出具的诊断结论。

《管理办法》规定,医疗机构检查检验结果互认标志统一为HR。检查检验项目参加各级质控组织

## 结果互认任重道远

事实上,检查检验结果互认工作在国内已开展多年。

早在2006年2月,原卫生部办公厅就印发了《关于医疗机构间医学检验、医学影像检查互认有关问题的通知》(卫办医发〔2006〕32号)。其中指出,实施检查互认是为了合理、有效利用卫生资源,减少重复检查,切实减轻患者负担,明确了医疗机构间检查互认不但包括检验结果互认还包括检查资料互认。

2010年4月,国务院办公厅《关于印发医药卫生体制五项重点改革2010年度主要工作安排的通知》(国办函〔2010〕67号)提出“实行同级医疗机构检查结果互认”。

2010年7月,原卫生部办公厅印发《关于加强医疗质量控制中心建设推进同级医疗机构检查结果互认工作的通知》(办医政发〔2010〕108号)。其中明确,开展医疗机构间检查互认首先要保证医疗质量和医疗安全。

开展的质量评价并合格的,医疗机构应当标注其相应的互认范围+互认标识。如:“全国HR”“京津冀HR”“北京市西城区HR”等。未按

要求参加质量评价或质量评价不合格的检查检验项目,不得标注。同时,《管理办法》还明确,医疗机构及其医务人员应当在不影响疾病诊疗的前提下,对标有全国或本机构所在地区互认标识的

检查检验结果予以互认。鼓励医务人员结合临床实际,在不影响疾病诊疗的前提下,对其他检查检验结

## 互认效果不容乐观

果予以互认。据了解,目前北京、山东、江苏、云南、河南、河北、天津等地已先行一步开展省内检查结果互认工作。

北京某三甲口腔医院临床医生告诉记者,其所在医院中像血常规分析、凝血功能的化验结果;CBCT、螺旋CT等影像学检查结果,在北京其他三甲医院是普遍互

认的。“若是患者携带其他医院检查结果来我院就诊,三甲医院的化验结果以及影像学检查结果清晰

果予以互认。据了解,目前北京、山东、江苏、云南、河南、河北、天津等地已先行一步开展省内检查结果互认工作。

北京某三甲口腔医院临床医生告诉记者,其所在医院中像血常规分析、凝血功能的化验结果;CBCT、螺旋CT等影像学检查结果,在北京其他三甲医院是普遍互

认的。“若是患者携带其他医院检查结果来我院就诊,三甲医院的化验结果以及影像学检查结果清晰



罗氏制药表示,为了能够拓宽血友病患者的支付渠道,公司也一直积极响应国家号召,与各方共同探索多层次的医疗保障,争取通过城市普惠型商业保险、以及社会救助等多种渠道为血友病患者减轻经济负担。

## 可及性待提升

对于中国A型血友病抗体患者,目前医保目录仅有出血后按需治疗的药物,仍然有大量患者无法接受已经被列入国内外临床共识和指南推荐的预防性治疗药物。

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

关涛对记者表示,我国医疗保障体系目标是以基本医疗保险为主体,医疗救助为托底,补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助等共同发展,然而对于包括血友病在内的很多罕见病,缺失基本医疗保险,其他的保障范围和效果比较有限。小众群体也不应该被忽视,希望能改变药品年治疗费用不能超过30万元才能纳入医保的限制条件,希望更高的层面能对罕见病用药问题给出解决方法

的一般可以实现互认。”

受限于医院科室水平的参差不齐、检查项目不统一等原因,上述检查检验结果互认行为也仅局限于同级医院之间。该医生表示,比如病理结果,北京只有少数几个医院有口腔病理诊断的广泛经验,若想实现互认并不现实;其次,检查结果的侧重点不同,比如在影像学检查中,看a病的A医院的影像学结果不能用于看b病的B医院;此外,部分检查项目还具有时效性。

基层医改专家、陕西省山阳县

卫健局原副局长徐毓才在接受记者采访时也表示,想要实现检查检验结果互认,必须保证已经完成的检查检验结果能够客观反映当时患者的身体健康状况,但由于病情一直处于变化中,任何一个检查检验结果只能对当时当下负责,因此这也是患者在不同医院被医生要求重新检查的一大因素。再叠加我国医学教育同质化程度低,医疗机构等级制度明确,使得即使是不同医院的同一级别医生水平也有很大差距。

洪某某与黄山首康医院经法院组织调解已达成协议。一审判决,黄山人民医院对洪某某的各项损失承担40%的赔偿责任。

但黄山人民医院辩称,其对洪某某的几次诊疗过程,不存在误诊和漏诊,且患者洪某某在高级别的医院做了肠镜检查确诊其肠道没有癌变,按照检查结果互认规定,黄山人民医院无需重复检查,即使要做也需在第一次肠镜后6个月以上再进行肠镜检查。该院不服一审判决,提起上诉。

二审法院认为,虽然洪某某在黄山首康医院进行过肠镜和肛门指检结果无异常,但洪某某在确诊直肠癌之前先后4次前往黄山人民医院就诊,黄山人民医院作为专业医疗机构,在患者多次就诊主诉“便秘,大便带血”等症狀时,均未进行肠镜或肛门指检,导致洪某某的直肠癌没有尽早发现,显然存在一定的过错。遂驳回黄山人民医院上诉,维持原判。

洪某某遂将两家医院起诉至法院,要求两家医院分别赔偿其各项损失4.6万余元。首康医院对洪某某主张的诉请及事实无异议。

洪某某遂将两家医院起诉至法院,要求两家医院分别赔偿其各项损失4.6万余元。首康医院对洪某某主张的诉请及事实无异议。

洪某某遂将两家医院起诉至法院,要求两家医院分别赔偿其各项损失4.6万余元。首康医院对洪某某主张的诉请及事实无异议。

洪某某遂将两家医院起诉至法院,要求两家医院分别赔偿其各项损失4.6万余元。首康医院对洪某某主张的诉请及事实无异议。

洪某某遂将两家医院起诉至法院,要求两家医院分别赔偿其各项损失4.6万余元。首康医院对洪某某主张的诉请及事实无异议。