

# 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

限公司（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

氏公司对血友病治疗领域有长期的承诺，公司也一直在努力与各方合作，希望帮助更多血友病患者获得标准化的预防性治疗。艾美赛珠单抗注射液在美国、欧洲、日本、韩国等国家和地区都被纳入基本医疗保障，及大多数商业保险。综合考虑到中国的经济发展水平、患者的经济承受能力，以及药物本身价值和后续研发的可持续性，艾美赛珠单抗注射液在中国的定价一直维持在全球低位。”

## 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

确，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。

2021年，艾美赛珠单抗注射液新适应症获批，用于不存在凝血因子VIII抑制物的A型血友病。

2021年，艾美赛珠单抗注射液销售额为30.22亿瑞士法郎，约合207.71亿元人民币。

艾美赛珠单抗注射液销售收入主要贡献来自美国、欧洲、日本等地区，中国销售收入未披露，贡献较低。

血友之家在公开信中介绍：“作为终生使用的药物，艾美赛珠单抗注射液用量与患者体重直接挂钩，标准用量为1.5毫克/周/公斤，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，即便体重较低的儿童患者年治疗费用也达到数十万元。”

同时，公开信介绍，艾美赛珠单抗注射液的定价策略与“大剂量有优惠”的行业惯例不符。30毫克规格的艾美赛珠单抗注

射液8100元/30毫克的16200元。以当前抗体患者主要采用的旁路治疗药物重组人凝血因子VIIa为例，市场均价1毫克5500元、2毫克9350元，不同规格降幅约15%。

另外，公开信还从政策执行情况、医保谈判参与情况、药品供销环节等方面指出了其认为存在的问题。

3月2日，血友之家法人代表、负责人关涛对本报记者表示，公开信发出后的第3天，罗氏制药多位高管与其进行了当面交流，并且，3月2日中午还进行沟通。公开信反映的问题得到了罗氏制药的重视。不过，要推动药品降价还比较困难。

对于艾美赛珠单抗注射液，关涛表示，与现有的其他药物对比，一个患者要达到同等的治疗效果，对比之下，艾美赛珠单抗注射液确实是性价比非常高的好药。据其了解，艾美赛珠单抗注射液在我国的定价也确实是属于低位的。不过，对急需该药救命的患者而言，艾美赛珠单抗注射液年费用实在太贵，“有药难及”。



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。  
本报资料图

## 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和方向。

3月2日，针对血友之家公开信反映的各项问题，罗氏制药方面向记者均做了详细回应。

罗氏制药介绍，2月24日，罗氏制药中国相关部门负责人已拜访血友之家并做了交流。

关涛对于将艾美赛珠单抗注射液纳入医保向罗氏制药提出了三条建议：

第一，希望企业、政府可以更加努力，填补目前中国A型血友病抗体患者预防性治疗的医疗保障空白。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。特别希望企业站在患者角度，积极和总部申请降低艾美赛珠单抗注射液价格。

第二，希望各方能够呼吁，对于罕见病创新药的国家医保谈判，可否

考虑对单人次每年医保支出总额上限有所提升，以体现国家对罕见病群体的政策倾斜，对特殊的人群给予特殊的关爱，争取更多像艾美赛珠单抗注射液这样具有功能治愈性的创新药物可以早日惠及更多患者。

第三，以目前血友之家APP的真

实世界数据初步分析，如将抗体患者

预防性治疗纳入基本医疗保险，不

会提高当前医保支出，希望各方可以就

此问题展开进一步的扎实研究。

罗氏制药表示，自艾美赛珠单抗注射液上市以来，一直积极递交材料，争取通过谈判方式进入国家医保目录，很遗憾艾美赛珠单抗注射液一直未能纳入。罗氏公司充分理解国家医保基金“保基本”的核心定位，以及对纳入高价值药物的压力，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。

对于进口增值税政策执行情

况，罗氏制药表示，艾美赛珠单抗注

射液上市后即享受单克隆抗体和其

他生物制品0%关税的优惠政策。

对于差比价的问题，罗氏制药

表示，罗氏公司充分考虑到患者体

重差异，在中国申请上市了两种不

同剂型，同时不同剂型单位价格以

及低的原则进行定价。

对于药品渠道和供应的情况，罗氏制药解释称，艾美赛珠单抗注射液在保存和运输环节中对冷链都有较高的要求，因此在上市之初委托上药云健康益药房（上海）有限公司负责渠道经销，并根据艾美赛珠单抗注射液可在家庭下注射的特点制定了独立的商业流程。与患者直接购买场景不同，采取送药上门的配送方式。当获得患者用药需求后，经销商第一时间进行配送，将药品直接送到患者手中。

目前在安徽、山东、重庆等地也有了其他经销商进行渠道配送。基于城市普惠型商业保险和各地区专项保障政策，艾美赛珠单抗注射液也已在重庆、德阳、温州等个别地区实现了药店进药，在安徽、江苏、山东等个别地区实现了医院进药。

罗氏制药表示，价格确实是制约很多罕见病患者获得亟须治疗的重要原因之一。但除此以外，还有很多其他因素制约着罕见病患者对创新药物的可及性，如高价值药品在挂网和进院方面的阻力，院外DTP药房输后的报销问题等。这些工作都不是一家企业、一个组织，或一个疾病领域可以解决的。罗氏制药希望同包括血友之家在内的社会各界共同努力，一起呼吁国家和地方政府能持续探索和试点罕见病保障政策，积极积累罕见病多层次保障经验，一起突破这些制约罕见病患者药物可及性的难题。

# 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

## 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

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

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，其所在医院中像血细胞分析、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

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

## 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。

2021年7月16日，《关于加快推进检查检验结果互认工作的通知》（国卫办医函〔2021〕392号）进一步提出，鼓励将医务人员分析判断检查检验结果、开展检查检验结果互认工作的情况作为绩效分配的考核指标。

2021年11月29日，国家卫健委医政医管局就《医疗机构检查检验结果互认管理办法（征求意见稿）》向社会公开征求意见。再到如今《管理办法》的出台，十多年来，检查检验结果互认工作仍在持续推进中。

为何互认工作推进如此艰难，“其中最大的问题出在医学本身”。徐毓才表示，医学本身作为一种并不完美的科学，其对生命的认知还有诸多不确定。因此，必须依靠大量的检查检验去探究方可做出尽可能接近真相的诊断和治疗。而某一时间节点的检查检验结果又只能反映当时的情况，与操作者的技术水平和认知努力密切

相关。对于变化中的病情来讲，能不能客观反映最新情况，谁都不敢打包票，而医学科学方面的先天缺陷，也许永远难以解决。这也成为检查检验结果互认的最大障碍。

其次，是经济利益问题。一直以来，我国医疗服务价格出奇的低，医生不能凭技术获得合理的收入。一旦众多检查检验实现了互认，医疗机构收入肯定会大幅度减少。

针对“医院不认可其他医院检查结果或牵涉利益纠葛”的说法，前述医生表示，可能存在，但不是普遍现象。

再次，对于互认后出了问题，由谁承担责任，会不会因为医生的“好心”而获得病人及家属谅解，获得法律法规的宽容，似乎可能性还不大。即使是这次《管理办法》也没有给出一个令人放心的安排，《管理办法》依然规定：对于因检查检验结果互认而产生纠纷的，各责任主体依法依规承担相应责任。

据安徽省黄山市中级人民法

院民事判决书显示，2018年12月20日，洪某某携带黄山首康医院制作的肠镜检查报告单、病理诊断报告到黄山市人民医院（以下简称“黄山人民医院”）消化内科就诊，诊断为“慢性胃炎、胃幽门螺杆菌感染”。

2019年4月12日至7月4日，洪某某三次到黄山市人民医院消化内科就诊，均未常规进行直肠检查。

直到2019年7月26日，洪某某再次到黄山人民医院外科就诊，直肠指检发现肛门缘5cm处环周生长肿物伴肠管狭窄。后去黄山首康医院做肠镜检查，确认是直肠癌。同年7月31日，经北京大学肿瘤医院诊断洪某某为直肠下段中分化腺癌伴部分淋巴结转移（Ⅲ期）。

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。

洪某某与黄山首康医院经法院组织调解已达成协议。一审判定，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“便频，大便带血”等症状时，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。