

探索破解罕见病治疗难题的“中国模式”

本报记者 陈婷 曹学平 深圳报道

3月1日,罕见病脊髓性肌萎缩症(以下简称“SMA”)口服治疗药物——利司扑兰正式落地执行新医保谈判价格(3780元/瓶),相

较其此前于公立医院的招标价格6.38万元/瓶,降幅达94%。

根据《广东省基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录(2023年版)》(以下简称“《2023年版医保目录》”),含利司扑兰在

内,今年新增7个罕见病用药纳入医保,为罕见病患者带来更多希望。

事实上,像双下肢近端无力、蹲下起立困难的SMA,经常不由自主抽搐的亨廷顿舞蹈症,以及肚

大如鼓的戈谢病等,这些少见的病名背后,是罕见病患者求医问药的艰辛不易。

近年来,我国高度重视罕见病诊疗及管理,如医保目录动态调整、地方罕见病用药保障机制

新探索、公益慈善力量参与罕见病多层次保障等,加快探索破解罕见病防治难题的“中国模式”。

日前,全国人大代表、圣湘生物(688289.SH)董事长戴立志对《中国经营报》记者表示,“罕见病

病种多、病因复杂、诊治困难。我国罕见病防治起步较晚,目前各地诊治技术发展也不平衡。”为此,包括戴立志在内,有多名代表与委员在今年全国两会期间就中国罕见病的诊疗与管理建言献策。

“两座大山”

诊疗难和用药保障难是横亘在罕见病患者治疗之路上的“两座大山”。

2023年2月28日是第16个国际罕见病日,今年的主题是“Share Your Colours”(点亮你的生命色彩)。

罕见病之所以称为“罕见”,是因为其与普通疾病相比,患病率低,大众对其认知不足。根据世界卫生组织定义,罕见病是指患病人数占总人口0.65‰—1‰的疾病或病种。

世界各国对罕见病的定义不尽相同。根据《中国罕见病定义研究报告2021》,罕见病指“新生儿发病率小于万分之一、患病率小于万分之一、患病总人数低于14万人的疾病。”

弗若斯特沙利文联合北京病痛挑战公益基金会发布的《2023中国罕见病行业趋势观察报告》(以下简称“《观察报告》”)指出,我国罕见病管理工作处于起步阶段,罕见病流行病学数据相对缺乏,对罕见病以目录清单形式进行管理。

2018年5月,国家卫健委等部门联合印发我国第一批罕见病目录,共收录121种罕见病。作为制定相关政策的重要参考依据,该目录正在持续动态更新。

《观察报告》显示,全球目前已知的罕见病超过7000种,全球受罕见病影响的人群为2.6亿—4.5亿人。中国目前已知的罕见病数量约1400种。不过,由于罕见病诊断困难,有大量罕见病被当作普通疾病治疗,甚至未被发现,实际病种数量或许更多。据估计,中国的罕



从全球范围看,目前仅有5%的罕见病存在有效治疗方法。

视觉中国/图

见病患者群体已超过2000万人。

目前,罕见病诊疗仍是国际难题,我国亦不例外。《观察报告》指出,诊疗难和用药保障难是横亘在罕见病患者治疗之路上的“两座大山”。

根据《观察报告》,从全球范围看,目前仅有5%的罕见病存在有效治疗方法,且用药价格昂贵,一般患者难以负担。在我国,罕见病患者面临疾病难以诊断、诊断后尚无特效治疗手段、治疗药物未在国内上市、治疗药物已在国内上市但未注册相关适应证、治疗药物已在国内上市但缺乏医保支付手段等难题。

戴立志也注意到,由于罕见病涉及血液、骨科、神经、肾脏、呼吸、皮肤及重症等多个学科,临床医师普遍缺乏罕见病的专业知识。此外,由于市场需求小、研发难度大、成本高、周期长,涉足罕见病用药

研发生产的制药企业并不多,导致罕见病用药少,被称为“孤儿药”。

《2020中国罕见病综合社会调研》显示,在38634名医务工作者中,有近70%的人认为自己并不了解罕见病。参加调研的2万余名患者中(涉及33种罕见病),平均确诊时间为4.26年,其中,42%的患者经历过误诊。

此外,罕见病药物研发成本高,临床试验开展困难。从事罕见病用药研发及商业化的北海康成(1228.HK)招股书显示,2019—2020年及2021年上半年,公司累计亏损14.07亿元,主要是“研发项目产生的成本、行政开支及可转换可赎回优先股的公允价值亏损导致”。2022年上半年,公司亏损2.49亿元,已较2021年同期有所收窄,主要原因是研发成本减少。

多方合力

罕见病诊疗和管理是一个庞大而复杂的系统工程,仍需要多方合力。

罕见病是人类疾病的缩影。随着人类对疾病不断深入研究,越来越多的罕见病亦被发现和认识。

“过去一年,罕见病领域无论是在药物研发引进方面,还是在支付保障等方面,都发生了很多新的变化。”北京病痛挑战基金会创始人、副理事长王奕鸥在《观察报告》中如此表述。

其中,罕见病高值药品纳入国家医保目录的举措备受瞩目。

2021年底,SMA治疗药物诺西那生钠注射液经过8轮谈判,最终进入国家医保目录,其价格从最初上市的近70万元/针降至3.3万元/针(2022年1月1日正式执行),让SMA患者从“有药可用”变成“有药可保”。后来,经过“灵魂砍价”的利司扑兰也纳入国家医保目录,SMA患者从“有药可保”变成“有药可选”。

《观察报告》显示,基于《第一批罕见病目录》,目前已有199种罕见病用药在全球上市,涉及87个病种。其中,103种药物在中国上市,涉及47种罕见病;73种药物在中国上市并纳入医保,涉及31种罕见病。

于今年3月1日起执行的《2023年版医保目录》,其中新增7个罕见病用药,涉及多发性硬化、肺动脉高压、遗传性血管性水肿、肌萎缩侧索硬化、脊髓性肌萎缩症和视神经脊髓炎谱系疾病。此前,已有45种罕见病用药被纳

入医保目录,覆盖26个病种。

多个罕见病用药纳入医保目录与其研发、上市进程加快有关。2018年、2020年及2022年,相关部门均发布政策提及加快罕见病治疗药品的审评审批。其中,2020年施行的《药品注册管理办法》指出,将罕见病的创新药和改良型新药纳入优先审评审批程序。对于境外生产化学药品注册上市许可事项,药品上市许可申请审评时限为200日,其中优先审评审批程序的审评时限为130日,临床急需境外已上市罕见病用药优先审评审批程序的审评时限为70日。

《观察报告》显示,截至2023年2月,中国有81种罕见病药物(除化学仿制药和生物类似药)处于临床试验及上市申请阶段,其中67%的药物由国内药企自主研发或参与引进。特发性肺纤维化、血友病、多发性硬化、帕金森病(青年型、早发型)、视神经脊髓炎是目前国内研发相对密集的5种罕见病,涉及上市公司恒瑞医药(600276.SH)、东阳光药(1558.HK)、复星医药(600196.SH)等。

不过,罕见病诊疗和管理是一个庞大而复杂的系统工程,仍需要多方合力。

记者获悉,今年全国两会期间,戴立志带来一份关于配套罕见病相关政策支持,构建罕见病诊疗新模式的建议。其表示,目

前罕见病相关的多层次保障效果仍不如预期,许多罕见病家庭面临因病致贫的困境,患者无法及时用上具备更高临床价值的新药。同时,目前尚未针对罕见病出台专门的法律法规,各项探索还没有充分深入,再加上引导不足,多元化支付保障体系并不能充分发挥应有的作用。

因此,戴立志建议,对于罕见病要坚持以预防为主,普及基因检测技术在三级防控中的应用;引入新技术及新平台,建立国家层面的罕见病诊疗中心,提升罕见病诊断能力;持续推进罕见病药物研发创新,鼓励国外创新药物在我国境内同步研发、同步临床、同步申报,争取同步上市,使我国罕见病患者更快用上药,用上好药。

此外,全国人大代表、荣昌生物(688331.SH)董事长王威东建议,加快对罕见病诊疗及管理专门立法,规范罕见病药品医疗器械研发、审批,指导罕见病诊疗管理。

完善罕见病诊疗保障体系方面,全国政协委员,对外经济贸易大学保险学院副院长孙洁表示,“应当从治疗价值、健康效益、独特性和社会需要等角度探讨并构建我国罕见病用药医保准入评价指标体系,包括适当提高治疗费用阈值,科学纳入罕见病药品,实现罕见病高值药品保障。”

中医药产业振兴策:提升质量 推动创新

本报记者 晏国文 曹学平 北京报道

2023年政府工作报告提出,促进中医药传承创新发展。

作为我国独特的卫生资源和文化瑰宝,近年来,中医药发展受到越来越多政策的大力支持。2月28日,国务院办公厅发布《中医药振兴发展重大工程实施方案》(以

质量为先

下简称《方案》)。**《方案》**具体提出了8个中医药振兴发展重大工程,给中医药行业带来巨大利好。

两会期间,全国人大代表、全国政协委员纷纷为中医药传承创新发展建言献策。

日前,《中国经营报》记者从人福医药(600079.SH)公司方面获悉,全国人大代表、人福医药董

事长李杰带来了一份关于支持中医临床成果向中药新药转化的建议。记者从晨光生物(300138.SZ)公司方面获悉,全国人大代表、晨光生物董事长兼总经理卢庆国带来了一份关于推动中药产业高质量发展的建议。

此外,记者注意到,今年两会期间,多名全国人大代表、政协委员围绕提升中药质量和推动中医药创新提出了积极建议。

“随着政策导向中医药行业高质量发展,中医药行业向头部创新中药企业集中,部分低水平中药企业将逐渐退出市场,中医药行业内部结构预计将持续优化,行业头部效应逐渐凸显。”德邦证券报告称。

围绕提升中药质量和推动中医药创新提出了积极建议。

《方案》提出,建设目标是,到2025年,优质高效中医药服务体系加快建设,中医药防病治病水

平明显提升,中西医结合服务能力显著增强,中医药科技创新能力显著提高,高素质中医药人才队伍逐步壮大,中药质量不断提升,中医药文化大力弘扬,中医药国际影响力进一步提升,符合中医药特点的体制机制和政策体系不断完善,中医药振兴发展取得明显进展,中医药成为全面推进健康中国建设的重要支撑。

《方案》提出,建设目标是,到2025年,优质高效中医药服务体系加快建设,中医药防病治病水

平明显提升,中西医结合服务能力显著增强,中医药科技创新能力显著提高,高素质中医药人才队伍逐步壮大,中药质量不断提升,中医药文化大力弘扬,中医药国际影响力进一步提升,符合中医药特点的体制机制和政策体系不断完善,中医药振兴发展取得明显进展,中医药成为全面推进健康中国建设的重要支撑。

《方案》第六项重大工程为中药质量提升及产业促进工程。《方案》要求,围绕中药种植、生产、使用全过程,充分发挥科技支撑引领作用,加快促进中药材种植业发展,大力推进中药材规范种植,提升中药饮片和中成药质量,推动中药产业高质量发展。

“中药是中医药事业传承和发展的物质基础,是关系国计民

生的战略性资源。近年来,中药质量呈现出逐年提升、稳步向好的发展态势,但与人民群众的期望仍有一定差距。”国家中医药管理局在解读《方案》时指出。

《方案》提出开展“中药质量提升及产业促进工程”建设,结合当前中药质量存在的问题和产业发展面临的现实需求,针对种子种苗、中药材、中药饮片、中成药等关键领域、关键环节,强化源头管理、全程管理、协同管理,凝聚各部门职能优势,促进产学研用一体化推进,激发产业高质量发展动能。

两会期间,针对如何提升中药材质量的问题,多位全国人大代表提出了具体建议。

卢庆国代表认为,尽快通过修订药典大幅提高中药材及中药的有效成分含量标准,是保证中医药产业健康发展的重要举措。

卢庆国代表建议,集中精力启动药典修订工作。对中药材的有效成分含量标准,可以选定几个有代表性的主要成分,以地道药材产区中等质量

创新发展

2019年10月,中共中央、国务院发布《关于促进中医药传承创新发展的意见》,为中医药事业发展指明方向。

国务院办公厅2022年3月发布的《“十四五”中医药发展规划》指出,正确把握继承与创新的关系,坚持中医药原创思维,坚持创造性转化、创新性发展,注重利用现代科学技术和方法,深入发掘中医药精华,在创新中形成新特色新优势,促进中医药特色发展。

如何使传统中医药焕发时代活力,两会期间,多位人大代表对中医药创新提出了建议。

李杰代表表示,《“十四五”国家药品安全及促进高质量发展规划》鼓励医疗机构中药制剂向中药新药转化,但由于政策、资金、研发等各方面原因,目前仅有少数医院有计划地将医院制剂转化为新药。

医疗机构拥有大量有效的临床经验方和医院制剂资源,但大部分医院未将关注点放在新药转化方面,使得这些优质资源很少能成功开发为中药新药,中医药的传统独特诊疗优势并未充分发挥。

李杰代表表示,希望国家加大对中药新药研发的扶持,充分发挥中医药理论、人用经验和临床试验“三结合”的中药注册审评优势,持续完善基于“中医临床经验方—医疗机构制剂—企业中药新药转化”研发模式的配套措施、体系建设,提升医院制剂向新药转化的效率。加强临床医生培训及激励,做好规范填写电子病历等基础性工作,为人用经验证据提供更加翔实的原始数据。

另外,李杰代表建议,支持、鼓

励医疗机构内部或第三方机构对中医处方进行筛选、评价,对有转化前景的处方进行课题立项,并对处方进行临床疗效评价、合并用药、不良反应监测等系统科学的评价,在医疗机构成立大数据或方法学分析科研团队或者外聘数据分析公司,进行人用经验数据分析,获取高质量的人用经验证据,建立医疗机构中药制剂人用经验应用模式。

李杰代表建议,应鼓励生产企业与医疗机构共同成立新药科研成果转化平台,优势互补、风险共担,以加快中医临床科研成果转化的进程。

全国人大代表、以岭药业(002603.SZ)董事长吴君建议,强化中西医结合自主创新转化应用科研体系建设。健全中西医结合的发展策略、战略措施、管理制度,加强中西医结合学科与科研平台建设。设立中西医结合科技专项,加强中西医结合与药理学、分子生物学、生物信息学、AI技术等多学科深度交叉融合,推进中西医结合诊疗基础研究,加快具有国际影响力的标志性成果产出等。

全国人大代表、中国工程院院士程京建议:持续加大对中医药原创引领性科技攻关的支持力度。落实党的二十大精神“促进中医药传承创新发展”,围绕健康中国、乡村振兴战略规划,加大鼓励和引导开展中医药原创性引领性科技攻关。设立具有战略性、全局性、前瞻性的国家重大科技项目,加快中医药科技创新与转化应用;加强原创基础研究,用现代科学方法和手段解读中医学原理,推进中医药与现代科学相结合。