

罕见病“天价药”大降价入医保
消息传来,患者和家属都十分激动
通过各种政策、医保、保险、救助等措施



患者刘强开发的科普SMA小游戏

浙江SMA患者刘强说: 我每年自付的药费,将降到一万以内



本报记者 张蓉

12月3日,一个看似寻常的星期五。早上8点半,21岁的刘强在护工的帮助下,如往常般起床、穿衣、洗漱。直到拿到手机的那一刻,屏幕上一条条“罕见病……”不断弹出,此起彼伏,他才激动地意识到,这是改变自己命运的时刻。

当天上午,国家医疗保障局公布2021年国家医保药品目录调整结果,74种药品新增进入目录,其中包括7种罕见病用药。

每一个小群体都不应该被放弃

“等到了!等到了!”在SMA(脊髓性肌萎缩症)患者群内,各地病友欢呼雀跃。一位SMA大学生患者的妈妈激动得眼泪直流,说听到消息的自己一路走,一路哭……刘强颤抖起来,手心冒汗,对着同一条消息,反复看了一遍又一遍。

身为SMA II型患者,在此前长达十余年内,刘强一度无药可治,只能眼看着身体各项机能逐步退化。2019年,首款治疗SMA的特效药诺西那生钠注射液在中国上市,刘强看到一丝希望,可随后“70万元一针”的天价,又让这份希望变得遥不可及。

如今,罕见病高值药纳入医保实现零的突破,中国SMA诊疗正式宣布进入医保时代。经历8轮价格协商,曾经的“天价药”诺西那生钠注射液最终以低于3.3万元/针的价格谈判成功。

身在浙江的刘强,通过基本医保、大病医保、惠民商业保险的三次报销,以及医疗救助、公益基金,今后用诺西那生钠注射液,年自理费用减至一万以内。

手机中,医保谈判现场,国家医保局谈判代表张劲妮说的那句话一遍遍回放——“每一个小群体都不应该被放弃”。

被诊断“活不过5岁”的他不屈服

异常在刘强1岁半大时开始显现,“教他走路,可他怎么都站不住,双腿特别软。”母亲章晴回忆说。2002年,章晴夫妻连夜赶到杭州,把儿子送进省儿保(浙江大学医学院附属儿童医院)。

后来的诊断结果击倒了这个30岁的母亲,章晴在家里连躺了几天起不来床——儿子由于基因片段缺失,导致脊髓性肌萎缩症。

熬中药、做针灸和推拿,给儿子挂300元一次的专家号……章晴夫妻穷尽自己的力量带儿子求医。但最终只得到一份活不过5岁的宣判。

刘强原以为自己与同龄人最大的不同就是无法蹦蹦跳跳,可后来,肌无力与肌萎缩的发展急剧加快。他一天比一天消瘦,直到变得坐不稳,也无法再将双手举过头顶。

由于免疫力差,小时候,刘强几乎每个月就感冒一次。最危急的一次发生在2015年。抗生素迟迟无效,肺炎越来越厉害,刘强一度呼吸不畅。救护车呼啸而来,15岁的他被紧急送进抢救室,一夜后才脱离危险,住院长达20多天。

尽管身体每况愈下,但在家人的精心照料下,刘强活过了一个又一个五岁。

只剩两根手指灵活的他,等到特效药

“等科学发达了,你会好起来的。”虽然一直无药可治,章晴总是用这句话安慰儿子,也安慰自己。

有一天,奇迹真的出现了。那是2013年左右,刘强在网上看到国外药企在进行治疗SMA的药物临床试验,有病友将晦涩的英语论文翻译成中文,数据显示疗效不错。

微弱的希望突然又将灰暗的生活激活了,刘强第一次开始设想自己的未来。章晴将一位中学电脑教师聘请到家,每周日给儿子上一小时电脑课;上课之余,刘强自学编程,逐渐萌生了做程序员的梦想。

2016年,耗费两个月,刘强和一位病友共同开发了一款名为《涂鸦消除》的小游戏,并在手机应用商城上架。尽管最终只有百余人下载,获益几十元,但这人生中的第一桶金,给了刘强莫大的鼓舞。

也是那一年,首款治疗SMA的药物“诺西那生钠注射液”在美国上市。三年后,该款药物也在中国上市,SMA不再是无药可医的疾病。

新闻+

省中医院主任医师、国家卫健委罕见病诊疗与保障专家委员会委员谢俊明—— 为打开中国市场重新估价,大药企做出明智选择

作为高值罕见病药物,以“地板价”纳入医保,成为今年医保谈判的一大亮点。

钱报·小时新闻记者采访了解到,除了国家医保局的“灵魂砍价”,背后也是多重因素的角力。

浙江省中医院主任医师、国家卫健委罕见病诊疗与保障专家委员会委员谢俊明解释说,“高值”即药物具有良好的治疗效果,而单品年费用超过50万元。

“这正是选择以谈判形式将高值罕见病用药纳入医保的原因,政府需要兼顾百姓需求和科技创新。”谢俊明说,在医保基金承受范围内最大程度惠及患者,再次体现基本医保的公平性与普惠性。

目前,国内上市的罕见病药物70余种,其中,高值罕见病药物共10余种。这些药之所以昂贵,是由于药物创新、前期开发投入成本大,同时,对于单一市场存在垄断,缺乏竞品。

而中国超过十亿的参保人口,意味着庞大的市场。有估算显示,SMA中国每年新发患者850人,总患者人数约2.5万人。“庞大的基数正是国家作为战

他憧憬着,今后能体验校园生活

但诺西那生钠注射液70万元一针的定价击破了刘强全家人美好的期盼。“即便首年买一赠三、后续买一赠一,年花费预算还是超过100万元。病情需终身用药,我们普通家庭不可能承担得起。”章晴说。

今年年初,刘强病情加重,一度心肺衰竭,章晴夫妻掏空积蓄,给儿子注射了第一针特效药。“买一赠五,现在已经打了五针。”章晴说,用药后,刘强的精神状态转好,呼吸恢复平稳。

直到这一天的到来。把特效药纳入医保的谈判视频,章晴仍一遍遍循环播放。“看得真的快哭了,心里有道不完的感谢,感谢政府,感谢国家。”章晴激动地说。

随着诺西那生钠注射液进入医保,刘强变得更加努力。尽管进展缓慢,他仍整日对着电脑听课、做题,自学数学和英语。脑海里,设想的未来有了更确切的样子——参加成人自考,体验校园生活。只是,他偶尔也会想,“如果我能2015年那场大病前得到治疗,该多好。”(刘强、章晴均为化名)

略购买者与企业博弈的砝码,能够‘以量换价’。”谢俊明说,这也是这些药企愿意大幅降价的重要原因。

同时,此次纳入医保的两款高值罕见病用药,无论是治疗脊髓性肌萎缩症的诺西那生钠注射液,还是治疗法布雷病的阿加糖酶α注射用浓溶液,都已有竞品面世。

“在国谈的‘灵魂诱导’下,药企看到了中国市场的吸引力和国家战略性购买的强大力量,而且谁先进入,谁就能够抢占先机。”谢俊明认为,药企的这次降价也体现出对于中国市场产生的思维变化——愿意为打开中国市场,重新估价,“这是明智的选择,也是带着诚意的。”

本报记者 张蓉

