

卫生政策研究进展

Progress in Health Policy Research

2010年 第10期

(总第24期)

上海市卫生发展研究中心

2010年11月15日

编者按 实施基本药物制度和规范药品生产流通是健全药品供应保障体系的重要内容。根据国家相关文件精神，结合本市实际情况，上海市即将出台《上海市实施国家基本药物制度工作方案》。在此背景下，本期特邀胡善联教授对我国基本药物制度实施过程中遇到的问题进行分析，并从制度设计上提出了政策建议；上海市卫生发展研究中心的研究人员就基层医疗机构实施基本药物“307+X”配备模式的可行性进行了探讨，对上海市药品集中招标采购改革的法律问题进行了分析。

随着罕见病相关问题的凸显，政府部门和社会各界对罕见病医疗服务体系的重视程度逐渐提高。本期抛砖引玉，刊登了《关于构建我国罕见病医疗救治体系的探讨》和《我国罕见病政策发展方向的探讨：基于EUROPLAN项目》两篇文章。此外，本期还简要地介绍了上海市卫生局2009年度卫生政策研究课题结题评审情况。谨供领导和同志们参考。



卫生政策研究进展

2008年11月创刊
第3卷第10期(总第24期)
2010年11月15日
(内部交流)

主管

上海市卫生局

主办

上海市卫生发展研究中心
(上海市医学科学技术情报研究所)

编辑出版

《卫生政策研究进展》编辑部
上海市北京西路1477号801室
邮编:200040
电话:021-22121869
传真:021-22121879
E-mail:wszcyyjz@163.com
网址:www.shdrc.org

顾问:夏毅
徐建光

主编:胡善联
常务副主编:刘雪峰
副主编:付晨
丁汉升

编辑部主任:王贤吉
编辑:李芬 谢春艳
张进 彭颖
信虹云 王力男

上海市连续性内部资料准印证
(K)第0649号

目次

政策研究

关于完善国家基本药物政策的几点思考..... 1

上海市基层医疗机构实施基本药物“307+X”配备模式的可行性
分析..... 5

一、资料与方法..... 6

二、结果..... 6

三、讨论..... 9

上海市药品集中采购改革的法律问题分析..... 12

一、本市药品集中采购改革的主要做法..... 12

二、本市现行药品集中采购改革需防范的法律问题..... 15

三、完善本市现行药品集中采购改革的法律建议..... 19

关于构建我国罕见病医疗救治体系的探讨..... 21

一、概况..... 21

二、国外罕见病的医疗救治体系..... 22

三、我国罕见病医疗救治的现状..... 24

四、建议..... 26

我国罕见病政策发展方向的探讨:基于EUROPLAN项目..... 29

一、罕见病的背景..... 29

二、EUROPLAN项目的背景..... 30

三、EUROPLAN项目的优先领域..... 30

四、对我国制定罕见病相关政策的建议..... 34

动态讯息

上海市卫生局2009年度卫生政策研究课题结题评审简报..... 36

关于完善国家基本药物政策的几点思考

胡善联

自 2009 年 8 月起，国家发展和改革委员会、卫生部、国家食品药品监督管理局等九部委局先后印发了《关于建立国家基本药物制度的实施意见》、《国家基本药物目录管理办法》、《国家基本药物临床应用指南》、《国家基本药物处方集》、《关于公布国家基本药物零售指导价格》、《关于加强基本药物质量监督管理规定》、《关于做好基本药物全品种电子监管实施工作》、《医疗机构药品集中采购工作规范》和《药品集中采购监督管理办法》等一系列文件，标志着我国基本药物制度已经初步建立。

一年来，基本药物制度的实施取得了重大进展。截至 2010 年 2 月 26 日，全国 31 个省份均已经确定实施基本药物制度的地区，覆盖了 1020 个县（含县级市和市辖区，占全国总数的 35.7%），涉及政府办基层医疗卫生机构 1.8 万个（占全国总数的 38.7%），其中政府办城市社区卫生服务机构共 7907 个，占全国总数的 92%；政府办的乡镇卫生院 1.0 万个，占全国总数的 26.6%。北京等 27 个省份已启动和完成了基本药物招标采购工作，平均降价幅度为 25%-50%（表 1）。到 2010 年底，按计划国家基本药物制度将覆盖全国 60% 的政府办基层医疗机构。

第一作者：胡善联，男，教授
作者单位：上海市卫生发展研究中心，上海 200040

表1 2010年部分省份药品招标采购后的平均降价水平

招标采购地区	平均价格降幅 (%)
天津	10.3
内蒙古	32.0
浙江	32.0
辽宁	34.3
陕西	46.1
江苏	47.7
宁夏	49.2
安徽	50.0
湖南	53.2

然而，国家基本药物制度实施过程中也出现了一些问题，主要体现在以下几个方面：

(1) 各地已在原有 307 种国家基本药物的基础上，增扩了基本药物目录，增幅从 48.2% 到 159.0% 不等（表 2），这在一定程度上表明国家基本药品目录尚缺乏应有的权威性。

表2 部分省市基本药物目录的增补情况

省市	增补品种数	总品种数	增补率 (%)
福建	148	455	48.2
浙江	150	457	48.9
吉林	183	490	59.6
北京	191	498	62.2
山东	216	523	70.4
天津	230	537	74.9
广东	260	567	84.7
安徽	276	583	89.9
江苏	292	599	95.1
上海*	380	687	123.8
深圳	488	795	159.0

*注：上海市本轮医改实施方案尚未发布，估计将增加 380 种左右。

(2) 基层医疗机构在配备和使用基本药物、实行零差率销售后，由于药品配备数量有限，病人纷纷上转到二、三级医疗机构，与促进病人下沉到社区就医的政策目标相冲突。一些地区的基层医疗机构出现收益亏损，人才外流明显。

(3) 一些地区在开展以政府为主导的基本药物集中采购时，以价格高低为唯一选择标准，大型药企生产的质量较高的药品反而难以中标。另一个现象是，一些品种招标后的价格反而高于原来通过市场竞争形成的药品价格。

(4) 由于招标采购时药品的价格与数量没有挂钩，导致一些地区或一些基层医疗机构借助控制药品数量和品规的遴选契机，要求药品生产企业进一步让利，而患者却没有真正得到药品降价的实惠。

(5) 零差率政策实施后的补偿方式缺乏明确的法律依据，政府财政和各类医疗保险机构未明确各自应该承担的责任。目前，补偿不足对零差率政策在各地的执行产生了很大阻碍。

(6) 对基本药物制度实施效果的评价过于简单化。各地对基本药物制度实施效果的评价主要从医疗机构服务效率的提高、均次费用的降低来说明，普遍缺乏从病人角度出发的评价，如病人实际费用负担的变化、满意度等。

上述问题可归纳为三点：一是国家基本药物目录的品种、数量尚不能满足基层医疗机构和病人的需要；二是基本药物制度的实施在一定程度上对基层医疗机构运行产生了不利影响；三是实施基本药物零差率销售后对医疗机构的补偿机制亟待明确和规范。为此，作者从制度设计上提出进一步完善国家基本药物制度的一些建议：

(1) 遴选部分基本药物实行国家免费提供。不少亚洲的发展中国家（如印度、印尼、缅甸等）为保证人民（特别是贫困人口）获得基本药物的权利，在基层医疗机构提供数十种免费的、常用的基本药物。因此，在我国 307 种国家基本药物中，能否再遴选一部分在基层医疗机构免费提供是非常值得探讨的。

(2) 寻找其他替代基本药物零差率销售的政策。目前由于各地

经济条件和用药习惯的不同，均增补了不同数量的基本药物。但我们必须清醒地认识到，这不仅增加了各级政府的财政负担，而且客观上造成了不同地区居民在卫生服务和基本药物获得上明显的不公平。与其扩增基本药物目录的品种和实施零差率销售，还不如直接实行基层医疗机构收支两条线管理，扩大医疗保险制度的覆盖率和保障水平，将基本药物全部纳入各种医疗保险制度的报销范围并实行全额报销。

（3）恢复部分基本药物的定点生产制度。也许有不少人认为目前再重提基本药物的定点生产，是又回到了强化政府主导、削弱市场竞争的老路。但作者认为，通过一年多的基本药物集中招标采购的实践，有资质的主要生产基本药物的企业已经比较集中，为进一步保证基本药物的质量，降低药品价格，减少招标采购的管理成本，推动医药行业的兼并和重组，完全可以通过市场竞争和质量保证机制，委托定点企业生产部分常用的基本药物。

（4）落实基层医疗机构收支两条线管理，允许基层医疗机构接受上级医疗机构的转诊病人使用非基本药物。要切断“以药养医”的经济利益的刺激，对基层医疗机构实施“收支两条线”管理是最为彻底的一种方式。基层医疗机构只能配备使用基本药物，对双向转诊机制的建立是不利的。除需要明确诊断、调整治疗方案的患者外，对于定期用药的患者，还是应该鼓励其下沉到基层医疗机构就医。这样既可节省医疗费用，又可促进公立医院的改革。可以考虑允许病人根据上级医疗机构（或医疗联合体）的处方，在基层医疗机构定期配置一些非基本药物。当然，加强用药监督，防止基层医疗机构乱用非基本药物也是十分重要的。

（责任编辑：王力男）

上海市基层医疗机构实施基本药物“307+X”配备模式的可行性分析

何江江 张崖冰

【摘要】 利用 2009 年上海市医疗机构药品集中招标采购数据库，分析了基层医疗机构的实际用药现状和实施基本药物“307+X”配备模式的可行性，为制定基层医疗机构基本药物的配备政策提供参考。本研究认为本市实施“307+X”模式具有可行性，但需要采取有效措施防止社区“配药难”现象，做实收支两条线管理，在遴选“X”时需要考虑国家基本药物目录本身的不足。

【关键词】 基本药物；基层医疗机构；可行性分析；上海

为贯彻落实国家医药卫生体制改革的工作要求，保障群众基本用药，减轻医药费用负担，根据国家医改方案及《关于印发〈关于建立国家基本药物制度的实施意见〉的通知》（卫药政发〔2009〕78号）等文件要求，政府举办的基层医疗卫生机构全部配备和使用国家基本药物。据卫生部药政司统计，截至 2010 年 5 月底，28 个省份完成 30% 政府办基层医疗卫生机构实施国家基本药物制度的任务，启动并完成了基本药物招标采购工作，确定了基本药物品种和品规。从各地反映看，社区用药存在比较大的差异，各地为了满足基层用药，在国家基本药物目录的基础上允许增加一些符合当地防治需求的药

第一作者：何江江，男，研究实习员
作者单位：上海市卫生发展研究中心，上海 200040

品（即采用“307+X”模式），但增补药品必须按照国家基本药物制度的相关政策来执行，即招标采购、统一配送和零差率销售等，不增加老百姓的用药负担，而且要最大限度满足老百姓基本用药需求。

根据本市社区卫生综合改革实施进度和2010年世博会期间稳定工作需要等实际情况，《上海市实施国家基本药物制度工作方案》尚未下发。本文利用2009年上海市医疗机构药品集中招标采购平台数据库，分析了基层医疗机构的实际用药现状，对实施基本药物“307+X”配备模式的可行性作出初步判断，为本市制定基层医疗机构基本药物的最终配备方案提供参考。

一、资料与方法

资料来源于2009年上海市医疗机构药品集中招标采购数据库。该数据库近乎涵盖了本市全部医疗机构的药品采购信息，数据变量包括医院名称、药品名称、剂型、规格、生产厂家、包装数量、包装价格和购进金额等。

依据现行的《上海市医院分级目录》对药品集中采购数据库中的医院名称重新赋值编码，以区分出基层医疗机构；同时依据《国家基本药物目录（基层医疗卫生机构配备使用部分）》（2009版），使用通用名和剂型进行双变量比较，将国家基本药物目录的药品种类与上海市药品集中采购平台数据库内的药品进行匹配，以购进价格口径对本市基本药物的费用进行测算，并按同一通用名口径对2009年基层医疗机构实际所用的药品种类、购进金额及其使用频率进行分析。利用EXCEL、SPSS17.0等软件进行数据分析。

二、结果

按同一通用名口径对2009年上海市医疗机构药品集中招标采购数据库进行整理，得出2009年本市基层医疗机构实际所用的药

品种类数为 1850 种，总购进金额为 47.36 亿元，其中与国家 307 种基本药物目录采用相同通用名剂型的基本药物为 11.54 亿元（占 24.37%）。具体比较分析如下：

（一）购进金额按品种排序及相应补偿费用测算

前 515 种药品的购进累计金额为 45.01 亿元（累计构成比达 95%），具体分布情况详见表 1。如果将这个区间（95% 构成比）作为基本药物目录的增补药品区间，按 15% 加成率计算，由于零差率造成的医疗机构收入缺口为 6.75 亿元。但由于基本药物基本上都是同一通用名剂型下的中低价位产品（数据库统计数据包括同一通用名剂型下的高、中、低价位的所有产品），因此实际运行时收入缺口比 6.75 亿元略小。

表 1 2009 年上海市基层医疗机构药品的购进金额分布表

金额累计构成比 (%)	品种数量 (种)	累计金额 (亿元)
10	前 3	5.01
20	前 10	9.62
30	前 19	14.45
40	前 32	18.95
50	前 54	23.81
60	前 85	28.47
70	前 133	33.27
80	前 210	37.89
85	前 270	40.28
90	前 360	42.67
95	前 515	45.01
100	全部 1850	47.36

（二）每所基层医疗机构实际使用药品数

根据数据库中的医疗机构名称变量，对数据库中 247 家基层医疗机构实际使用的药品种类进行统计得出，使用药物种类数的最大值为 841 种，最小值为 218 种，中位数为 488 种，详见表 2。

表 2 2009 年上海市基层医疗机构使用的药品种类百分位数值表

药品种类百分位数	药品种类数（种）
0（最小值）	218
25	426
50（中位数）	488
75	576
100（最大值）	841

从 2009 年本市基层医疗机构使用的药品种类数量区间分布情况来看，基层医疗机构使用的药品种类数量主要集中在 300-700 种之间，详见表 3。

表 3 2009 年上海市基层医疗机构使用的药品种类数量区间分布情况

使用的药品种类数量区间（种）	基层医疗机构数（所）	构成比（%）	累计构成（%）
800 及以上	1	0.40	0.40
700-799	2	0.81	1.21
600-699	45	18.22	19.43
500-599	64	25.91	45.34
400-499	90	36.44	81.78
300-399	36	14.57	96.36
299 及以下	9	3.64	100.00
合计	247	100.00	—

（三）药品在医疗机构的出现频率

通过对本市基层医疗机构中使用的 1850 种通用名药品的出现频率进行分析得出，药品通用名在 247 家基层医疗机构的出现频率不到 10%（即少于 25 所机构使用）的药品种类达到了 961 种，而在一半基层医疗机构出现（即超过 124 所机构使用）的药品种类仅有 328 种，说明基层医疗机构中高频使用的药品种类并不是很多。详见表 4。

表4 药品通用名在上海市基层医疗机构中的出现频率分布情况

频率区间 (%)	按出现频率排序	通用名种类数 (种)
100-90	第 1-68 位	68
90-80	第 69-147 位	79
80-70	第 148-208 位	61
70-60	第 209-267 位	59
60-50	第 268-328 位	61
50-40	第 329-410 位	82
40-30	第 411-515 位	105
30-20	第 516-648 位	133
20-10	第 649-889 位	241
10-0	第 890-1850 位	961

三、讨论

结合本市经济状况和上述分析结果，“307+X”（约 300-400 种）方案在经济上是可行的，如果增补药品的遴选科学合理且数量足够，同时考虑基层医疗机构药品的使用频率，可以较好适合本市基层医疗机构的实际用药情况。但是本市在实施“307+X”方案之前，还需要进一步明确以下问题：

（一）“307+X”方案是否会加剧社区“配药难”现象

近 10 年来，本市不断推进社区卫生服务中心建设，旨在将常见病、慢性病防治下沉至社区，在方便百姓就诊之时，也让三级医院的优质资源得到充分利用，从而集中更多力量处理疑难杂症。然而，当前一些常见病的常用药只有在大医院才能配到，在社区卫生服务中心却难觅踪影。究其根源，主要是以下三点原因：

1、社区医保总额的限制

选择价格较为低廉的仿制药，是众多社区“不谋而合”的做法。有些药品疗效较好，但价格相对较高（如国家发改委单独定价和优

质优价药品)。社区卫生服务中心为了不突破医保总额限制而不予采购使用,造成在社区就诊的市民用药需求无法满足。在“一卡通”的医保就诊模式下,病人在社区配不到药就会转向二、三级医院。

2、病人用药习惯的限制

为规范医疗机构用药行为,卫生部2007年下发了《处方管理办法》,其中规定“医疗机构购进药品时,同一种通用名药品的品种,注射剂型和口服剂型各不得超过2种”。而在我国同一通用名剂型的药品,生产企业可能有几十家、几百家,对于习惯使用某一生产厂家药物的患者来说,若社区里恰好没购进这一厂家的药物,便会出现“配不到药”的现象。如上海患者比较习惯雷允上生产的“珍菊降压片”,而全国生产“珍菊降压片”的企业有20多家。

3、医师专业分工的限制

大医院的医生多为专科医师,对于本专业的特定疾病,专科医师有更多机会接触新药。而全科医师所用的药,通常是专科医师用过一段时间并被证明疗效不错、应用普遍的药物。某些药物恰好处在这一“时间差”内,即大医院专科医师对该药的使用已相当普遍,但在社区的全科医师还未广泛使用。而在上海,上大医院、找名专家、配新药好药,已逐步成为许多慢性病患者常用的“就诊途径”。

综上所述,造成社区“配药难”的原因是多方面的,“307+X”方案并非主要因素。如果采用“307+X”方案,且增补药品X的遴选科学合理、数量足够,则该方案应当不会加剧社区“配药难”的现象。在实施“307+X”方案后,工作重点应转向对基层医疗卫生服务人员进行培训,按照《国家基本药物临床应用指南》、《国家基本药物处方集》来规范基本药物的使用;同时向社会和人民群众广泛宣传,使大家接受基本药物理念,转变长期以来养成的不良用药习惯,

以此从源头上缓解“配药难”现象。

（二）“307+X”方案需首先做实收支两条线

零差率补偿是每个社区卫生服务中心最关心的问题。如果上海将来顺应国家基本药物制度工作要求，社区全部配备使用基本药物范围内的药品（“307+X”，其中“X”为300-400种）并执行零差率销售，那么在医保总额预付制度下，关键要看区县财政能否对社区卫生服务中心切实做到收支两条线管理，保障社区的正常运行和医务人员积极性，而不能是简单的“以收定支”。

（三）遴选“X”时需考虑国家基本药物目录本身的不足

根据有关文献的分析，我国基本药物目录遴选与评价方法存在以下突出问题：第一，我国基本药物目录品种变化巨大，部分收录药品缺乏科学依据并存在安全隐患（尤其是中药注射剂）。第二，同类药品品种过多，缺乏同类药品综合比较科学评价方法。第三，缺乏基本药物循证遴选与评价指南和技术标准^[1]。

鉴于国家基本药物目录本身的缺陷，在遴选本市增补药品时，需要考虑基层医疗机构的实际用药情况，尽可能减少实施“307+X”方案后对基层医疗机构诊治工作和社区居民用药的影响。

参 考 文 献

- [1] 王莉,袁强,成岚,等. 我国基本药物目录遴选与评价方法的问题与反思[J].中国药房, 2010,21(16):1453-1456.

（责任编辑：彭颖）

上海市药品集中招标采购改革的法律问题分析

张进 胡善联 张崖冰

【摘要】 本文介绍了上海市的市级层面和区级层面在药品集中招标采购改革方面的主要做法；分析了上海市现行药品集中招标采购改革实践中需要防范的法律问题；提出了完善上海市现行药品集中招标采购改革的法律建议。

【关键词】 药品集中招标采购改革；法律问题；上海

2000年，本市启动了以药品集中招标采购制度为代表的药品流通体制改革，是“三医改革”的重要举措之一。通过实行药品集中招标，进一步规范医疗单位与药品供方的购销行为，变“暗箱操作”为“透明操作”，以减少交易成本、降低药品价格、确保药品质量，对于推进深化医药卫生体制改革具有重要的现实意义。近年来，本市及各区县在药品集中招标采购方面进行了一系列实践与探索，取得了一些成效，同时也面临一些问题和挑战，本文从法律角度对有关问题进行探讨和分析。

一、本市药品集中招标采购改革的主要做法

（一）市级层面的主要做法

医药购销制度的改革于本世纪初启动。2000年，上海市医药集中招标采购事务管理所成立，作为全市药品集中招标采购的统一场

第一作者：张进，男，研究实习员
作者单位：上海市卫生发展研究中心，上海 200040

所和公共平台，进行药品集中招标采购的管理。2001年9月，本市成立了医疗机构药品集中招标采购联合工作组，由市卫生局所属、区县卫生局属地管理、医学院校附属和驻沪部队所属的医疗机构共同组建的联合招标人，负责实施开标、资质审核、评标、定标等工作。2002年7月，本市成立了上海市医疗机构药品集中招标采购协调管理委员会（以下简称市药招委），由市政府分管领导牵头，市卫生局、市药监局、市医保局、市物价局、市工商局、市财政局、市经委、市商委和市体改办、市纠风办参加。市药招委是招标采购的领导决策机构，在市卫生局设立市药招委办公室，负责本市医疗机构药品集中招标采购活动的日常管理工作。以上机构组织的建立，为本市统一实施并规范、改进药品集中招标采购工作提供了组织保障。

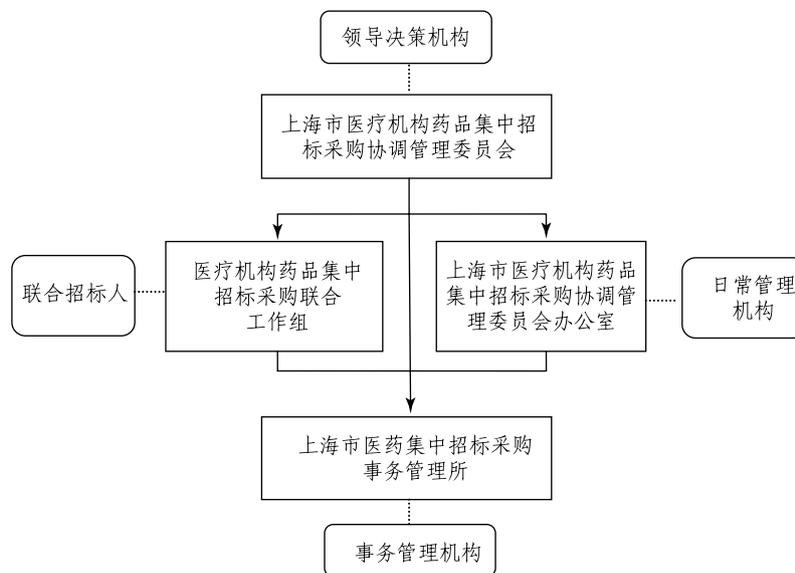


图1 上海市药品集中招标采购组织结构图

（二）区级层面的改革探索

本市各区县在市级药品集中招标采购制度改革的基础上，在药品采购的各个环节积极开展了改革探索。现主要归纳如下：

1、多样化的供应商选择

各区县的药品供应商选择方式包括独立选择和联合遴选两种方

式。独立选择是指单个医院在本市公布的中标品种目录范围内自行独立选择中标药品。联合遴选是指公立医院以医疗机构联合体的形式,在本市中标品种目录范围内集中遴选中标药品,通常有两种形式:①一药一品一规一配送:是指采购一种药品只择优确定一个品种、一个规格、一家生产厂家和一个供应商。例如,闵行区目前就采取了这种模式。②一品二规三厂:是指采购一种药品择优确定一个品种、二个规格、三家生产厂家。例如,松江区的药品采购采取了这种模式。

2、批量采购的价格让利

根据各医疗机构提出的年度临床用药采购计划,由区级医疗机构药品集中采购工作小组汇总后经专家评审、筛选,形成区集中采购预选目录。预选目录向定点供应商公布,并由供应商在一定时间内组织货源后对预选目录药品进行竞争性报价(以上海市中标价为基准提供批量折扣)。由此可以看出,医疗机构通过批量采购的强势地位使企业被迫让利。

3、“沃尔玛”式的药品库存管理

在医院库存管理方面,闵行区以“沃尔玛”等企业的商品物流链为仿照,通过信息化手段,将医院药品库存管理与药品供应商的物流供货进行整合。区内医院与药品供应商签订内部药房委托管理协议,在保留药事服务责任的前提下,将内部药房的药品出入库日常业务交给药品供应企业完成。医院通过改造信息管理系统,统一药品管理信息标准,建立医院和药品供应企业之间的供应链。在此基础上,医院利用条形码技术管理药品的入库和出库;药品供应企业利用医院信息系统导出的药品库存数据,对医院实行自动补货。

4、统一及时的价款结算

为解决医院随意拖欠供应商货款问题,闵行区等改变了医院药

品采购结算方式，在收支分离的基础上实行统一结算。在规定回款时间内，医院按照财务制度盘点、对账并提交发票，由专门授权机构统一对药品供应企业支付货款。

5、颇受争议的折扣让利处理方式

各区县对于通过联合遴选、批量采购所获得的药品折扣让利主要采用了两种处理方式：一是医院将所取得的药品批量折扣直接体现在零售价格的降低上，药品低进低出；二是医院直接将这部分批量折扣让利上缴至区财政，不在医疗机构药品销售价格上体现。

6、多种多样的监督管理方式

各区县药品集中采购监管的主要方式为：一是药品采购领导小组，工作小组通过第三方医药电子商务平台提供的监管功能，对区内药品购销行为实行网上动态监管，包括监控药品采购的规模、品种、价格变动等多方面指标；二是建立多部门监管评价机制、专业质量评价机制、行风监督员评价机制，确保考核结果公开、公正、透明。

二、本市现行药品集中采购改革需防范的法律问题

（一）关于医疗机构药品集中采购组织主体的问题

卫生部、国家发展改革委、国家工商总局、国家食品药品监督管理局、国家中医药管理局、国务院纠风办等六部委 2004 年 9 月联合颁发的《关于进一步规范医疗机构药品集中采购的若干规定》（卫规财发〔2004〕320 号）规定：“医疗机构药品集中采购以省或市（地）为组织单位，县（市）或单一医疗机构不得单独组织招标采购活动”。2009 年卫生部等六部门联合颁发的《关于进一步规范医疗机构药品集中采购工作的意见》（卫规财发〔2009〕7 号）指出：“医疗机构药品集中采购工作，要以省为单位组织开展”。由此，全国各地检查药品集中采购工作应“以省为单位”。本市有些区县“以区为单

位”组织药品集中采购的做法，与上述文件精神存在出入。

（二）关于药品再评审、再筛选与联合遴选的问题

2002年7月上海市人民政府办公厅转发的市卫生局等八部门关于《上海市医疗机构药品集中招标采购实施办法》（沪府办〔2002〕46号）规定：“卫生行政部门和医疗机构对已中标的企业不得以任何理由、任何方式组织再评审、再筛选”。2005年4月，上海市人民政府办公厅转发的市卫生局等七部门《关于进一步规范本市医疗机构药品集中招标采购意见》（沪府办〔2005〕29号）指出：“对中标的企业和品种，由各级医疗机构在药品采购公共信息技术服务管理平台上公开采购和自行选择，任何部门和单位不得利用各种手段组织再评审、再筛选”。

1、再评审的界定

根据《中华人民共和国招标投标法》、《上海市医疗机构药品集中招标采购实施办法》（沪府办〔2002〕46号）等法律规范的规定，药品集中招标采购活动是指依照有关法律和规定开展的药品集中公开招标、投标、评标、定标、合同签订和履行以及其他相关的活动。因而，如果区级卫生行政管理部门和医疗机构开展了这些环节的活动，如要求药企再次提供评审材料，采取公开招标方式等行为，则他们的行为可以定性为再评审行为。

2、再筛选的界定

根据《上海市医疗机构药品集中招标采购实施办法》（沪府办〔2002〕46号）和《关于进一步规范本市医疗机构药品集中招标采购意见》（沪府办〔2005〕29号）规定，药品招标的再筛选是指区级卫生行政部门和辖区内医疗机构对上海市集中采购目录范围的中标企业以各种理由、各种方式组织再次筛选，进一步缩小药品生产

企业和品种的范围。

3、联合遴选的界定

上海市人民政府办公厅转发的《关于进一步规范本市医疗机构药品集中招标采购意见》（沪府办〔2005〕29号）规定，对中标的企业和品种，由各级医疗机构在药品采购公共信息技术服务管理平台上公开采购和自行选择。联合遴选是指多家医院为降低药品企业生产成本和医疗机构采购成本，在上海市药品集中采购目录内，自行选择联合方式公开采购药品的品种和规格，而不是再次组织评审，筛选出新的药品集中采购目录。由此，联合遴选是指医疗机构在已确定的上海市药品集中采购目录范围内，直接选择确定了每种药品的品种、规格及价格，而不是形成新的采购目录。

（三）关于批量折扣、商业贿赂的问题

1、批量折扣的界定

1996年，国家工商行政管理局发布的《关于禁止商业贿赂行为的暂行规定》指出，所谓折扣，就是商品购销中的让利，是指经营者在销售商品时，以明示并如实入账的方式给予对方的价格优惠。由此，折扣具有以下法律特征：①折扣的本质在于价格优惠，即经营者对其预告的或一般要求的价格作出一定程度的减让；②给付折扣有两种形式：一是在支付价款时对价款总额按一定比例即时予以扣除，二是在支付价款总额后再按一定比例予以退还；③折扣必须以明示方式给付和收受，给付和收受折扣都必须如实入账。由此，如果药企的让利属于价格优惠、药企采取扣除或退还的方式让利，医疗机构将让利如实入账，则药企的让利属于批量折扣。

2、商业贿赂的界定

《中华人民共和国反不正当竞争法》第8条第1款禁止经营者“采

用财物或者其他手段进行贿赂以销售或者购买商品。在账外暗中给予对方单位或者个人回扣的，以行贿论处；对方单位或者个人在账外暗中收受回扣的，以受贿论处”。该法第8条第2款规定：“经营者销售或者购买商品，可以以明示方式给对方折扣，可以给中间人佣金。经营者给对方折扣、给中间人佣金的，必须如实入账。接受折扣、佣金的经营者必须如实入账”。由此，批量折扣与回扣的区别在于：前者为明示方式进行，后者则是暗中进行；前者如实入账，后者则不如实入账，包括不记入财务账、转入其他财务账或者做假账等。所以，如果医疗机构将其获得的让利如实入账，则其行为是合法的，属于折扣；如果其不出具发票或其出具的发票金额与实际金额不符，进行“账外暗中”操作，则其行为构成商业贿赂。

（四）关于垄断与不公平竞争的问题

《中华人民共和国反不正当竞争法》规定，政府及其所属部门不得滥用行政权力，限制外地商品进入本地市场，或者本地商品流向外地市场。《中华人民共和国反垄断法》规定，行政机关和法律、法规授权的具有管理公共事务职能的组织不得滥用行政权力，以设定歧视性资质要求、评审标准或者不依法发布信息等方式，排斥或者限制外地经营者参加本地的招标投标活动。行政机关不得滥用行政权力，制定含有排除、限制竞争内容的规定。

如果以报价让利的比例作为企业获得入围权的条件，致使其它已入围市级招标目录但未入围区级采购目录的药品没有机会获得采购合同，则该做法违反《反垄断法》和《反不正当竞争法》的相关规定。

（五）关于药品加价率的问题

在药品采购实践中，由于集中采购的规模效应，或回款时间不同等因素，实际购进价往往可以比物价部门规定的采购价格要低。《关

于印发进一步整顿药品和医疗服务市场价格秩序的意见的通知》规定：“医疗机构销售药品，要严格执行以实际购进价为基础，顺加不超过15%的加价率作价”，该文件还特别指出：“药品实际购进价指扣除各种折扣后的价格”。根据上述规定，通过大宗采购等方式取得的药品折扣，原则上应执行物价部门的加价规定，做到让利于民。

三、完善本市现行药品集中招标采购改革的法律建议

（一）制定本市药品集中招标采购管理办法，加强药品集中招标采购管理工作

关于基本药物的招标采购，本市按照国家“统一组织、统一平台、统一采购、统一配送、统一监管”的原则对基本药物的招标采购实行统一招标、统一定价、统一配送的方式。

关于非基本药物的招标采购，本市可制定本市药品集中采购管理办法，规范医疗机构对中标药品的遴选、议价、签约、回款、票据、让利资金管理等行为；在法定权限内合理划分药品集中采购的市级、区级管理权限，如规定市级负责组织统一招标，制定药品集中采购规范，区级负责本级集中采购的实施监管；规范药品集中采购领导小组、工作小组和专家库工作职责和采购流程；规定医疗机构组织签订购销合同、督促医疗机构履行同等义务。

（二）进一步规范联合遴选的程序

本市应根据上海市人民政府办公厅转发的市卫生局等八部门关于《上海市医疗机构药品集中招标采购实施办法》（沪府办〔2002〕46号）、上海市人民政府办公厅转发的市卫生局等七部门《关于进一步规范本市医疗机构药品集中招标采购意见》（沪府办〔2005〕29号）的规定，合理界定联合遴选的定义，以规范医疗机构的联合遴选行为。

（三）加强监督检查，引入独立第三方审计制度

区级药品集中采购会产生新的寻租空间，且其影响面更广。因此，本市对集中采购小组（包括领导小组和工作小组）、专家组的监督显得尤为重要。由于药品实行收支两条线管理，且药品集中采购的批量折扣收入也一并纳入到财政专户，因此也特别需要加强其财政专户资金使用和“明折明扣”操作层面的监督，要求将原来医疗机构药品购销中的“暗折暗扣”转变为“明折明扣”。另外，本市可引入独立第三方审计机构，如会计事务所等机构，对药品让利收入的操作开展专项审计监督检查，以防止出现商业贿赂的现象。

（四）建立网上药品集中公开采购交易监管平台

本市应建立药品集中采购网络平台，实现电子化的药品采购、结算、支付及监控，有效地消除药品交易中的信息不对称问题。所有医疗机构的日常采购全部通过网上订单实现，医疗机构能够对本机构的药品采购和使用情况进行实时监控，区药品采购小组也能够对全区药品采购和使用情况进行全面动态监控；通过网络系统定期统计分析总体用药变化趋势及异常波动情况，发现问题能及时反馈到相关部门进行监督，对确有问题者，立即停止采购，对采购责任人进行处理，并将相关品种从采购目录中予以剔除。

总之，本市应根据国家相关法律、法规及政策的规定，鼓励各区县吸纳本市药品集中招标采购中的信息化建设、合理用药监管、统一支付缩短回款时间、低进低出让利于民等行之有效的改革经验，并结合本地实际情况，在符合药品集中采购的相关法律、法规及政策的前提下，积极进行药品集中招标采购制度的探索和创新。

（责任编辑：谢春艳）

关于构建我国罕见病医疗救治体系的探讨

张进 王贤吉

【摘要】 随着我国医疗保障体制的完善，常见病和慢性病患者的医疗救治体系已经建立并日益完善，但罕见病患者的医疗救治体系还没有建立。本文在总结国外罕见病医疗救治体系的基础上，分析了我国罕见病患者医疗救治现状及存在的问题，提出了关于构建我国罕见病医疗救治体系的建议。

【关键词】 罕见病；医疗救治体系；我国

一、概况

罕见疾病简称“罕见病”，又称“孤儿病”，指那些患者相对极少且发病率极低的疾病。世界卫生组织（WHO）将罕见病定义为患病人数占总人口数 0.65% -1% 的疾病。世界各国关于罕见病的定义存在一定的差异，如美国将罕见病定义为年患病人数少于 20 万的疾病，日本规定罕见病为患病人数少于 5 万的疾病，欧盟规定患病率低于 0.5% 疾病为罕见病，中国台湾地区规定罕见病为发病率小于万分之一的疾病^[1]。但总体来说，普遍认为罕见病具有如下特征：

一是遗传多。世界卫生组织已确认的罕见病有 5000-6000 种，罕见疾病 80% 以上为基因突变或家族遗传所致的先天性疾病，如小脑萎缩、成骨不全症、血友病等大都与遗传有着密切的关系，约有

第一作者：张进，男，研究实习员
作者单位：上海市卫生发展研究中心，上海 200040

50%的罕见病在出生时或者儿童期即发病^[2]。

二是种类多。罕见病患者总量不多，但是其种类比较多，包括血友病、戈谢氏病、法布雷病、成骨不全症、苯丙酮尿症等。我国常见的罕见病包括法布里病、高雪氏病、黏多糖症、苯丙酮尿症、地中海贫血、成骨不全症等。

三是死亡多。在已发现的罕见病当中，目前仅有1.5%的病种具备治疗手段^[3]，致使罕见病治疗呈现“无药可治”的局面。另外，很多罕见病人因无法支付高昂的治疗费而放弃治疗，导致不治而亡。

四是费用高。对于可治性的罕见病，其治疗费用高昂，每年的治疗费用少则几万元，多则几十万元，甚至上百万元。在《福布斯》公布的价格最昂贵药物榜单上，有9种治疗罕见病的药品赫然上榜。每种药品的年费用均超过20万美元^[4]。

根据WHO的罕见病定义，目前世界已确认的罕见病有5000-6000种，约占人类疾病种类的10%。美国国立卫生院已将6500种疾病确定为罕见病，欧盟国家罕见病患者估计人数为270万及360万（欧盟2009年总人口数约为5亿）^[5]。我国罕见病的发病率及患病率并不高，但由于人口基数大，患者的绝对数相当大。根据世界卫生组织定义的罕见病发生率计算，我国各类罕见病患者总人数约有千万人，高于我国患肿瘤患者的总人数（700万，卫生部肿瘤防办2006年数据）^[6]。

二、国外罕见病的医疗救治体系

（一）制定专门性的罕见病法律，重点是罕见病药物法

很多发达国家明确了罕见病的概念，在对罕见病的救治对象、治疗、药物生产、医疗保障等环节已经形成较为系统的法律规定。美国、欧盟、日本、澳大利亚、巴西等30多个国家和地区制定了罕

见病及药物管理方面的法律法规。美国于1983年和1984年分别制定了《罕见病用药法》、《孤儿药品法案》、《罕见病药物法》等法律，台湾于2000年颁布了《罕见病防治及药物法》，欧盟于1999年出台了《罕见病治疗药物管理规定》等，澳大利亚、日本、俄罗斯等国也进行了相关立法。

（二）对罕见病的药物研发给予政策和资金支持

在美国，罕见病药物享有七年时间的“市场独占”^[7]，在此期间，政府一般不再批准治疗同类疾病的药物申报。药物临床实验经费可以申请免税，相关研究机构可以获得联邦研究补助金。这些措施大大激励了生物医药公司进行罕见病药物的研发和生产。截至2008年12月，在美国药品管理局登记的罕见病药物已达1951个；截至2009年2月，欧盟已有619种罕见病药品得到认定，47种孤儿药被审核通过^[8]。

（三）建立了罕见病的特殊医疗保障制度

美国约有99%的罕见疾病患者通过接受各种保险获得治疗，包括政府赞助的医疗保健计划（医疗保险，医疗补助，退伍军人等）和商业保险健保组织（健康维护组织）。从2003年开始，巴西政府将“戈谢氏病”纳入联邦报销的目录中。2007年，意大利政府建立了3000万欧元的基金用于罕见病的治疗。我国台湾地区对罕见病患者使用的药物及维持生命所需的特殊营养品费用全额报销；对于其他医疗费用，按实际发生额的70%予以支付；对于低收入患者的医疗费用全额报销^[9]。

（四）成立了罕见病的医疗救治管理机构

美国国会专门成立了一个罕见病办公室，凡被列入罕见病名单的患者都会受到各种政策的照顾。近年来，日本、澳大利亚等国和我国

台湾地区也成立了罕见疾病管理机构，制定了一系列促进罕见病救治的政策举措，并建立起了覆盖国家、地区乃至国际范围的数据库。

三、我国罕见病医疗救治的现状

(一) 缺乏罕见病的明确定义

我国至今对“罕见病”的概念没有明确的界定，尤其是没有一个官方定义，无法认定哪些疾病属于罕见病，无法确定对这些罕见病患者进行何种程度的救治，患者更无法享受针对性的关怀保障，这是我国罕见病患者的健康权等权益保障的瓶颈。

(二) 罕见病的研究、诊断和治疗开始启动，但其水平较低

重视罕见病的研究、提高罕见病的诊断和治疗水平已在各国医学界形成共识。2010年中华慈善总会罕见病救助公益基金在京启动现场，有专家提出我国罕见病研究已经起步，如科技部于2007年启动了“重大出生缺陷与遗传性疾病流行病学调查”研究工作，上海各大医院已展开包括戈谢氏病在内的10多种罕见病的诊断治疗，很多身患罕见病患者从中受益。

但是，国内对罕见疾病的研究、治疗处于初始阶段，研究的机构和专家比较少。由于每个病种的罕见病患者人数比较少，容易被忽视，绝大多数罕见病患者被长期漏诊和误诊。包括三甲医院在内的相当多的医院缺乏必要的罕见病检测设备，使绝大多数罕见病患者的病情无法确诊，目前被诊断发现的患者仅是冰山一角。而罕见病的范围及诊疗规范等标准没有界定和制定，患者的筛查和治疗比较困难。

(三) 罕见病治疗的药品依赖进口，治疗费用高昂

虽然随着科学的进步，特别是通过基因技术的发展，越来越多的罕见病可以得到明确诊断和有效治疗。但是，罕见病药品的市场狭窄、单位成本高、国内罕见病药品研发和生产几乎处于空白，致

使罕见病的用药依赖进口，药价很高。

（四）开始对罕见病的医疗救治给予政策和资金支持，但没有健全的特殊医疗保障制度

广东、海南、福建、陕西、新疆、山东、浙江等地将治疗慢性粒细胞白血病药物纳入地方医疗保险药品目录，或者由医保救助基金承担部分治疗费用。民政部决定将包括罕见病在内的大病纳入到慈善救助制度当中。2010年，卫生部对西部地区22个省份的500名城市低收入家庭以及农村家庭的新生儿苯丙酮尿症患者免费提供特殊奶粉。科技部于2007年建立了基础性工作专项基金。北京市对苯丙酮酸尿症、先天性甲状腺功能低下以及听力缺陷进行了免费筛查。成都市于2004年颁布的《关于城镇困难人员医疗救助的意见》规定，苯丙酮酸尿症的未成年人均可申请医疗救助。2005年，河北省尝试设立了苯丙酮尿症患儿的专项治理救助基金。

国外已有部分地区为罕见病患者建立了特殊医疗保障制度，而我国对于已有特效治疗药物的罕见病（如戈谢氏病）并没有建立健全的特殊医疗保障政策，很多患者因无力支付药费而放弃治疗。绝大多数罕见病患者所需治疗药物，目前还没有纳入基本药物目录。

（五）已制定一些罕见病相关法律规范，但没有针对性

宪法第四十五条明确规定：中华人民共和国公民在年老、疾病或者丧失劳动能力的情况下，有从国家和社会获得物质帮助的权利。《残疾人保障法》第十一条提出要建立健全出生缺陷预防和早期发现、早期治疗机制。《药品注册管理办法》提到罕见病和治疗罕见病新药。《新药注册特殊审批管理规定》规定可对罕见病药物进行特殊审批，缩短审批时间。

很多发达国家制定了罕见病及其药物方面的专门性法律法规与

政策，对罕见病患者的医疗救治提供了强有力的法律保障。我国到目前为止没有一部专门性法律法规对罕见病的定义、治疗、药物研发和生产、医疗保障、社会救助等环节进行系统的规定。

（六）罕见病患者成立自发性慈善组织，但罕见病慈善组织的发展有待政府扶持

目前已经有很多罕见病人自发成立慈善组织，像成骨不全症、血友病、白化病等罕见病组织。2009年，中华慈善总会设立了罕见病公益基金，罕见病患者自发成立了“瓷娃娃罕见病关爱基金”；2010年，肺淋巴管平滑肌瘤病合结节性硬化症患者在北京协和医学基金会下设立 Lamtsc 专项基金用于医学研究。

四、建议

综观国外罕见病的医疗救治体系，我国罕见病的医疗救治体系应包括定义的确立、治疗、药品研发和生产、费用支付、社会救助、法律保障等方面。为构建我国罕见病的医疗救治体系，本文提出如下建议：

（一）进行罕见病专门性立法

我国应制定罕见病专门性法律法规，为罕见病患者提供医疗救治的法律保障体系，其主要内容应包括：罕见疾病的定义、药品研发和生产、诊疗规范、罕见病治疗救助机构的设立、费用支付方法、特殊保障计划、法律责任等。同时，各地可以根据本地罕见病的分布及人群数量、现状等情况，在可能的情况下，制定地方性法规，对罕见病患者的医疗救助进行立法。

（二）明确罕见病的定义和具体认定标准

我国应借鉴其他国家和地区的经验，由卫生部与人保部、发改委、财政部、民政部等部门进行协调，根据国情对罕见病的定义和具体

认定标准进行界定，明确哪些疾病属于罕见病，哪些患者属于需要进行特殊救治或保障的对象。

（三）加大对药物研发和生产的政策和资金支持

我国应在资金、税收、技术引进、药品注册等方面给予政策倾斜和支持。如借鉴国外经验明确罕见病药物的认定标准，对罕见病药物的研发和生产进行资助。国家在审评、咨询、医学、卫生、基本药物等各方面建立相应的专家库，并相应加速罕见病药物的审评程序，对于一些重大创新专项药物的研发给予资金支持。

（四）建立多方付费的支付机制

对于罕见病患者应以人为本，我国需要建立一个由政府、社会、医疗单位、企业、患者共同参与的救治机制，实现从上到下的完善的医疗政策和体制。如由人力资源和社会保障部与卫生部、民政部、慈善组织等机构共同研究制定由医保基金、民政救助、企业及社会捐助、个人支付等支付途径为一体的多方付费机制，以解决罕见病患者治疗费用的问题。

（五）建立社会慈善救助网络

倡导社保、民政、慈善、公益等机构对生活 and 就医困难的罕见病患者实施有效的救助。依托民政部，由中华慈善总会牵头，在全国范围内实施罕见病救助公益基金办法；协调政府部门，特别是民政部门，实现罕见病慈善基金最大范围的覆盖；根据当地财力和慈善捐款的缺口情况，鼓励地方政府为罕见病慈善基金在当地的发放提供配套资金支持。

参 考 文 献

- [1] 财经网.人大代表将建议完善中国罕见病保障[EB/OL]. (2010-07-20) [2010-10-17].
<http://www.bczyw.com/News/view/id-851>

- [2] 新京报.民政部今年拟将罕见病纳入慈善救助制度[EB/OL]. (2010-02-28) [2010-10-15].
<http://money.163.com/10/0228/04/60J512NG00252G50.html>.
- [3] 大众健康网.罕见病呼唤完善的医疗机制[EB/OL]. (2010-01-13) [2010-10-15].
<http://www.dljk.com/html/dongtai/yiliaochanye/yiliaoxinwen/2010/0713/49887.html>.
- [4] 药品资讯网：罕见病药登上最贵药物宝座[EB/OL]. (2010-3-22) [2010-10-15].
<http://www.chemdrug.com/databases/detail/2-11526.html>.
- [5] 千龙网.中华慈善总会倡议开展2010年罕见病宣传月[EB/OL]. (2010-03-31) [2010-10-16].
- [6] 百度百科.罕见病的定义[EB/OL].(2010-05-04)[2010-1016].
<http://www.chinararedisease.cn/1-5-dingyi.html>.
- [7] 中国青年报.美国专家来华交流罕见病问题[EB/OL]. (2007-07-05) [2010-10-17].
<http://news.qq.com/a/20070705/000567.htm>.2010-1015
- [8] 中国罕见病.罕见病药物相关法律法规[EB/OL]. [2010-10-16].
<http://www.chinararedisease.cn/5-1.html>.
- [9] 央视《经济半小时》.关注“罕见病”孩子：立法保障是希望所在[EB/OL]. (2010-07-28) [2010-10-17].
http://news.xinhuanet.com/society/2010-07/28/c_12381024_12.htm.

(责任编辑：王力男)

我国罕见病政策发展方向的探讨：基于EUROPLAN项目

何江江¹ 张崖冰¹ 李振红² 王晓峰³

【摘要】 罕见病相关问题和需求在我国已经开始显现，并逐渐成为一项新的社会挑战，我国有必要制定专门的国家罕见病政策，为罕见病患者提供全方位和综合性的卫生服务和社会照顾。本文介绍了欧洲罕见病国家计划发展项目（EUROPLAN）的7个优先领域，为我国制定罕见病的相关政策提供决策参考。

【关键词】 卫生政策；罕见病；EUROPLAN项目

一、罕见病的背景

罕见病（又称“孤儿病”）是指发病率极低的疾病。罕见病相关问题和需求主要体现在以下几点：一是罕见病患者人数很少，但是种类很多。全世界大概有6%-8%的人口受到影响，约80%的罕见病为遗传性疾病。近六成的罕见病患者的预期寿命明显缩短，这些罕见病多具有复杂性、严重性、恶化性以及致残性等特点；其他罕见病如果能得到及时诊断和合理治疗，患者可以正常生活。二是罕见病领域的专业人才缺失、专业人员的相关知识匮乏，容易造成早期诊断和后续治疗的延误。三是大部分罕见病治疗费用没有纳入医保，且存在诊断延误和治疗不当等问题，罕见病患者容易在受教育、就

第一作者：何江江，男，研究实习员

作者单位：1.上海市卫生发展研究中心，上海200040；2.上海市闸北区卫生科技与信息中心，上海200070；
3.北京大学公共卫生学院，北京100083

业等方面受到社会的孤立和排斥。

二、EUROPLAN 项目的背景^[1]

欧洲罕见病国家计划发展项目 (EUROPLAN) 为期三年 (2008-2011 年), 是欧洲委员会公共卫生领域 (2003-2008 年) 的社区行动项目。在意大利国家卫生研究所罕见病国家中心的协调下, 30 个来自不同国家的合作方和欧洲罕见病组织 (EURORDIS) 均加入了这一项目, 各利益相关者 (包括卫生行政部门、卫生专业人员、研究人员和罕见病患者等) 也积极参与该项目。

EUROPLAN 项目的主要职能是制定罕见病的国家计划和战略, 执行相关文件, 尤其是欧盟理事会制定的相关准则。它的另一项重要功能是“工具箱”, 为指导各国在国家层面上开展罕见病的相关工作提供一套“工具与例子”, 使之与欧洲共同战略相统一, 并为将来可能进行的罕见病医疗卫生服务协作打下基础, 改善欧盟成员国对罕见病患者提供的医疗卫生服务。

三、EUROPLAN 项目的优先领域^[1]

(一) 罕见病领域的计划和战略

由于欧洲各国罕见病领域的经验水平不同, 各国罕见病领域计划和战略的制定程序存在一定的差异, 但各国均在此过程中采取下列共同措施: (1) 评估患者需求和卫生系统资源; (2) 建立国家计划和战略的支持机制; (3) 起草计划和战略; (4) 在倡议和行动层面取得共识; (5) 确保可持续性发展; (6) 监督执行情况, 评估结果, 修订计划, 建立涉及不同利益相关者的管理机制。

在计划和战略中, 应制定有限数量的优先行动 (5-10 个)。目前各国的罕见病国家计划和战略有以下共同优先领域: (1) 罕见病特异性的识别; (2) 向患者和社会提供疾病信息; (3) 让患者更好

的获得医疗服务；(4)及时和适当的诊断；(5)提高治疗和所需药品（如孤儿药）的可及性；(6)罕见病领域的研究；(7)专业人员的培训；(8)患者权力的维护；(9)医疗服务和专门社会服务的改善。

现有国家计划和战略的有效期不是固定的，平均有效期为3-5年，为了提高其可持续性和权威性，各国提出了相关改进措施。欧洲各国认为，在某些情况下，罕见病国家计划和战略应扩大到改善其他疾病的医疗服务方面；同时加强信息传播，以确保其对罕见病患者的行为和卫生系统绩效产生有效影响；将罕见病计划纳入到现有卫生体系的总体框架之中，设计为循环的政策制定过程；并建立一套监测评价机制，定期监测各项措施的进展情况，评价取得的成果。

（二）罕见病的合理定义、编码和目录

疾病编码是欧洲罕见病倡议的中心议题之一。罕见病规划在制定中遇到的主要问题包括诊断困难、错误分类和缺乏相应编码等，致使大部分罕见病的疾病经济负担无法得到准确计算。人们期待ICD11（预计2014年出版）的应用能够使罕见病的有关编码问题得到解决。但是，这一新工具的利用需要对卫生专业人员进行相应培训，同时要不断更新罕见病的详细目录，包括患病率、致病机制、临床特点和病因学等，为服务提供者、患者和研究人员提供支持。由于存在编码、分类以及诊断恰当性等问题，流行病学评估难以开展，导致卫生系统跟踪罕见病非常困难。

特定疾病或罕见病组登记通常是现有罕见病资料的唯一来源，也是评估卫生服务需要和开展相关流行病学等问题研究的有效方法。应明确和落实相应措施，以确保疾病登记的可持续性和数据质量，加强与罕见病研究、公共卫生和社会支持的协作。而且，登记对卫生规划、评估药品效果和控制服务质量等方面也有重要作用。

同时，罕见病的登记对及早发现个体健康因素或环境因素的变化有着重要作用，如先天性畸形、儿童癌症以及职业因素导致的罕见肿瘤等。对卫生行政部门来说，其中任何一种疾病发病率的增加都可能是一个危险信号。

（三）罕见病的研究

罕见病研究是获得罕见病知识的最佳途径。由于罕见病存在患病人数少、种类多、大多数罕见病缺乏合适实验模型、终点定义不清以及资源有限等问题，相关研究工作难以开展。因此，在罕见病的研究领域（从基础研究到社会研究）开展国家、欧洲、国际层面的合作项目是非常必要的。临床试验是罕见病新疗法研究过程中非常重要但常常受到限制的一个步骤。临床试验的国际合作可以积累一定的患者数量，从统计学上增强研究的说服力，从而提高罕见病治疗效果的评估能力。罕见病医疗质量的提高和治疗用药及方法的创新是罕见病治疗的重要内容，因此加强卫生系统研究机构和组织的合作是非常重要的，尤其是罕见病专业中心之间的合作。

（四）罕见病专业中心和参考资料网

国家或区域专业中心及其网络的建立和维护是提高罕见病服务能力和水平的有效措施，是国家计划和战略的优先工作之一。然而由于现有专业中心的组织结构及其在国家卫生体系中的地位、工作重点和资金来源等都有显著的差异，目前欧洲多数国家并未设立罕见病专业中心，也不知道专业中心如何设立。国家专业中心网络之间的建立及在此基础上的国际合作是解决上述问题的有效措施。网上服务和远程医疗设施能通过多种方式支持网络建设。

诊断延误是罕见病治疗中的常见现象，常常会导致严重后果。诊断是患者获得合理治疗的基础，但是目前罕见病的诊断存在如下

问题：（1）鉴别诊断困难；（2）相应转诊体系缺乏；（3）可用诊断测试稀缺。在网络提供罕见病服务的背景下，诊疗指南是提高罕见病治疗质量和水平的重要工具之一，但是目前罕见病领域的诊疗指南相当缺失，因此，开发、共享和使用罕见病的诊疗指南非常必要，能提高医生的诊断能力和加强优质临床实践的传播。

疾病登记和专业人员培训对罕见病诊断和治疗等方面起着极其重要的作用。为获得合理的诊断检测和有效的治疗，将某些罕见病纳入到疾病筛查项目中是一个有效的罕见病发现机制。各成员国之间的合作有利于筛查项目的开展，为患者制定科学的康复程序，使其达到并维持最高水平的身体、感官、智力、心理和社会功能。

（五）收集罕见病的相关专业知识

为使患者获得及时、合理的诊断和高质量的治疗，非常有必要开展专业人员培训、最佳临床实践的开发交流与教育。根据专业人员在罕见病服务中的不同作用，相关机构可以利用不同方式对他们进行培训和教育，使所有卫生专业人员都知道罕见病的基本知识、诊断难点及专业的卫生服务机构，以确保了解罕见病患者的需求并对其采取相应的治疗措施。

目前，由于基因检测技术的快速发展，开展罕见病的新生儿或目标人群筛查项目已成为可能，此项措施是预防罕见病的最好方法。在此过程中我们还要认识到某些疾病的地理分布特点，以及不同国家的公共卫生问题和社会问题的差异。

通过国际网络的合作，促进临床研究资源的整合，加快不同欧盟成员国临床指南的使用，可以在一定程度上解决罕见病领域循证临床指南缺乏的问题。欧盟和国际层面罕见病专业知识的汇集有益于新疗法的研发。目前，大多数罕见病的治疗都是利用现有药品进

行复合治疗，而制药企业往往不愿意支持这种药品的新适应症开发。因此，这些研究往往是上述网络中的学者合作开展的。

（六）对患者组织的授权

作为对罕见病患者组织授权的结果：在许多情况下，罕见病患者对研究项目的确定和卫生政策的制定发挥了积极有效的作用。此外，授权也可以促进患者自身进行更好的日常需求管理，提高其治疗依从性，解决其心理问题，提高其社会融入感。患者组织在疾病信息提供、研究经费资助和医疗服务改善等领域发挥着积极作用。

罕见病患者协会创建的特定疾病网站往往是患者非常重要的信息来源。电话求助热线对提供一般和特定的罕见病信息也起到重要作用。这些求助热线及其他互动式信息和支持服务应列入罕见病国家计划和战略。

针对罕见病患者开展的各项社会服务，如入学服务、就业服务和临时性照顾等措施，可以有效地改善这类人群的福利状况进而提高罕见病患者及其家属的生活质量。

（七）可持续性发展

在评估罕见病患者服务提供和改善方面的投入时，应该考虑卫生服务的可及性、公平性以及平等、团结等首要社会价值观体系，同时与罕见病患者因健康改善而节省的社会成本之间均衡。如果各成员国能够在罕见病领域国际合作中的决策和责任达成一致，这将极大促进罕见病服务的全程提供和可持续性发展。

四、对我国制定罕见病相关政策的建议

（一）注重综合性和全面性

罕见病国家计划和战略是在国家层面开展和实施的，并在特定时间内完成的，是关于罕见病的一系列综合、全面的卫生政策与社

会政策。人力、财力、基础设施等资源的合理分配对于国家计划和战略的开展与实施有着特殊作用。EUROPLAN 项目的 7 个优先领域表明，罕见病政策的制定应强调以下两点：一是综合性，即相关战略能够进行最大限度的协同互补，避免重复；二是全面性，即充分考虑大部分罕见病患者的需求（如医疗服务和社会服务等）。我国有必要制定专门的罕见病国家计划和战略，为罕见病患者提供综合、全面的卫生服务和社会照顾，并加强国际和国内各地区的合作。

（二）注重地区差异性

对于大多数国家来说，罕见病是一项新的挑战和问题。当面对明确病因和临床特征的疾病时，这些国家通常可以从公共卫生的角度讨论共性问题，最终制定有针对性的具体措施。但是在罕见病领域，目前各国在卫生与社会组织体系、人口规模、罕见病专业知识与治疗水平、可用资源等方面各不相同，使得罕见病患者服务提供及其可行性方面存在较大的差异。我国各地之间也存在同样差异，这决定了各地在罕见病患者应得到怎样诊断和治疗的问题上也有很大分歧。由于各地政策的制定和实施条件不一样，我国在制定罕见病政策时应在具备条件的地区先行试点，进而形成成熟的国家计划，以确保不同地区之间在罕见病治疗服务和药品等方面的可及性和公平性。

参 考 文 献

- [1] European Project for Rare Diseases National Plans Development (EUROPLAN). RECOMMENDATIONS FOR THE DEVELOPMENT OF NATIONAL PLANS FOR RARE (GUIDDISEASANCE DOCUMENT) [EB/OL]. <http://www.europlanproject.eu/ContenutoPage/123/en-GB/project/latest-documents.aspx>. (2010-07-13) [2010-10-20].

（责任编辑：张进）

上海市卫生局2009年度卫生政策研究课题 结题评审简报

为做好2009年度卫生政策研究课题的结题评审工作，在市卫生局的委托下，市卫生发展研究中心邀请相关领域的专家于2010年10月9日下午、10月11日和10月12日分五个半天组织召开了结题评审会。2009年度4个公开招标课题、9个定向委托课题、11个自选申报课题共24个课题中，除2个定向委托课题因故延期未参加此次结题评审外，其余22个课题均通过专家验收（见表1）。

表1 2009年度通过上海市卫生局结题验收的卫生政策研究课题名单

课题类别	序号	课题名称	承担单位	课题负责人
公开招标课题	1	上海市医药卫生体制改革监测评估体系研究	复旦大学	陈文
	2	上海市医药卫生体制改革监测评估体系研究	闸北区卫生局	王光荣
	3	上海市卫生“十二五”规划研究	上海财经大学	俞卫
	4	上海市卫生“十二五”规划研究	复旦大学	郝模
定向委托课题	1	上海市实施医疗机构药品零差率与相关补偿政策研究	复旦大学	叶露
	2	构建与城市人口老龄化相适应的老年护理服务体系研究	上海交通大学	李国红
	3	上海市精神卫生防治体系规划研究	复旦大学	罗力
	4	上海市突发公共卫生事件应急经费保障机制研究	第二军医大学	田文华
	5	上海市虹桥、浦东国际医疗中心发展思路研究	上海市第六人民医院	曹建文
	6	上海市住院医师规范化培训制度研究	复旦大学	冯晓源
	7	上海市职业病综合防治体系建设研究	宝山区卫生监督所	施为利

课题类别	序号	课题名称	承担单位	课题负责人
自选申报课题	1	区域健康指标体系和社区健康诊断框架研究	徐汇区卫生局	王克利
	2	全院病种临床路径的智能化、信息化建设研究	上海市第六人民医院	范理宏
	3	上海市学校卫生工作中卫生专业机构—社区—家庭—学校联动机制研究	上海市疾病预防控制中心	罗春燕
	4	精神卫生服务的投入机制研究	上海市精神卫生中心	谢 斌
	5	基于国家中医临床研究基地建设基础上的纵向医疗资源整合模式研究	龙华医院	郑 锦
	6	上海市公立医院与社区卫生服务中心合作模式与机制研究	上海市第六人民医院	刘 霞
	7	上海市街头血液募集管理策略研究	上海市血液管理办公室	朱跃国
	8	单病种临床护理路径与护理成本核算研究	上海市第十人民医院	沈蓉蓉
	9	闵行区卫生改革阶段性评估研究	上海市第五人民医院	洪 洋
	10	医生多点执业的有关人事管理制度的改革	瑞金医院	陈立今
	11	新医改下二级甲等综合性医院在区域医疗协同服务中的功能定位	长宁区同仁医院	白朝晖

根据立项合同，对于通过验收的公开招标、定向委托两类课题，市卫生局将于近期拨付剩余 20% 的尾款；对于自选申报类课题，立项时不安排经费，市卫生局将对被评为“优”、“良”和“合格”的课题分别给予 3 万元、2.5 万元和 2 万元的奖励经费。市卫生发展研究中心将安排研究人员对上述课题的研究成果进行整理和开发，并在本刊陆续刊载。

（责任编辑：信虹云）

送:

世界卫生组织驻华代表处、卫生部相关司局
卫生部卫生发展研究中心、卫生部统计信息中心、
中国医学科学院医学信息研究所
上海市市委、市人大、市政府、市政协相关部门
各省市卫生厅（局）政策法规处
上海市卫生局局领导及有关处室
上海市各区县卫生局、相关医疗卫生单位
全国部分高校和研究机构