

卫生政策研究进展

Progress in Health Policy Research

罕见病保障（上）

2021 年 第 7 期

（总第 114 期）

上海市卫生和健康发展研究中心

2021 年 10 月 15 日

编者按 近年来，随着我国医疗保障制度的不断健全，保障水平的不断提升，针对罕见病药品保障的多项政策也陆续出台，为减轻罕见病患者及家庭的负担起到了积极的作用。本期关注罕见病用药保障，研究我国罕见病药品保障典型模式，介绍我国商业医疗保险参与高值孤儿药用药保障的现状，梳理我国香港地区罕见病用药保障政策及其实施效果。此外，介绍和分析韩国高值孤儿药用药保障机制。谨供领导和同志们参阅。



卫生政策研究进展

2008 年 11 月创刊
第 14 卷 第 7 期 (总第 114 期)
2021 年 10 月 15 日
(内部交流)

主管

上海市卫生健康委员会

主办

上海市卫生和健康发展研究中心
(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
上海市建国西路 602 号
邮编: 200031
电话: 021-33262061
传真: 021-22121623
E-mail: phpr@shdrc.org
网 址: www.shdrc.org

顾 问: 邬惊雷
赵丹丹
主 编: 胡善联
副 主 编: 徐崇勇
金春林 (常务)
丁汉升
黄玉捷
编辑部主任: 信虹云
责任编辑: 张 苹 信虹云
编辑组成员: 张 敏 楚玉玲
校 对: 周 娜 汪 丽

印刷单位: 上海市欧阳印刷厂有限公司
印刷数量: 700 本

目 次

专题研究

我国罕见病药品保障典型模式研究

..... 顾一纯, 赵天保, 张琴华, 等 (1)

我国商业医疗保险参与高值孤儿药用药保障的现状研究

..... 何 达, 顾一纯, 顾善清, 等 (12)

我国香港地区罕见病用药保障政策研究

..... 顾一纯, 黄 镇, 张琴华, 等 (22)

他山之石

韩国高值孤儿药用药保障机制

..... 顾一纯, 张琴华, 黄 镇, 等 (32)

征稿启事

征稿启事..... (44)

我国罕见病药品保障典型模式研究

顾一纯¹ 赵天保² 张琴华² 石 瑛¹ 何 达¹

【摘 要】 文章梳理我国不同地区采用的专项基金、补充医疗保险、多元复合、零星增补和政策型商业保险等罕见病用药保障的典型模式，对比各保障模式下罕见病患者用药待遇差异，分析我国实现罕见病药品可及性的现实困境并提出政策建议，为我国国家层面及各省市层面选择和设计罕见病用药保障模式提供参考。

由于使用者少、产量低，大部分罕见病药物的定价较高。如何平衡药品可及性及医疗保险（以下简称“医保”）基金的可持续发展是卫生领域的一大难题。近年来，我国多地陆续探索建立了独立于基本医疗保险制度的罕见病药品保障模式，这在一定程度上减轻了罕见病患者的用药负担。现分析各保障模式下患者的用药待遇差异，为国家及其他省市选择和设计罕见病药品保障机制提供参考。

一、我国罕见病药品保障制度

虽然我国并没有制定针对罕见病或其用药的专项政策，但近年来，罕见病保障工作愈发得到重视，政府已将罕见病用药专项政策研究纳入了“十三五”卫生与健康规划和《“健康中国 2030”规划纲要》等卫生和健康领域重大战略规划。社会对罕见病问题的关注度越来越高，我国政府相继推出了多项政策，力图逐步实现罕见病群体诊疗、用药可及。

第一作者：顾一纯，女，研究实习员

通信作者：何达，女，副研究员，上海市卫生和健康发展研究中心（上海市医学科学技术情报研究所）卫生技术评估研究部副主任

作者单位：1. 上海市卫生和健康发展研究中心（上海市医学科学技术情报研究所），上海 201199

2. 上海中医药大学公共健康学院，上海 201203

截至 2020 年 5 月 18 日，根据《第一批罕见病目录》，涉及 21 种罕见病的 38 种罕见病药物被纳入国家医保目录。另有 14 种“罕见病药物”涉及的 8 种疾病虽然尚未被纳入《第一批罕见病目录》，但已是国际社会广泛认可的“罕见病”，这 14 种药物也已被纳入国家医保目录。然而，仍有涉及 14 种罕见病的治疗药物未被纳入我国医保目录，这些高值药物的年均药费在 30 万元以上，相关用药保障问题尤为突出。

二、我国罕见病药品保障典型模式

根据我国现行的医疗保障政策，国家罕见病目录只纳入了一小部分罕见病。部分纳入目录的罕见病的治疗用药已被纳入国家基本医疗保障体系，但仍有很多治疗药物没有进入基本医保。在地方层面灵活探索医保和医疗救助，已成为增强罕见病保障的重要推动力量，这在一定程度上满足了部分地区罕见病患者的用药需求。

（一）专项基金模式

专项基金模式是指在省级医疗保险基金财政专户中下设子账户，分账管理、独立核算，各统筹区根据基本医保参保人数，按每年每人一定金额的标准，一次性从本统筹区大病保险基金中上缴费用至罕见病用药保障基金。我国专项基金模式的典型代表是浙江省。浙江省是全国第一个实施罕见病专项基金保障模式的地区。浙江省按照“以收定支、量力而行、循序渐进”的原则建立了浙江省罕见病用药保障机制，罕见病用药保障实行省级统筹，全省实行统一保障范围、统一筹资标准、统一待遇水平、统一诊治规范、统一用药管理，建立罕见病用药保障、医疗救助、慈善帮扶等多层次保障机制。浙江省罕见病药品保障工作主要由政府主导、医疗保障部门经办、多部门协作：医疗保障部门负责统筹协调、指导督促、费用结算、协议管理、药品供应等工作；卫生健康部门负责指定治疗医院开展服务管理，建立健全罕见病诊断、治疗和防控体系，加强相关医院和科室建设，提高罕见病领域医技水平；财政部门负责管理

罕见病用药保障基金账户，包括相关资金上解、审核、拨付、监管等工作；民政部门负责救助信息平台共建共享，依据申请人家庭人口、收入、财产、支出等情况精准认定救助对象。

（二）补充医保模式

补充医保是基本医保的有力补充，也是多层次医疗保障体系的重要组成部分。全民补充医保资金实行市级统筹，筹集的资金统一建账、统一核算。我国补充医保模式的典型代表是青岛市，青岛市 2005 年起有效施行基本医保，是国内运行医保较为成熟的地区。2017 年，青岛市率先实施补充医保制度，从大病保险向补充医保转变。2012 年，青岛市率先通过“财政出资为主、多方共付”的形式对基本医保范围外的罕见病治疗特殊药品进行保障，目前的保障资金来源于财政、个人缴费以及职工医保个人账户资金的保值增值部分 3 个渠道。此外，青岛市对抚恤定补优抚对象、居民最低生活保障、居民最低生活保障边缘家庭参保人不设起付标准，一个年度内最高可支付 20 万元。青岛市医疗保障部门牵头建立特殊药品谈判机制，鼓励引导制药企业和慈善机构参与，形成多主体共同分担医疗费用的高水平保障机制。

（三）多元复合模式

多元复合模式是指基本医保为主体、补充医保为辅助、医疗救助为扶持的多层次医疗保障制度。我国多元复合模式的典型代表是江苏省。江苏省尚未明确定义罕见病，而是将各地罕见病患者作为重特大疾病患者进行保障，采取“基本医保+大病保险+医疗救助+临时救助”四道防线保障患者及家庭。江苏省内各统筹地区根据基金承受能力设定一定的个人自付比例，再按基本医保规定给付。对经基本医保、大病保险报销后仍有困难的各类医疗救助对象，实施重特大疾病医疗救助、临时一次性救助以及疾病应急救助。江苏省的罕见病药品保障主要以各地制定的门诊慢性病和门诊特殊药品管理为主，以省政府主导、民政部门牵头、

基本医保和大病保险经办、社会参与、多部门协作的方式全方位保障罕见病患者用药，并重点向经济欠发达地区的各类医疗救助对象倾斜。在药品管理方面，江苏省在医保特殊药品谈判准入、动态调整、“三定”（定位、定量、定标准）管理、费用考核及渠道创新等方面进行了积极探索，确保特殊药品的个人实际负担不高于 40%。

（四）零星增补模式

零星增补模式是指在尚未形成罕见病专项保障政策之前，通过省医保目录增补的方式将个别罕见病药物纳入当地医保报销，且并未形成制度化的保障模式。我国零星增补模式的典型代表是上海市。上海市较早开始关注罕见病患者并为其提供相关保障工作，经过多年完善，已初步建立罕见病保障体系。早在 20 世纪 80 年代，上海市就在全中国率先开展了新生儿苯丙酮尿症筛查。其后，新生儿筛查工作不断健全。2007 年，先天性肾上腺皮质增生症和葡萄糖 6-磷酸脱氢酶缺乏症 2 种罕见病也被纳入筛查范围。新生儿筛查为儿童罕见病的早发现、早诊断、早治疗提供了重要保障。2016 年至今，中共上海市委、上海市政府高度重视并协调推进罕见病的防治工作，陆续发布多项政策，专业机构积极配合，社会力量广泛参与，使罕见病的诊治、研究和保障等工作取得了一定成效。在药品保障的资金来源方面，2011 年起，上海市设立了少儿住院互助基金，建立了上海市罕见病防治基金会，构建了慈善基金多方共助的罕见病药品保障模式。资金来源于患者家长缴费、社会慈善捐助等渠道。在保障患者范围方面，上海市少儿住院互助基金面向 1～18 岁未成年患者。目前，上海有 5 种可治疗的罕见病可经由部分医保报销和基金互助，但罕见病患者群体的生存现状仍不容乐观。在组织部门与经办管理方面，上海市的罕见病保障工作由上海市红十字会等社会组织主导。

（五）政策型商业保险模式

政策型商业保险模式的核心是政府购买服务或政府为社会服务背

书，而非政府出资主导。引入社会商业力量分担对特殊疾病的医疗保障，是一种启动成本更低、更高效的方式，可能成为未来地方探索的新方向之一。目前，政策型商业保险已经在全国十多个省份二十多个城市实施，参与较多的保险第三方管理公司包括思派、镁信、因数云，保险公司包括平安产检、平安健康、人保财险等，涉及的特殊药品多为肿瘤特殊药品。保障情况较好的商业保险既可赔付医保目录范围内的个人自费部分，也可赔付医保目录外的自费部分。以四川省成都市为例，成都市于2020年开始实施普惠式政策型商业保险“惠蓉保”，保险覆盖了16种肿瘤特殊药品、治疗8种罕见病的9种特效药物，包括沙丙蝶呤（治疗四氢生物蝶呤缺乏症、高苯丙氨酸败血症）、伊洛前列素（治疗特发性肺动脉高压）、地舒单抗（治疗骨巨细胞瘤）、安立生坦（治疗特发性肺动脉高压）、兰瑞肽缓释注射剂（治疗肢端肥大症）等。自2020年5月7日起，四川省本地户籍及成都市城镇职工基本医保、城乡居民基本医保的参保人均可线上参保“惠蓉保”，不限年龄，不设健康前置条件。部分地区的商业保险对一些昂贵的药物也进行保障，如广州的“穗岁康”。治疗脊髓型肌肉萎缩症的“天价”特效药已被纳入广州市民专属普惠型商业补充保险“穗岁康”的保障范围，“穗岁康”不限病史、不设药品目录、罕见病的治疗费用可报销70%。

三、我国罕见病药品保障典型模式比较

（一）资金来源及保障范围

在覆盖药品及病种方面，各模式都覆盖了多种罕见病药品，其中多元复合模式覆盖的罕见病药品最多，涉及治疗17种罕见病的23种药品已被纳入《江苏省基本医疗保险和工伤保险药品目录》（2018版）的报销范围；专项基金模式覆盖了8种药品；青岛市补充医保模式覆盖了14种罕见病；上海市零星增补模式覆盖了5种罕见病药品；各地的政策型商业保险覆盖药品及病种有所不同。在保障对象方面：补充医保和专项

基金模式均不区分患者参保类型，居民与职工享受同等待遇；上海市少儿互助基金只保障1～18岁未成年患者；各地均对罕见病患者的用药保障设置了一定的户籍门槛，具体规定各不相同，商业保险对于患者的门槛更高。各典型模式的资金来源情况见表1。

（二）组织部门及药品管理

各种模式中，罕见病药品保障工作的组织主体不同：专项基金保障模式和多元复合模式由政府主导、医疗保障部门经办、多部门协作；补充医保模式由医疗保障部门主导、多部门协作；零星增补模式由市政府和红十字会等社会组织主导；政策型商业保险由非政府出资主导，由社会商业力量分担对特殊疾病的医疗保障。在药品管理方面，专项基金保障模式、多元复合模式、补充医保模式在药品谈判准入、风险共担、费用考核、定点管理及渠道创新等方面都进行了有益探索。如浙江省规定罕见病药品不计入指定治疗医院医保总额预算管理和药占比考核范围；青岛市实行谈判机制（买赠方案等）、特殊药品“双渠道”供应；江苏省建立了大病保险特药准入谈判、动态调整、“三定”管理、梯度支付等风险共担机制。在结算管理方面，青岛市补充医保模式和江苏省多元复合模式实行即时结算，较其他地区先垫付后报销的结算方式为患者提供了更多的便利。

表 1 我国罕见病药品保障典型模式比较

保障模式	典型代表	资金来源	覆盖药品及病种	保障对象
专项基金模式	浙江省：罕见病用药保障、医疗救助、慈善帮扶等多层次保障机制	罕见病用药保障基金 + 医疗救助基金 + 慈善帮扶募集基金	8 种罕见病药品	基本医疗保险参保人，有户籍限制
补充医疗保险	山东省青岛市：财政为主、多方共付	全民补充医疗保险制度（财政 + 个人缴费 + 个人账户资金保值增值）	14 种罕见病	基本医疗保险参保人，有户籍限制
多元复合模式	江苏省：基本医疗保险 + 大病保险出资 + 财政兜底	基本医疗保险基金 + 大病医保基金 + 城乡医疗救助补助资金 + 疾病应急救助基金	治疗 17 种罕见病的 23 种罕见病药品	重点保障对象、贫困人口、商业保险参保人
零星增补模式	上海市：慈善基金 + 多方共助	少儿住院互助基金（家长缴费） + 罕见病防治基金会（慈善捐助）	5 种罕见病药品	基本医疗保险参保人，有户籍限制
政策型商业保险	广东省广州市：“穗岁康”	中国人寿寿险、平安养老、中国人保财险、太平洋寿险 4 家联合承保	不限病种	基本医疗保险参保人，有户籍限制
	广东省深圳市：深圳市重特大疾病补充医疗保险	平安养老保险股份有限公司深圳分公司	4 种罕见病药品	重点保障对象、贫困人口、商业保险参保人
	四川省成都市：“惠蓉保”	平安养老、中华联合、国宝人寿、太平养老联合承保	治疗 8 种罕见病的 9 种药品	重点保障对象、贫困人口、商业保险参保人
	安徽省合肥市：“合惠保”普惠型商业补充医疗险	平安产险合肥中心支公司承保	8 种罕见病药品	重点保障对象、贫困人口商业保险参保人
	浙江省金华市：金华市区大病医疗商业补充保险	中国人寿股份有限公司	9 种罕见病药品	重点保障对象、贫困人口、商业保险参保人
	江苏省南京市：惠民健康保	泰康在线	2 种罕见病药品	重点保障对象、贫困人口、商业保险参保人

注：保障对象范围由大到小依次为全民保障，保障基本医疗保险参保人，保障基本医疗保险参保人且有当地户籍限制，保障重点保障对象、贫困人口、商业保险参保人，保障参保人且有更多条件限制。

四、我国罕见病药品保障体系存在的问题

（一）组织管理体系尚未厘清

由于国家层面尚未明确罕见病保障的组织管理体系，地方多根据实际情况自行探索。各地的相关政策措施制定和实施不到位，组织机构不健全，没有专门的机构设置，大部分罕见病医疗管理问题涉及卫生系统中的多个主体，直接影响罕见病医疗保障的顺利实施。比如，上海地区形成了由卫生行政系统外部力量主导的罕见病保障工作领导和组织管理体系，由于罕见病多为遗传性疾病，许多疾病在患者年幼时即发病，所以目前卫生行政系统内部主要由上海市卫生健康委妇幼保健处负责相关工作。罕见病保障涉及筛查、登记、诊治、康复、医疗保障、救助等多个环节，涉及部门众多，目前主要基于市领导的影响力和协调力，依托市罕见病基金会推进具体工作。浙江省罕见病药品保障工作具体由政府主导，医疗保障部门经办，卫生健康、财政、民政等部门协同办理，没有设置专门的组织机构，罕见病医疗管理权限分散在各个部门，难以统一管理，不利于罕见病医疗保障工作的顺利实施。

（二）保障水平存在差异

目前，我国存在国家认可的罕见病用药保障水平不同的问题。2000年以来，我国先后发布了5版医保药品目录，陆续将醋酸氢化可的松、利鲁唑、左卡尼汀等38种罕见病药物纳入了国家医保目录（涉及21种罕见病）。但以《第一批罕见病目录》为统计依据，目前仍有25种药物（涉及21种罕见病）尚未被纳入国家基本医保目录，其中，有14种罕见病已纳入《第一批罕见病目录》，但对应的主要治疗药物未被纳入国家医保目录，即有14种我国官方认可的罕见病的治疗用药未被纳入医保。同为进入《第一批罕见病目录》的罕见病，已被纳入《国家医保目录》的38种药品与未被纳入的25种药品的保障水平出现了差异，易引发医

疗公平性问题。此外，受户籍制度限制，我国不同地区居民享受的保障待遇不同。

（三）对罕见病药物研发的支持力度不足

由于法律制度不完善，公众认知程度较低，罕见病药物研发成本高、回报低，而现行政策缺乏对药企的补偿和激励机制，药企对罕见病药物的研发热情不高。一些罕见病患者面临无药可用的问题，相当一部分药物完全依赖进口。这种现象也体现了药物保障与医疗待遇脱节。

（四）商业保险局限性很大

首先，虽然有些政策型商业保险明确不以获取巨额利润为目的，但从现有的城市实践来看，少有商业保险公司愿意将费用高昂的罕见病特效药纳入医疗保障范围。在政府责任缺位的情况下，超高值罕见病药物的保障难以仅靠商业保险独挑大梁。其次，政策型商业保险多以保障“未病人群”为主，对已患病人群的保障较为有限。最后，强制以个人账户购买商业保险，个人选择意志和政府的公权力之间的关系也尚缺乏论证。在商业保险承办过程中，如何保护个人隐私也是有待探讨的新问题。

五、完善我国罕见病药品保障的建议

（一）政府主导，建立多元保障体系

罕见病患儿及其家庭面临着来自疾病、早期疗育、康复、家庭经济状况、医疗保障、就学、就业及社会参与等诸多压力，需要由政府主导，完善多层次医疗保障和综合救助体系，减轻患者疾病负担。多元保障体系涉及基本医保、大病医保、医疗救助、商业保险、慈善帮扶。基本医保应进一步体现公平性，提高罕见病报销水平，通过谈判方式降低高值孤儿药价格，使高值孤儿药被纳入基本医保目录。可借鉴国际经验，运用卫生技术评估理念，引入风险共担协议，对罕见病药物进行成本效益评估；政府和制药公司共同承担新药临床结果及结果对预算影响的不确

定性，积极探索报销高性价比罕见病药物的途径。大病医保目前仍是高值孤儿药的主要保障来源，在各地对罕见病等重特大疾病的困难救助和长期护理保险等筹资途径中，大病医保统筹基金和省、市、区政府的财政拨付占一半以上，大病医保已是我国罕见病患者用药保障的最大承担方。在医疗救助方面，可通过资助包括罕见病患者在内的困难群众参加基本医保，对其参保后个人及家庭难以承担的政策范围内医疗费用给予补助，进一步降低其医疗负担。我国商业保险的发展一直落后于预期，随着罕见病患者注册制度的逐步完善，患者就医用药信息的逐渐积累，在政府引导下，商业保险可以更好地利用罕见病患者保障的空白，从目前主要覆盖中低价的药物转而将高值孤儿药也纳入保障范围，更好地体现商业保险对基本医保的补充作用。在慈善帮扶方面，社会慈善捐助在筹资途径中占比较低，应加强慈善基金自身的科学管理，包括严格规范度和票务使用制度，增强资金使用透明度，提高资金使用效率；通过信息披露、跟踪反馈、审计评估等途径，加强社会各界对慈善基金使用的监督；通过基金管理职业化、专业化、科学化运作，增强公众对慈善捐助资金管理的信心。

（二）创新保障机制，逐步提高高值孤儿药保障水平

目前，我国很多高值孤儿药的费用仍然完全由个人承担，这导致患者及家庭的经济负担过重。针对高值孤儿药对医保基金带来冲击的不确定性，建议借鉴国际经验，如韩国的财务风险共担（药物报销总额封顶、报销患者人数封顶等）和疗效风险共担（医疗保障部门与药企就药物疗效进行约定，若药物未达到约定疗效，药企向支付方提供折扣、降价或退款）等做法，结合目前已有的带量采购价格谈判，有效地管理基金支出风险；设置患者个人自付封顶线，为患者提供明确的自付费用预期，也为医疗救助、商业保险测算相关项目的费用提供基础；借鉴我国香港

特别行政区、台湾省等地的经验，将医疗保障、公安、民政等部门的数据对接，对患者家庭的经济情况（年可支配收入）进行系统评估，针对不同经济状况的罕见病患者家庭设置不同的报销比例，这符合“精准扶贫”政策的精神，有助于进一步减轻医保基金风险。

（三）鼓励国产药物创新，发展生物医药产业

目前的 7 000 余种罕见病中，超过 80% 的罕见病是基因缺陷致病，约 90% 的罕见病没有成熟的治疗方案，这为罕见病药物创新提供了巨大的发展空间。一方面，随着基因检测技术和基因疗法的进步，结合我国人口基数大的优势，罕见病药物研发极有可能成为我国突破生物产业创新的切入点，国产罕见病药物可以避免药品进口产生的相关费用，优化我国制药产业结构，最终降低患者用药费用，提高药物可及性。

（四）解决好高值孤儿药用药的“最后一公里”问题

和某些抗肿瘤新药一样，高值孤儿药即便进入医保目录，但在其到达患者手中之前，也仍面临“最后一公里”问题。例如，门诊用药是否可以报销？医院是否会因为药占比、门诊和住院次均费用考核以及医保总额考核而限制医生开药？因此，建议参考国家药品谈判模式，卫生行政部门与医院单独结算开具高值孤儿药的费用，防止因相关机构管理而限制高值孤儿药的用药。

（责任编辑：信虹云）

我国商业医疗保险参与高值孤儿药用药保障的现状研究

何 达¹ 顾一纯¹ 顾善清² 康 琦¹ 何江江¹ 金春林¹

【摘 要】 文章介绍我国罕见病用药保障体系，分析高值孤儿药用药保障存在的主要问题，以及我国商业医疗保险参与保障高值孤儿药用药的现状，针对我国商业医疗保险参与保障高值孤儿药用药中存在的公平性、法律保障及可持续性等问题提出对策建议。

罕见病是发病率低、患病人数相对较少的一类严重的慢性疾病，可能导致进行性的失能并缩短期望寿命。由于罕见病的患病率低、患者数量少，其用药也被称为孤儿药，具有市场份额小、商业投资价值低、生产成本低等特点，孤儿药的价格往往十分昂贵。美国孤儿药的定价一般为非孤儿药的 6~7 倍。部分孤儿药单品的单个患者年治疗费用超过十万元甚至百万元人民币，业内称之为“高值孤儿药”，如用于治疗非典型溶血性尿毒症的依库珠单抗，治疗法布雷病的阿加糖酶 β ，治疗血友病的艾美赛珠单抗，治疗脊髓性肌萎缩症的诺西那生钠注射液等。本文涉及的高值孤儿药主要指患者年单个药品费用在 50 万元人民币以上的罕见病药物。

目前有约 90% 的罕见病尚无有效治疗方案，因此，高值孤儿药的存在对罕见病患者而言是一种福音，但过高的价格却又让大部分患者陷

第一作者：何达，女，副研究员，上海市卫生和健康发展研究中心（上海市医学科学技术情报研究所）卫生技术评估研究部副主任

通信作者：金春林，男，研究员，上海市卫生和健康发展研究中心（上海市医学科学技术情报研究所）主任

作者单位：1. 上海市卫生和健康发展研究中心（上海市医学科学技术情报研究所），上海 200040

2. 上海交通大学医学院附属仁济医院，上海 201112

入有药可医却购买不起的两难境地，因病致贫、因病返贫成为很多罕见病患者家庭的结局，不符合我国全面建设小康社会、全面消除贫困的发展愿景。

一、我国高值孤儿药用药保障情况

（一）体系介绍

《中共中央国务院关于深化医疗保障制度改革的意见》指出，要“加快发展商业健康保险，丰富健康保险产品供给，用足用好商业健康保险个人所得税政策，研究扩大保险产品范围”。在我国目前的医疗保障框架下，如何更好地利用商业保险的力量提高高值孤儿药的用药保障水平，具有非常重要的现实意义。截至目前，我国罕见病用药仍主要依赖于进口。近年来，随着国家药品审评审批制度的不断改革优化，罕见病用药愈发得到重视，主要可享受减免临床试验、加快审评审批、减征增值税和附条件批准上市等政策优惠。对已上市孤儿药的用药保障，主要有基本医疗保险（以下简称“基本医保”）、大病保险、医疗救助、社会慈善和商业保险几种途径。

在基本医保方面，随着药品价格谈判等新机制的引入，价格高昂的罕见病用药进入基本医保目录的可能性增大。2017年第二批通过谈判纳入国家基本医保目录的36种药品中就包含了2种罕见病用药。截至2020年5月18日，以《第一批罕见病目录》为统计依据，有涉及21种罕见病的38种药物被收录在国家基本医保目录中。但是，目前纳入国家基本医保目录的药品的年治疗费用均低于50万元，超过50万元的孤儿药均未被纳入。

在大病保险方面，地方层面在医疗保险（以下简称“医保”）和医疗救助方面进行了灵活的探索，医保和医疗救助已经成为罕见病用药保障的重要力量。主要治疗药物未被纳入基本医保目录的罕见病中，戈谢

病、庞贝病、四氢生物蝶呤缺乏症和高苯丙氨酸血症这4种疾病的针对性治疗药物已被部分省市纳入当地大病保险支付项目，这在一定程度上满足了部分地区罕见病患者的用药需求。

在我国其他大部分地区，基本医保和大病保险仍是医药费用报销的主要途径。医疗救助的资金量偏少，社会慈善的影响力较小，商业保险也尚处于发展初期，但医疗救助、社会慈善、商业保险是高值孤儿药用药保障的辅助性途径。

（二）主要问题

目前，我国罕见病用药保障事业尚处于起步阶段，在社会认知、政策制定、组织管理等方面均存在不足。

1. 罕见病的社会认知度偏低

罕见病的发病率低且种类繁多，导致社会整体认知和防范意识不足。目前，仍有大量医生对罕见病及其诊断和用药缺乏足够的知识储备，造成较高的误诊率。同时，多数罕见病患者对自己或家人所得疾病了解甚少，为确诊四处奔波，耗费的人力、物力不计其数。对于制药企业，因大量罕见病患者未能正常用药，药品销量低于按流行病学测算的数量，回款、利润、研发投入均受到影响，形成恶性循环，不利于孤儿药用药费用的降低。

2. 保障政策复杂且不易理解

在整个罕见病用药保障体系逐渐完善的同时，如何对其中各项政策做出详细且易懂的说明也十分重要。目前，各地主要通过政府网站进行政策更新，但缺乏对已有政策的整理。同时，网络上虚假信息混杂，群众在精准获取所需信息方面存在困难。部分患者因未提前了解相关药品适用的临床指征、疾病分型、分期和既往治疗等，前往相应地区治疗时才发现自身不满足当地医保报销条件，遭受身体和精神上的双重打击。

3. 组织管理体系尚未理清

我国国家层面尚未明确罕见病用药保障的组织管理体系，由各地自行探索，造成相关政策措施制定和实施不到位。由于组织机构不健全，没有专门的机构设置，大部分罕见病医疗管理问题交叉存在于卫生系统中，直接影响罕见病医疗保障。以上海为例，目前卫生行政系统内部主要由上海市卫生健康委员会妇幼保健处负责罕见病用药保障工作。但罕见病用药保障包括筛查、登记、诊治、康复、医保、救助等多个环节，涉及部门众多，目前主要基于市领导的影响力、协调力并依托市罕见病基金会推进具体工作，形成了由卫生行政系统外部力量主导罕见病用药保障工作的组织管理体系。

4. 保障范围存在医疗公平性疑问

同为国家认可的罕见病，用药保障程度不一。以《第一批罕见病目录》为统计依据，目前仍有 25 种药物（涉及 21 种罕见病）尚未被纳入国家基本医保目录，其中有 14 种纳入《第一批罕见病目录》的罕见病。这些未被纳入与已纳入国家基本医保目录的罕见病用药的保障水平出现了差异，患者会认为存在医疗公平性问题。此外，户籍制度导致不同省或同省不同市的患者享受到的用药保障水平大相径庭，这也是孤儿药用药保障公平性方面的重要问题。

二、商业医疗保险参与高值孤儿药保障现状

由于许多罕见病具有遗传性，目前我国很多商业保险将罕见病药物的报销排除在外。但从国际经验看，美国居民大多通过个人购买商业保险来获取医疗服务，美国的《孤儿药法案（1983）》明确指出，商业保险不能将罕见病患者拒之门外，这也从法律层面为罕见病患者的治疗提供了强有力的支持。在美国，参加商业保险的罕见病患者需要比其他参保人员额外支付 1 000 美元的保费，即可享受所有已上市用药的报销，

每人每年的支付限额为 100 万美元。随着我国医保政策环境的不断利好，2020 年以来，商业保险参与高值孤儿药用药保障的整体局面向好。

据统计，目前我国有 160 多家保险公司开展商业健康保险业务，开发了超过 5 000 个商业保险产品，其中 200 多种重大疾病保险将一些罕见病纳入保障范围。政策型商业保险的核心是政府购买服务或政府为社会服务背书，而非政府出资主导。引入社会商业力量共同为罕见病患者提供医疗保障，是一种启动成本更低、更高效的方式，未来可能成为地方探索的主要方向之一。

（一）我国各地相关商业保险政策

目前实施普惠型商业保险的地区主要有广东深圳、四川成都、江苏南京、浙江金华、安徽合肥等，保险覆盖的罕见病种类及其治疗药物各不相同（见表 1）。

表 1 我国各地罕见病政策型商业保险模式实践情况

地区	主要政策型商业保险	罕见病病种	涉及药物	成年人治疗费用（万元）
广东省 深圳市	深圳市特重大疾病补充医疗保险药品目录	骨髓纤维化 克罗恩病 肢端肥大症	芦可替尼 英夫利昔单抗 兰瑞肽缓释注射剂（非预充式）	28.7 11.8 6.7
四川省 成都市	“惠蓉保”参保指引	特发性肺动脉高压 四氢生物蝶呤缺乏症、 高苯丙氨酸败血症 特发性肺动脉高压 骨巨细胞瘤 特发性肺动脉高压 肢端肥大症	波生坦 沙丙蝶呤 伊洛前列素 地舒单抗 安立生坦 兰瑞肽缓释注射剂（非预充式）	8.2 10.0 19.4 9.2 8.2 6.7
安徽省 合肥市	“合惠保”普惠型商业补充医疗险	骨髓纤维化 克罗恩病 特发性肺动脉高压 地中海贫血 特发性肺动脉高压 特发性肺动脉高压 多发性硬化 血友病	磷酸芦可替尼片 注射用英夫利西单抗 波生坦片 地拉罗司分散片 司来帕格片 利奥西呱片 特立氟胺片 注射用重组人凝血因子Ⅶa	28.7 11.8 8.2 21.1 11.6 3.6 14.4 59.4
浙江省 金华市	金华市区大病医疗商业补充保险	戈谢病 BH4 缺乏症、高苯丙氨酸败血症 地中海贫血 特发性肺纤维化 骨髓纤维化 地中海贫血 克罗恩病 肢端肥大症	伊米苷酶 沙丙蝶呤 地拉罗司 尼达尼布 芦可替尼 地拉罗司 英夫利昔单抗 兰瑞肽缓释注射剂（非预充式）	235.0 10.0 21.1 30.3 28.7 21.1 11.8 6.7
江苏省 南京市	惠民健康保	特发性肺动脉高压 血友病 多发性硬化症	安立生坦 重组人凝血因子Ⅶa 特立氟胺片	8.2 59.0 15.0

除上述地区外，全国还有多个地区实施不限健康状态、不限药品使用目录的商业保险，当地基本医保参保人即可参加，即不把罕见病患者排除在外，这些商业保险在不同程度上为必须使用高值孤儿药的部分患者减轻了用药负担（见表 2）。这些商业保险自 2020 年以后开始实施，

保费不到 200 元，设置了 2.0 万元及以下的免赔额，总保额 100 ~ 300 万元。商业保险可以使用个人医保账户购买，且不限健康状况、不设药品使用目录，有政府保证信用，因此，这些保险的购买人数普遍较高。

表 2 其他涉及罕见病用药保障的政策型商业保险情况

地区	保险名称	开始时间	保费 (元/人/年)	总保额 (万元)	免赔额 (万元)
广东省佛山市	平安佛	2020 年 1 月	185	250	2.0
四川省成都市	惠蓉保	2020 年 5 月	59	100	2.0
安徽省合肥市	合惠保	2020 年 9 月	69	200	2.0
浙江省衢州市	惠衢保	2020 年 12 月	100	150	0.5/1.0
安徽省	皖惠保	2021 年 1 月	66	300	2.0
广东省广州市	穗岁康	2021 年 1 月	180	235	1.8
浙江省杭州市	西湖益联保	2021 年 1 月	150	300	1.0
浙江省温州市	益康保	2021 年 1 月	180	365	0.0
江西省	卫惠保	2021 年 3 月	120	200	1.5

(二) 诺西那生注射液自付费用情况

本文以目前国内脊髓性肌萎缩症患者唯一的治疗用药—诺西那生钠注射液（每年治疗费用约 55 万元人民币）为例，梳理已经将该药纳入覆盖范围的商业医疗保险（以下简称“商业医保”）参保患者的自费比例，以及商业医保对该高值孤儿药用药保障的影响。在目前的商业医保框架下，安徽、四川、江西三省患者用药的自费比例较低，而杭州、温州等地区患者的用药自费比例较高（见表 3）。

表3 我国各地诺西那生钠注射液商业保险的患者自付费用比例

地区	待遇			实际发生 费用(万元)	报销费用 (万元)	自付费用 (万元)	自付比例 (%)
	起付标准 (万元)	报销比例 (%)	年度支付限额 (万元)				
广东省佛山市	2.50	60.00	100.00	31.50	31.50	23.50	42.73
四川省成都市	2.00	75.00	100.00	39.75	39.75	15.25	27.73
安徽省合肥市	2.00	75.00	100.00	39.75	39.75	15.25	27.73
浙江省衢州市	0.50	50.00	50.00	27.25	27.25	27.75	50.45
安徽省	2.00	75.00	150.00	39.75	39.75	15.25	27.73
广东省广州市	1.80	70.00	100.00	37.24	37.24	17.76	33.30
浙江省杭州市	1.00	60.00	10.00	32.40	10.00	45.00	81.82
浙江省温州市	1.00	60.00	10.00	32.40	10.00	45.00	81.82
江西省	1.00	80.00	200.00	42.80	42.80	12.20	22.18

三、我国商业医保参与高值孤儿药保障的问题与建议

在政府引导下，商业保险可以更好地利用罕见病患者用药保障仍存空白这一历史阶段逐步将高值孤儿药纳入保障范围，更好地体现商业医保对基本医保的补充作用。据估算，至今已有百余个城市推出健康普惠险，参保人数超过 5000 万，但目前普惠型商业医保处于“野蛮生长”阶段，在可持续性、价格、保障力度、保障范围等方面有大量待完善之处。

（一）商业医保公平性有待提高

一方面，商业医保不同于社会保险，其本质是一种商业行为，有逐利动机，不具备投资效应的地区得不到商业医保机构的关注。另一方面，各地商业医保设定的保费水平、保障待遇等存在差异，如佛山“平安佛”的保费为 185 元/年，而成都“惠蓉保”仅需 59 元/年。此外，各地商业医保纳入报销的罕见病用药品种差异较大。

事实上，高值孤儿药对部分罕见病患者而言并非可选择的用药，而是唯一可用的药。患者对高值孤儿药的需求属于基本需求，这与基本医保“保基本”的原则是一致的，因此，从长远考虑，仍建议基本医保逐步纳入这些药品。由于高值孤儿药对医保基金的冲击具有不确定性，建

议：第一，借鉴国际上的财务风险共担（与药品提供方协商药物报销总额封顶线、报销的患者人数封顶线等）和疗效风险共担（医保与药企就药物疗效进行约定，若药物未达到约定疗效，则药企向支付方提供折扣、降价或退款）等做法，结合目前已有的带量采购价格谈判机制，有效地管理基金支出风险；第二，设置患者个人自付封顶线，为患者提供明确的自付费用预期，也为医疗救助、商业保险做相关项目的测算提供基础；第三，借鉴我国香港、台湾等地区的经验，将医保数据与公安、民政等数据对接，对患者家庭的经济情况（年可支配收入）进行系统评估，对不同经济状况的罕见病患者设置不同的报销比例，这也与我国现行“精准扶贫”政策的精神一致，可进一步减小医保基金风险。

（二）政策精算水平需进一步提升

建立高值孤儿药排队机制的重要前提是精确测算区域内药品的消费总额。在政府参与较少的地区，商业医保难以与社会保险共享数据，缺乏科学定价的数据支撑。如果总体赔付率太低，大部分参保人没有受益，则丧失了普惠型商业保险的意义；如果总体赔付率太高，则商业保险公司很可能收不抵支，进而上调保费，导致参保者流失。即便在政府参与较多的地区，由于目前罕见病患者注册制度仍然不完善，罕见病患病人数和发病率等相关数据仍然不准确。因此，建议：第一，国家层面应进一步完善罕见病患者注册制度，完善患者户籍年限，参保身份，初审、复审流程和内容等与患者登记及管理相关的内容；第二，利用罕见病患者注册系统提高定点诊疗机构开展罕见病患者登记的信息化水平，减少医生填报信息的难度和障碍；第三，做好罕见病患者注册系统与医保报销系统的链接；第四，加强中国国家罕见病注册登记系统（National Rare Diseases Registry System of China, NR DRS）与地方登记注册体系的有机衔接，建立联合民政、卫生健康、公安等相关管理部门的合作机制，

将罕见病患者注册制度贯彻落实。通过明确保障需求，提高政策精细化水平，进而提高商业医保发展的可持续性。

（三）商业医保需进一步完善

目前，各地商业医保开展得如火如荼，商业医保机构多与当地医疗保障部门协作，各地政府参与商业保险相关业务的程度从“支持”“指导”到“引导”，但尚未从法律层面规定普惠型商业医保的权利和义务。商业保险领域可能存在参保用户的个体权利被商业保险产品侵犯、商业保险产品的集体权利被社会医疗保险或特定疾病、特殊群体侵犯等多种权力冲突风险，这些风险的维护成本极高，亟需确立相应法律以对高值孤儿药商业保险进行保障。第一，建议强化法律对商业保险公司健康医疗大数据的管控，加强对商业保险公司持有的居民健康医疗大数据在收集、管理、利用的全流程管理，降低因信息不对称导致的保险道德风险。第二，建议通过法律法规形式，明确覆盖高值孤儿药商业保险公司的准入标准，进一步提高和稳固商业医保的社会可信度，同时促进商业医保公司不断提升产品研发能力，开发更多惠及民生的险种。第三，建议加强商业保险和政府合作的模式探索，并将成熟模式用法律形式固化，减少因公私合作带来的政治风险和管理风险，提高高值孤儿药报销的可持续性。

（责任编辑：张革）

我国香港地区罕见病用药保障政策研究

顾一纯¹ 黄 镇² 张琴华³ 石 瑛¹ 何 达¹

【摘 要】 文章用文献研究和政策梳理的方法,从罕见病的疾病支持体系、资金支持体系以及社会支持体系等维度梳理了我国香港地区出台的相关罕见病用药保障政策及其实施效果,建议内地健全罕见病患者注册制度,建立罕见病患者评估体系并设立患者止付线,加强产前遗传诊断和新生儿筛检,完善综合性的罕见病社会支持体系。

近年来,罕见病日益受到社会各界的关注,许多机构和学者积极推动我国罕见病政策立法和医疗保障完善。我国香港地区的罕见病用药保障水平较高,因其在管理制度、就医文化等方面与内地较为相近,其经验具有较强的可借鉴性。现深入探讨借鉴香港地区的罕见病用药保障经验,以期为完善内地将罕见病用药纳入医疗保障体系提供参考。

一、香港地区罕见病的疾病支持体系

(一) 罕见病界定

香港地区没有对罕见病进行学理上的界定,而是通过一些非政府组织(non-governmental organizations, NGOs)申报登记而确定罕见病范围。香港的罕见病主要由 NGOs 自发呈报,NGOs 通过信息收集及调查研究,向香港特别行政区医院管理局(以下简称“香港医管局”)提出正式的

第一作者:顾一纯,女,研究实习员

通信作者:何达,女,副研究员,上海市卫生和健康发展研究中心(上海市医学科学技术情报研究所)卫生技术评估研究部副主任

作者单位:1.上海市卫生和健康发展研究中心(上海市医学科学技术情报研究所),上海 201199

2.中国福利会国际和平妇幼保健院,上海 200030

3.上海中医药大学公共健康学院,上海 201203

书面申请，将他们认为符合的疾病列为罕见病。香港医管局在接到申请后会召集该领域的专家学者对所申请的疾病进行实质性审查，确定能不能将疾病确定为罕见病并纳入医疗保障，通过具体决策发放相关疾病的诊疗和药物研发补贴。

（二）治疗方案确定

治疗罕见病的药物价格通常较高，但其疗效却会因患者的临床情况而有差异，部分用以治疗罕见病的药物属于极度昂贵的药物，即高值孤儿药（high value orphan drugs）。香港医管局的相关委员会在评审此类高值孤儿药时，会考虑药物难以有大规模的科研数据的情况，通常会建立独立专家小组，由专家小组就特定的罕见病制定治疗方案，评估个别患者接受药物治疗的实际疗效。香港医管局成立了谈判小组，定期与药厂联系并洽谈，制定高值孤儿药的用药计划及关于药物治疗的长期财务规划，为个别合适的自费药物商讨并制定风险分担或药费封顶计划，以便特定的患者能尽快按疗程使用相关药物。

（三）药物保障

2019年3月，香港公布了罕见病药物目录，主要包括通用药物、专用药物、自费药物和个别患者用药：通用药物是其他疾病或症状均可使用的药物；专用药物是针对罕见病的用药；自费药物需要患者自费负担，但可获得慈善基金的资助；个别患者用药则是指部分超罕见病患者的个别用药（见表1）。

表1 我国香港地区罕见病药物目录（2019版）药物分类

分类	定义	费用收取	具体药物
通用药物	经证实对患者有关临床情况适用和有效，并可供一般使用的药物	公立医院和诊所提供这类药物时，会收取标准费用	氯苯甲噻二嗪、苯甲酸钠、苯乙酸钠、特立氟胺、妥布霉素、丁苯那嗪、醋酸锌
专用药物	在特定的临床应用下，经专科医生特别授权使用的药物	如在特定的临床应用下处方，公立医院和诊所收取标准费用；如个别患者在特定的临床应用以外选择使用专用药物，须自行支付药物的费用	克拉屈宾、富马酸二甲酯、芬戈莫德、干扰素 β 1a、安贝生坦、波生坦、伊洛前列素、马西替坦、枸橼酸西地那非、去铁酮、依维莫司、加巴喷丁、利塞膦酸钠
自费药物（获安全网 ^① 资助的自费购买药物）	经证实有显著疗效，但超出香港地区医药管理局一般资助服务范围所能提供的非常昂贵的药物	不属公立医院和诊所标准收费提供的项目，患者须自费购买。相关基金会为需要这些药物而经济上有困难的患者提供安全网	阿仑珠单抗、那他珠单抗注射液、诺西那生钠、依库珠单抗、干扰素1b
个别患者用药（未获安全网资助的自费药物）	仅经初步医疗验证的药物，与其他替代药物相比仅具边缘效益但成本明显很高的药物，以及生活方式药物（如减肥药）	并不包括在标准收费范围内，患者须自费购买	重组人埃洛硫酸酯酶 α 、N-乙酰半乳糖胺-6-硫酸酯酶

注：^①如果患者需要使用自费药物，却无法支付高昂药费，香港地区政府通过撒玛利亚基金会和关爱基金建立安全网，让基层市民不会因没钱买药而陷入绝望。

二、香港地区罕见病的资金支持体系

香港的公共医疗系统一直通过高补贴、低收费的模式为市民提供医疗服务，公共医疗政策致力于确保市民不会因经济原因而得不到适当的医疗服务。香港医管局高度重视为罕见病患者提供可持续、可负担和适宜的药物治疗，通过政府提供经常性拨款、撒玛利亚基金和关爱基金医疗援助项目为罕见病患者提供药物资助（见表2）。

表 2 我国香港地区撒玛利亚基金、关爱基金医疗援助项目对罕见病药物的资助情况

基金项目	药物名称	罕见病
撒玛利亚基金	阿仑珠单抗	复发性缓解型多发性硬化症
	那他珠单抗	复发性缓解型多发性硬化症
	依维莫司	结节性硬化症相关难治性的局部癫痫发作之辅助治疗
	依库珠单抗	阵发性睡眠性血红蛋白尿症
	干扰素 1b	慢性肉芽肿疾病
关爱基金医疗援助项目	诺西那生钠	婴儿期发病型脊髓性肌肉萎缩症 / 儿童期发病型脊髓性肌肉萎缩症
	依库珠单抗	非典型性尿毒溶血症候群
	氯苯唑酸	转甲状腺素蛋白淀粉样变性

撒玛利亚基金按照“没有人会因为经济问题，而得不到适当的医疗服务”的理念，为符合特定临床准则且通过经济审查的有需要的患者尽量提供经济援助，以满足患者的治疗需要，但不包括公立医院和诊所提供的自费购买医疗项目或涉及新科技的项目。

关爱基金主要为经济上有困难的市民提供援助，特别是那些未纳入安全网，或身处安全网但有一些特殊需要未能得到满足的人。此外，关爱基金还推行先导项目，协助政府研究有哪些措施可纳入常规资助及服务范围。2017年8月，考虑到罕见病患者使用高值孤儿药的需求日益增加，香港医管局推出一项关爱基金医疗援助项目，资助有需要而符合资格的患者购买高值孤儿药（包括非高值的罕见病治疗用药）。患者的资格要求为：患者的治疗计划必须经由一名指定的香港医管局医生签发；患者必须为香港入境条例规定的香港特别行政区永久居民；患者必须通过医务社会工作者的经济审查，经济审查以家庭为单位。该援助项目的范围亦已逐步扩大，可以按个别情况为有特殊临床需要的患者就特定药物治疗提供资助。

2018年起，香港医管局确定纳入资助的自费药物的优先顺序由每年1次增至每年2次，以尽快把合适的自费药物纳入撒玛利亚基金或关

爱基金医疗援助。2018 年，香港医管局设立了新的评审机制，评审个别患者申请的特别用药计划，以使有特别临床需要的患者（包括罕见病患者）能及早接受药物治疗。

三、香港地区罕见病医疗费用的报销机制

按照目标补助原则，香港会将罕见病患者家庭每年可动用的财务资源作为反映其经济能力的指标。罕见病患者需分担的药费取决于其家庭可动用的财务资源及申请的预计药物开支。按照累进计算的方法确定患者需分担的最高费用。如申请的预计药物开支低于患者的最高分担额，则患者需承担全部的药物费用；如申请的预计药物开支高于患者的最高分担额，则由基金予以补贴。

一般情况下，患者应尽量先缴付其分担额，然后才能获得经基金审批的药物资助。如患者有特殊困难，可向医务社会工作者提出申请，分期缴付其分担额，基金按个别情况予以考虑。

若患者每年可动用的财务资源在 6 万港元及以下，其分担费用为定额；若患者每年可动用的财务资源在 6 万港元以上，其分担比例上限为 20%。对于特定高值孤儿药，取每年可动用的财务资源 $\times 20\%$ 与最高分担额（100 万港元）的较小值作为最高分摊费用（见表 3）。

表3 我国香港地区罕见病患者需分担的最高费用

每年可动用的财务资源（港元）	分担比率（%）	患者分担标准 ^① （港元）
0 ~ 20 000	0	0
20 001 ~ 40 000	0	1 000
40 001 ~ 60 000	0	2 000
60 001 ~ 100 000	5	3 000 ~ 5 000
100 001 ~ 140 000	10	10 000 ~ 14 000
140 001 ~ 180 000	15	21 000 ~ 27 000
180 001 ~ 280 000	20	36 000 ~ 56 000
280 001 ~ 380 000	20	56 000 ~ 76 000
380 001 ~ 480 000	20	76 000 ~ 96 000
480 001 ~ 580 000	20	96 000 ~ 116 000
580 001 ~ 680 000	20	116 000 ~ 136 000
680 001 ~ 780 000	20	136 000 ~ 156 000
780 001 ~ 880 000	20	156 000 ~ 176 000
880 001 ~ 980 000	20	176 000 ~ 196 000
980 001 ~ 1 080 000	20	196 000 ~ 216 000
≥ 1 080 001	≥ 20	以此类推

注：①患者分担标准=每年可动用的财务资源×分担比例。

四、香港地区罕见病报销情况

截至2019年12月31日，香港医管局共为56名罕见病患者进行报销，其中溶酶体贮积症患者最多（见表4）。2017—2020年，采用酶索替代疗法治疗溶酶体贮积症共花费257.2百万港元。从香港2017年8月设立关爱基金医疗援助项目至2020年6月30日，项目共资助罕见病患者 174.66×10^6 港元。

表4 2019年12月31日前我国香港地区医药管理局报销的罕见病患者人数

罕见病病种	人数
溶酶体贮积症	
庞贝氏症	10
高球氏症	3
法柏氏症	11
一型黏多糖症	2
四型黏多糖症	2
六型黏多糖症	1
阵发性夜间血红蛋白尿症	10
非典型性尿毒溶血症候群	3
脊髓性肌肉萎缩症	13
家族性淀粉样多发性神经病变	1
合计	56

表 5 2017 年 8 月至 2020 年 6 月我国香港地区关爱基金医疗援助项目资助额度

高值孤儿药	治疗疾病	获批申请数目	获批资助额（港元）
依库珠单抗	阵发性夜间血红素尿症	33	113.02×10^6
依库珠单抗	非典型性尿毒溶血症候群	3	9.75×10^6
诺西那生钠	脊髓性肌肉萎缩症	20	51.01×10^6
氯苯唑酸	家族性淀粉样多发性神经病变	1	0.88×10^6
合计		57	174.66×10^6

五、香港地区罕见病的社会支持体系

（一）政府提供的支援服务

香港地区政府一直以来十分关注罕见病患者的福祉，在遗传诊断引入药物、提供药物资助、制定合适的治疗方案及科研发展等多方面为罕见病患者提供支援。

遗传诊断在遗传诊断方面，提供医学遗传服务的香港卫生署遗传辅导组一直经营着遗传辅导诊所，专为遗传疾病及其他罕见病患者及其家庭提供诊断及遗传辅导服务，让患者及其亲属了解其所患遗传病及罕见病的性质、遗传模式、复发率、有关的预防方法及生育选择。遗传辅导组提供的医学遗传服务涉及常规和先进遗传检测技术，可为患者提供诊断支援。香港卫生署遗传筛选组与香港医管局合作，以先导计划的形式进行初生婴儿代谢疾病筛查，共涵盖 24 种代谢疾病。2017 年，香港地区政府在伊利沙伯医院和玛丽医院提供常规初生婴儿代谢疾病筛查服务，并分阶段把该服务扩展至所有设有产房的公立医院。

全方面支援香港医管局本着“全人医治”的宗旨，通过跨专业、跨部门的医疗和康复团队（包括医生、护士、药剂师、临床心理学家、康复专科护士、物理治疗师、营养师、职业治疗师、语言治疗师、义肢矫形师和医务社会工作者等），以综合服务模式为罕见病患者提供人性化医疗和康复服务。综合服务不仅涉及药物治疗，还包括多方位的服务，如初生婴儿筛查、临床诊断和评估、手术、介入治疗、安宁疗护、复康

服务等。在康复服务方面，香港医管局会提供高新科技辅助仪器借用服务、家居及工作环境评估、轮椅选配和训练等支援，以协助患者克服在康复过程中遇到的环境障碍，提升患者的身体机能和生活自理能力，减少家属在照顾患者期间所承受的压力。

香港医管局于 2019 年开始研究建立罕见病资料库，以辅助临床诊断和治疗，同时通过撒玛利亚基金和关爱基金资助罕见病及癌症患者的药物治疗，投入资源促进相关科研发展，提高公众对罕见病的认知。

（二）非政府组织提供的支援服务

香港有大量专门的罕见病患者组织。香港最大的罕见病患者组织——香港罕见疾病联盟的官网友情链接了香港的 19 家罕见病患者组织，包括香港雷特氏症协会、香港天使综合症基金会等。该联盟积极推动发布了若干计划，如 2019 年按亚太经济合作组织通过的《亚太罕见病行动指南》制定了“香港罕见病行动计划”，该计划提出 10 项关键行动纲领，包括提高公众对罕见病的认知；优化技术，加强有针对性的数据在临床决策中的应用；设计合理的医疗保健体系，以确保患者能够及时得到诊断和治疗等。2019 年 10 月该联盟与香港食物及卫生局负责人会面时，再次要求明确当地罕见病的定义，并表示将继续就当地罕见病的定义及罕见病目录与各利益相关者沟通，参考内地的发展模式与食品卫生部门继续磋商。此外，该联盟于 2020 年 9 月 24 日宣布与社区药房合作，推出香港首个“药费分期付款计划”，旨在让一些自费的罕见病患者可以用较少的费用及早接受治疗。

六、香港地区罕见病用药保障的经验及启示

（一）健全罕见病患者注册制度，明确保障需求

香港医管局于 2019 年开始研究建立罕见病资料库，积累了大量的罕见病数据作为制定罕见病相关政策的基础。资料库的建立一方面可辅

助临床诊断和治疗，另一方面也可提高公众对罕见病的认知。内地尚未建立较为完善的罕见病患者档案，亟须建立罕见患者登记系统。目前，内地已建立多个数据直报系统，如死因监测系统、营养监测系统、癌症监测系统等，可以在此基础上增设罕见病监测系统。目前，内地的各项监测系统相互独立，要先由医生填卡，再由医疗机构专人汇总给卫生行政部门。由于手续繁琐，医生的填报积极性不高。建议：第一，进一步完善罕见病患者注册制度，完善患者户籍年限、参保身份、初审、复审流程和内容等与患者登记及管理相关的内容；第二，以罕见病患者登记系统提高定点诊疗机构罕见病患者登记工作的信息化水平，减少医生填报信息的难度和障碍；第三，做好罕见病患者注册系统与医疗保险报销系统的链接；第四，加强中国国家罕见病注册登记系统（National Rare Diseases Registry System of China, NRDRS）与地方登记注册体系的有机衔接，建立联合民政、卫生健康、公安等相关管理部门的合作机制，将罕见病患者注册制度贯彻落实。

（二）建立罕见病患者评估体系，设立患者止付线

罕见病的治疗费用较高，香港地区将罕见病患者家庭每年可动用的财务资源作为反映其经济能力的指标，以此来决定罕见病患者需分担的最高费用，这一举措在很大程度上减少了因病致贫、因病返贫现象的发生。建议内地将医疗保障、公安、民政等部门的数据进行对接，对患者家庭的经济情况（年可支配收入）进行系统评估，针对不同经济状况的罕见病患者家庭设置不同的报销比例，设立患者止付线，这符合我国“精准扶贫”政策的精神，可进一步减小医疗保险基金的风险。

（三）加强产前遗传诊断和新生儿筛查

80% 以上的罕见病都是遗传疾病，罕见病患儿的出生为患者家庭及社会带来了灾难性的影响。香港地区通过产前诊断和新生儿筛查，及早

发现新生儿是否罹患遗传疾病，大大降低了晚发型显性基因遗传罕见病的发生概率。因此，建议内地加大对胎儿基因筛查的补贴力度，提高胎儿基因筛查的比例，将预防关口前移，从源头减少罕见病患儿的出生。该做法具有一定的可行性。第一，随着精准医学的快速发展，目前的无创基因筛查技术已经相对成熟，可以支持胎儿基因筛查。第二，按照2018年我国全国新出生人口1400万、每次孕期无创基因筛查500元（目前市场价格约为1800元，假设检测量大幅提升后价格有所降低）计算，对全部胎儿进行筛查的费用约为70亿元。假设对经济水平不同的地区可报销30%~80%的筛查费用，则医疗保险每年需支付21~56亿元，即可排除所有已知且可检测的罕见病及其他遗传疾病，可为医疗保险节省大量的遗传病用药支出，为社会节省疾病诊疗相关的医疗资源，为患者家庭免除灾难。

（四）完善综合的罕见病社会支持体系

长期以来，社会公众对罕见病知之甚少，罕见病患者生存状态堪忧，甚至在生活与就业方面受到歧视。香港地区为罕见病患者及其家庭提供综合性的社会服务，香港的罕见病患者组织也在罕见病患者医疗、康复、教育、福利及社会参与等方面做出了突出贡献。建议内地支持罕见病患者组织的发展，以政府购买服务的方式，由相关社会组织为罕见病患者提供社会支持服务。对于为罕见病防治做出突出贡献的各类组织，政府可以考虑予以荣誉嘉奖和财政支持。构建罕见病社会支持体系，提供全方位、全周期的健康服务，需要政府、社会和公众共同参与。通过组建专业化的团队，可加强整合型医疗，为罕见病患者及其家庭提供专业的帮助。

（责任编辑：信虹云）

韩国高值孤儿药用药保障机制

顾一纯¹ 张琴华² 黄 镇³ 何 达¹

【摘 要】 文章对韩国罕见病的有关规定、药物的定价和审批程序、获批途经、医疗保险报销机制及报销情况进行介绍和分析,探索其对创新我国高值孤儿药用药保障机制的借鉴意义,建议我国运用卫生技术评估理念,采用多维度决策分析以量化新药价值,引入风险共担协议,建立罕见病患者评估体系,设立患者个人自付封顶线,创新用药保障机制,逐步提高高值孤儿药的用药保障水平。

由于罕见病药物使用者少、产量低,大部分罕见病药物的定价较高。将大量高值孤儿药纳入医疗保障体系会对医疗保险基金的可持续发展带来重大挑战。那么,如何在维持医疗保险基金可持续发展与满足患者需求之间寻求平衡呢?在国际上,韩国的罕见病用药医疗保障体系较为完善。本文分析韩国罕见病药品准入机制和药物报销制度,以期为完善我国罕见病用药保障体系提供建议。

一、韩国罕见病的有关规定

韩国采用病例数来界定罕见病,罕见病认定标准为患病人数小于20 000人或尚未开发适当治疗或替代药物的疾病。1998年,韩国发布了《罕见药指定法规》,政府开始关注和重视罕见病用药带来的社会问题。2002年10月,韩国批准了130多个罕见病用药上市。2003年,韩国正

第一作者:顾一纯,女,研究实习员

通信作者:何达,女,副研究员,上海市卫生和健康发展研究中心(上海市医学科学技术情报研究所)卫生技术评估研究部副主任

作者单位:1.上海市卫生和健康发展研究中心(上海市医学科学技术情报研究所),上海 201199

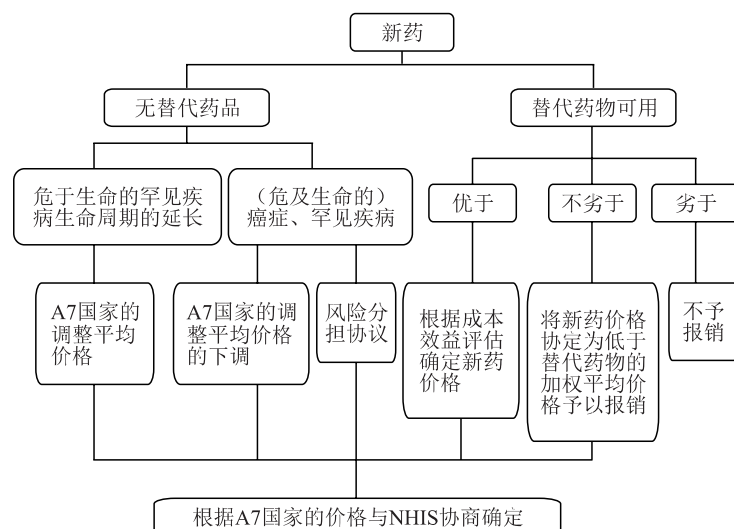
2.上海中医药大学公共健康学院,上海 201203

3.中国福利会国际和平妇幼保健院,上海 200030

式出台《罕见病用药指导法案》，规定了6年的专有销售权，以鼓励研究、开发孤儿药和罕见病用药，规范罕见病用药的使用和管理。韩国罕见病信息数据库（<http://helpine.rdc.go.kr>）和韩国罕见病组织（<http://www.kord.or.kr>）为患者、研究人员、药企和管理人员提供了大量关于罕见病的信息。由家庭事务卫生和福利部（Ministry of Family Affairs, Health and Welfare, MFHW）支持的罕见病研究中心（the Research Center for Rare Diseases, RCRD）于2008年成立，该中心负责监督3个合作研究项目、9个单中心研究项目和7个临床研究网络，为罕见病和孤儿药的研究奠定基础。

二、韩国罕见病药物的定价和审批程序

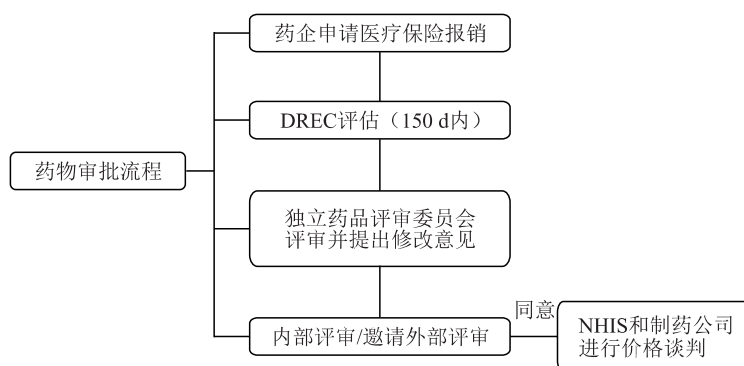
大部分罕见病药物价格高昂、需求低、没有可替代的新药，因此难以进行循证评估。制药公司往往会采取溢价的方式收回其开发成本，为正在进行的研发提供资金。同时，患者又迫切地希望新药能够快速获批上市，以增加他们使用新药的机会。基于此，韩国于2006年12月31日实施了积极的药品上市制度，只有具有高性价比的药物才能获得高额报销，以期更有效地为药品分配财政资源。在评估新药时，韩国会考虑是否有替代药物。当有替代药物时，将新药与替代药物比较以评估新药的临床疗效。如果新药的临床疗效不优于替代药物，则原则上将新药价格协定为低于替代药物的加权平均价格予以报销。如果制药公司接受替代药物加权平均价格的90%～95%，无需协商即可确定药物价格。如果新药的临床疗效优于替代药物，则根据成本效益评估确定新药价格。新药价格根据A7国家（美国、日本、英国、法国、德国、瑞士和意大利）的价格同韩国国家健康保险协会（National Health Insurance System, NHIS）协商确定（见图1）。



注：A7 国家为美国、日本、英国、法国、德国、瑞士和意大利；NHIS 为韩国国家健康保险协会（National Health Insurance System, NHIS）。

图1 韩国罕见病药物的定价评估程序

在韩国，高值创新药由药企申请医疗保险报销，健康保险评审和评价服务组织（Health Insurance Review and Assessment, HIRA）的药物报销评估委员会（Drug Reimbursement Evaluation Committee, DREC）会评估药物的成本和临床有效性并在 150 天内作出能否予以报销补偿的决定。由独立的药品评审委员会评审并提出修改意见（如模型假设、价格定价等），再进行内部评审或外部评审。如药物通过评审，则由 NHIS 和制药公司进行价格谈判（见图 2）。



注：DREC 为药物报销评估委员会（Drug Reimbursement Evaluation Committee, DREC）；NHIS 韩国国家健康保险协会（National Health Insurance System, NHIS）。

图2 罕见病药物进入韩国国民健康保险的程序

三、韩国罕见病药物的获批途径

在韩国，新药有 3 种获批途径：基本药物指定制度、风险共担协议、成本效益分析豁免协议。由于高昂的成本，罕见病药物往往难以从统计学上证明其临床价值或成本效益。基本药物指定制度为通常无需进行成本效益评估，但指定为基本药物的标准却十分严苛。因此，韩国政府引入了风险分担协议和成本效益分析豁免协议 2 种新途径（见图 3）。

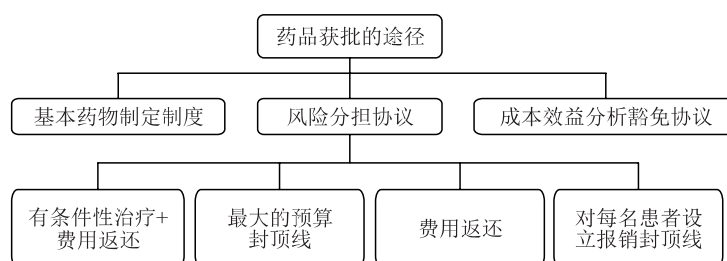


图 3 韩国罕见病药物的获批途径

（一）基本药物制定制度

韩国健康保险审查及评估组织的药物审查委员会将符合条件的药物指定为治疗必不可少的基本药物，此类药物将无需进行成本效益评估。符合以下条件的即为基本药物：用于治疗严重威胁生命的疾病，治疗小型患者群（如罕见病患者），显著改善临床疗效或生存率且没有替代药物和替代治疗方法的药物。NHIS 需在 60 天内确定基本药物的价格，并在随后的 30 天内决定是否需要进行价格谈判，最后由韩国卫生福利部作出是否予以报销的决策。迄今为止，韩国已有 7 种罕见病药物被指定为基本药物（见表 1）。

表 1 韩国罕见病基本药物

商品名（通用名）	适应证	评估时间
Cystadane（Betaine anhydrous）	同型半胱氨酸尿症	2007 年
Elaprase（Idursulfase）	II 型粘多糖贮积病	2008 年
Naglazyme（Galsulfase）	VI 型黏多糖贮积病	2008 年
Myozyme（Alglucosidase alpha）	庞贝病	2008 年
Zavesca（Miglustat）	高雪氏病	2009 年
Soliris（Eculizumab）	阵发性夜间血红蛋白尿	2011 年
Carbaglu（Carglumic acid）	高氨血症	2014 年

（二）风险分担协议

国际上常采用风险共担协议（risk-sharing agreements, RSAs）来分担医疗保险基金为创新药报销所承担的财务风险，是医疗服务支付方和制药企业采取的一种共同承担财务风险和疗效风险的机制。2014 年起，韩国就没有成本效果或循证证据不够充分的药物（如罕见病用药和抗癌药、价格谈判没有成功的药物等）引入 RSAs。在该机制下，政府和制药公司共同承担新药临床结果及其对预算影响的不确定性。实施 RSAs 的目的是积极为具有高性价比的药物报销（如昂贵的抗癌药和缺乏替代药物或治疗方法的孤儿药），增加患者获得新药的机会，促进制药业的发展。

RSAs 体现在成本效益评估中，进入 RSAs 需同时满足：药物为抗癌药或用于治疗严重威胁生命的疾病，缺乏替代品或临床等效的药物/治疗方法；药品审核委员会在考虑疾病的严重性、社会影响及其他在公共卫生方面的影响之后，对附加条件进一步进行评估。即使药物符合上述纳入 RSAs 的条件，在药物被纳入公共健康保险之前，仍会按照与其他药物相同的程序进行评估。

韩国共有 4 种类型的 RSAs。(1)有条件性治疗+费用返还(conditional treatment continuation plus refund)。这是一种基于临床治疗结果的绩效

评价，如果未达到临床治疗预期阈值，则需返还药费。(2) 最大的预算封顶线 (maximum budget cap)。其特点是以财政为基础，如将抗肿瘤药物和罕见病药物期望销量 (expected volume) 的 130% 设为封顶线。无需评估成本效益的药物和等效药物以预期销量为封顶线。(3) 费用返还 (refund)。以财政为基础，按合同约定的治疗人数报销，超出的费用部分返还。(4) 对每名患者设立报销封顶线 (per patient cap)，按人头支付。合同约定了患者数量和药品销售量，如超过患者数量，则须将费用返还。截至 2019 年，韩国已有 33 种药物符合 RSAs 的条件，其中有 11 种罕见病药物，绝大多数采用费用返还形式的 RSAs (见表 2)。

表 2 韩国风险共担机制覆盖的孤儿药

商品名 (通用名)	适应证	风险分担协议类型
Revlimid (lenalidomide)	多发性骨髓瘤	费用返还
Pirespa (pirfenidone)	特发性肺纤维化	费用返还
Soliris (Eculizumab)	阵发性夜间血红蛋白尿	费用返还
Naglzyme (Galsulfase)	VI 型黏多糖贮积病	费用返还
Vimizim (elosulfase alfa)	莫尔基奥综合症 (粘多糖贮积症 IV)	最大的预算封顶线
Diterin (sapropterin)	苯丙酮尿症	最大的预算封顶线
Pomalyst (pomalidomide)	多发性骨髓瘤	费用返还
Defitelio (defibrotide)	肝静脉闭塞性疾病	最大的预算封顶线
Sylvant (siltuximab)	卡斯尔曼氏病	最大的预算封顶线
Kyprolis (carfilzomib)	多发性骨髓瘤	费用返还
Imbruvica (ibrutinib)	套细胞淋巴瘤	最大的预算封顶线

(三) 成本效益分析豁免协议

尽管实施了风险分担协议，但是某些药物不具有成本效益仍不符合协议条件，尤其是抗癌药或孤儿药，难以获得其具有成本效益的证据。为克服此缺点，韩国在 2015 年 2 月引入了成本效益分析豁免协议。该协议允许不满足基本药物标准但符合严格成本标准的药物免于成本效益评估。自 2016 年 9 月以来，所有成本效益分析豁免协议覆盖的新药都必须与 NHIS 达成支出上限风险分担协议 (即由制药公司分担上市药物

的财务风险)。截至 2019 年, 成本效益分析豁免协议已覆盖的 15 种药物包含 5 种罕见病药物, 其中 3 种罕见病药物采用了报销封顶的风险分担协议类型 (见表 3)。

表 3 韩国成本效益分析豁免政策涉及的罕见病药物

商品名 (通用名)	适应证	报销时间	风险分担协议类型
Imbruvica (ibrutinib)	套细胞淋巴瘤	2016 年	没有申请
Vimizim (elosulfase alfa)	莫尔基奥综合症	2016 年	报销封顶
Diterin (sapropterin)	苯丙酮尿症	2017 年	报销封顶
Defitelio (defibrotide)	肝静脉闭塞性疾病	2017 年	报销封顶
Sylvant (siltuximab)	卡斯尔曼氏病	2018 年	报销封顶

(四) 韩国罕见病用药的医疗保险报销机制

据统计, 韩国国家健康保险覆盖韩国人口的 96.7%, 仅 3.3% 的贫困人口享有免费或低共付的医疗保险, 主要采取按项目付费的医疗保险支付方式。韩国的国民健康保险法修订案将罕见病用药纳入了健康保险 (疗养院目录)。韩国采取全民医疗保障制度, 由卫生主管部门和社会保障部门制定报销水平。韩国罕见病用药费用由国家医疗保险基金和个人共同支付, 政府占主导地位, 由国家医疗保险基金报销 90%, 个人自付 10%。同时, 韩国将患者收入水平分为 10 档, 根据档次设定 81 ~ 582 万韩元 / 年 (约 0.48 ~ 3.43 万元人民币) 的支付上限, 通过医疗救助提高低收入人群的报销比例 (见表 4)。

表 4 韩国罕见病用药费用的个人负担上限标准

年份	疗养医院 住院期 (天)	年均健康保险费分档 (韩元) ^①						
		1 档	2 ~ 3 档	4 ~ 5 档	6 ~ 7 档	8 档	9 档	10 档
2018 年	≤ 120 天	800 000	1000 000	1 500 000	2 600 000	3 130 000	4 180 000	5 230 000
	>120 天	1 240 000	1550 000	2 080 000				
2019 年	≤ 120 天	810 000	1010 000	1520 000	2 800 000	3 500 000	4 300 000	5 800 000
	>120 天	1 250 000	1570 000	2 110 000				

注: ^①按低收入→高收入分档。

（五）韩国罕见病用药的报销情况

2003 年韩国正式出台《罕见病用药指导法案》后，韩国的罕见病用药市场以总体年增长率 13.8% 的速度持续增长。截至 2019 年 12 月 31 日，韩国共指定了 290 种罕见病药物。2007—2019 年，韩国指定了 165 个罕见病药物，批准了 156 个罕见病药物，156 个获批产品中有 88 个（占比为 56.4%）获得了报销（见表 5）。

表 5 韩国罕见病药物的指定、批准和报销情况

项目	2007 年	2008 年	2009 年	2010 年	2011 年	2012 年	2013 年
指定药物数	12	5	8	1	7	10	14
批准药物数	8	14	5	14	15	15	10
报销药物数	6	6	2	11	9	11	7
报销比例 (%)	75.0	42.9	40.0	78.6	60.0	73.3	70.0
项目	2014 年	2015 年	2016 年	2017 年	2018 年	2019 年	总计
指定药物数	17	27	18	3	16	27	165
批准药物数	15	23	14	8	6	9	156
报销药物数	9	14	6	3	1	3	88
报销比例 (%)	60.0	60.9	42.9	37.5	16.7	33.3	56.4

在患者人数方面，韩国罕见病患者数增长迅速，从 2010 年的 5 348 人上升至 2018 年 62 413 人，年均增长率为 35.95%。获得报销的罕见病患者数逐年增长，从 2010 年的 1 754 人上升至 2018 年的 3 422 人，年均增长率 8.71%。由于罕见病药物研发及审批时间较长，获得报销的罕见病患者比例逐年降低，从 2010 年的 32.80% 下降至 2018 年的 5.48%（见表 6）。

表 6 2010—2018 年韩国药物支出及罕见病患者人数

项目	2010 年	2011 年	2012 年	2013 年	2014 年
药物总支出（万美元）	1 064 117	1 119 080	1 089 532	1 103 440	1 120 761
罕见病药物支出（万美元）	938.3	1 036.5	1 537.1	3751.5	4 805.4
罕见病药物支出占药物总支出的比重（%）	0.09	0.09	0.14	0.34	0.43
罕见病患者数（人）	5 348	6 408	10 650	16 040	18 405
获得报销的罕见病患者数（人）	1 754	1 618	1 443	2 339	2 611
获得报销的罕见病患者数占罕见病患者总数的比例（%）	32.80	25.25	13.55	14.58	14.19

项目	2015 年	2016 年	2017 年	2018 年	年均增长率（%）
药物总支出（万美元）	1 174 881	1 285 723	1 350 815	1 487 201	4.27
罕见病药物支出（万美元）	8 372.2	13 526.3	17 229.5	21 355.3	47.79
罕见病药物支出占药物总支出的比重（%）	0.71	1.05	1.28	1.44	—
罕见病患者数（人）	26 220	34 460	42 633	62 413	35.95
获得报销的罕见病患者数（人）	3 193	3 925	4 041	3 422	8.71
获得报销的罕见病患者数占罕见病患者总数的比例（%）	12.18	11.39	9.48	5.48	—

韩国罕见病人均报销费用有所下降，可能是纳入费用较低的罕见病药物导致平均费用整体下降（见表 7）。

表 7 2010—2018 年韩国罕见病药物报销费用情况（单位：美元）

项目	2010 年	2011 年	2012 年	2013 年	2014 年	2015 年	2016 年	2017 年	2018 年
人均报销金额	46812	31812	31136	44405	46473	43114	27275	41682	36629
最低报销金额	336	22	77	22	80	22	44	70	62
最高报销金额	366777	363151	402911	452042	464557	513546	265701	553703	554308
人均报销费用中位数	3463	2187	2297	2076	2000	2161	2254	3808	4735

四、经验及启示

（一）运用卫生技术评估理念，采用多维度决策分析量化新药价值

韩国针对创新医疗技术的收付费管理引入了卫生技术评估理念和方法，HIRA 于 2003 年起草了韩国药物经济学评价指南（Korean Pharmaco-economic Guideline, KPEG），2006 年发布该指南并在 2008

年开始强制使用。国际上及我国部分地区已采用多维度决策分析（multi-criteria decision analysis, MCDA）来量化新药价值。MCDA 方法学运用有系统结构的流程集中反映专家共识，请专家对各价值框架给出结论性建议并确定权重，最终依据新药分类与核价原则方法学来决定药品单价。我国可借鉴韩国经验，全面引入卫生技术评估技术理念，从医疗保险支付方或社会角度，以成本效果分析或成本效用分析作为首选分析方法，对没有成本效果的药物或者循证证据不够充分的药物（如罕见病）进行评估，用 MCDA 等先进方法理论保证罕见病患者的药品可及性。

（二）引入风险共担协议，保证患者的药品可及性

2017 年以来，我国对部分临床必需、疗效确切的独家创新药开展了国家医疗保险目录药品谈判。但随着谈判后药品价格的大幅度下降，该机制对药品研发创新及国际定价带来的负面影响引起了制药企业及社会各界的广泛思考。此外，目前医疗保障部门主要根据已有的资料进行准入决策，难以排除临床研究及真实世界研究在使用人群和依从性等方面的差异，考虑到此类创新药在真实世界的实际治疗效果及临床研究表现并不完全相同，治疗结果的不确定性可能导致医疗保险购买效率的不确定性。从长远看来，这不利于医疗保险基金利用效率的提升。为了进一步优化创新药物的准入问题，基于我国国情，我国可以对罕见病、严重威胁生命的疾病（如肿瘤）及没有治疗等效药物的情况引入风险共担协议，保证患者的药品可及性，建立关于风险共担协议实施效果的第三方评估机制，以此来改善罕见病用药、抗癌药等药物的可及性。引入风险共担协议机制可以平衡医疗保险方、企业和患者的利益，不仅可以为医疗保障部门的报销决策提供参考依据，还可以更好地处理高值创新药物可能带来的财务和治疗结果风险。

（三）建立罕见病患者评估体系，设立患者个人自付封顶线

韩国根据患者收入水平分档设定患者个人自付封顶线，患者最高个人自付封顶线为 582 万韩元 / 年（约 3.43 万元人民币）、最低为 81 万韩元（约 4 800 元人民币），体现了医疗保险管理的精细化程度。发达国家的强制医疗保险大都设立了个人自付封顶线，而我国多采用设立医疗保险报销封顶线的方法，设立个人自付封顶线可成为未来医疗保险改革的方向。目前，我国针对罕见病患者的医疗、社会保障制度尚不完善，没有全国性的可持续的罕见病保障制度，国家层面也没有关于罕见病医疗保障的整体规划。我国部分省市已先行探索，如 2019 年底浙江省为罕见病患者用药设立了每年 10 万元的个人自付封顶线。设立自付封顶线既可以减轻社会底层群众的负担，也可以保障医疗公平性，可以在我国观念较为领先、经济水平允许、地方医疗保障有前期探索经验的省市进行推广，将医疗保障与公安、民政等部门的数据进行对接，对患者家庭的经济情况（年可支配收入）进行系统评估，针对不同家庭经济状况的罕见病患者设置不同的报销比例，并设立患者个人自付的封顶线，这也符合我国现行“精准扶贫”政策的精神，可以进一步减小医疗保险基金风险。

（四）创新保障机制，逐步提高高值孤儿药保障水平

鉴于目前我国罕见病药物报销机制尚不成熟，即便是在现有基本医疗保险报销范围内的药物也难以获得全额报销，可借鉴韩国罕见病药物报销在个人自付方面的经验，签订风险共担协议，共担财务风险和治疗结果风险。在共担财务风险方面，可通过设立药物报销封顶总额、封顶报销患者数等形式直接控制罕见病药物支出对医疗保险基金的影响。共担治疗结果风险的常见形式为医疗保障部门与药企就药物疗效进行约定，若药物未达到约定疗效，药企向支付方提供折扣、降价或退款。总之，政府主导应是多方共付的有力前提，设置个人自付封顶是提高患者

获益的重要手段。共担财务和治疗结果风险能够有效地控制基金支出风险。尤其是共担财务风险，通过预先约定基金支出总额的方式，帮助支付方规划预算、推动医疗保险目录内药品的合理使用。

（责任编辑：张苹）

征稿启事

《卫生政策研究进展》杂志是上海市卫生健康委员会主管，上海市卫生和健康发展研究中心主办的卫生政策研究期刊，属于连续性内部资料性出版物（上海市连续性内部资料准印证第 K0649 号），2008 年 11 月正式创刊发行，每年发行 8 期，主要设有、医药卫生体制改革、专家解读、专题研究、他山之石、区县之窗、专家观点政策解读、信息动态讯息等栏目。现广泛征集优质稿件，欢迎作者踊跃投稿。征稿事项简述如下。

一、办刊宗旨

配合卫生健康事业的改革与发展，及时传播改革进展及相关政策研究成果，为决策者提供及时、可靠的卫生决策咨询信息服务。

二、读者对象

刊物出版后，进行赠阅，赠阅范围主要包括：世界卫生组织驻华代表处、世界银行驻华代表处，美国中华医学基金会合作项目单位；国家卫生健康委员会相关司局，国家卫生健康委员会卫生发展研究中心、国家卫生健康委员会统计信息中心；各省市卫生健康委员会规划发展处、财务处、政策法规处；上海市委、市人大、市政府、市政协相关部门，上海市卫生健康委员会领导及有关处室，上海市各区分管副区长、各区卫生健康委员会主要领导，上海相关医疗卫生单位；全国部分高校和研究机构的卫生政策研究专家和学者等。

三、来稿要求

1. 来稿主题应与卫生健康事业改革相关，如有 4～5 篇同一主题的一组文章，可单独与编辑部联系，编辑部将视稿件情况考虑是否专门成

刊。每篇文章 5000 ~ 8000 字为宜。

2. 来稿应结构完整论点明确，论据可靠，数字准确，文字精练。

3. 来稿作者信息包括姓名、单位、职称、职务、地址（xx 省 xx 市或 xx 县 xx 路 xx 号）、邮编、电话、E-mail 等信息。

四、投稿事宜

文稿请采用 word 格式发送至以下邮箱：phpr@shdrc.org。凡被采用的稿件，编辑部会进一步与作者沟通修改事宜。稿件一经录用，编辑部会联系作者支付稿费并赠送当期杂志 1 本。本刊不收取任何版面费。

五、联系方式

地 址：上海市徐汇区肇嘉浜路 789 号 邮 编：200032

网 址：www.shdrc.org

微信公众号：卫生政策研究进展（过刊电子稿可从公众号查阅）

联系人：张 苹 信虹云

电 话：021-33262062 021-33262061

邮 箱：phpr@shdrc.org

发送对象：

世界卫生组织驻华代表处、世界银行驻华代表处

国家卫生健康委员会相关司局、国家卫生健康委员会卫生发展研究中心、
国家卫生健康委员会统计信息中心

中国医学科学院医学信息研究所

美国中华医学基金会合作项目单位

上海市市委、市人大、市政府、市政协相关部门

各省市卫生健康委员会政策法规处、财务处

上海市卫生健康委员会领导及有关处室

上海市各区分管副区长、各区卫生健康委员会

相关医疗卫生单位

全国部分高校和研究机构



研究 传播 交流 影响

Research Dissemination Communication Impact

上海市卫生健康发展研究中心

(上海市医学科学技术情报研究所)

Shanghai Health Development Research Center

(Shanghai Medical Information Center)

中国 上海

Shanghai China