

“一支药70万元” “国外便宜国内贵”？

——聚焦“天价”罕见病药

日前,网络流传“治疗罕见病‘脊髓性肌萎缩症’特效药物需‘70万元一支’天价,且国内价格远高于国外”,引发社会关注。

“脊髓性肌萎缩症”是什么病?诺西那生钠注射液是什么药?为何药价如此昂贵?该药在国内外市场真的售价悬殊吗?国内患者用药价格是否有望下降?新华社记者就此展开调查。

焦点一： 脊髓性肌萎缩症 是什么病？

据国家儿童医学中心、北京儿童医院神经内科主任医师吕俊兰介绍,脊髓性肌萎缩症(SMA)对儿童是一种致命疾病,通常有80%的I型患者不能活过2岁;II型患者行走困难且常伴有严重的肺炎并发症;III型虽然不会影响寿命,但患者会全身无力,给其和家庭造成巨大的疾病负担和精神痛苦。

湖南省儿童医院神经内科副主任医师吴丽文称,这种疾病以脊髓和下脑中运动神经元变性、丢失为特征,是一种遗传性神经肌肉疾病类的罕见病。

专家表示,我国SMA在新生儿中发病率约为1/6000到1/10000,目前约有SMA患者3万多名,但新生儿中的致病基因携带率约为1/50,危险性很高,因此进行大规模产前筛查非常重要。

焦点二： 诺西那生钠注射液 是什么药？

专家介绍,诺西那生钠注射液是婴儿、儿童和成人5q型脊髓性肌萎缩症的反义核苷酸治疗药物,也是国内首个获批治疗脊髓性肌萎缩症的进口药物。医生通过鞘内注射(通过腰穿将药物注射到体内)的方式,给患者用药。

吴丽文告诉记者,患儿在确诊后需尽早用药:第一年需要注射6次药物,头2个月需注射4针;之后每4个月需注射1针。

吴丽文说,部分患儿在注射用药后,运动能力有一定程度恢复。湖南一名2岁11个月大的患儿诺诺今年5月开始注射该药,目前已注射4次。治疗后,诺诺的运动能力得到较好恢复。

“从治疗上来讲,诺西那生钠注射液的确有用,但并不能完全逆转病情。”吕俊兰提醒称。



新华社发 朱慧卿 作

焦点三： 为何药价如此昂贵？

记者了解到,诺西那生钠注射液于2019年被批准进口上市,目前未纳入医保,由患者自费承担。在国内,该药每单位价格为6997万元。

根据2019年新修订的药品管理法,药价不再由政府定价,而以市场调节为

主,通过医保集中招标采购来发挥作用。南开大学法学院副院长、药品法专家宋华琳说,罕见病患者人数少,具有临床不确定性,因此药物研发成本高,药品价格昂贵。个别药企往往由于技术领先获得定价优势地位,这并不一定违反我国

反垄断法或药品监管相关法律法规。

他认为,罕见病进医保屡屡引发关注的深层原因,是由于目前医保类型能涵盖的罕见病种类有限,且我国现阶段商业医保仍有待完善,罕见病患者的医疗需求难以完全满足。

焦点四： 该药在国内外市场是否售价悬殊？

网络传言该药“在澳洲售价仅41美元,约合人民币280元”“在日本近乎免费”,并称“我们的医院暴利居然到了如此骇人听闻的程度”等。

记者调查发现,据澳大利亚药物福利计划(PBS)网显示,普通病人用药支付41美元每单位,但该药品的政

府采购价格为11万澳元每单位。

另据记者了解,日本不久前将相关药物纳入医疗保障范围,患者只需按该国整体医保政策承担相对低廉的费用。但该药物本身仍为高价药。

记者还发现,全球将该

药纳入公费医保的国家有限。在美国,该药每支售价125万美元。在加拿大,一位当地居民告诉记者,就职公司为其购买了商业保险之后,使用该药也需自费支付5700多美元每单位,并不便宜。据悉,大部分欧洲国家未将其纳入公费医保范围。

焦点五： 国内患者用药价格 是否有望下降？

专家表示,因罕见病发病率低,药品用量极少,价格昂贵,一一纳入带量采购实现降价难度不小。如何减轻这类患者的医疗费用压力,目前仍是个难题。

记者了解到,2019年中国初级卫生保健基金会启动了“脊活新生-脊髓性肌萎缩症SMA患者援助项目”,为符合条件申请条件的患者提供援助药物。患儿家属可以申请参加援助项目,第一年大概能以140万元的价格注射6支原价每支70万元的药物。

吕俊兰、吴丽文等专家表示,希望有关部门能够研究办法,通过医保等综合手段切实减轻该病患者的医疗负担。改善罕见病患者治疗与生存状况需要国家、社会组织、医疗机构和患者共同努力。

宋华琳认为,对于发病率极低,诊疗费用极高的罕见病,应采取多渠道救助,如考虑予以医疗救助和专项救助,建立专项基金等。他建议,各省可根据自身经济社会发展水平、医保基金结余和罕见病发病诊治等情况,确定该省纳入医疗保障范围的罕见病病种。

在日本生活工作的杨女士告诉记者,当地部分居民和专家对将价格极高的该药纳入医疗保障表示了担忧和不满,认为这将威胁保障经费的平衡与安全,挤占其他发病更广、需求更迫切的病种被纳入保障体系的机会。

多名专家认为,高价罕见病药产生有其特殊性,目前无论是用集中采购谈判还是纳入医保方式,推动其降价均有现实困难。

湖南省卫生部门相关负责人表示,此前一些罕见病用药问题得以成功解决,是因为我国人口基数大,部分病种的罕见病患者并不“罕见”,医保部门可以利用以量换价等价格谈判手段,促成企业降价,与现行保障制度形成共同利益。

但从长远来看,还有很多罕见病新药临床总量少,很难议价。因此真正解决罕见病用药难、用药贵的问题,需要积极发展商业保险,综合利用慈善、救助等社会资源为患者减负,有关部门还应加快仿制药研发和一致性评价,从根本上提高相关药品的可及性。

(据新华社北京8月6日电)