

超80种罕见病用药进医保 有望为2000多万名患者带来更多福音

昨天是第17个国际罕见病日。前不久,最新版国家医保药品目录调整新增15个目录外罕见病用药,覆盖16个罕见病病种,一些长期未得到有效解决的罕见病,如戈谢病、重症肌无力等均在其列。迄今,超过80种罕见病治疗药品已纳入国家医保药品目录名单。这有望为我国2000多万名罕见病患者带来更多福音。

世界卫生组织将罕见病定义为患病人数占总人口0.065%到0.1%之间的疾病或病变。诊断难、用药难、药价高,是罕见病患者面临的“三道坎”。

对于罕见病诊治这道世界性难题,国家卫生健康委等多部门携手社会各界关爱罕见病患者,不断探索罕见病防治诊疗工作的“中国方案”,尤其在罕见病用药的可及性和可负担性方面努力让“医学孤儿”不孤单。

今年1月1日起,非典型溶血性尿毒症综合征患者迎来命运的转折:曾经一支2万多元治疗该病的救命药“依库珠单抗”,经医保支付报销后每支价格约千元,不少患者和家庭重新燃起希望。

除了让部分罕见病患者“用得起药”外,解决用药难、缺少药等难题,有关部门和社会各界也一直在行动。

阵发性睡眠性血红蛋白尿症(PNH),一种被称为“超级罕见病”的后天获得性溶血性疾病,让患者饱受反复溶血、血红蛋白尿、肾功能损害等并发症折磨。

2021年3月,一名PNH患者遭遇

断药,怀着一线希望,她向中国罕见病联盟发起求助。

无先例可循、无细则可依,中国罕见病联盟、北京协和医院、国家药监局及药企共同“组队”,为实现“同情用药”奔走忙碌。80余天后,从瑞士引进的新药成功落地北京协和医院,患者获得新生。

不止是“同情用药”,有关部门和医疗机构无缝衔接,对罕见病治疗药品实施优先审评审批,为部分“断供”的罕见病急需药物开辟绿色通道,米托坦、拉罗尼酶、氯苯唑酸等越来越多“孤儿药”被引进,解罕见病患者燃眉之急。

一些企业在相关部门支持下,设立罕见病患者关爱中心,为罕见病患者提供药品供应保障、健康管理与用药咨询、慈善赠药、医疗保险结算等全流程一站式专业化药事服务。

“让罕见病患者有药可用,已经从共识转化为密集行动。”中国罕见病联盟执行理事长李林康说。

为加强罕见病药物研发,《医药工业发展规划指南》《“十四五”医药工业发展规划》等一系列文件密集出台,引

导企业加强研发治疗罕见病特效药物;北京儿童医院等医疗和科研机构对罕见病用药的研发和评价作出相应布局……

走小步不停步!用药保障的每一次推进,规范诊疗能力的每一步提升,都为患者打开一道“希望之门”。

组建全国罕见病诊疗协作网,建立国家罕见病多学科诊疗平台,不断缩短患者平均确诊时间;发布两批罕见病目录,收录207种罕见病;新版国家质控工作改进目标涉及罕见病等专业;支持中医药参与罕见病防治;成立中华医学会罕见病分会……

“呵护好罕见病患者的‘生命线’,是我们必须啃下的‘硬骨头’。”中华医学罕见病分会主任委员、北京协和医院院长张抒扬说,只有跑得再快一点,为疾病的突破多添一份力、多加一把油,才能让医学之光照亮罕见病患者生的希望,让生命之花绽放绚丽色彩。

对每一个小群体都要关爱,都不能放弃。这是健康中国建设的题中应有之义,也是温暖民生、彰显社会公平的生动写照。

据新华社



定期奉献“名医访谈、医疗活动、健康科普”等精彩视频

准妈妈 如何预防巨大儿

胎儿太胖,不仅会影响母体顺产及自身的智力和体力,还会影响到准妈妈的健康。那么,孕期内准妈妈如何预防巨大儿?一起听听市妇幼保健院产科专家怎么说。



医周健闻

全国共组建 医联体1.8万余个

据新华社电 记者2月28日从国家卫生健康委新闻发布会上获悉,截至2023年年底,全国共组建各种形式医联体1.8万余个,全国双向转诊人次数达到3032.17万,较2022年增长9.7%。其中,上转人次数1559.97万,较2022年下降4.4%;下转人次数1472.20万,较2022年增长29.9%。

分级诊疗制度是我国深化医改的重要内容之一。国家卫生健康委医政司司长焦雅辉在发布会上介绍,国家卫生健康委围绕“基层首诊、双向转诊、急慢分治、上下联动”的制度框架,以医联体建设为载体,以常见病、多发病、慢性病分级诊疗为突破口,不断完善顶层设计,构建更加科学的分级诊疗格局。

优化医疗资源分配对于解决群众看病就医问题十分关键。焦雅辉介绍,截至目前,已设置13个类别的国家医学中心和儿童类别的国家区域医疗中心,会同国家发展改革委等部门批复125个国家区域医疗中心建设项目,支持961个国家临床重点专科建设项目、近5600个省级和1.4万个市县级临床重点专科建设项目。1163家县级医院达到三级医院能力。30个省份建成省级互联网医疗服务监管平台,设置2700余家互联网医院。董瑞丰 李恒

预防小儿麻痹症,这些孩子需补种疫苗 实施方案正拟定,本月摸底核实后发通知

晚报讯 2月27日,市疾控中心提醒,出生日期在2016年3月1日至2019年9月30日之间,仅接种过1剂次脊灰灭活疫苗的儿童,可免费补种第二剂次脊灰灭活疫苗,以加强针对Ⅱ型脊灰病毒的免疫保护效果。目前,我市的补种实施方案正在拟定,3月份接种单位会在摸底核实后通知补种对象进行接种。

脊髓灰质炎俗称为“小儿麻痹症”。目前,全球Ⅱ型脊灰疫苗衍生病毒病例数有所上升,全球传播风险增大。研究表明,只接种1剂次IPV,机体针对Ⅱ型脊灰病毒的抗体阳转率较低。因此,针对只接种过1剂次IPV的适龄儿童,增加1剂次IPV可以提高机体预防Ⅱ型脊灰病毒的抗体阳转率,使得保护更加全面。

针对此次脊灰疫苗补种活动,家长需要做些什么?

1. 查看预防接种证上的脊灰疫苗接种记录

(1)看疫苗名称

不含Ⅱ型脊灰疫苗成分的疫苗:脊灰二价苗(液体,口服)

包含Ⅱ型脊灰疫苗成分的疫苗:脊灰灭活疫苗(Salk株、Sabin株,针剂)、五联苗(针剂),脊灰疫苗(二倍体、猴肾,口服)

(2)看接种日期

2016年5月之前接种的脊灰疫苗大概率均含Ⅱ型脊灰疫苗成分。

2. 回忆接种过程

自费(包含Ⅱ型脊灰疫苗成分)/免费

打针(包含Ⅱ型脊灰疫苗成分)/口服

3. 初步判断是否需要补种

(1)不需补种:已接种过2剂次以上包含Ⅱ型脊灰疫苗成分疫苗的。

(2)需要补种:Ⅱ型脊灰疫苗成分疫苗不足2剂次/脊灰疫苗免疫次数不足4剂次。

(3)无法判断:电话咨询疾控机构或预防接种单位(全市预防接种单位咨询电话可通过“南通疾控”官方微博公众号—健康服务—预防接种单位进行查询)。

需要补种的家长请耐心等待通知。目前,我市的补种实施方案正在拟定中,补种工作暂未部署到接种单位。根据工作安排,3月份接种单位会在摸底核实后通知补种对象进行接种,请各位家长配合摸底工作,如实提供脊灰疫苗免疫史。友情提醒:可将脊灰疫苗接种记录拍照留存。记者汤蕾