

多重呼吁推动罕见病利好政策不断出台

■ 本报记者 张明敏

在2月28日国际罕见病日即将到来之际,一系列政策利好接踵而来“袭”。

2月11日,国务院总理李克强主持召开国务院常务会议,部署加强癌症早诊早治和用药保障的措施,并决定对罕见病药品给予增值税优惠。

会议指出,要保障2000多万罕见病患者用药。从3月1日起,对首批21个罕见病药品和4个原料药,参照抗癌药对进口环节减按3%征收增值税,国内环节可选择按3%简易办法计征增值税。

这是药品领域又一次迎来利好。早在去年年初,罕见病用药政策利好就接踵而至。2018年6月,121种《第一批罕见病目录》向公众印发。几天后,国务院常务会议决议,对治疗罕见病的药品简化上市要求。

中国社会科学院社会学研究所研究员、社会政策研究中心顾问杨团对《公益时报》记者表示:“罕见病保障机制不同于其他病种,应具有特征性,对这一人群给予特殊保障,罕见病用药不仅仅是减税问题,一系列政策性制定才刚刚开始。”

2月13日,国家卫生健康委员会表示,未来,将随着相关诊断和治疗手段的提高,对罕见病目录进行动态调整。

罕见病药价高昂

2018年2月27日,由病痛挑战基金会与香港浸会大学、华中科技大学联合发布的《2018中国罕见病调研报告》显示,罕见病患者平均承担医疗开支的70%~80%,还有很多罕见病病人并非无药可用,而是因为药费过高而难以承担。

中国社会科学院经济研究所研究员、微观经济学研究室主任、公共政策研究中心副主任王震指出:“药品创新能力低、以药养医、高药价,依然是中国药品供应体制的特征性事实。”

王震表示:“药品创新能力低是导致我国重病患者‘无药可用’或‘被迫选择高价进口药’的关键性原因之一。我国大量所谓‘新药’,其实多是‘改头换面式的假创新’,缺乏实质性创新。”

王震指出:“压低成本以留足‘返利’和‘回扣’空间是我国药品企业不愿意进行实质性创新投入的考虑之一,而这背后的原因则是我国公立医疗机构由行政垄断背景下的‘以药养医’,以及由之引发的医院、医生对‘高价药’的偏好。”

据王震介绍,在我国医院的收入来源中,药品收入占30%~40%,最高的时候占60%;而在药品的价格构成中,生产与流通成本(含利税)仅占30%~35%。

据了解,我国在2015年6月前对药品实行“价格管制”,对进入医保目录的药品进行“最高限



2月28日,国际罕见病日(网络图片)

价”,此后进入市场定价阶段。

2015年5月,国家发改委发布《关于印发推进药品价格改革意见的通知》,通知要求自2015年6月1日起,取消绝大部分药品的政府定价(麻醉药品和第一类精神药品除外),建立起以市场为主导的药品价格形成机制。

王震说:“2015年之前,政府限价的同时又实行省级集中招标采购,多数是‘低价药中标’。在医疗机构和医生偏好高价药的情况下,企业没有动力做实质性创新。”

杨团对《公益时报》记者表示:“不光是药品生产问题,这与国家医疗体制有较大关系,现有医疗体制不改,回扣利益空间太大,导致药品价格难以下降。如果生产、流通体系不改,仍不能达到患者最终受益的目标。”

政策红利释放影响

此次的罕见病药品增值税降税前,已经有过一轮制造业药品降税。

2018年3月28日召开的国务院常务会议就决定,从2018年5月1日起,将制造业行业的增值税税率从17%降至16%,这其中就包括药品制造。

中国社科院财经战略研究院财政研究室副主任何代欣认为,罕见病种类多,而一些相关药品价格又很高,如果从税收方面能够给予一定减免的话,既能使企业享受到减税红利,同时也能够降低患者治疗成本,有助于患者改善病况。特别是在罕见病药品领域有竞争的企业,在享受到普遍性的减税红利后,也会产生调低药品售价的意愿。

瓷娃娃罕见病关爱中心主任王奕鸥表示:“政策释放了一种信号,让重视中国市场的外企药商通过税收激励优惠将罕见病药品尽快在中国上市,让患者受益。”

但对于治疗罕见病药品的高价格,王奕鸥坦言:“政策性降税空间可能会让罕见病药品上市后有降价空间,给患者购药压力带来一定释放,但不会很大,即便降价罕见病药物对患者用药仍有压力。”

罕见病政策出台一定是多方面的。王奕鸥表示:“降税、免临床、绿色通道、药品上市优惠政策,这些对于患者家庭来讲不一定所有

的家庭都能理解,但最终就是家庭能否用得上药,是否有更多的罕见病有效药物进入到中国,让更多中国药企有能力研发罕见病用药,这必须由政策来解决。”

多重呼吁推动政策进步

2018年6月6日,国家卫健委、科技部、工业和信息化部、国家药品监督管理局和国家中医药管理局联合印发了《第一批罕见病目录》。第一批纳入目录的罕见病共121种。

该目录根据中国人口疾病罹患情况、医疗技术水平、疾病负担和保障水平等,参考国际经验,由不同领域权威专家按照一定工作程序遴选产生。目录广泛征求了相关部委和行业意见并达成一致。

白化病、先天性肌无力综合征、血友病、帕金森病等疾病被纳入第一批目录。

国家卫健委表示,各部门将按照分批制订、动态更新的工作方式,依据工作程序,逐步完善中国罕见病目录,为各部门开展相关工作提供依据,进一步维护人民群众健康权益。

王奕鸥说:“罕见病总数约7000种,第一批纳入目录的罕见病共121种,还有大量病种需要进入,如何进入?显然还有很大纳入空间。‘扩展目录’、‘绿色通道’、‘税收优惠’、‘跟进实施’,这对于社会组织进行政策倡导有着很大空间。”

“政策推进的同时,罕见病公众认知、政策与罕见病群体关系、政策演变发展解读等都是社会组织应该持续倡导的工作。”王奕鸥补充道。

2018年6月20日,国务院常务会议决议,确定加快已在境外上市新药审批、落实抗癌药降价措施、强化短缺药供应保障。会议指出,对治疗罕见病的药品简化上市要求,可提交境外取得的全部研究资料等直接申报上市,监管部门在3个月内审结。

这表明,在境外已上市而国内未上市的罕见病用药,可直接提供境外研究资料在国内申报上市,而无需再在国内进行临床试验,而且3个月之内就须有审批结果。

据不完全统计,目前已有21个治疗罕见病的药品纳入优先审评审批。

2月13日,国家卫健委召开例行发布会,医政医管局副局长焦雅辉在发布会上表示,世界卫生组织把罕见病定义为发病率在0.65%~1%的疾病,但是由于我国人口基数比较大,患罕见病的绝对人口数在我国仍是一个不小的数字。罕见病的管理不单纯是一个医学问题,也是一个社会问题。她表示,未来随着罕见病诊断和治疗手段的提高,还将对罕见病目录进行动态调整。

杨团指出:“在中国,每种罕见病的人数好像不多,但我国人口基数大,乘以13亿将会是一个非常非常大的数字,中国的政策在制定上不能只采用多、少数概念,更不能忽略少数。不应只看结构,而应看绝对数值,这是政策上的重要概念。”

另外,杨团还表示:“罕见病保障机制不同于其他病种。罕见病具有特征性,是固化、不可逆的病种。对这一人群应给予特殊保障,不仅仅是税收问题,政策性才刚刚开始。”

王奕鸥表示:“病友、病友组织、社群行动者,这十年间没少忙活罕见病领域政策变化明显,大家一直呼吁政策。这次政策出台给大家信心,让病友及相关方看到呼吁倡导行动带来的效果和变化。另外,病友和病友组织应看到自身社群的重要性,政策及相关方关注到诉求者本身的声音,从而两者达到共同推进罕见病目标的作用。”

倡导要注重传播效果

2018年7月5日,一部讲述罕见病用药的电影《我不是药神》在中国上映。影片讲述了神油店老板程勇从一个交不起房租的男性保健品商贩,一跃成为印度仿制药“格列宁”独家代理商的故事。

这部根据真实事件改编的电影《我不是药神》最终票房突破25亿。影片反映的我国罕见病等重症患者用药难、用药贵等现实问题,引发舆论关注。

2018年7月17日,“中国政府网”微信公众号发文称,李克强总理就电影《我不是药神》作出批示:“癌症等重病患者关于进口‘救命药’买不起、拖不起、买不到等诉求,突出反映了推进解决药品降价保供问题的紧迫性,要求有关部门按照国务院常务会议确定的相关措施抓紧落实,能加快的尽可能加快。”



电影《我不是药神》使罕见病群体的用药等情况受到了广泛的关注(网络图片)

链接

根据中国罕见病网的资料,罕见病是指发病率低、少见的疾病。世界各国对于罕见疾病的定义不尽相同,世界卫生组织将罕见病定义为患病人数占总人口的0.65%~1%的疾病或病变;根据WHO及其他国家数据推算,目前我国罕见病总患病人口数约为1680万。由于罕见病病种多、每种病的患病人群少、市场需求少、研发成本高,很少有制药企业关注罕见病治疗药物的研发,因此这些药被形象地称为“孤儿药”;而截至2016年,我国上市的“孤儿药”只有189种,相较于多达6000~8000种罕见病,远远不能满足其治疗需求。