

中国罕见病药物上市批准 政策与医保支付体系简述

»» 李娅杰
精鼎医药亚太区研发战略咨询技术副总裁

郑子川
Health Advances 副总裁

胡皓楠
Health Advances 高级分析员

郭晋川
北京病痛挑战公益基金会信息研究总监

文章索引

一、加快罕见病药物上市批准的相关政策

(一) 针对罕见病药物美欧日等国家/地区的激励政策

(二) 中国加速罕见病药物开发和上市的相关政策

(三) 进口罕见病药物在中国的开发策略

1. 境外已上市罕见病药物

2. 境内外同步开展临床研究

3. 在特定地区备案后直接使用

(四) 国产罕见病药物在中国的开发策略

二、中国针对罕见病药物的多层次医保体系简介

(一) 基本医疗保险

(二) 补充医疗保险

(三) 普惠险补充商业健康保险

(四) 民间慈善捐助

精鼎在罕见病药物开发咨询方面的优势



罕见病是发病率极低的一组疾病的统称,据世界卫生组织统计,全球约有5,000-8,000种,一般为慢性、严重的疾病,常常影响患者生活质量或危及生命安全。在中国,罕见病以目录的形式进行认定,国家卫生健康委员会在2018年5月发布了《第一批罕见病目录》,收录了121种罕见病病种,估计达三百万病患者¹,为医疗药品审批提供了重要的参考依据;2021年,第二批罕见病目录的编纂工作也在国家卫健委的主导下有序进行中;另外,2021年9月11日,由全国罕见病学术团体主委联席会议、上海市罕见病防治基金会、上海市医学会罕见病专科分会联合主办的中国罕见病/孤儿药定义第三次多学科专家研讨会上,《中国罕见病定义研究报告2021》发布,全国罕见病学术团体主委联席会议秘书长王琳解读指出,中国罕见病最新定义是即新生儿发病率小于1/万、患病率小于1/万、患病人数小于14万的疾病。官方估计中国罕见病患者人数为2,000万,因为罕见病的低诊断率和患者对于疾病的低意识,这一数字很可能被低估了。

中国的罕见病患者面临诸多难题,包括:疾病难以诊断、疾病诊断后无药可治、治疗药物未在中国上市或无罕见病适应症、治疗药物虽已上市但价格高昂没有医保、或药物难以被处方等等。罕见病药物的不可及与不可负担是横亘在患者面前最大的困难,超过一半的患者未能及时且足量地接受药物治疗。



一、加快罕见病药物上市批准的相关政策

(一) 针对罕见病药物美欧日等国家/地区的激励政策

在欧美日等国家或地区,监管部门为加快罕见病药物的上市,均规定了各自的孤儿药认定资格,并对罕见病药物从开发到上市出台了一系列激励政策^{2,3}。

美国早在1983年签署了《孤儿药法案》,并制定了“孤儿药资格认定”(Orphan Drug Designation)计划,FDA分别在1991年、1992年、2011年、2013年对孤儿药规则进行了修订,对获得孤儿药认定的药物给予加速审批、市场独占期、财政拨款等一系列支持政策。截至2021年2月,FDA已授予5,808项孤儿药资格,批准了952个孤儿药适应症。

- 在欧盟地区,EMA于2000年启动了鼓励罕见病研发的孤儿药指定计划,制药企业在罕见病药物研发过程中,可以获得科学建议、缩短审评时限等利好政策,上市后给予市场专属保护。
- 日本于1993修订了《药事法》,规定了孤儿药的认定标准,对罕见病药品开发给予了一些激励政策,包括:财务激励,包含资金补贴,减少申请费、减税补贴;行政激励,包含开发协助,加速审批和市场独占期。截至目前,日本已经认定了300多个孤儿药。

总的来说,欧美日等国家和地区的药品监管部门为引导药企研发罕见病药物,均在本世纪初甚至上世纪八十年代推出了类似的激励政策,经过不同药企的多次

实践,对相关政策在上述国家或地区的应用越来越成熟,相应地,越来越多的罕见病药物通过加速通道获批,以更快的速度使患者得到治疗,制药企业也因此获益颇丰。

(二) 中国加速罕见病药物开发和上市的相关政策

罕见病药物在中国研发成本高,临床试验开展困难,因此在2015年药品审评审批制度的改革前,跨国药企很少考虑在中国开发或申报罕见病药物,而国内药企也很少进行罕见病创新药研发,导致中国有相当数量的罕见病患者无药可用。

随着2015年药品审评审批制度的改革,中国政府出台了一系列政策措施,鼓励罕见病药物的引进、研发和生产,并加快罕见病药品的注册审评审批:

- ▶ 2015年8月,国务院印发《关于改革药品医疗器械审评审批制度的意见》,2017年10月中共中央办公厅、国务院办公厅印发《关于深化审评审批制度改革鼓励药品医疗器械创新的意见》,对鼓励罕见病用药研发、加快罕见病药品注册审批提出明确意见。
- ▶ 2017年12月,原国家食品药品监督管理总局发布《关于解决药品注册申请积压实行优先审评审批的意见》,明确对治疗罕见病的药品注册申请予以优先审评审批,并允许在申报临床试验时即可提出减少临床试验病例数或免做临床试验的申请。

- ▶ 2018年5月,国家药监局和卫健委发布《关于优化药品注册审评审批有关事宜的公告》中指出,对于境外已上市的罕见病药品,申请人经研究认为不存在人种差异的,可以提交境外取得的临床试验数据直接申报上市。
- ▶ 2018年10月,国家药监局和卫健委发布《临床急需境外新药审评审批工作程序》,对境外已经上市但未在我国境内上市的新药建立专门通道审评审批,对罕见病治疗药品,在受理后70个工作日内完成技术审评。
- ▶ 2020年7月,国家市场监督管理总局发布新修订的《药品注册管理办法》中规定,罕见病的创新药品上市许可申请时,可以申请适用优先审评审批程序并给予审评时限的政策支持。

根据药品审评中心(CDE)于2021年6月发布的2020年度药品审评报告,纳入优先审评审批程序的罕见病药物在注册申报中占比及获批数量2016年-2020年逐年增加(表1)⁴。根据“药融云”数据⁵,2021年NMPA批准了18个罕见病药物。截至目前,国家药监局三次推出境外已上市临床急需新药名单,其中有40个罕见病药物,成功上市的有21个,覆盖罕见病病种包括黏多糖贮积症、亨廷顿舞蹈症、多发性硬化、脊髓性肌萎缩症等15种罕见病。但是,药物研发是一个周期较长的过程,即便通过优先审评审批,中国的罕见病药物相较欧美日仍有相当明显的滞后时间,依然需要监管部门和制药企业共同努力推进罕见病药物在中国的开发。

表1. 纳入优先审评审批程序的罕见病药物注册申请及通过的品种情况

	2016		2017		2018		2019		2020	
	品种数量	占比	品种数量	占比	品种数量	占比	品种数量	占比	品种数量	占比
注册申请情况	8	4.1%	11	5.0%	28	8.9%	28	11.1%	21	14.6%
通过的情况	-	-	-	-	3	3.6%	6	7.5%	11	9%

(三) 进口罕见病药物在中国的开发策略

国外制药企业的罕见病药物可分为已经在国外注册上市的和正在国外进行临床试验或准备进行临床试验的,针对不同分类,国外制药企业可分别以下几种策略在中国推进罕见病药物的开发和上市。

1. 境外已上市罕见病药物

迄今为止,有相当一部分罕见病药物在欧美日等国家或者地区已经上市,此类药物的上市是解决中国患者对临床迫切需求领域药品的可获得性和可及性的重要手段。CDE分别在2018年7月和2020年10月制定了《接受药品境外临床试验数据的技术指导原则》和《境外已上市境内未上市药品临床技术要求》支持此类药注册上市。文件中指出,对用于罕见病治疗药品,监管机构持鼓励态度,以解决公众用药可获得性为首要前提进行审评审批。

制药企业可以将在国外用于注册的临床试验数据和上市后临床数据提交,CDE可将境外管理规范国家的监管机构临床试验核查结果和结论作为临床试验数据质量评估的参考。经评估,该药品安全有效且有证据证明无种族差异的,可豁免境内临床试验直接在中国批准上市;安全有效但缺乏种族敏感性数据或存在种族敏感性的,需开展相关桥接性临床试验;全球数据不能支持对安全有效性评价的,如仍希望继续在中国注册上市,应按新药要求开展必要的探索性和确证性临床试验。

2. 境内外同步开展临床研究

为了减少不必要的重复临床试验,缩短国家间罕见病药物上市延迟,CDE鼓励在境外未上市的罕见病药物在中国同步开展临床试验。国外制药企业可根据早期研究数据、种族敏感性分析和不同监管机构的要求,采用中国加入全球国际多中心临床研究的策略,加速甚至达到该罕见病药物在中国与其他国家同步上市的目的。

3. 在特定地区备案后直接使用

除了上述两种策略,国外申办者还可以在中国特定区域备案后,直接投入使用罕见病药物。

海南博鳌乐城国际医疗和旅游先行区

2018年12月,国务院发布了《关于在海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区暂时调整实施〈中华人民共和国药品管理法实施条例〉有关规定的决定》,对海南博鳌乐城国际医疗和旅游先行区内医疗机构因临床急需进口少量药品(不含疫苗)的申请,由海南省人民政府实施审批。经批准进口的药品应当在指定医疗机构内用于特定医疗目的。2020年11月,国家药品监督管理局药品医疗器械监管科学研究基地在海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区成立。海南将通过基地建设加快搭建真实世界数据平台,建立健全真实世界研究的数据标准,提速真实世界研究试点工作进程,扩大真实世界研究和应用在进口药械注册上市方面的影响力,吸引更多国际先进药械研发及生产企业参与后续试点。

该政策出台后,一定程度上帮助罕见病患者药物可及。如,Blueprint Medicines Corporation的普拉替尼胶囊用于既往接受过含铂化疗的转染重排 (RET) 基因融合阳性的局部晚期或转移性非小细胞肺癌成人患者的治疗,该产品为首批试点品种之一,在博鳌乐城国际医疗旅游先行区获得的真实世界研究数据为其在中国晚期非小细胞肺癌人群中的疗效评价和安全性评估提供了辅助,并于2021年3月获得国家药品监督管理局的优先审评审批程序附条件批准,这是中国首个使用乐城真实世界数据辅助评价附条件获批的创新药⁶。

国外获批的一些罕见病药物可以直接在海南博鳌乐城国际医疗和旅游先行区投入使用,产生的真实世界数据还可用于支持后续产品的注册申报或上市后承诺性研究。

粤港澳大湾区 (GBA)

2020年11月,经国务院同意,国家市场监管总局、国家药品监管局等八部委联合发布《粤港澳大湾区药品医疗器械监管创新发展工作方案》,在粤港澳大湾区内地9市开业的指定医疗机构使用临床急需、已在港澳上市的药品以及临床急需、港澳公立医院已采购使用、具有临床应用先进性的医疗器械,由广东省药监局实施审批。“港澳药械通”政策试点时间为2021年4月至7月,试点期间已审批临床急需使用进口药品9个、医疗器械2个,惠及了150名患者⁷。

国外制药企业若有已经在港澳上市的罕见病药品,可在广东省药监局通过简化的审批流程后,在大湾区指定医院投入使用,并进一步支持药品在中国的注册上市。

(四) 国产罕见病药物在中国的开发策略

为进一步提高罕见疾病临床研发效率,满足罕见疾病患者的治疗需求,结合罕见疾病特征,对罕见疾病药物研发及科学的试验设计提供建议和参考,药品审评中心于2021年10月发布了《罕见疾病药物临床研发技术指导原则》的征求意见稿,并于2022年1月6日发布正式稿⁸。由于目前在我国尚无明确的罕见病定义,为避免与《罕见病目录》中“罕见病”的概念发生混淆,该指导原则采用了“罕见疾病”的描述。



该指导原则明确指出对于罕见疾病药物的临床研究，除了应遵循一般药物的研发生规律以外，更应密切结合其疾病特点，在确保严谨科学的基础上，采用更为灵活的设计，充分利用有限的患者数据，获得满足获益与风险的评估的科学证据，支持监管决策。该指

导原则对罕见疾病药物临床开发计划提出了监管建议。该指导原则推荐的罕见疾病药物临床开发计划示例如图1。该试行稿的正式颁布将会进一步推动国产罕见病药物的开发，帮助罕见病患者有更多药物可及。

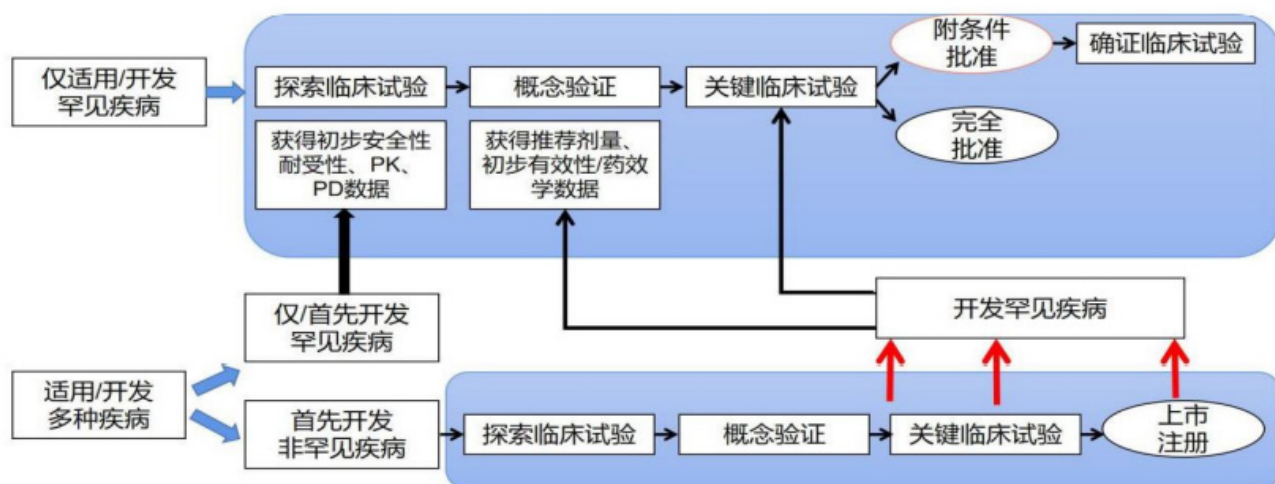


图 1 罕见疾病药物临床开发计划示例

二、中国针对罕见病药物的多层次医保体系简介

罕见病药物相对于普通药，价格一般更加高昂，患者个人支付经济负担较大，一旦不幸罹患罕见病就会处于无助的境地，目前罕见病患者主要依靠基本医疗保险、大病医疗保险、补充医疗保险、医疗救助和慈善捐赠等途径减轻用药负担。

(一) 基本医疗保险

基本医疗保险是社会保障体系的重要组成部分，是由政府制定、用人单位和职工共同参加的一种社会保险制度。中国国家医疗保障局于2018年成立，连续3年调整医保药品目录，形成动态调整机制，很多常见病、重大疾病、罕见病用药等纳入医保，惠及广大百姓⁹。医保药品目录覆盖全国，影响力最大，并且最近几年对罕见病药物越来越开放和包容。

- ▶ 2019年，九种罕见病药物进入医保药品目录，涉及的罕见病病种有肺动脉高压，多发性硬化症和Niemann-Pick病¹⁰。
- ▶ 2020年，医保药品目录中又新增了六种罕见疾病药物，用于肺动脉高压，特发性肺间质纤维化，肌萎缩侧索硬化症，系统性硬化病相关间质性肺疾病，多发性硬化症和亨廷顿舞蹈症，其中梯瓦制药的Austedo和诺华制药Mayzent在中国获得批准七个月后就进入了名单¹¹。
- ▶ 2021年，七种罕见病药物通过谈判进入医保药品目录¹²，除了之前覆盖的适应症，如肺动脉高压、多发性硬化症等罕见病外，2021年新增加了脊髓性肌萎缩症(SMA)的高值特效药——渤健的诺西那生钠注射液，及法布雷病的适应症药品——武田的阿加糖酶α(瑞普佳)。罕见病孤儿药通过国家医保谈判进入医保，使脊髓性肌萎缩症和法布雷的患者实现用药可及。

据病痛挑战基金会统计，2019-2021年有32个罕见病药物已在中国获批上市，为增加在中国已上市罕见病药物的患者可及性，在国家医保局以及各方努力下，已有12个罕见病药物进入医保，这12个药从上市到进入医保的平均时间约为14个月。近几年国家基本医保药品目录对于罕见病药物的重视程度有所增加，且基本医保已经纳入大多数在中国上市的罕见病药品。考虑到国家基本医保基金的承受能力、社会公平性的要求、企业的中国市场定价策略等因素，短期内将所有罕见病高值药纳入基本医保仍面临诸多困难。部分罕见病药物没能得到基本医保的保障，则需要运用其他途径，通过“多方共付”模式保障患者用药可及。

(二) 补充医疗保险

针对年治疗费用较高的罕见病药品，例如溶酶体贮积症一类疾病，治疗戈谢病的伊米苷酶，庞贝病的阿糖苷酶α，黏多糖贮积症(I型、II型、IVA型)的拉罗尼酶、艾度硫酸酯酶β、依洛硫酸酯酶α等还未纳入国家《基本医保药品目录》。有部分省市探索通过专项基金、大病保险、医疗救助等相关政策将部分罕见病高值药纳入地方保障。

佛山市

佛山市对原有的医疗保障体系进行结构创新，亮点在于把罕见病专门纳入医疗救助制度。具体来说，2020年佛山市把罕见病列为专项救助写进“医疗救助办法”，明确了罕见病药物救助范围¹³，印发了国内首个罕见病医保目录，收录了目前在国内批准上市的124种罕见病药物，可治疗61种罕见病¹⁴。

成都市

成都市通过大病医疗互助补充保险资金，化解罕见病对参保人员家庭形成的灾难性支出风险。成都建立了“费用可控、责任共担”的罕见病用药保障机制，将四氢生物蝶呤缺乏症、脊髓性肌萎缩症、粘多糖蓄积症、戈谢病、特发性心肌病 (ATTR-CM)、肺动脉高压、庞贝病等七个罕见病治疗药物纳入大病保险保障范围。罕见病患者年度药品费用由大病保险和药品生产企业 (或供应商) 共同分担，在医保支付40万元/年、个人负担6万元/年的限额条件下，鼓励药品企业协同其他社会组织提出创新支付方案，以达到药品年度总费用限额，保证患者可获得持续规范用药¹⁵。

浙江省

浙江省也是对原有的医疗保障体系进行结构创新，亮点在于创建了罕见病用药保障制度，是国内首个在省级层面实践罕见病医保统筹的地区。2019年浙江省医疗保障局等四部门联合发布《关于建立浙江省罕见病

用药保障机制的通知》，从大病医疗保险基金中划出每人 (参保人) 每年2元，成立浙江省罕见病用药保障基金。参保人在一个结算年度内发生的药品费用，实行分段累计报销，最低报销比例80%，最高报销比例100%¹⁶，目前暂时把戈谢病、苯丙酮尿症、庞贝病和法布雷病四种罕见病纳入支付范围¹⁷。此外，浙江在罕见病筛查方面也有突出表现，在26项新生儿疾病筛查名单中，包括苯酮尿症、枫糖尿症、瓜氨酸血症、甲基丙二酸血症、丙酸血症、异戊酸血症6种罕见病¹⁸。

(三) 普惠型补充商业健康保险

商业健康保险在中国已经发展几十年之久，种类繁多，除了传统的商业健康保险对部分罕见病有保障外，近几年，普惠性商业补充健康保险 (普惠险) 正在各个城市普及，如雨后春笋一般，势头强劲。

与普通商业健康险不同，在政府部门支持下，普惠险保费低廉，不限带病体投保，成为政府主导的“多层次医疗保障体系”建设的重要部分。部分城市的普惠险把一些罕见病的高值药纳入特药清单，给予10-30万不等，甚至更高的报销额度 (如佛山平安佛、广州穗岁康、上海沪惠保、杭州西湖益联保、济南齐鲁保等)。罕见病患者可以通过参保普惠险获得报销，从而减轻了患者的用药负担¹⁹。

下表是部分城市普惠险特药清单中包含的罕见病药品名录。

表3 部分城市普惠险特药清单中包含的罕见病药品名录

城市	保险名称	罕见病特药	无既往症报销比例	既往症报销比例	报销额度
广州	穗岁康	协议期内谈判药品、符合指定适应症范围的创新药品	60%		30万
杭州	西湖益联保	脊髓性肌萎缩症(SMA):诺西那生钠注射液 黏多糖贮积症IVA型:依洛硫酸酯酶α 法布雷病:阿加糖酶α	60%		10万
济南	齐鲁保	脊髓性肌萎缩:诺西那生钠,利司扑兰 黏多糖贮积症:艾度硫酸酯酶β(II型),依洛硫酸酯酶α(IVA型),拉罗尼酶(I型) 低磷性佝偻病(X-连锁低磷血症(XLH)):布罗索尤单抗 转甲状腺素蛋白淀粉样变性心脏病(ATTR-CM):氯苯唑酸软胶囊	70%		30万
成都	惠蓉保	特发性肺动脉高压:吸入用伊洛前列素溶液 肢端肥大症(非121):注射用醋酸兰瑞肽	75%		100万
深圳	重特大疾病补充保险	SMA:诺西那生纳 庞贝氏病:注射用阿糖苷酶α 法布雷病:注射用阿加糖酶β 黏多糖贮积症:注射用拉罗尼酶浓溶液	70%		15万
福建	福建八闽保(除厦门)	特发性肺动脉高压:吸入用伊洛前列素溶液; 血友病:艾美赛珠单抗注射液; 肢端肥大症:注射用醋酸兰瑞肽; 纯合子型家族性高胆固醇血症:依洛尤单抗注射液	80%	首年保单生效前确诊的相关罕见病特药不予赔付	100万

德阳	德阳德e保	<p>A型血友病:艾美赛珠单抗注射液</p> <p>苯丙酮尿症:特殊医学用途婴儿配方粉苯丙酮尿症配方、特殊医学用途氨基酸代谢障碍配方食品、特殊医学用途非全营养配方粉苯丙酮尿症配方</p> <p>克罗恩病:乌司奴单抗注射液</p> <p>脊髓性肌萎缩症:诺西那生钠注射液</p> <p>特发性肺动脉高压:曲前列尼尔注射液</p> <p>多发性硬化:氨吡啶缓释片、富马酸二甲酯肠溶胶囊</p> <p>黏多糖贮积症IVA型:依洛硫酸酯酶α注射液</p> <p>法布雷病:注射用阿加糖酶β</p> <p>庞贝病:注射用阿糖苷酶α</p> <p>戈谢病:注射用伊米苷酶</p>	<p>59元A款:60%</p> <p>99元B款:100%</p>	120万
镇江	镇江惠民保	<p>脊髓性肌萎缩症:诺西那生钠注射液</p> <p>戈谢病:注射用伊米苷酶</p> <p>庞贝病:注射用阿糖苷酶α</p> <p>法布雷病:注射用阿加糖酶β、α</p> <p>黏多糖贮积症IVA型:伊洛硫酸酯酶α注射液</p>	<p>基础款:15%</p> <p>升级款:60%</p>	<p>基础款:50万</p> <p>升级款:100万</p>
东营	惠东保	<p>脊髓性肌萎缩:诺西那生钠,利司扑兰</p> <p>黏多糖贮积症:艾度硫酸酯酶β (II型), 依洛硫酸酯酶α (IVA型), 拉罗尼酶 (I型)</p> <p>低磷性佝偻病 (X-连锁低磷血症 (XLH)):布罗索尤单抗</p> <p>遗传性血管性水肿:拉那利尤抗注射液</p> <p>成人野生型或遗传转甲状腺素蛋白淀粉样变性心肌病(ATTR-CM):氯苯唑酸软胶囊</p> <p>纯合子型家族性高胆固醇血症:依洛尤单抗注射液</p>	70%	30万

河源	河源市民保	脊髓性肌萎缩(SMA):诺西那声钠注射液 转甲状腺素蛋白淀粉样变性心肌病(ATTR-CM):氯苯唑酸软胶囊 X连锁低磷血症(XLH):布罗索尤单抗注射液	80%	参保前确诊转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病(ATTR-PN)的,相关特药仅报销30%	150万
肇庆	肇福保	庞贝病:注射用阿糖苷酶α ATTR-PN病:氯苯唑酸葡胺软胶囊 ATTR-CM病:氯苯唑酸软胶囊 戈谢病:注射用伊米苷酶 黏多糖贮积症:注射用拉罗尼酶浓溶液 法布雷病:注射用阿加糖酶β	80%	保单生效前确诊的相关罕见病特药不予赔付	100万
烟台	烟台市民健康保	脊髓性肌萎缩:诺西那生钠,利司扑兰 黏多糖贮积症:艾度硫酸酯酶β(II型),依洛硫酸酯酶α(IVA型),拉罗尼酶(I型) 低磷性佝偻病(X-连锁低磷血症(XLH)):布罗索尤单抗 遗传性血管性水肿:拉那利尤抗注射液 成人野生型或遗传转甲状腺素蛋白淀粉样变性心肌病(ATTR-CM):氯苯唑酸软胶囊 纯合子型家族性高胆固醇血症:依洛尤单抗注射液	70%		30万
无锡	医惠锡城	努南综合征1-6型:重组人生长激素注射液 黏多糖贮积症I型:注射用拉罗尼酶浓溶液 黏多糖贮积症II型:艾度硫酸酯酶β注射液 ATTR-PN病:氯苯唑酸葡胺软胶囊 高苯丙氨酸血症:盐酸沙丙蝶呤片 肺动脉高压:曲前列尼尔注射液 血友病:艾美赛珠单抗 ATTR-CM病:氯苯唑酸软胶囊 脊髓性肌萎缩症:利司扑兰口服溶液用散 纯合子型家族性高胆固醇血症:依洛尤单抗注射液 黏多糖贮积症IVA型:依洛硫酸酯酶α注射液 庞贝病:注射用阿糖苷酶α	50%	参保前确诊努南综合征等12种罕见病的,相关特药报销比例降低至20%	80万

徐州	惠徐保	多发性硬化:特立氟胺、芬戈莫德、西尼莫德 C型尼曼匹克病:麦格司他 血友病(A型):重组人凝血因子VIIa、人凝血因子VIII 血友病(B型):重组人凝血因子VIIa、人凝血酶原复合物、重组人凝血因子IX 肺动脉高压:司来帕格、安立生坦、波生坦、马昔腾坦、利奥西呱 肌萎缩侧索硬化:依达拉奉氯化钠 特发性肺纤维化:吡菲尼酮、尼达尼布 舞蹈病或成人迟发性运动障碍:氘丁苯那嗪 脊髓性肌萎缩症:利司扑兰口服溶液用散 肢端肥大症:奥曲肽、兰瑞肽	45%	20万
----	-----	--	-----	-----

信息来源:北京病痛挑战公益基金会整理提供

(四) 民间慈善捐助

除了政府、市场作为罕见病高值药的付费方,一些民间慈善组织也在为罕见病患者提供医疗援助。

- 北京病痛挑战公益基金会开展的“罕见病医疗援助工程”,通过对困难患者家庭提供上限1万元(全国项目)或5万元(浙江、山西、山东地方专项)不等的援助金。尤其是地方专项的设立,有效的与现有地方保障政策进行衔接,通过援助补足罕见病患者政策保障外的自付部分,解决患者用药的最后一公里难题,使保障政策真正落地,惠及患者²⁰。
- 中国基层医疗基金会率先推出了许多罕见病倡议和患者援助计划,包括针对多发性硬化症的举措和患者援助计划,为大多数患者降低了40%的药物成本,并为合格的低收入患者提供免费药物²¹。

精鼎在罕见病药物开发咨询方面的优势

精鼎在罕见病领域的经验

过去五年中,精鼎医药参与了大约400项罕见病的临床研究,其中17项已获得FDA批准。在精鼎医药,行业内的资深专家对罕见病有深入研究。我们将科学严谨性和患者社区参与相结合,以确保识别出每位患者,为他们找到最佳治疗方案,从而有效控制脱落率。同时,鉴于大多数罕见病是遗传性的,相关研究由精鼎精准医学的团队主导研究,并将专业知识融入,转化为研究交付。

精鼎医药的跨职能协作工作团队,由精益、灵活的交付团队与创新团队(医疗、科学、监管)共同合作,并将数据驱动的意见和创新贯穿研究设计到实施,且始终强调保护临床研究终点;在患者体验方面,我们通过定制使用患者创新工具和策略来提升患者和护理人员的临床研发体验。

旗下医疗咨询公司Health Advances对专注于罕见病的公司面临不同开发和商业化的挑战建立了深刻的见解。我们在1990年代后期,已开始参与罕见病的项目,当时罕见病市场仍处于起步阶段。为了帮助客户制定成功对罕见病的战略,我们利用其丰富的项目经验以及与行业和患者倡导组织的重要关系,能够接触到全球市场的主要意见领袖以及医疗付款方,对治疗和诊断范式、未满足的需求以及定价和报销考虑提供深入的见解。

精鼎以患者为中心的战略布局

聚焦到中国市场,精鼎医药从2018年开始围绕以患者为中心进行战略布局,2020年,精鼎医药在中国成立了患者咨询委员会,收集来自不同患者群体、患者家属与患者倡导组织的意见,助力未来临床试验设计。2021年7月,精鼎医药与北京病痛挑战公益基金会达成了一项战略合作协议。双方将共同规划和实施罕见病患者群体支持和教育计划、增加患者参加临床研究的机会,并在临床试验过程中获取他们更多的意见反馈。

1. 邵文斌,李杨阳,王菲,朱逸婧,肖磊,黄如方. (2019) 中国罕见病药品可及性现状及解决建议. 中国食品药品监管.
2. http://www.360doc.com/content/21/0227/08/72280700_964192693.shtml
3. <https://site.douban.com/277144/widget/notes/191786382/note/580579131/>
4. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/876bb5300cce2d3a5cf4f68c97c8a631>
5. “药融云”数据库
6. <http://www.cnpharm.com/c/2021-03-25/782757.shtml>
7. <https://baijiahao.baidu.com/s?id=1709255659629686524&wfr=spider&for=pc>
8. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/c4e1ef312a0a0c039a7a4ca55b91d4e8>
9. <http://health.people.com.cn/n1/2021/0930/c14739-32243187.html>
10. http://www.nhsa.gov.cn/art/2019/8/20/art_37_1666.html
11. http://www.nhsa.gov.cn/art/2020/12/28/art_37_4220.html
12. http://www.nhsa.gov.cn/art/2021/12/3/art_37_7429.html
13. http://www.foshan.gov.cn/zwgk/zcwj/gfxwj/szfbgsgfxwj/content/post_4201833.html
14. http://www.foshan.gov.cn/fsybj/gkmlpt/content/4/4363/post_4363536.html#1555
15. http://cdyb.chengdu.gov.cn/yjbzj/c128998/2021-03/18/content_ebb0abea709e46999e3bddd5b24834d1.shtml
16. http://ybj.zj.gov.cn/art/2019/12/31/art_1229113757_601196.html
17. http://ybj.zj.gov.cn/art/2020/6/24/art_1229225636_1914586.html
18. 王子琪,闵连星,田兴军,萝莉,刘玉莲. (2021). 我国罕见病医保政策的现状及优化路径. 卫生经济研究.
19. 郭晋川, 丁郑宁. (2021). 普惠型商业补充医疗保险罕见病保障观察报告. 北京病痛挑战公益基金会
20. <http://www.chinaicf.org/category/news/id/107>
21. <https://www.simon-kucher.com/en/blog/embracing-change-accessing-rare-disease-patients-china>



>>> 专家简介



李娅杰

精鼎医药亚太区研发战略咨询技术副总裁

李娅杰在精鼎公司负责为客户提供亚太地区、尤其是中国的注册法规咨询服务,内容包括法规、临床开发策略等。在加入 Parexel 之前,李娅杰在制药行业已有10多年的工作经验,还曾在前 CFDA (现NMPA) CDE担任过9年的临床审评员。李娅杰在加入药审中心前曾担任临床医生,有着6年的临床治疗实践经验。李娅杰在北京医科大学获得了临床医学学位,之后在中国医学科学院北京协和医院获得了风湿免疫硕士学位。

联系我



郑子川

Health Advances 副总裁

郑子川 (Gary Cheng) 是 Health Advances 香港办事处的负责人,主要负责与制药公司、生物技术公司、医疗技术公司和私募股权投资公司合作,推进公司在亚太地区的业务发展。Gary在亚太地区医疗保健业的综合管理 (Aventis、Chiron 和 Biosite) 和并购 (Alerre 和 Becton Dickinson) 方面拥有 30 多年的经验。他在肿瘤和心血管病药物方面,以及诊断领域的床旁检测方面拥有丰富的专业知识。Gary 拥有布朗大学的心理学和生物学学士学位,以及哈佛大学的卫生政策与管理硕士学位。

联系我



胡皓楠

Health Advances 高级分析师

胡皓楠专注于亚太地区与国际市场的制药和医疗器械公司项目的商业尽职调查。他曾在新加坡担任Ginward (风险投资) 分析师；在香港安斯泰来制药公司担任药品销售。他拥有新加坡国立大学-慕尼黑工业大学, 工业化学硕士学位, 以及香港大学化学学士学位及一等荣誉。他是CFA®持证人。

[联系我](#)



郭晋川

北京病痛挑战公益基金会信息研究总监

郭晋川是美国雪城大学麦克斯韦尔公民与公共事务学院MPA。2020年加入病痛挑战基金会, 负责政策和信息研究工作。他有15年的公共卫生领域深耕经验, 曾主持和参与联合国发展计划署 (UNDP)、国际劳工组织 (ILO)、欧洲联盟 (EU) 等国际组织支持和开展的针对艾滋病感染者、乙肝携带者、残障人相关的研究和社区发展项目。2016年应邀赴密西根大学法学院和李侃如-罗睿驰中国研究中心访学。加入病痛挑战基金会后, 主持、参与执笔了《2020罕见病医疗援助工程多方共付实践报告》、《普惠型商业健康险参与罕见病多层次保障研究报告》等有行业影响力的研究报告。

[联系我](#)

With Heart™

»» 欢迎您随时前来洽谈



Parexel International Corporation
275 Grove Street, Suite, 101C, Newton, MA 02466, USA
+1 617 454 9300

Offices across Europe, Asia, and the Americas

www.parexel.com

www.parexel.com.cn

© 2022 Parexel International Corporation.

parexel®