



用心呵护2000多万名罕见病患者

——我国加快探索罕见病诊疗与保障的“中国模式”

这是让罕见病患者振奋的好消息——截至目前,我国已有 45 种罕见病用药被纳入国家医保药品目录,覆盖 26 种罕见病。

我国人口基数大,各类罕见病患者占比虽小但绝对数已达 2000 多万。近年来,罕见病患者越来越受到社会各界关注。

健康中国建设道路上,一个都不能少。制定罕见病目录,组建全国罕见病诊疗协作网,成立中国罕见病联盟,60 余种罕见病用药获批上市,罕见病用药不断被纳入国家医保药品目录……我国加快探索罕见病诊疗与保障的“中国模式”。正在北京举行的 2022 年中国罕见病大会上,国家有关部门负责人、医学专家等就这一话题进行了深入探讨。

多措并举 推进罕见病防治能力提升

在 2021 年国家医保药品目录调整中,曾经每针 70 万元的“天价”救命药——诺西那生钠注射液经医保谈判后,以 3 万余元被纳入医保,脊髓性肌萎缩症患者小厚成为了不幸中的“幸运儿”。

“加快推进罕见病防治能力建设,让患者得到及时、有效诊治,仍是推进健康中国建设的一个挑战。”中国罕见病联盟执行理事长李林康介绍,以黏多糖贮积症和戈谢病为例,每年治疗费用动辄上百万元,这是很多家庭难以承受的现实问题。

近年来,有关部门大力支持罕见病防治与保障工作,加强罕见病研究、诊疗和药品研发供应,完善罕见病医疗保障体系。

国家药监局副局长黄果表示,国家药监局持续深化药品审评审批制度改革,支持罕见病用药研发创新,已累计批准 60 余种罕见病用药上市,数量和速度都在快速增加。

国家自然科学基金委为罕见病设立专项,科技部批准建设疑难重症及罕见病国家重点实验室,罕见病研究杂志创刊,中国红十字基金会罕见病共助基金发布……我国全力推进罕见病研究和防治能力提升,为罕见病患者及其家庭点亮新的希望。

国家卫生健康委副主任于学军表示,国家卫生健康委加强医疗、医保、医药“三医”联动,不断建立和完善相关政策措施,提高罕见病诊治能力,做好药品供应保障等工作。

多学科会诊 提升罕见病精准诊疗能力

每周四中午,北京协和医院国家级罕见病会诊中心,来自不同学科的顶尖专家汇聚在这里。在线上参会和会诊的,还有来自全国 323 家罕见病诊疗协作网医院的医生们。他们共同为一个罕见病患者和家庭提供诊治方案。

作为全国罕见病诊疗协作网国家级牵头医院,北京协和医院建立了中国罕见病诊疗服务信息系统,牵头编写了罕见病诊疗指南,建立了罕见病多学科“一站式”诊疗模式。

北京协和医院院长、中国罕见病联盟副理事长张抒扬说,罕见病是一个世界性

的医学难题,我们要攀登医学高峰,通过多学科会诊提升诊疗能力,挽救患者生命。还要培养更多有情怀有担当的好医生,能诊能治罕见病。

罕见病是诊疗挑战较大的疾病领域,也是全球共同的重大公共卫生问题。中国工程院院士、北京大学常务副校长乔杰介绍,全世界发现的罕见病超过 7000 种,约 80% 为遗传性疾病,约 50% 起病于儿童期,遗传病诊治和罕见病诊治是紧密结合在一起的。

近年来国家不断加大医疗卫生事业投入,完善出生缺陷防治体系,全国婚前保健机构、孕前优生健康检查机构已有 4000 多家,产前筛查机构已达 4800 多家,产前诊断机构已达 498 家。

呵护生命 不断加强罕见病用药保障

市场需求小、研发难度大、成本高、周期长,罕见病用药往往被称为“孤儿药”,加强罕见病药物研发是罕见病患者治疗的重要一环。

中国工程院院士、国医大师王琦介绍,当前治疗罕见病的方法和药物等都处在一个较为困难的状态,99% 的罕见病无有效治疗药物,我国罕见病药物研发仍处在初期阶段。

“对于罕见病患者而言,有药可用永远都是第一位的。”中国国际经济交流中心常务副理事长毕井泉建议,设立罕见病治疗药物研发基金,对于罕见病研发项目给予补助;同时,鼓励社会资本设立罕见病基金,资助罕见病治疗药物开发。

建立罕见病用药供应监测机制、提高罕见病用药研发和产业化水平、支持中医药参与罕见病防治、推动建立中央和地方两级常态短缺药品储备……我国采取一系列举措,努力提高罕见病用药保障水平。

让更多罕见病患者吃得起药、看得起病是全社会共同努力的目标。

“2018 年以来,通过谈判新增了 19 种罕见病用药进入医保药品目录,平均降价 52.6%。”国家医保局医药服务管理司司长黄华波说,下一步,将持续推进医保药品目录调整,完善谈判药品配备机制,提升罕见病患者用药可及性,努力为罕见病患者提供更好保障。

据新华社电

2022 年国家医保药品目录调整
对罕见病用药开通单独申报渠道
支持其优先进入医保药品目录

截至目前

已有 45 种罕见病用药
被纳入国家医保药品目录
覆盖 26 种罕见病

2018 年以来

通过谈判新增了 19 种罕见病用药
进入医保药品目录

平均降价

52.6%

侵犯个人信息权益 135款App被查处

据新华社电 记者 3 日从国家网信办获悉,近期,针对群众反映强烈的 App 以强制、诱导、欺诈等恶意方式违法违规处理个人信息行为,国家网信办依据个人信息保护法等法律法规规定,依法查处“超凡清理管家”等 135 款违法违规 App。

经查,“超凡清理管家”等 55 款 App 存在强制索要非必要权限、未经单独同意向第三方共享精确位置信息、无隐私政策、超范围收集上传通讯录等问题,违反个人信息保护法等法律法规规定,性质恶劣,依法予

以下架处置;“东方头条”等 80 款 App 存在频繁索要非必要权限、首次启动未提示隐私政策、未告知相关个人信息处理规则、默认勾选隐私政策、无法或难以注销账号等问题,违反个人信息保护法等法律法规规定,依法责令限期 1 个月完成整改,逾期未完成整改的,依法予以下架处置。

国家网信办相关负责人表示,将始终坚持依法管网、依法治网,持续强化个人信息保护领域日常监管,不断加大执法工作力度,坚决维护人民群众个人信息合法权益。

“红通人员”屈健玲被缉捕遣返回国

据新华社电 中央纪委国家监委网站 3 日消息,10 月 29 日,在中央反腐败协调小组国际追逃追赃工作办公室统筹协调下,经广东省纪检监察机关、公安机关与有关国家执法机关密切合作,外逃 27 年的“红通人员”屈健玲在境外落网并被遣返回国。

屈健玲,女,1970 年 9 月出生,中国银行广州分行黄埔支行原财务管理人员,涉嫌利用职务便利挪用巨额公款,1995 年 11 月外逃。屈健玲变换身份、窜逃多国,办案机关经过不懈努力发现其藏匿线索,通

过国际刑警组织对其发布红色通缉令,积极开展国际执法合作,最终将其缉拿归案。

中央追逃办负责人表示,党的二十大作出了深化反腐败国际合作、一体构建追逃防逃追赃机制的重大部署,屈健玲被缉捕归案,充分彰显了党中央以零容忍态度反腐惩恶的坚定决心,体现了我们有逃必追、一追到底的鲜明态度。追逃追赃永远在路上。我们将以顽强意志品质坚决打赢追逃追赃攻坚战持久战,尚有一人在逃、追逃绝不停止。