

“一支药70万元”“国外便宜国内贵”？

——聚焦“天价”罕见病药



诺西那生钠注射液 (资料图片)



(资料图片)

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?

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。“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。

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69.97万元。

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。

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12.5万美

元。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”,为符合项目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140万元价格注射6支原价每支70万元的药物。

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。

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)

特朗普下令:

将禁止美个人或实体与抖音海外版和微信交易

新华社华盛顿8月6日电 美国总统特朗普6日签署行政令,称移动应用程序抖音海外版(TikTok)和微信对美国国家安全构成威胁,将在45天后禁止任何美国个人或实体与抖音海外版(TikTok)、微信及其中国母公司进行任何交易。此举在美国国内和国际上引发批评和质疑。

行政令说,本行政令公布45天后,违反此规定的美国个人或实体将面临制裁。

但对于如何定义所谓的“交易”,美国商务部长应在行政令发布45天后予以明确。

中国外交部发言人汪文斌日前表示,一段时间以来,美方在拿不出任何证据的情况下,泛化国家安全概念,滥用国家力量,无理打压特定的非美国企业,这违背市场经济原则,也违反世贸组织开放、透明、非歧视原则,是赤裸裸的霸凌行径,中方对此坚决反对。

美对从加进口的部分铝产品恢复加征10%关税

加将对美采取反制措施

新华社渥太华8月6日电 加拿大总理特鲁多6日晚表示,由于美国总统特朗普对从加拿大进口的部分铝产品恢复加征10%关税,加拿大将采取反制措施,对美国商品征收关税。

特鲁多在推特上表示,将维护加拿大铝业工人的利益,“我们将永远为我们的铝业工人挺身而出。我们在2018年就这样做了,现在我们将再次为他们挺身而出”。

美国总统特朗普6日签署公告宣布,为有效解决加拿大输美铝产品对美国国家安全

构成的威胁,美国将从8月16日起对从加拿大进口的部分铝产品恢复加征10%的关税。

特朗普2018年宣布对加拿大钢铝产品开征关税,理由是进口钢铝威胁到了美国国家安全,加拿大立即采取了报复措施。随后双方开始谈判,美国、加拿大和墨西哥于2019年5月达成协议,作为更新北美自贸协定谈判的一部分,美方同意取消对加墨两国钢铝产品加征关税,以换取加墨取消对美国的报复措施。

贝鲁特港口部分货运将暂时分流



这是8月6日拍摄的黎巴嫩北部城市的黎波里港口景象。

截至6日,黎巴嫩首都贝鲁特港口区发生的剧烈爆炸已造成至少137人死亡、5000多人受伤,另有数十人失踪。

黎巴嫩自然资源匮乏,高度依赖商品进口。贝鲁特港作为黎巴嫩主要港口,预计短期内港口货运将受到影响。当局表示,已准备将港口部分货运暂时分流到北部港口城市的黎波里。(新华社发)