

# 美国罕见药市场的激励机制及其启示

张奇林\* 宋心璐

武汉大学社会保障研究中心 湖北武汉 430072

**【摘要】**罕见药市场因为激励不足存在严重失灵的问题。美国通过立法,针对罕见药的研发、认定、临床试验直至上市等各个环节,设计和建立了自成体系。联动共进的罕见药激励机制,改变了罕见药的供给和需求状况,使美国成为世界上罕见药上市最多的国家,有效缓解了罕见药市场失灵的问题。美国的经验为我国罕见药市场激励机制的建立和良性发展提供了有益的借鉴。

**【关键词】**美国;罕见疾病;罕见药;激励机制

中图分类号:R197 文献标识码:A doi:10.3969/j.issn.1674-2982.2016.02.008

## Incentive mechanism and implications of orphan drug market in the United States

ZHANG Qi-lin, SONG Xin-lu

The Center for Social Security Studies of Wuhan University, Wuhan Hubei 430072, China

**【Abstract】** Serious market failure, as a result of insufficient incentive, exists in the orphan drugs market. Through legislation, the United States designed and established its own systematic and linked orphan drugs incentive mechanism, which directs research, definition, clinical trials and approval of orphan drugs, so as to change the supply and demand status of orphan drugs. Such incentive mechanism enables the United States to possess the most approved orphan drugs in the world, and effectively relieves the problem of market failure of the orphan drugs. The experience of the United States provides beneficial reference for the establishment and positive development of orphan drugs incentive mechanism in China.

**【Key words】** The United States; Rare disease; Orphan drug; Incentive mechanism

罕见药是指用来治疗罕见疾病(rare disease)的药物。对罕见药激励机制的研究源自对罕见疾病的认识。所谓罕见疾病,泛指危及生命或慢性的、发病率低、非常见性的疾病。1983年的美国《罕见药法案》(the Orphan Drug Act, ODA)将每年患病人数少于20万人(约占总人口的0.75%)或高于20万人但药物研发和生产没有商业回报的疾病界定为罕见疾病。<sup>[1]</sup>这些病症由于患病者少,患者分布各地,在医学界就如散落在角落的“孤儿”一般,故又称“孤儿病”。

罕见疾病虽然罕见,但受此类疾病折磨的患者和承受巨大压力的家庭却不在少数。2008年美国国家卫生研究院(National Institute of Health, NIH)下设

的罕见疾病办公室(Office of Rare Diseases, ORD)共认定6 819种罕见疾病,这些疾病困扰着大约2 000万~2 500万美国人的日常生活,占全美人口的6%~8%,同时每年大约有250种新的罕见疾病或临床新情况被发现。<sup>[2]</sup>相关数据显示,2014年全球罕见疾病数量多达7 000余种,绝大多数是遗传性疾病。<sup>[3]</sup>

由于罕见疾病单病种患病人数少,难以治愈,导致每一种罕见药的市场规模极小,而研发成本却因为疾病的疑难少见而大大增加。在研发风险大、利润难以保障的情况下,很少有制药公司和科研机构愿意投入大量资源用于研发罕见药。罕见药市场面临困境。

\* 基金项目:教育部人文社会科学重点研究基地重大项目(15JJD630009)

作者简介:张奇林,男(1969年—),博士,教授,主要研究领域为社会保障理论与政策、医疗卫生政策等。

E-mail: qilinzhang@whu.edu.cn

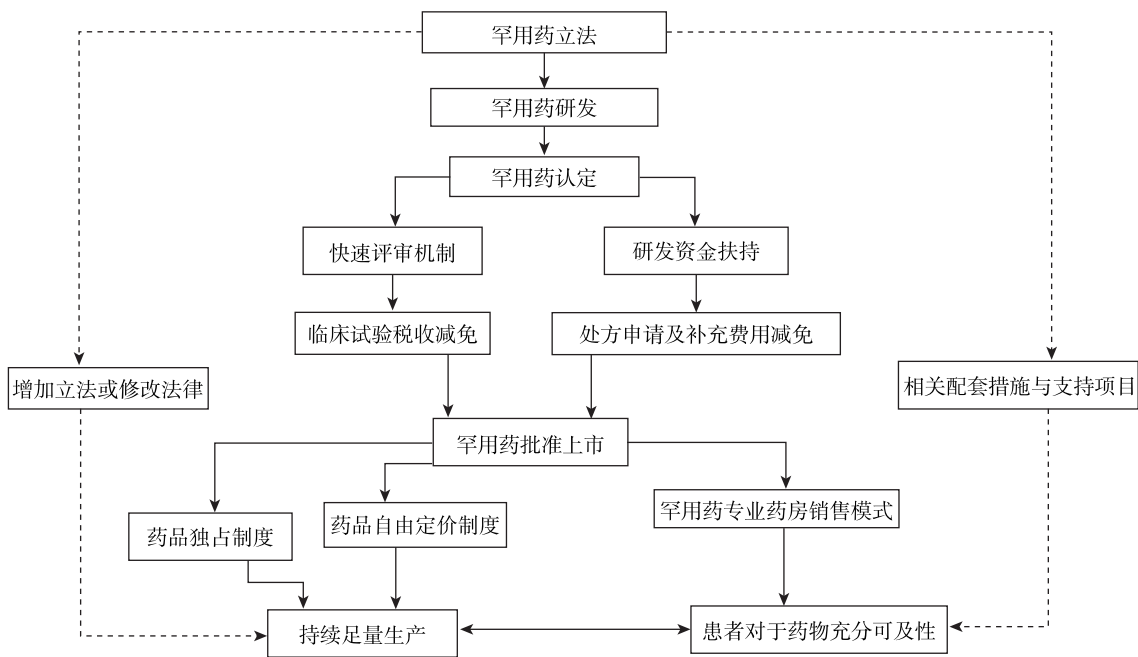
美国是世界上市场经济最发达的国家,同时也是罕用药上市最多的国家,这与美国卓有成效的罕用药市场激励机制有很大关系。在严重失灵的罕用药市场中,“看得见的手”如何诱导“看不见的手”,值得我们研究和借鉴。

### 1 美国罕用药市场的激励机制及其特点

当“看不见的手”无法保证社会目标的实现时,其他机制就会出现用以改进甚至替代市场机制。美

国政府在面对罕用药市场的严重失灵时,采取了以“政府撬动市场”的激励机制。市场激励机制的本质是激励相容,即政策的制定者通过机制设计给每个市场参与者以激励,从而使参与者在最大化个人利益的同时实现预定的公共目标。<sup>[4]</sup>

美国政府在设计罕用药市场激励机制时,综合运用了多种激励工具,以期达到激励相容的结果,其总体建构和运作框架如图 1 所示。



注:立法修改往往不定时出现,而配套措施则有可能关联了更多的社会组织与人群。两者都无法完全放入实践路径中,但又确实起到激励作用,故以虚线表示

资料来源: FDA. Financial Assistance and Incentives for Research and Development of New Drug/Biologic Products [EB/OL]. <http://www.fda.gov/downloads/aboutfda/centersoffices/officeofmedicalproductsandtobacco/cder/ucm118328.pdf>.

FDA. Overview of the Office of Orphan Products Development; Incentives for Rare Diseases[EB/OL]. <http://www.fda.gov/downloads/drugs/developmentapprovalprocess/smallbusinessassistance/ucm276029.pdf>.

图 1 美国罕用药市场激励机制的总体路径

#### 1.1 罕用药立法

罕用药立法是罕用药市场激励机制建立的起点。立法使政府这只“看得见的手”干预罕用药市场合法化、制度化和常态化。20 世纪 70 年代,美国就开始了相关立法的准备工作。1983 年《罕用药法案》的通过标志着美国罕用药市场激励机制的形成。该法案明确界定了罕用药的内涵,同时规定了一系列旨在促进罕用药研发销售的激励措施。<sup>[5]</sup>后来美国对 ODA 进行了多次修订,并通过了《罕用药监管条例》等多个法律文件,进一步完善罕用药的认定标准

和激励机制(表 1)。ODA 出台以来,美国罕用药上市数量从 10 种迅速增至近 500 种<sup>[6]</sup>,立法工作为美国罕用药市场的发展提供了一个良好的制度环境。

在一个供需极度失衡的市场中,调整供需格局的激励机制主要针对市场短缺的一方。美国罕用药市场激励机制的设计遵循了这一原理。美国政府针对罕用药的研发到上市多个阶段实施包括补贴、税惠、授权等在内的多种方式鼓励罕用药的研发和生产,提高罕用药的供给量,以满足罕见病患者的需求。

表1 美国罕用药市场激励机制相关法律文件的制定和修订

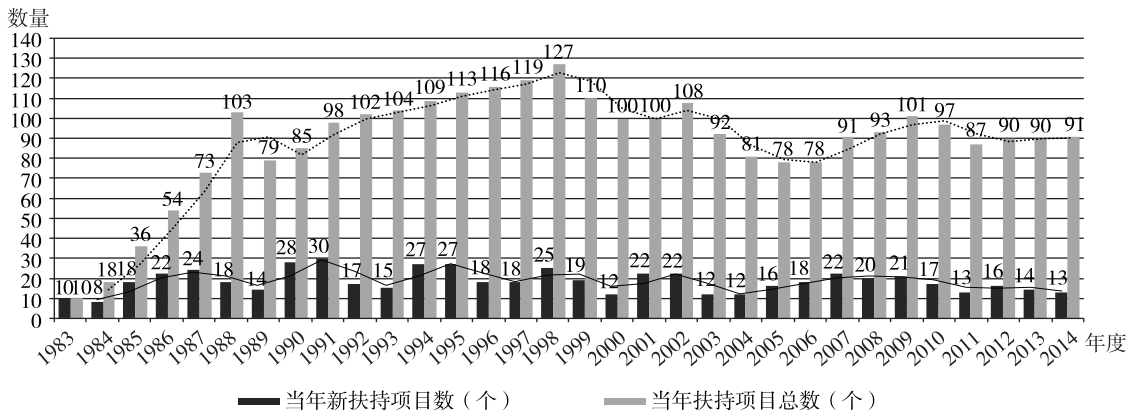
年份	名称	性质	主要内容
1974	—	非正式报告	论证罕用药开发产业激励的必要性
1975	—	内部临时报告	报告罕用药研发状况并提出基于市场形式的激励机制设想
1977—1983	六份正式提交国会的报告	正式报告	罕用药激励机制的具体设计
1983	《罕用药法案》	正式法律	制定总体罕用药研发制度
1984	《罕用药法案》第一次修订	法律修订案	进一步明确罕见病定义
1985	《罕用药法案》第二次修订	法律修订案	修改罕用药认定标准,废除了只有被认定的罕用药(即没有获得专利权)才能申请市场独占权的规定,并允许含有抗生素的药物也可申请罕用药认定的新规定
1988	《罕用药法案》第三次修订	法律修订案	明确了罕用药认定申请处理时限
1992	《罕用药监管法》	正式法律	对《罕用药法案》进行了更细化的规定
2002	《2002 罕见病法》、《罕用药研究资助法案》	正式法律	对于罕见疾病及罕用药资助做出了细化规定
2012	《食品药品监督管理局安全与创新法案》	正式法律	提出以公开会议的形式探讨促进罕见疾病新型治疗形式与药物开发的问题
2013	《罕用药监管法》修订案	法律修订案	明晰部分规则术语,改善罕用药认定与独占权的细节设定

注:1992 年之前资料来源于 Haffner M E. Orphan Products: Origins, Progress, and Prospects[J]. Annual Review of Pharmacology, 1991, 31(31): 603-620. 1992 年及之后资料来源于 FDA [EB/OL]. <http://www.fda.gov/>

### 1.2 罕用药研发的资金扶持

在研发阶段,美国政府通过专项拨款令 FDA 和 NIH 实施各种资金扶持计划,资助生物制药厂商及科研机构研发罕用药。近年来,美国政府每年提供

的专项资金均不少于 2000 万美元。<sup>[7]</sup>图 2 显示的是 ODA 实施以来 FDA 下属的罕用药开发办公室(Office of Orphan Products Development, OOPD)扶持的罕用药研发项目的数量变化情况。



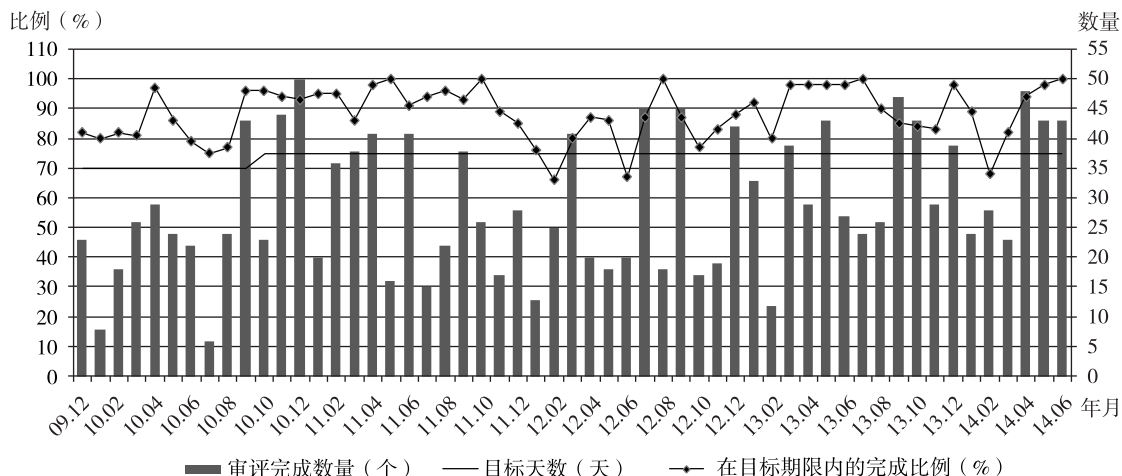
资料来源:Orphan Products Grant Program [EB/OL]. <http://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/opdgrants/>

图2 OOPD 1983—2014 年扶持和累计扶持的罕用药研发项目的数量

### 1.3 罕用药快速审批机制

当一种罕用药完成研发,即进入评审阶段。尽管负责药物审查的美国药物评价和研究中心(The Center for Drug Evaluation and Research, CDER)和美国生物制品评价和研究中心(the Center for Biologics Evaluation and Research, CBER)所建立的优先评审(priority review)、加速审批(accelerated approval)和快速通道(fast track programs)三种快速审批机制并

不是完全专门为罕用药而设置,但是使用这三种机制的申请者绝大多数都是罕用药项目,这无疑为其尽快上市销售提供了便捷渠道。图 3 显示了 2009 年 12 月—2014 年 6 月间 CDER 和 CBER 在 70 或 75 天目标评审时长下,每个月的评审完成比例。虽然每月因罕用药申请数量不同而完成评审的数量不一,但是,平均完成比例高达 88.34%,充分表明 FDA 为罕用药评审提供了一条畅通的“快速通道”。



资料来源: Percentage of orphan drug designation reviews completed in 90 days or less [EB/OL]. <http://www.accessdata.fda.gov/FDA/track/track?program=osmp&id=OSMP-OOPD-Percentage-orphan-drug-designation-reviewed-completed-in-90-days-or-less&fy=all>.

图 3 2009—2014 年美国罕用药评审于目标时长内的完成数量及完成比例

### 1.4 罕用药临床试验的税收减免

此后,罕用药进入临床试验阶段。在这一阶段,研发者可申请临床试验 50% 的税收减免,并且有效期能够向前延伸 3 年,向后延伸 15 年,剩下的 50% 税收同样可以有一定程度的减免,最高免税比例可达 70% 左右。

另外,根据美国《处方药使用者费用法案》(Prescription Drug User Fee Act, PDUFA),被认定的罕用

药物的处方申请费用将自动予以减免;获批上市的罕用药,其生产及确认费用也将予以一定程度的减免。从美国政府公布的财务报告来看,这三项费用的减免力度逐年增加。2004—2013 年,处方申请费用累计减免约 3.5 亿美元。药物生产及确认费用的减免自 2008 财政年度开始实行,至 2013 年已分别减免 1 400 多万和 3 300 多万美元(表 2)。

表 2 2004—2013 年罕用药的费用减免情况

年份	处方申请费用的减免比例 (%)	处方申请费用减免的市场价值 (美元)	生产费用减免的药物数量 (种)	生产费用减免的市场价值 (美元)	药物确认费用的减免比例 (%)	药物确认费用减免的市场价值 (美元)
2004	19.5	11 183 250	—	—	—	—
2005	28.5	19 152 000	—	—	—	—
2006	23.75	18 225 750	—	—	—	—
2007	21.25	19 044 250	—	—	—	—
2008	27.75	32 689 500	14	910 420	5.238	2 056 963
2009	23.75	29 621 000	16	1 144 320	7.448	3 169 869
2010	21.75	30 569 625	28	2 232 160	11.488	5 252 314
2011	33.00	50 886 000	33	2 855 160	16.042	7 976 082
2012	36.55	67 306 825	30	2 969 100	12.135	6 311 414
2013	34.63	67 823 450	41	4 033 580	16.218	8 538 953
总计	—	346 501 650	162	14 144 740	—	33 305 595

资料来源: FY 2013 PDUFA Financial Report [EB/OL]. <http://www.fda.gov/downloads/AboutFDA/ReportsManualsForms/Reports/Budget-Reports/UCM388309.pdf>

### 1.5 专业药房对罕用药可及性的激励

完成评审认定且通过临床安全性试验以后,罕用药就可正式上市。这一阶段的激励措施除继续刺激生产者持续供应罕用药以外,还通过专业药房 (Specialty Pharmacy) 形式提高患者对药品的可及性。为进一步刺激供应,ODA 出台时就明确为已上

市的罕用药提供 7 年市场独占权和永久价格自由量定权。尽管 7 年市场独占权并不是当今实施了罕用药市场激励的国家中最长的(欧盟、日本及中国台湾地区皆为 10 年),而且有一定的限制条件<sup>[8]</sup>,但美国健康和人类服务部的报告指出,市场独占权仍然是 ODA 中激励作用最大的一项措施。

在药品可及性方面,美国采取专业药房的销售模式,方便患者及时购买所需的罕用药物。专业药房定位于销售各类专业药品,虽然美国尚未对专业药品有相关定义,但罕用药因其药物的针对性、特殊性往往成为专业药房的主要销售产品。<sup>[9]</sup>专业药房起源于20世纪70年代的美国药物冷链配送途径,随后在Walgreens、CVS等大型连锁药店建立,目前美国已发展出CVSCaremarkcv、Medco、Express Scripts等多个专业药房公司。从专业药房销售模式衍生出的还有专业药房计划(Specialty Pharmacy Programs),它们是保险公司为解决药品和生物制剂的费用高、管理难和补偿问题而推出的保险计划。美国专业药房的针对性销售取得了巨大成就,根据IMS Health统计,2008年9月—2009年9月,全球最畅销的15种专业药房药品年销售额均达20亿美元以上。<sup>[10]</sup>这些专业药房一方面由于专业性而具有规模效益,另一方面简化了包括罕用药在内的专业药物的销售程序,满足对专业药物有刚性需求的患者。

### 1.6 美国罕用药市场激励机制特点

通过以上介绍,可以美国罕用药市场的激励机制有以下几个特点:

一是对于罕见疾病和罕用药界定清晰,激励目标和激励对象十分明确,从而易于“对症下药”。美国是世界上第一个对于罕见疾病进行精确定义的国家,按ODA关于罕见疾病的认定标准,美国认定的罕见疾病有近7000种,为全球最多。也只有用于治疗这些被认定疾病的药物方能被认定为罕用药,然后才能享有一系列优惠政策。当然,随着美国人口数量的增加,罕见疾病也面临着是否需要重新定义的争论。

二是激励措施涉及罕用药的研发、认定、临床试验直至上市等各个环节,自成体系,联动共进,是目前全球同类机制中涉及领域最为全面,布局最为精细,联动效应最为突出的机制设计。

三是通过一系列的立法工作,不断规范和完善罕用药市场激励机制,使其具有权威性、公平性、时效性和可操作性,为激励机制的实施提供了法律保障。

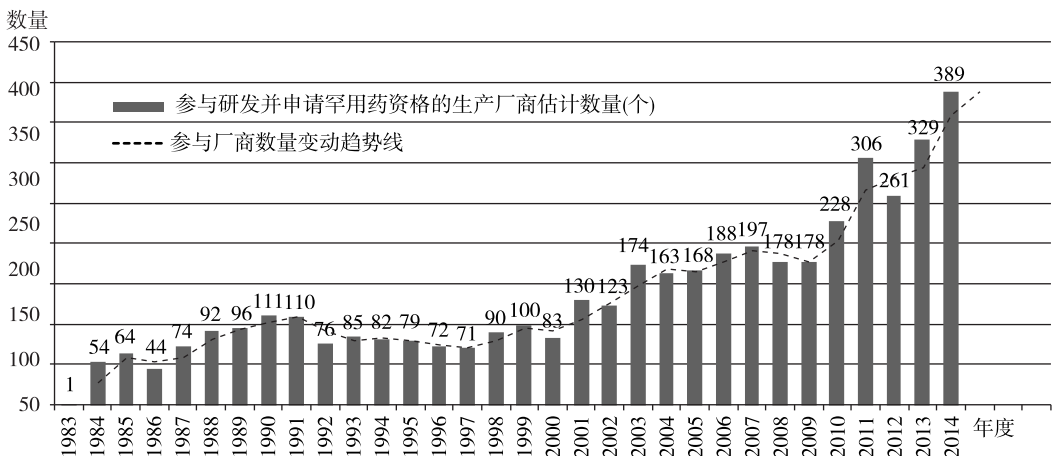
四是设立专门的管理机构负责激励机制的实施,分工协作。如上文提到的ORD负责一些项目资金的资助工作,同时负责确认罕见疾病;OOPD则是对符合规定的罕用药研发和上市项目进行资助,同时承担罕用药优惠政策各类咨询及政策效果的评估工作。FDA下设的CDER和CBER则负责药物审查工作。整个激励机制的政府实施部门分工明确,运转高效。

## 2 美国罕用药市场激励机制的运行效果

罕用药市场是一个严重失灵的市场,由于激励缺失,完全靠市场“看不见的手”来配置资源,只会导致厂商退出,供给不足。激励机制的设计和实施,有助于打破这一困境。我们从供需两个方面来评估美国罕用药市场激励机制的运行效果。

### 2.1 参与罕用药研发和资格认定申请的制药公司数量大幅增加

根据FDA的相关统计S数据,本文估算了《罕用药法案》颁布实施以来,美国每年参与罕用药研发及资格认定活动的企业数量(图4)。从1983年仅有1家厂商参与资格申请活动,到2014年的389家,30多年间,罕用药的资格申请企业数量不断增加,罕用药资格认定申请的成功率大约为72%。



资料来源:FDA[EB/OL]. <http://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oopd/index.cfm>

U. S. Department of Health and Human Service Fiscal Year2015[EB/OL]. <http://www.fda.gov/downloads/AboutFDA/Reports-ManualsForms/Reports/BudgetReports/UCM388309.pdf>

图4 1983—2014年间每年参与罕用药研发及资格认定活动的企业数量

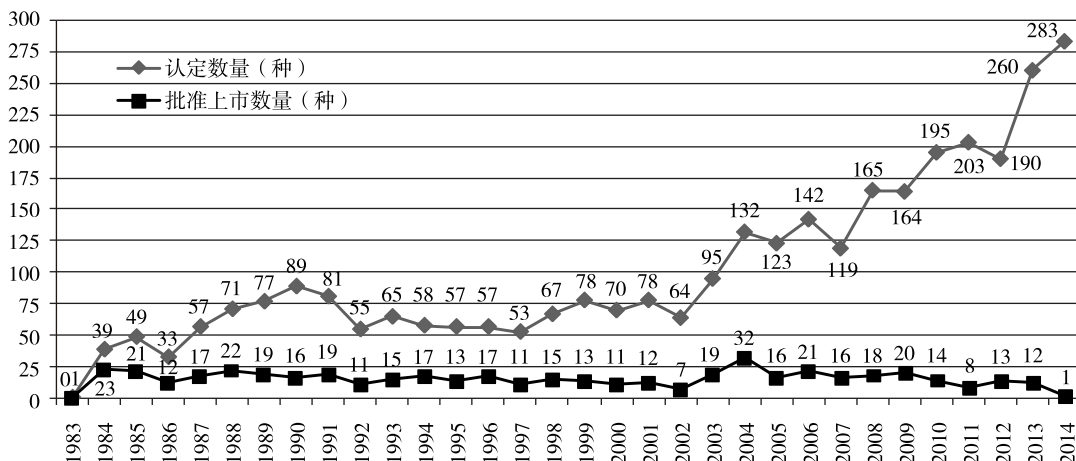


## 2.2 生物制药产业的私人研发支出不断增长

包括《罕用药法案》在内的一系列罕用药市场激励机制是美国整个生物制药产业发展的巨大动力之一<sup>[11]</sup>,甚至在某种意义上而言,美国生物技术产业是 1983 年《罕用药法案》出台后的产物<sup>[12]</sup>。1994—2013 年,美国生物制药产业的私人研发支出由 70 亿美元上升至 233 亿美元,增长了两倍多。

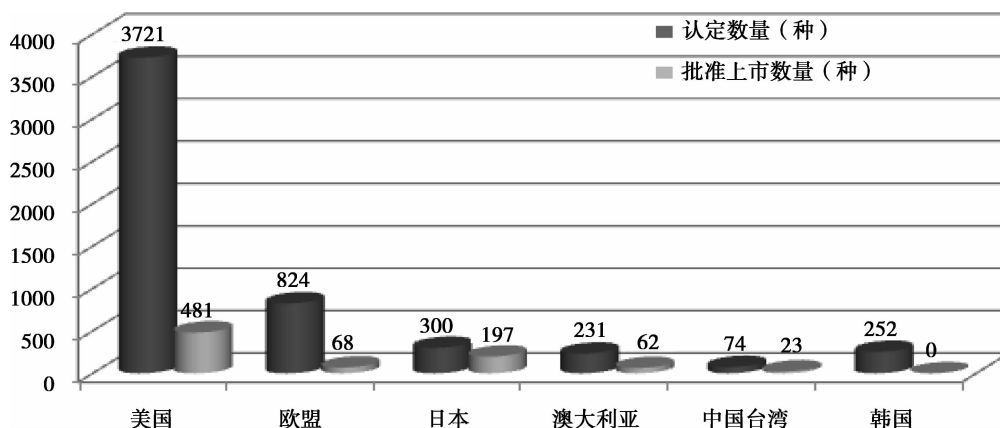
## 2.3 认定及批准上市的罕用药数量远远多于其他国家

图 5 反映了 1983—2014 年 CDER 和 CBER 评审认定的罕用药及批准上市的罕用药数量变化情况。截至 2014 年 12 月底,美国一共认定了 3 721 种罕用药,目前已经上市的有 481 种,大大超过了其他国家或者地区的数量(图 6)。



资料来源: Search Orphan Drug Designations and Approvals [EB/OL]. <http://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oopd/index.cfm>

图 5 1983—2014 年美国罕用药认定及批准上市数量



注:美国统计数据截止 2014 年 12 月,日本为 2012 年 3 月,欧盟为 2012 年 6 月,澳大利亚为 2011 年,中国台湾地区为 2012 年 1 月,韩国为 2011 年底,其中韩国批准上市数量缺失。

资料来源:美国统计数据来自:U. S. Department of Health and Human Service Fiscal Year 2015 [EB/OL]. <http://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oopd/index.cfm>; 欧盟、日本、澳大利亚及中国台湾数据来自:信泉雄,管晓东,陈敬,等. 国内外孤儿药注册制度比较研究[J]. 中国药学杂志,2013(48): 1323-1328. 韩国数据来自:褚淑贞,李伟霞. 亚洲部分国家和地区针对罕用药开发的激励措施以及对我国的启示[J]. 中国医科大学学报,2014(45): 125-128.

图 6 部分国家(地区)罕用药认定及批准上市数量比较

## 2.4 大型生物制药公司罕用药生产的收益状况良好

截至 2014 年底,美国六大领先生物制药公司获得认定和上市的罕用药数量如表 3 所示。尽管相对于 3 000 多种已认定的罕用药和 480 余种已经上市的罕用药而言,这六家企业的占比并不算很多,但

是,美国同一家生物制药企业能拥有两个及以上的上市罕用药的情况并不多见。<sup>[13]</sup>在这六家公司中,有五家公司罕用药的销售收入占其当年总营收的 50% 以上,罕用药的生产成为这些公司主要的收入来源。<sup>[14]</sup>

表3 美国六大领先生物制药公司获得认定及批准上市的罕用药数量

公司名称	认定数量	上市数量
Amgen	13	14
Genentech	41	18
GileadSciences	17	4
Genzyme	27	4
Biogen Idec	22	2
Cephalon	17	5
合计	155	47

资料来源: FDA [EB/OL]. <http://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oopd/index.cfm>

## 2.5 罕用药的可及性大为改善

HHS 发布的调查公报显示, 绝大多数的罕见病患者团体都认为获得罕用药并不存在障碍<sup>[15]</sup>, 美国罕用药的可及性状况良好。当然, 以目前的科研和医疗水平, 使得全部罕见疾病都有药可医是不可能的, 即使是激励机制尚且健全的美国, 目前也上市近 500 种罕用药物, 而美国认定为罕见疾病的种类却超过了 6 000 种。显然, 要满足所有罕见病的治疗需求还有很长的路要走。

## 3 对我国的启示

尽管我国对罕见疾病至今都无任何官方定义<sup>①</sup>, 但是我国罕见病患者总体数量大, 分布广, 病种多却是不争的事实。根据中华医学会的标准, 我国罕见病患者的数量在 1000 万~2000 万之间。<sup>[16-17]</sup> 但这一估计值仅覆盖了四大类共 43 种罕见疾病, 而欧美等国的标准均在千种以上。如若按欧美标准估算, 我国的罕见疾病人口规模将大大增加。

面对庞大的罕见疾病患者群体, 我国罕用药生产和进口情况却不容乐观。据统计, 我国绝大多数罕用药物依赖进口, 且数量仅为 130 种左右, 不到美国的 1/3。<sup>[18]</sup> 同时国内医药企业往往因为罕用药规模利润低而不愿意进行研发; 即使有少量研发成功, 也会因药品统一定价, 罕用药单位利润低而不愿意进行生产。<sup>[19]</sup>

因此, 建立我国罕用药市场激励机制, 促进罕用药的研发和上市, 有效保障罕见病患者的健康权是当前亟待解决的问题。美国较为完备的罕用药市场激励机制对我国有以下几点启示:

### 3.1 加强罕用药立法, 明确激励对象

相比美国完备的罕用药法律, 我国的罕用药立法十分滞缓, 目前未见关于罕见病和罕见药的官方界定以及相关立法的出台。因此, 必须首先定义罕见疾病, 建立相关病录, 为罕用药立法和激励机制的建立奠定基础<sup>②</sup>。

### 3.2 结合我国国情, 制定罕用药研发、审批、生产、销售的优惠政策和实施措施

在审批方面, 我国目前针对罕用药的特殊审批制度十分模糊<sup>③</sup>, 因此制定更具操作性的罕用药政策法规有助于进一步激发相关企业和机构的自主研发和生产动力。在税费优惠方面, 目前我国仅对药品中的避孕类药物实行增值税免征, 对中药实行 13% 的增值税低税率征收, 但是对罕用药临床试验及销售未实行任何优惠政策。为此, 可对认定为罕用药的临床试验及销售费用进一步免征或减征增值税。另外, 如前文所述, 市场独占权的实施对于罕用药研发生产的激励作用最大, 我国可制定相关政策, 引导企业和机构参与罕用药的研发, 亦可通过政策倾斜鼓励国内研究机构和企业抢仿、首仿国外专利权和独占权过期的罕用药物, 实现自主供应。在当前我国罕用药研发生产水平下, 加大进口国外成熟罕用药品亦是一个相对有效的手段。

### 3.3 加大政府投入, 多方筹措资金, 保障和激励罕用药的研发与供给

罕用药的研发生产成本往往比普通药物更高, 因而需要更多的资金支持。美国在资金供给方面, 形成了以政府政策为支点, 以公共部门、民间组织、生物制药产业为三大基点的多种筹资渠道。筹资能

① 中华医学会遗传学分会曾于 2010 年将患病率小于五十万分之一或新生儿发病率小于万分之一的疾病定义为罕见病, 但迄今并无任何官方标准问世。

② 2016 年 1 月 4 日, 国家卫生计生委办公厅发布《关于成立国家卫生计生委罕见病诊疗与保障专家委员会的通知》, 指出应研究提出符合我国国情的罕见病定义和病种范围。但要达此目标尚需时日。

③ 2009 年国家食品药品监督管理局印发《新药注册特殊审批管理规定》, 指出, “治疗艾滋病、恶性肿瘤、罕见病等疾病且具有明显临床治疗优势的新药, 可适用特殊审批程序。”但何为“特殊审批程序”并无具体规定。

力薄弱,资金短缺是制约我国罕用药研发与供给的重要原因。我国可以借鉴美国的筹资经验,多渠道筹措资金,一方面加大政府投入,以直接拨款或基金资助等方式支持罕用药的研发,另一方面鼓励企业 and 非营利组织通过资本市场和慈善捐赠募集资金,促进罕用药的研发与供给。

### 3.4 加强罕见病和罕用药的医疗保障工作,提高罕用药的有效需求

增强罕见病患者的支付能力,提高罕用药的有效需求也是对罕用药市场的一种激励。美国大部分的罕见病患者通过公共医疗保险计划和商业保险来负担治疗费用,其中以商业保险为主。<sup>[20]</sup> 患者可以根据自身情况自主选择不同的保险计划,十分灵活。近年来我国也有少量省市(上海、青岛、福州、铜陵等)出台了地方性罕用药医保政策<sup>[21-22]</sup>,但我国目前尚未有专门针对罕见疾病及罕用药的整体医疗保障政策,患者的选择余地非常有限。有学者统计了国内广泛使用的 35 种罕用药在国家基本医疗保险目录以及 8 个省份新型农村合作医疗药品目录中的覆盖率,分别为 54.3% 和 33.6%。<sup>[23]</sup> 因此,我国针对罕见疾病的医疗保障水平较低,应当进一步提高罕用药保险报销目录覆盖率,建立罕见病及罕用药的专项报销计划,完善罕见病救助机制。同时,应积极促进商业保险机构开发针对罕见疾病的险种,进一步降低患者自付比例,减轻其经济负担。

### 3.5 加强政府、社会、市场之间的沟通与互动,不断完善罕用药市场激励机制

罕用药市场的信息披露和意见反馈有助于激励机制作用的发挥和不断完善。美国在这方面的工作主要通过 FDA 这个平台来完成。当前,我国尚未有针对罕见疾病和罕用药的法规出台,市场参与力量薄弱,非营利组织虽然发展较快,但个体规模十分有限,运作亦不规范。因此,在建立罕用药市场激励机制的过程中,更应充分考虑政府、市场和社会之间的沟通与反馈。由政府部门牵头,搭建信息沟通的平台,在制定相关法律法规的同时,建立罕用药研发、申请、审批信息披露制度和罕用药政策效果追踪机制,联合市场和社会的力量,促进激励机制的进一步完善。

## 参 考 文 献

[1] The Orphan Drug Act[EB/OL]. <http://www.ecfr.gov/>

- [2] Seoane-Vazquez E, Rodriguez-Monguio R, Szeinbach S L, et al. Incentives for orphan drug research and development in the United States[J]. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 2008, 3(3): 33.
- [3] Jyoti T. Navigating through orphan medicinal product regulations in EU and US-Similarities and differences[J]. *Regulatory Toxicology and Pharmacology*, 2015, 71(1): 63-67.
- [4] Hurwicz L. The design of mechanisms for resource allocation[J]. *American Economic Review*, 1973, 63(63): 1-30.
- [5] Haffner M E. Orphan Products: Origins, Progress, and Prospects[J]. *Annual Review of Pharmacology*, 1991, 31(31): 603-620.
- [6] Drummond M F, Wilson D A, Panos K, et al. Assessing the economic challenges posed by orphan drugs[J]. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 2007, 23(1): 36-42.
- [7] 龚时薇. 促进我国罕见病患者药品可及性的管理策略研究[D]. 武汉:华中科技大学, 2008.
- [8] 甘珏, 徐珊珊, 陈永法, 等. 多国(地区)罕用药制度比较分析[J]. *上海医药*, 2013(34): 27-31.
- [9] Blaser D A, Lewtas A J, Ousterhout M M. How To Define Specialty Pharmaceuticals: A Systematic Review[J]. *The American Journal of Pharmacy Benefits*, 2010, 2(6): 371-380.
- [10] 许焱. 我国罕见病药品可及性评价指标体系的构建与影响因素分析[D]. 武汉:华中科技大学, 2012.
- [11] Wesley Yin. Market incentives and pharmaceutical innovation[J]. *Journal of Health Economics*, 2008, 27(4): 1060-1077.
- [12] 李伟. 各国罕用药管理制度比较研究[J]. *上海食品药品监管情报研究*, 2008(4): 1-6.
- [13] Wellman-Labadie O, Zhou Y. The US Orphan Drug Act: Rare disease research stimulator or commercial opportunity? [J]. *Health Policy*, 2010, 95(2-3): 216-228.
- [14] Lazonick W, ? nerTulum. US biopharmaceutical finance and the sustainability of the biotech business model [J]. *Research Policy*, 2011, 40(40): 1170-1187.
- [15] The Orphan Drug Act Implementation and Impact [EB/OL]. <http://oig.hhs.gov/oei/reports/oei-09-00-00380.pdf>
- [16] 马端, 李定国, 张学, 等. 中国罕见病防治的机遇与挑战[J]. *中国循证儿科杂志*, 2011, 6(2): 81-82.
- [17] 李定国. 关于罕见病的定义和发病率[J]. *临床检验杂志*, 2013(3): 186.
- [18] 丁锦希, 刘维婧, 李伟, 等. 我国罕用药可及性现状及其市场准入制度分析[J]. *中国药科大学学报*, 2014, 45(1): 111-117.
- [19] 张建国. 我国罕用药供应的管理[J]. *药物流行病学杂*



志, 2008, 17(5): 342-343.

[20] 刘伟静, 李丽华, 王世家, 等. 国外罕见病医疗保险制度现状[J]. 现代商贸工业, 2015, 36(11): 166-167.

[21] 梁土坤, 尚珂. 青岛模式: 罕见病医疗保障制度的实践与展望[J]. 社会保障研究, 2014(3): 64-73.

[22] 许焱, 王英晓, 龚时薇. 美国罕见病用药的专业药房销售模式研究[J]. 中国药事, 2011(12): 1238-1242.

[23] 胡娟娟, 龚时薇, 许焱, 等. 我国罕见病及罕用药基本医疗保险覆盖现况分析[J]. 中华医院管理杂志, 2013, 29(8): 573-577.

[收稿日期:2015-12-25 修回日期:2016-01-14]

(编辑 赵晓娟)

· 信息动态 ·

## 欢迎订阅 2016 年《中国卫生政策研究》杂志

《中国卫生政策研究》杂志是国家卫生和计划生育委员会主管, 中国医学科学院主办, 医学信息研究所和卫生政策与管理研究中心承办的卫生政策与管理专业学术期刊, 国际标准连续出版物号为 ISSN 1674-2982, 国内统一刊号为 CN 11-5694/R, 中文核心期刊, 中国科技核心期刊(中国科技论文统计源期刊), 中国科学引文数据库(CSCD)来源期刊, RCCSE 中国核心学术期刊(A)。

杂志以“传播政策、研究政策、服务决策”为办刊方针, 及时报道卫生政策研究最新成果和卫生改革发展新鲜经验, 促进卫生政策研究成果的传播利用及卫生政策研究者与决策者的交流合作, 提高卫生政策研究理论水平和实践能力, 为政府科学决策、改进卫生绩效和促进卫生事业发展提供重要学术支撑。主要适合各级卫生行政部门和卫生事业单位管理者、卫生政策与管理相关领域的专家学者和实践

者、高等院校相关专业的师生等阅读。主要栏目有: 专题研究、医改进展、卫生服务研究、医疗保障、药物政策、基层卫生、公共卫生、医院管理、全球卫生、卫生人力、人口与健康、健康服务业、理论探讨、经验借鉴、书评等。

杂志为月刊, 每月 25 日出版, 国内外公开发行, 大 16 开本, 进口高级铜版纸彩封印刷, 定价 20 元/册, 全年 240 元(含邮资)。全国各地邮局均可订阅, 邮发代号 80-955, 也可向编辑部直接订阅。

地址: 北京市朝阳区雅宝路 3 号中国医学科学院医学信息研究所《中国卫生政策研究》编辑部

邮编: 100020

E-mail: cjhp@imicams.ac.cn

电话: 010-52328667 52328669

传真: 010-52328670