

# 罕见病患者社会支持与生命质量的关系研究

高嘉敏<sup>1,2\*</sup> 马正<sup>3</sup>

1. 北京大学战略研究所 北京 100871
2. 北京大学光华管理学院 北京 100871
3. 中国食品药品国际交流中心 北京 100082

**【摘要】**目的:利用2016年中国罕见病群体生存状况调查数据,通过分析罕见病患者生命质量各维度现状及其与社会支持的关系,为完善罕见病患者社会保障政策提供参考。方法:评价工具采用WHOQOL-BREF量表,运用滚雪球抽样调查方法,通过网络和电话调查方式收集数据,采用 $t$ 检验分析与中国常模数据进行比较,并使用线性回归模型考察非正式、正式社会支持与罕见病患者生命质量的关系。结果:罕见病患者生命质量的各维度得分(生理、心理、社会、环境领域)均显著低于中国常模正常组和疾病组的生命质量评价得分,说明罕见病对居民的生命质量负面影响显著。非正式和正式社会支持与罕见病患者生命质量相关,非正式社会支持水平越高,患者各领域的生命质量越好;曾接受过社会帮扶的患者,心理领域和社会领域的生活质量水平高于未曾接受的患者。结论:改善患者的社会支持水平,完善罕见病的社会保障政策,对提高患者的生命福祉有一定的意义。

**【关键词】**罕见病;生命质量评价;社会支持;社会保障政策

中图分类号:R197 文献标识码:A doi:10.3969/j.issn.1674-2982.2020.04.006

## Study on the relationship between social support and quality of life among patients with rare diseases

GAO Jia-min<sup>1,2</sup>, MA Zheng<sup>3</sup>

1. Institute of Strategic Research, Peking University, Beijing 100871, China
2. Guanghua School of Management, Peking University, Beijing 100871, China
3. China Center for Food and Drug International Exchange, Beijing 100082, China

**【Abstract】** Objective: To analyze the status quo of various dimensions of life quality of patients with rare diseases and the relationship between those dimensions and social support in order to introduce the life quality evaluation into the policies for social support and social welfare intervention for patients with rare diseases. Methods: Data from 2016 sample survey for survival status among people with rare diseases in China were used and the current status of quality of life among people with rare diseases and its association with formal and informal social support were examined using the WHOQOL-BREF scales as the evaluation tools. T-test analysis was used to compare the score of quality of life among people with rare diseases with the Chinese standard data. Linear regression analysis model was applied to investigate the relationship between formal and informal social support and quality of life. Results: The scores of all domains of life quality among people with rare diseases were significantly lower than those of healthy and standard disease groups. This indicates that rare disease had a significant negative impact on the quality of life of residents. Formal and informal social support was found significantly associated with quality of life among people with rare diseases. The results of this research showed that people with rare diseases whose higher level of informal social support were likely to have better quality of life. The quality of life of patients who have social support had a higher score for psychological and social domain on quality of life than that of those who never received the support. Conclusions: Promoting social support among people with rare diseases and improving social security systems for rare diseases may benefit well beings of people with rare diseases.

**【Key words】** Rare disease; Quality of life assessment; Social support; Social security policy

\* 作者简介:高嘉敏(1989年—),女,博士,北京大学光华管理学院、战略研究所在职博士后,主要研究方向为社会医学与卫生事业管理,老年人、特殊人群公共管理与社会保障政策。E-mail:gaojiamin1213@pku.edu.cn  
通讯作者:马正。E-mail:mazheng@ccpie.org

《“健康中国 2030”规划纲要》提出,全民健康是建设健康中国的根本目的。<sup>[1]</sup>重点或特定人群的健康问题备受关注,提高和改善他们的健康水平和生活质量是实现“健康中国 2030”目标的重要环节。罕见病是指患病总体人数少,患病概率和发病率低的一类少见或罕见疾病。<sup>[2]</sup>一方面,罕见病以遗传性疾病和慢性消耗性疾病居多,由于缺乏有效的诊断和治疗手段,患者常面临误诊或延误治疗的情况,导致轻症向重症发展,甚至导致残疾。另一方面,尽管部分罕见病可治疗<sup>[3]</sup>,但治疗药物的可及性、可获得性和可负担性受限<sup>[4]</sup>,也制约罕见病患者及其家庭生存与发展。罕见病患者既具备了一般重大疾病患者和残疾人士的共性,也具有罕见疾病的特殊性<sup>[5]</sup>,因此,单纯地把罕见病患者纳入到重大疾病或残疾人群来考察和对待,可能不能充分体现其人群特征。相关理论指出,社会支持可通过直接促进和调节性的压力缓冲对健康产生增益作用。<sup>[6]</sup>本研究利用世界卫生组织生存质量测定量表简表(WHOQOL-BREF)评估罕见病患者这一特殊人群的生活质量现状,并比较其与中国常模的差异;同时研究以家庭及亲友圈为基础的非正式社会支持及以社会保障和救济为基础的正式社会支持,对罕见病患者生活质量的影响。

## 1 资料与方法

### 1.1 资料来源

本研究数据来源于瓷娃娃罕见病关爱中心等组织和单位共同发起的中国罕见病调查的罕见病群体生存状况调研数据。该项目于 2012 年启动,每隔两年开展一次调查。被调查对象来源覆盖全国所有省份,广东、四川等地的患者居多,少数民族地区和偏远省份被调查对象较少。因罕见病患者人群规模小,故该调查采用滚雪球方法进行抽样。调查组于 2016 年 2 月由公益组织选取种子,每名研究对象参加完调查之后推荐和招募同伴参加项目,对罕见病患者的个人基本特征和服务利用情况进行调查。调查资料的收集形式为网上自填和电话调查(被调查者回答,调查员代填),所有参与调查患者皆由本人或其监护人知情同意参与本次调查。调查回收问卷 2 200 余份,其中有效问卷 1 771 份,应答率为 80.5%。其中 65% 的问卷由罕见病患者自行填写,其余由他人代填或家人代答,76% 代答者为患者父母。<sup>[7]</sup>本次调查共涵盖 142 种由患

者自报的罕见病,以血友病(11.74%)、进行性肌营养不良症(9.03%)、成骨不全症(7.34%)、重症肌无力(6.27%)和结节性硬化症(6.15%)患者为主,共占 40.53%。本次调查的抽样方案及样本分布详见相关材料。<sup>[5,8]</sup>

### 1.2 变量的测量与选择

本调查采用 WHOQOL-BREF 对罕见病患者的生活质量进行测量。该量表由世界卫生组织研制,是用于测量个体与健康有关的生存质量的国际性量表,该量表具有较好的内部一致性、效度和信度<sup>[9]</sup>,广泛用于我国健康和患病人群的生存质量测量调查与研究<sup>[10]</sup>。WHOQOL-BREF 量表共包含 26 个条目,其中 2 个条目用于测量总体健康状况及生活质量,7 个测量生理领域、6 个测量心理领域、3 个测量社会关系领域和 8 个测量环境领域相关的生活质量。<sup>[9]</sup>4 个领域的得分范围为 4~20 分,分值越高,说明各维度功能状况越好,与健康相关的生活质量越高。本调查利用了 WHOQOL-BREF 量表中的 25 个条目,剔除了与性关系相关的问题。利用均值替代法进行填补,以与中国正常组及疾病组常模得分进行比较。<sup>[9,10]</sup>

使用中文版医疗社会支持量表(Chinese Version on Medical Outcomes Study Social Support Survey, MOS-SSS)<sup>[11]</sup>,对自报确诊为罕见病的患者的非正式社会支持水平进行测量。该量表适用于测量慢性疾病患者的社会支持功能,共包括 20 个条目,分别测量患者的工具性、信息与情绪性、社会互助性合作和情感性支持等。调查问题根据发生次数或程度的不同记为 1~5 分,分值越高,反映社会支持的程度越高,该量表各领域的标准化总分范围为 0~100 分。经检验,具有良好的信度和效度。<sup>[11,12]</sup>本研究利用患者的社会保障和社会救济相关指标测量患者正式社会支持情况,包括患者是否享有社会或商业医疗保险和养老保险,是否曾接受过至少一项政府救助或社会帮扶。

控制变量包括人口学、社会经济因素及疾病特征变量。其中,人口学因素包括年龄、性别、居住地;社会经济因素包括患者的文化程度和家庭人均收入;疾病特征包括致病原因、是否患有并发症、生活自理程度、可治疗性和是否在罕见病目录上。罕见病的可治疗性依据《可治性罕见病》的 117 项可治疗的罕见病名录进行判断。<sup>[3]</sup>

### 1.3 数据分析

本研究将样本组分值按照 WHOQOL-100 计分规则进行换算处理,采用 *t* 检验与中国常模数据进行比较。采用 *t* 检验与线性回归分析考察社会支持与被调查患者生活质量各维度得分的相关关系。相关样本的处理、描述以及相关分析均采用 STATA14.0 软件进行,检验水准  $\alpha = 0.05$ 。

## 2 结果

### 2.1 样本特征

本次调查患者中 14 岁及以下和 25 ~ 34 岁的比例较高,分别为 25.30% 和 30.34%;男性、城镇、非文盲、先天获得、无并发症、生活半自理或不能自理、疾病可治的患者比例较高。在社会支持方面,本次调查患者享受医疗保险的比例超过 97%;49.41% 的患者曾接受过政府救助,40.20% 曾接受过社会帮扶。在非正式社会支持方面,总体得分处于中值及以下的比例为 53.08%。除工具性支持外,各维度的非正式社会支持得分处于中值及以下的比例皆高于中值以上的比例(表 1)。

表 1 样本特征

特征	频数	比例(%)
年龄(岁)		
≤14	448	25.30
15 ~	331	18.69
25 ~	539	30.43
35 ~	247	13.95
45 ~	206	11.63
性别		
男	1 070	60.42
女	701	39.58
居住地		
城镇	933	52.68
农村	838	47.32
文化程度		
文盲	337	19.03
非文盲	1434	80.97
家庭人均年收入(元)		
≤6 000	593	33.64
6 250 ~ 15 000	605	34.32
≥16 000 元	565	32.05
致病原因		
先天遗传	922	52.06
后天获得	392	22.13
原因不明或其他	457	25.80

(续)

特征	频数	比例(%)
有无并发症		
有	812	45.85
无	959	54.15
生活自理		
能自理	317	17.90
半自理或不能自理	1 454	82.10
可治疗性		
可治	1 688	95.31
不可治	83	4.69
医疗保险		
有	1724	97.35
无	47	2.65
养老保险		
有	118	6.66
无	1 653	93.34
政府救助		
曾接受	875	49.41
未接受	896	50.59
社会帮扶		
曾接受	712	40.20
未接受	1 059	59.80
非正式社会支持(总体)		
中值以上	831	46.92
中值及以下	940	53.08
工具性支持		
中值以上	1 035	58.44
中值及以下	736	41.56
信息与情绪性支持		
中值以上	700	39.53
中值及以下	1 071	60.47
社会互助性支持		
中值以上	597	33.71
中值及以下	1 174	66.29
情感性支持		
中值以上	700	39.53
中值及以下	1 071	60.47
补偿性支持		
中值以上	524	29.59
中值及以下	1 247	70.41

### 2.2 罕见病患者生命质量及与中国常模比较

本文将罕见病患者的生命质量得分分别与中国常模“正常组”和中国常模的“疾病组”比较可以看出:罕见病患者在生理、心理、社会和环境领域的得分均显著低于中国常模对照组的“正常组”和“疾病组”评分,且 *t* 检验结果具有统计学意义(表 2)。这一结果说明,罕见病对居民生命质量评价具有负面影响。

表 2 罕见病患者生命质量得分状况及与全国常模比较

领域	罕见病患者得分( $\bar{x} \pm s$ )	全国正常组常模得分( $\bar{x} \pm s$ )	$t$ 检验	全国疾病组常模得分( $\bar{x} \pm s$ )	$t$ 检验
生理领域	9.13 $\pm$ 3.13	15.10 $\pm$ 2.30	-80.17 ***	14.10 $\pm$ 2.62	-66.74 ***
心理领域	10.76 $\pm$ 3.26	13.89 $\pm$ 1.89	-40.33 ***	13.89 $\pm$ 1.92	-40.33 ***
社会领域	11.55 $\pm$ 4.26	13.93 $\pm$ 2.06	-23.52 ***	14.18 $\pm$ 2.00	-25.98 ***
环境领域	9.00 $\pm$ 3.06	12.14 $\pm$ 2.08	-43.17 ***	12.51 $\pm$ 2.28	-48.27 ***

注: \*\*\*  $P < 0.001$

### 2.3 社会支持、社会保障与罕见病患者生命质量的关系

#### 2.3.1 单因素分析结果

以家庭和亲友圈为主的非正式社会支持,无论

是总体得分,或是分维度的社会支持,得分在中间值以上的患者的各维度生命质量得分,均显著高于得分低于或等于中间值的患者。该结果提示非正式社会支持能有效提高罕见病患者的生命质量(表 3)。

表 3 罕见病患者社会支持与生活质量的分布状况

非正式社会支持	生理领域		心理领域		社会领域		环境领域	
	得分	$t$ 检验	得分	$t$ 检验	得分	$t$ 检验	得分	$t$ 检验
总体社会支持		-6.70 ***		-11.69 ***		-13.28 ***		-13.12 ***
中值以上	9.66 $\pm$ 0.11		11.69 $\pm$ 0.11		12.91 $\pm$ 0.14		9.97 $\pm$ 0.11	
中值及以下	8.67 $\pm$ 0.10		9.94 $\pm$ 0.10		10.34 $\pm$ 0.13		8.15 $\pm$ 0.09	
工具性支持		-2.46 *		-6.54 ***		-8.47 ***		-10.13 ***
中值以上	9.29 $\pm$ 0.10		11.19 $\pm$ 0.10		12.26 $\pm$ 0.13		9.61 $\pm$ 0.09	
中值及以下	8.92 $\pm$ 0.11		10.17 $\pm$ 0.11		10.55 $\pm$ 0.15		8.16 $\pm$ 0.10	
信息与情绪性支持		-6.46 ***		-11.63 ***		-11.52 ***		-13.03 ***
中值以上	9.72 $\pm$ 0.12		11.84 $\pm$ 0.12		12.94 $\pm$ 0.15		10.12 $\pm$ 0.12	
中值及以下	8.75 $\pm$ 0.09		10.06 $\pm$ 0.10		10.64 $\pm$ 0.13		8.27 $\pm$ 0.08	
社会互助性合作支持		-9.58 ***		-13.19 ***		-13.93 ***		-14.45 ***
中值以上	10.11 $\pm$ 0.13		12.13 $\pm$ 0.14		13.43 $\pm$ 0.16		10.40 $\pm$ 0.13	
中值及以下	8.64 $\pm$ 0.08		10.07 $\pm$ 0.09		10.59 $\pm$ 0.12		8.30 $\pm$ 0.08	
情感性支持		-6.46 ***		-11.63 ***		-11.52 ***		-13.03 ***
中值以上	9.72 $\pm$ 0.12		11.84 $\pm$ 0.06		12.94 $\pm$ 0.15		10.12 $\pm$ 0.12	
中值及以下	8.75 $\pm$ 0.09		10.06 $\pm$ 0.09		10.64 $\pm$ 0.13		8.27 $\pm$ 0.08	
补偿性支持		-5.49 ***		-8.75 ***		-9.32 ***		-9.15 ***
中值以上	9.76 $\pm$ 0.15		11.79 $\pm$ 0.15		12.97 $\pm$ 0.19		10.01 $\pm$ 0.14	
中值及以下	8.87 $\pm$ 0.08		10.33 $\pm$ 0.09		10.95 $\pm$ 0.12		8.58 $\pm$ 0.08	

注: \*  $P < 0.1$ , \*\*  $P < 0.05$ , \*\*\*  $P < 0.01$

曾接受政府救助的患者,生理领域的生命质量得分高于未曾接受救助的患者;曾接受社会帮扶的患者,生理、心理和社会领域生命质量得分均高于未曾接受帮扶的患者。该结果指示社会救济在不同程度上与罕见病患者的生命质量相关。罕见病患者的生命质量在以医疗保险和养老保险为主的社会保障分布方面不存在具有统计学意义的差异(表 4)。

#### 2.3.2 多因素相关分析结果

表 5 为社会支持、社会保障与罕见病患者各维度生命质量的多因素相关分析结果,其中,模型 1 为未纳入其他控制变量的情况下,非正式社会支持与各维度生命质量的关系;模型 2 为未纳入其他控制变量的情况下,以社会保障为测度的正式社会支持与各维度生命质量的关系;模型 3 为纳入控制变量后,非正式和正式社会支持与各维度生命质量的关联性分析。结果显示,非正式社会支持与罕见病患

者各维度生命质量相关,罕见病患者从家人或亲友中得到的非正式社会支持水平越高,生理、心理、社会和环境维度的生命质量评价越好。在控制了其他因素后,曾接受政府救助的患者,生理、心理和环境领域的生命质量评价更好;曾接受社会帮扶的罕见病患者,心理和社会领域的生命质量评价高于未曾接受帮扶的患者。其他控制变量中,年龄大、文盲、家庭收入低、生活半自理或不能自理、原因不明或其他病因、不可治疗的罕见病患者生理领域生命质量评价更低;年龄越大、生活半自理或不能自理、病因不明或其他、不可治疗的罕见病患者心理领域生命质量评价更低;年龄小、男性、生活半自理或不能自理、不可治疗的罕见病患者社会领域的生命质量评价更低;而环境领域生命质量中,年龄大、文盲、家庭收入低、生活半自理或不能自理、先天遗传或病因不明的罕见病患者得分更低(表 5)。

表4 罕见病患者社会保障情况与生活质量得分状况

社会保障	生理领域		心理领域		社会领域		环境领域	
	得分	t 检验	得分	t 检验	得分	t 检验	得分	t 检验
医疗保险		0.85		0.002		0.11		-0.32
有	9.13 ± 0.07		10.76 ± 0.08		11.54 ± 0.10		9.01 ± 0.07	
无	9.21 ± 0.49		10.76 ± 0.56		11.62 ± 0.70		8.86 ± 0.45	
养老保险		-0.89		-0.11		-0.17		-0.37
有	9.38 ± 0.29		10.80 ± 0.28		11.61 ± 0.37		9.10 ± 0.28	
无	9.11 ± 0.08		10.76 ± 0.08		11.54 ± 0.10		8.99 ± 0.08	
政府救助		-2.01*		-1.70		-1.59		0.76
有	9.28 ± 0.10		10.90 ± 0.11		11.71 ± 0.14		8.95 ± 0.10	
无	8.98 ± 0.11		10.63 ± 0.11		11.39 ± 0.14		9.06 ± 0.10	
社会帮扶		-1.94*		-3.31***		-5.18***		-1.69
有	9.31 ± 0.11		11.08 ± 0.12		12.18 ± 0.16		9.15 ± 0.11	
无	9.01 ± 0.10		10.55 ± 0.10		11.12 ± 0.13		8.90 ± 0.09	

注: \* P < 0.1, \*\* P < 0.05, \*\*\* P < 0.01

表5 社会支持、社会保障与罕见病患者生活质量的相关关系

变量	生理领域			心理领域			社会领域			环境领域		
	模型1	模型2	模型3	模型1	模型2	模型3	模型1	模型2	模型3	模型1	模型2	模型3
非正式社会支持	0.03*** (0.003)		0.02*** (0.003)	0.04*** (0.003)		0.04*** (0.003)	0.06*** (0.004)		0.07*** (0.004)	0.05*** (0.003)		0.04*** (0.03)
社会保障												
医疗保险 (参照 = 无)	0.11 (0.55)	0.23 (0.46)		-0.002 (0.64)	0.15 (0.52)		-0.11 (0.75)	-0.10 (0.61)		0.24 (0.51)	0.43 (0.39)	
养老保险 (参照 = 无)	0.28 (0.33)	0.29 (0.27)		-0.09 (0.34)	0.03 (0.30)		-0.06 (0.40)	-0.36 (0.37)		0.15 (0.32)	0.11 (0.27)	
政府救助 (参照 = 无)	0.23 (0.16)	0.46*** (0.14)		0.09 (0.16)	0.37** (0.16)		-0.06 (0.21)	0.31 (0.20)		-0.22 (0.15)	0.26* (0.14)	
社会帮扶 (参照 = 无)	0.20 (0.16)	0.19 (0.14)		0.49*** (0.16)	0.32** (0.15)		1.09*** (0.22)	0.79*** (0.20)		0.33** (0.16)	0.16 (0.14)	
年龄			-0.03*** (0.01)			-0.01** (0.01)			0.05*** (0.01)			-0.01** (0.006)
性别(参照 = 女性)			-0.11 (0.14)			-0.17 (0.15)			-0.53*** (0.20)			0.12 (0.14)
居住地(参照 = 城镇)			-0.11 (0.14)			-0.16 (0.15)			-0.03 (0.20)			-0.22 (0.13)
文化程度(参照 = 未受过教育)			0.55*** (0.20)			0.21 (0.21)			0.14 (0.29)			0.45** (0.19)
家庭户人均收入(参照 = 较高收入)												
中等收入			-0.33** (0.16)			-0.13 (0.18)			0.23 (0.22)			-1.06*** (0.16)
较低收入			-0.52*** (0.18)			-0.17 (0.19)			0.02 (0.25)			-1.44*** (0.18)
生活自理(参照 = 半自理或不能自理)			-3.56*** (0.18)			-2.13*** (0.19)			-1.83*** (0.23)			-2.00*** (0.18)
先天遗传(参照 = 后天获得)			0.10 (0.17)			-0.24 (0.19)			-0.17 (0.25)			-0.46** (0.18)
原因不明或其他			-0.34* (0.19)			-0.45** (0.21)			-0.34 (0.27)			-0.60*** (0.19)
可治疗(参照 = 不可治疗)			0.28** (0.14)			0.49*** (0.16)			0.47** (0.21)			0.13 (0.14)
常数项	7.87*** (0.18)	8.81*** (0.56)	11.05*** (0.58)	8.61*** (0.18)	10.53*** (0.65)	10.47*** (0.65)	8.44*** (0.23)	11.25*** (0.76)	7.92*** (0.79)	6.63*** (0.16)	8.74*** (0.52)	9.15*** (0.53)

注: \* P < 0.1, \*\* P < 0.05, \*\*\* P < 0.01

### 3 讨论

罕见病患者已日渐成为不可忽视的特殊群体。2018 年 5 月,国家卫生健康委等 5 个部门联合制定了《第一批罕见病目录》,纳入了 121 种罕见病<sup>[13]</sup>,为进一步明确罕见病定义、制定相应的防治和保障政策提供了依据。生命质量是反映居民身心健康的综合评价指标,了解罕见病患者的生命质量现状及其潜在改善路径,有助于促进罕见病防治和完善保障政策。

#### 3.1 罕见病患者的生活质量评价低

罕见病患者各维度的生命质量评价均低于中国常模的正常组和患病组水平,也低于其他研究报告的相关疾病如癌症、艾滋病患者的生命质量得分,罕见病对居民的生命质量有显著的负影响。有研究指出,罕见病患者及其家庭面临多重压力,如疾病诊疗复杂、照顾困难、患者个人发展受限、家庭资源制约、社会排斥、家庭角色和功能改变适应困难等。<sup>[14]</sup>压力过程理论(The stress process)指出,个体的身心健康会因长期处于慢性压力环境而受损。<sup>[15]</sup>2012 年中国罕见病群体生存调查报告显示,罕见病患者及其家庭需要面对高昂的医药治疗费用<sup>[5]</sup>,尽管部分地区将部分孤儿药物纳入大病医保报销范围,但仍有相当大一部分药物需自费支付。治疗药物的可及性和可负担性成为患者家庭因病致贫的重要原因。本调查显示,83% 的罕见病患者生活半自理或不能自理,他们面临着较大的个人发展困境和照料需求。疾病疼痛、久治未愈以及伴随罕见病的长期护理和贫困,都会增加患者和家属的心理和社会领域压力。

#### 3.2 社会支持能有效促进罕见病患者生命质量

社会支持对改善罕见病患者各维度生命质量的评价具有促进作用。对于罕见病患者而言,非正式社会支持水平越高,其生命质量的评价越好;曾接受以政府救助和社会帮扶为主的社会救济的患者,生理、心理、社会和环境领域的评价在不同程度上更好。说明社会支持改善对于罕见病患者的生命质量提升有效。J. S. House 的研究指出,社会支持不仅在一定程度上缓解压力对健康的影响,也能直接促进健康影响因素的改善。<sup>[16]</sup>社会支持可通过改善个体对压力的评价过程,情感、心理反应或行为适应过程,对压力和个体的健康产生正面影响。如罕见病的病症暴露后,社会支持可通过减轻患者对罕见病

不良影响的过高预期、提高自身处理应对能力的期望来缓解患者对罕见病压力评价的过程;罕见病病症伴随身体、外形、饮食等方面的改变会引发患者的不适应行为或调整抗拒行为,社会支持可通过在此过程的介入,对患者的健康和生活质量产生直接或间接的影响。工具性、信息与情绪性、社会互助性和情感性社会支持得分中间值以上的罕见病患者,各维度生命质量评价均显著高于社会支持得分在中间值及以下的患者,且随着非正式社会支持水平提高,患者对各维度生命质量评价皆有所提高。该结果和社会支持能提高特定人群生命质量的相关研究结果一致。<sup>[17]</sup>

本研究结果显示,罕见病患者对生命质量的评价在有无社会保障上无显著差异。一方面,本次调查的样本中,97% 的患者享有医疗保险,7% 的患者有养老保险,样本在这两个指标上的分布可能会导致差异不显著。另一方面,目前罕见病医疗保障政策尚未完善,大多数治疗药物和检查为自费项目,医保报销比例低等情况<sup>[2]</sup>,也在一定程度上解释患者的生命质量在有无社会保障上无显著差异。社会救济与患者的生命质量评价相关,曾接受政府救助的患者对生理和环境领域的生命质量评价更高;曾接受社会帮扶的患者对心理和社会领域的生命质量评价更好。政府救助主要来源于政府等相关部门提供的最低生活保障、就业救助、住房保障等方面,它为患者的基本生存、安全、社会服务方面的需求提供保障。而社会帮扶主要源自公益团体、社区志愿服务等,能从患者的心理、精神和社交需求上提供支持。

### 4 政策建议

由于罕见疾病的特殊性,患者及其家属可能需要面对更多的就医、治疗、照料和心理挑战,罕见病对患者的身心健康带来全方位的影响。本文利用实证调查数据,报告了接受调查的罕见病患者自评生活质量现状及其与非正式、正式社会支持的关系。基于本研究结论,提出以下政策建议:第一,在罕见病患者的防治和保障政策及服务体系建设中考虑引入生命质量评价,重视罕见病患者的心理、社会和环境功能健康维护,促进患者多维福祉;第二,从公共政策制定和公共服务实施层面着手,在提供兜底性保障的基础上,建立具有针对性的社会保障政策体系,并为危重症罕见病患者提供适当的公共服务,从医疗保障和药品可及性方面着手,如设计梯度保障

方案、建立孤儿药品审评审批特别通道等,为罕见病患者提供正式社会安全网;第三,为建立社会和家庭非正式社会支持系统建设提供政策指引,如协助建立罕见病患者及家庭多渠道社会救助机制,以补贴或政策鼓励方式为患者及家庭成员提供心理干预服务;并通过对社会支持性环境的建设增进公众对罕见病的认知和接纳度,培育和合理引导罕见病患者组织成长。

## 5 局限性

本研究存在以下不足:第一,由于罕见病群体的特殊性,本研究所用调查数据采用滚雪球非概率抽样方法进行抽样。尽管经验证,因变量的分布符合近似正态分布,但本研究的样本描述和相关性分析的结果仅能对抽样样本的特征进行解释,无法进行总体推断;第二,由于医疗等费用数据的缺失,本研究无法获得正式社会支持,即社会保障和社会救济的减贫等方面效果对罕见病患者生命质量的影响,存在一定的测量偏移问题;第三,可能存在内生性问题。未来可考虑使用队列研究或随机对照试验等方法,进一步分析社会支持对罕见病患者生命质量影响的内在机制,并采用随机抽样的方法收集具有全国代表性的分析样本。

作者声明本文无实际或潜在的利益冲突。

### 参 考 文 献

[1] 中共中央 国务院. “健康中国 2030”规划纲要[EB/OL]. [2020-03-21]. [http://www.gov.cn/zhengce/2016-10/25/content\\_5124174.htm](http://www.gov.cn/zhengce/2016-10/25/content_5124174.htm)

[2] 丁洁, 王琳, 马端, 等. 中国罕见病研究报告(2018)[R]. 北京, 2018: 7-10.

[3] 陈静. 可治性罕见病[M]. 上海: 上海交通大学出版社, 2017.

[4] 马正, 高嘉敏, 赵艺皓, 等. 罕见病政策国际经验及对我国的启示[J]. 中国卫生政策研究, 2018, 11(11): 61-67.

[5] 李莹, 鲁全. 中国罕见病群体生存状况调研报告[R]. 北京, 2014.

[6] Cohen S, Wills T A. Stress, social support, and the buffering hypothesis [J]. *Psychological bulletin*, 1985, 98(2): 310.

[7] 董咚, 赵睿, 茆三芹等. 从不罕见 中国罕见病调研报告[R]. 北京: 病痛挑战基金会, 2016.

[8] 李莹. 关于我国罕见病相关政策制定的探讨——基于罕见病群体生活状况调研的分析[J]. *中国软科学*, 2014, (2): 77-89.

[9] 方积乾, 郝元涛, 李彩霞. 世界卫生组织生活质量量表中文版的信度与效度[J]. *中国心理卫生杂志*, 1999(4): 12-14.

[10] 任田, 胡锦涛, 黄茂娟, 等. 贫困、疾病及精准健康扶贫政策: 基于贫困居民生命质量评价[J]. *中国卫生政策研究*, 2018, 11(5): 61-64.

[11] Yu D S, Lee D T, Woo J. Psychometric testing of the Chinese version of the medical outcomes study social support survey (MOS-SSS-C) [J]. *Research in nursing & health*, 2004, 27(2): 135-143.

[12] Shyu Y-I L, Tang W-R, Liang J, et al. Psychometric testing of the social support survey on a Taiwanese sample [J]. *Nursing research*, 2006, 55(6): 411-417.

[13] 国家卫生健康委员会. 关于公布第一批罕见病目录的通知[EB/OL]. [2020-03-21]. <http://www.nhc.gov.cn/zygj/s7659/201806/393a9a37f39c4b458d6e830f40a4bb99.shtml>

[14] 肖建华, 王超群. 罕见病防治和保障的支持体系: 台湾的经验与启示[J]. *社会保障研究*, 2018(2): 92-105.

[15] Pearlin L I, Menaghan E G, Lieberman M A, et al. The stress process[J]. *Journal of health and Social Behavior*, 1981, 22(4): 337-356.

[16] House J S, Umberson D, Landis K R. Structures and processes of social support [J]. *Annual review of sociology*, 1988, 14(1): 293-318.

[17] 孔令娜, 周颖清. 居家老年慢性病患者抑郁情绪与社会支持、应对方式及生命质量的相关性[J]. *中国老年学*, 2012, 32(20): 4548-4549.

[收稿日期:2020-02-28 修回日期:2020-04-01]

(编辑 刘博)