

国内外罕见病用药保障模式的评述

张晓星^{1,2*} 周婷婷^{1,2} 潘杰^{1,2}

1. 四川大学华西公共卫生学院/四川大学华西第四医院 四川成都 610041

2. 四川大学西部农村卫生发展研究中心 四川成都 610041

【摘要】目的:通过比较国际和国内关于罕见病药物保障模式的特征和侧重点,总结目前我国在这一领域实践的经验和不足,为保障模式的选择和相关政策的改进提供建议。方法:梳理美国、欧盟、新加坡、澳大利亚等国家和组织成员国针对罕见病出台的保障措施,以及国内各地区的探索经验,并分析不同保障模式之间的差异。结果:目前关于罕见病比较典型的保障模式有医疗保险报销、财政资金补助、专项基金补偿、医疗救助资金援助等,它们在筹资规模、保障水平、可持续性等方面有所不同。结论:我国需在考虑自身经济实力、罕见病流行特征等因素的基础上,采取多层次、多水平的综合保障模式,力求精准化资助罕见病患者的用药,共同分担其费用负担。

【关键词】罕见病;孤儿药;保障模式

中图分类号:R197 文献标识码:A doi:10.3969/j.issn.1674-2982.2020.11.003

Implications on the models of drug guarantee for rare diseases at national and international scale

ZHANG Xiao-xing^{1,2}, ZHOU Ting-ting^{1,2}, PAN Jay^{1,2}

1. West China School of Public Health and West China Fourth Hospital, Sichuan University, Chengdu Sichuan 610041, China

2. West China Research Center for Rural Health Development, Sichuan University, Chengdu Sichuan 610041, China

【Abstract】 Objective: By comparing the characteristics and key considerations of foreign and domestic security models for rare disease drugs, this article summarizes the current experience and deficiencies in this domain in China, and provides suggestions for the selection of appropriate guarantee models and the promotion and improvements of the related policies. Methods: The measures for rare diseases issued by the United States, the European Union, Singapore, Australia and other countries were sorted out; the relevant experiences of various regions in China were taken into account, and the differences between these modes of different countries and regions were analyzed as well. Results: At present, the typical security models for rare diseases include medical insurance reimbursement, financial subsidies, special fund compensation, and medical assistance fund and the likes. Disparities were detected in terms of financing scale, assistance level, and sustainability. Conclusions: China should comprehensively consider its own economic strength, the epidemiological characteristics of rare diseases and other factors at a multi-level scale, and then a multi-level security model should be adopted to accurately fund the drugs for patients with rare diseases and share the burden of their costs together.

【Key words】 Rare diseases; Orphan Drugs; Security model

罕见病是一类发病率很低,患病人数极少的疾病。^[1]由于市场需求少,研发成本高等原因,罕见病药物研发工作进展相对缓慢。大部分罕见病无药可医,即使是有药物可医治的疾病,其治疗费用也十分

昂贵。^[2,3]约80%的罕见病为遗传性疾病,基因治疗是精准治疗的手段之一,部分遗传性血液系统及免疫系统疾病的临床实践已证明其效果。^[4]但出于对基因治疗技术安全层面的考虑,大多数疾病依然

* 作者简介:张晓星(1992年—),女,博士研究生,主要研究方向为卫生政策与管理。E-mail: zhangxxzzu@163.com
通讯作者:潘杰。E-mail: panjie.jay@scu.edu.cn

选择采取常规的药物进行治疗。然而这些药物治疗往往不能使患者痊愈,需要终身服药。药物本身的价格高昂再加上长期用药,这样的双重压力使得一般家庭都难以负担得起持续的治疗。^[5] 罕见病患者特别是超罕见疾病患者的卫生支出极高,往往造成其家庭支出型贫困的发生,不利于家庭稳定和社会经济发展。^[6]

近年来,我国社会经济快速发展,但卫生领域对罕见病的保障制度还很不完善,无法满足社会进步的需要和人民的卫生服务需求。如何根据我国罕见病的医疗环境选择适宜的保障模式是舆论关注的焦点,也是完善政策体系和适应社会发展的需要。在患者团体、非政府组织、医务人员、政府部门等各方的努力下,我国对部分罕见病有了一定程度的政策保障,其药物相继被国家和省级医保报销目录所覆盖,较好地提高了患者的药物可及性。^[7] 但对于一些特别高值的药物,还缺乏国家层面的资助措施,目前更多是地方层面的尝试和探索。^[8] “健康中国 2030”中提出要立足全人群和全生命周期两个着力

点,提供公平、可及、系统连续的健康服务,强调人人参与、人人尽力、人人享有。为了保障罕见病患者公平获得健康服务,本文在梳理其他国家罕见病保障模式的同时,将其与国内的一些初步探索相对比,讨论不同卫生体系下保障模式的差异,为进一步健全和完善我国的罕见病保障制度提供借鉴。

1 典型国家罕见病用药的保障模式与经验

罕见病的保障工作是一个长期而又复杂的过程,根据各国对罕见病的定义不同,其保障的范围、补贴的标准也都有所差异。多个国家针对罕见病出台了专门的法律法规,比如最早由美国制定的《孤儿药法》,从法律层面来维护了患者的用药安全可及和可持续性。^[9] 这些法规制度为保障工作的展开奠定了良好的基础。但下一步具体选择怎样的保障模式,各国根据对自身的经济实力、卫生系统构成、医疗保险制度等方面因素的考虑,做出了不同的选择。表 1 简要介绍了几个代表性国家针对罕见病的保障模式。

表 1 国际上部分国家罕见病用药保障模式

国家	政策层次	筹资形式	覆盖范围	补偿标准
澳大利亚	国家级专项计划	财政资助	通过申请审核患者所使用的经过资格认证及成本效益评估的药物	免费资助
欧盟	法律	欧盟分配基金、各成员国通过社会医疗保险/国家医疗保险等途径筹集资金	覆盖全民,部分国家设置有罕见病用药的审核机制	根据预算和成本效益予以部分或全额的报销
新加坡	专项计划	公众捐助和政府匹配筹资	政府补贴、保险和财政援助之后仍负担不起治疗费用的特殊罕见病患者	评审委员会根据个案考虑,予以不定额的援助
美国	法律	商业保险为主	参保人员;所有上市药物	对发生灾难性卫生支出的家庭予以 95% 的报销比;支付限额为 100 万美元
韩国	法律	个人、雇主、政府筹资的国民健康保险	参保人员	补贴孤儿药费用的 1/2 ~ 2/3 不等

1.1 财政资金补助

罕见病用药的花费高昂,个人或家庭很难独自承担。国家为了保护公民健康权益,改善居民健康水平,会启动政府的力量予以资助。比较典型的英国和澳大利亚,其国民医疗行为所产生的费用绝大部分被以税收为代表的医保基金或财政拨款款项所覆盖,罕见病也包含其中。而且英国还在国民医疗保障系统的基础上为罕见病患者提供了多层次的补偿,他们还可以通过特殊疾病基金的渠道获得补助,这之后自付费用负担仍然较重的患者还可以通过救助的形式得到补偿。^[10] 澳大利亚实施了救生药计划,

每年从财政资金中单独拨出一部分作为孤儿药的保障筹资,患者可以通过主治医师来申请获得资助,很好地缓解疾病经济负担。^[11]

1.2 罕见病专项基金补贴

罕见病患者的数量少、用药费用极高、用药依赖性等特点使得它与常见疾病存在较大的差异。将一般的药物政策运用于罕见病用药,可能会存在保障不精准、资金支持不稳定、成本—效果评价不过关等一系列的问题。因此,一些国家和地区探索了新的形式,即针对罕见病设置专款专用的基金。欧盟各成员国,由欧盟总部分配的基金和各成员国自行筹集的资金共同构

成罕见病专项基金。比如意大利在欧盟所给予基金的基础上,又每年投入三千万欧元来补偿罕见病患者的用药支出。^[12]另一个比较典型的为新加坡,2019年由卫生部牵头成立了罕见病基金,来帮助特殊罕见病和药物治疗成本高的居民。该基金综合了社会和政府的力量,公众每捐赠一新元,政府则相应匹配投入三新元到基金库中。^[13]这一形式不仅建立了较为可观的罕见病基金,还提高了公众对罕见病的认知,有利于推动罕见病保障资金建设的良性循环。

1.3 医疗保险报销

部分国家采取以医疗保险报销的模式对患者进行保障,主要包括社会医疗保险、商业健康保险等形式。由于许多罕见病具有遗传性的特征,很多商业保险将其排除在外。但美国的居民大多通过私人购买医保来获取医疗服务,故而美国的《孤儿药法》中明确指出,商业保险不能将罕见病患者拒之门外。^[9]这也从法律层面为罕见病患者的治疗给予了强有力的支持。在美国,参加商业保险的罕见病患者需要

比其他参保人员额外支付一千美元的参保费,即可享受所有已上市用药的报销^[14],每人每年的支付限额为100万美元。此外,社会医疗保险作为许多国家重要的筹资形式,可以为罕见病患者提供较大的资金支持。比如韩国的医疗保险由个人、雇主和政府共同筹资,它也将罕见病用药纳入了报销的目录,补偿比例为1/2~2/3。^[15,16]

2 我国罕见病用药的保障模式与探索

虽然单个罕见病涉及的患者人数非常少,但目前已经发现的罕见病病种非常多,总体来看罕见病患者群体是庞大的,据推测我国的罕见病患者可能逾2000万。^[17]由此看来受罕见病影响的人不在少数,近年来国家也对罕见病越来越关注。不仅出台了关于罕见病的诊断标准、药物研发、诊疗医院等一系列制度,还在药价谈判方面持续发力,将部分罕见病用药纳入了基本药品目录。在针对罕见病保障的具体实践中,我国形成了多样的保障模式(表2)。

表2 国内先行地区在罕见病用药保障模式中的实践

地区	政策层次	筹资形式	覆盖范围	补偿标准
成都	地市级	商业健康保险	四氢生物蝶呤缺乏症	2万元起付,赔付比例为75%,年度总限额为100万元
青岛	地市级	补充医疗保险、财政资金、社会捐助	17种罕见病治疗药物	医保报销80%,其余超过5万元的部分再报销70%,年度限额20万元。对低保、低保边缘和中低收入的家庭进一步救助,救助限额13万元
浙江	省级	罕见病用药保障基金	指定疾病和药物目录	0~30万元报销80%,30~70万元报销90%,70万元以上全额报销
佛山	地市级	医疗救助专项资金、财政补助、社会捐赠等	《第一批罕见病》中的所有病种,指定药品、治疗性食品	自付费用的80%予以救助,年度限额30万元

2.1 医疗保险报销

我国在罕见病领域持续探索,国家层面的基本医疗保险覆盖范围不断扩大,逐渐将罕见病用药纳入报销目录内。2019年在国内正式上市的55种孤儿药中的32种(对应的19种罕见病)已经被纳入国家医保药品目录,当年新纳入的药物有5种,分别用来治疗肉碱缺乏症和帕金森病青年型。^[18]2020年国家医保目录中又新增7个罕见病用药(对应4种罕见病),分别用来治疗尼曼匹克、血友病、肺动脉高压和多发性硬化。^[19]

除基本医保外,大病保险、门诊特定药品、特殊药品管理以及商业健康保险中也都可看到对部分罕见病用药的保障。2020年2月19日陕西省汉中市汉台区医疗保障局出台了关于戈谢病和庞贝病的保障制度,其治疗药物经省局统一组织谈判后纳入大病保险支付范围进行报销。^[20]成都市于2020年2月

24日将肝豆状核变性、普拉德-威利综合征等疾病纳入门诊特殊疾病的管理,报销其治疗药品及检查费用,对不同层次的参保人群和不同疾病设置差异化的支付标准。^[21]2020年2月25日湖南省医疗保障局颁布的《关于将部分药品纳入我省医疗保险特殊药品使用管理范围的通知》中将戈谢病的治疗药物伊米苷酶和庞贝病的治疗药物注射用阿糖苷酶α纳入管理,对其参照省医保乙类药品消化期管理范围,对药物费用的70%予以报销,并且报销后个人自付的药物费用负担再纳入大病保险基金支付范围。^[22]商业健康保险模式比较典型的有佛山、成都等地的探索。2019年12月,佛山市医保局宣布“平安佛”的推出,每人每年缴费185元,最高报销额可达239.6万元,用来解决高额自付医疗费用的问题。其中对个人自付费用超过2.5万元的部分予以60%的报销,年度限额100万元。^[23]2020年5月由四川省

医疗保障局、成都市医疗保障局指导发布的成都市民专属普惠式商业健康保险“惠蓉保”正式发布,对高值药物给予保障。其中纳入了四氢生物蝶呤缺乏症的治疗药物,参保者每人每年交保费 59 元,报销的起付线为 2 万元,75% 的赔付比例,年度限额补偿 100 万元。^[24]

2.2 财政资金补助

财政资金对罕见病的保障紧密依赖于地区的经济发展水平和财政收入,更关键的是政府对于资金分配的考量。青岛市从 2005 年开始对罕见病多阶段持续深化的补偿,该地区对罕见病的保障以财政资金为主,为患者提供及时有效的帮助,并为其他地方的罕见病保障实践提供了宝贵经验。^[25]其早期资金来源主要为财政拨款,基金按照 9:1 的比例分配至医保和救助部门进行落实。后期通过补充医疗保险的形式对指定对象的孤儿药花费报销 80%,自付费用负担仍然较重的再次补偿,并对低收入群体实施进一步的救助,多层次缓解患者的治疗负担^[26]。该市财政局和人社局联合发布的《青岛市补充医疗保险特殊药品和特殊医用耗材及精准诊疗项目目录》中还纳入了四氢生物蝶呤缺乏症、戈谢病和肺动脉高压的治疗药物,使其享受特药保障待遇,对这些药物费用予以 60% 的报销并且未设置起付线和封顶线。^[27]

2.3 罕见病专项保障基金

这一模式最为典型的代表为浙江省,在 2019 年 12 月 30 日公布的《关于建立浙江省罕见病用药保障机制的通知》建立浙江省罕见病用药保障基金,根据前一年年底基本医疗保险参保人数,按 2 元/人/年的标准一次性从大病保险基金中上缴至浙江省罕见病用药保障基金,用于罕见病的用药保障、医疗救助和慈善帮扶等多层次保障机制。^[28]保障标准中实行分段按比例报销,对 0~30 万元的部分予以 80% 的报销,30~70 万元的部分予以 90% 的报销,70 万元以上的部分予以全额报销,减轻大部分罕见病患者的疾病经济负担。在此政策实施的条件下,早前纳入大病保险的戈谢病和苯丙酮尿症的药品不再延续之前的保障模式,而纳入专项基金的保障范围。

2.4 医疗救助补贴

罕见病患者,特别是使用高值药物的患者经常造成家庭的灾难性卫生支出。此时,在基本医疗保险、大病医保等报销后仍不能负担治疗费用的家庭,医疗救助是防止其陷入贫困的重要手段。佛山市在

调整医疗救助策略时,将罕见病作为救助的一部分纳入考虑。2020 年 4 月 1 日印发《佛山市医疗救助办法》中专门提到了对于在符合条件的医疗机构进行诊疗的罕见病患者,其药物支出及治疗性的营养食品支出的自付部分按照 80% 的比例予以救助,并设立了个人年封顶线为 30 万元。^[29]医疗救助是政府对贫困人口进行补助,促进其获得基本卫生服务和恢复健康的一种保障方式。但由于其筹资来源比较单一,救助的范围和水平有限。^[30]佛山市针对罕见病群体在救助层面做出了较大的突破,给予了患者强有力的帮助和支持,并且可以跳出国家基本药物目录的局限。佛山将第一批罕见病目录中的 121 种疾病皆纳入救助范围,为更多有药不能医的患者提供接受治疗的机会。

3 国内外不同保障模式之间的比较

3.1 财政资金补助

国内外均有通过国家财政资金来补偿罕见病的用药费用。财政资金的使用是国家资源战略部署的重要组成部分,如何将有限的资金妥善地分配到教育、科技、医疗等领域需要经过严格的评价和审核。因此,无论是澳大利亚、日本等国家,还是国内的青岛,在选择要补助的罕见病药品时都经过了专家组严格规范的审评。这也反映出财政补助覆盖孤儿药数量并不多的状况。随着罕见病上市药品的不断增加和临床证据的证实,更多需要被保障的药品可能给政府带来较大的财政压力。目前来看,发达国家对罕见病药品的覆盖面更广、保障水平更高,这是其经济水平和患者基数所决定的。虽然国内使用财政资金进行补偿的力度不及发达国家,但基于当前的国情予以患者一定的补偿这一探索提高了药物的可及性,并且切实缓解了患者的经济负担。再者,财政资金的注入能够为罕见病患者带来相比其他形式更为稳定和可持续的补偿,它也能更好地保障患者接受连续的治疗,从而维持较好水平的健康状态。

3.2 医疗保险报销

将罕见病纳入医保可以借助大规模的医保筹资得到较好的风险共担,且一旦药物纳入社会医保,就可以通过国家谈判等形式进一步降低药品的价格,使患者更大程度的受惠。但社会医疗保险评价药物不仅考虑药物的临床价值、安全性等特征,还考虑其成本—效果的问题。而部分高值药品,单个患者使

用医保基金的规模非常大,可能会引发医保资金使用效率和相对公平性的争议。但相比国外,我国在社会医保层面还尝试了像大病医保、门特管理等补充保险,它们能够根据各地区经济实力、患者数量、医疗技术水平等环境选择适宜的保障范围和保障水平。在制度框架内探索适合罕见病的创新型保障模式,对国家医保目录未能保障的药品进行补充,减轻大病支出型贫困家庭的卫生费用负担。但其救助资金通常为各地的大病统筹医疗保险资金,其统筹规模有限,保障对象多为负担严重的疾病,罕见病用药的纳入进一步加重了基金的配置压力,决策者需对标其他重大疾病的保障制度,科学设置罕见病的准入机制和保障水平,以规避资金的穿底风险。

商业健康保险公司可以根据疾病病程、费用增长趋势、患者流行病学特征等内容在测算可控保额的前提下,对特定病种予以保障,并通过广告宣传等途径尽可能多地鼓励群众参保来提高基金的筹资水平。目前来看,商业健康保险对罕见病患者的保障水平比较高,被覆盖病种基本能够实现所需的治疗。但相比美国强令禁止商业保险拒绝罕见病患者参保的政策,国内大多数商业保险都回避了罕见病这样先天性疾病的患者参保。即使有部分保险计划将其纳入了医保,但由于商业保险的营利性本质,往往投保门槛比较高,或者先决条件相对社会医保而言更加苛刻,患者投保不能受到补偿反而还需额外增加保费的支出。而且,国内商业保险覆盖罕见病的病种非常有限,且多未覆盖高值罕见病用药。部分被覆盖药品由于起付线的设置,年龄较小、药物使用剂量较低的患者不符合其报销政策的要求而不能享受到补偿。

3.3 专项基金补贴

针对罕见病设立专项基金予以补贴可以保证专款专用,避免类似社会医保的公平性和效率问题,并且它可以跳出现有药品目录对药品管理的限制。针对罕见病的特点设置合理有效的补偿方案,确定适合罕见病的阈值来更大程度上缓解患者的经济负担。国内外在专项基金的构成上存在一些差异,浙江省的罕见病专项资金本质上是由居民共同筹资得来的,而欧盟成员国的专项资金是由欧盟分配、本国医保资金或财政补贴共同构成的,新加坡的专项资金则是由政府和公众以3:1的比例筹集的。目前像新加坡和我国浙江省,都是在建立基金的前提下,初步对个别药物或者个别患者开展较小范围的援助,

还有待进一步扩展,使更多人获益。因此,建立专项基金共担费用之后,还需要进一步完善药品的纳入评审制度和建立适宜补贴标准,促进符合要求的药物被纳入,以及体系的综合有效运作。

3.4 医疗救助补偿

国内外都有针对贫困人口的救助制度,但大部分国家或地区对罕见病用药的救助是随其他药物管理而行,鲜有将罕见病单列考量的。佛山在医疗救助制度中将罕见病单列出来说明对其保障的范围和标准,一方面显示出对罕见病患者的高度关注,另一方面也是由于当前国家医保报销对于高值罕见病药品的制度限制,地方层面不能突破国家制定的药品目录来实施援助。所以通过医疗救助这一渠道,可以对支出型贫困的家庭予以救助,以此来保障罕见病患者的用药。但一方面医疗救助的本质是作为补充措施出现的,这就决定了它的援助规模一般都不会很大,对于罕见病患者而言可能力量相对微薄。另一方面,在当前我国农村人口还比较多,收入来源不稳定的情况下,要想对支出型贫困的患者进行家庭收入的衡量,在操作层面也存在较大的困难。

4 结语

不同国家或地区,在自身医疗体系、药品管理制度、患者构成、经济水平和法律体系等一系列内在因素和外部环境的共同影响下,对罕见病保障模式的选择是各异的。不能武断地判断哪种模式更为优越,每个国家应该因地制宜,根据国情选择适合当前发展的保障模式。我国经济总量虽然庞大,但人均收入还处于较低水平,针对罕见病的卫生筹资和分配利用有诸多限制。虽然罕见病的发病率极低,但中国的人口基数大加上罕见病种类多,造成我国罕见病患者不在少数,也增加了对其进行保障的基金压力。针对这种情况,我国可以考虑采取多层次保障、多主体共担的模式来缓解患者的用药经济负担。

综合上述各模式的优势,首先,以基本医疗保险为基础,通过药价谈判为患者争取更多的福利;其次,各类补充医疗保险对标大病保险的补偿标准探索可行的方案;再次,医疗救助和财政资金可针对罕见病设置专项援助计划,拨付一定的款项用于自费负担仍然较重的罕见病患者的补贴;与此同时积极向大众宣传和呼吁社会慈善力量的参与,集合多方的力量共同解决罕见病患者的用药可及性问题。除

了多方共担用药费用外,对于罕见病患者的保障标准也需要进行精准化设计,无论是纳入药物的原则还是补偿的标准都需要进行严谨的计算,根据预算资金的规模选择合适的资助组合。将有限的预算用到最急需的疾病或患者身上,最大程度上提高资金的利用效率。罕见病保障模式的探究是对边缘患者的重要支持,实施对罕见病患者的资助也有利于促进我国医疗保障体系的不断健全,维护人民群众的健康需求。

作者声明本文无实际或潜在的利益冲突。

参 考 文 献

- [1] 张阳,杜建,张抒扬. 罕见病的全球资助格局初探[J]. 国际药学研究杂志, 2019, 46(9): 710-715.
- [2] 宣建伟,孙巧. 中国罕见病药物经济学评估适用模型与支付阈值参考标准探讨[J]. 国际药学研究杂志, 2019, 46(9): 659-665.
- [3] 刘丽华,赵建中,谢松梅,等. 罕见病药物的临床审评: 挑战与思考[J]. 国际药学研究杂志, 2019, 46(9): 673-678.
- [4] 王玮. 从遗传的角度谈罕见病的诊治进展[J]. 临床荟萃, 2019, 34(3): 201-206.
- [5] 王桢颜,郇建立. 罕见病患者家庭的压力分析及社会工作介入路径探讨[J]. 重庆医学, 2020, 49(14): 2415-2417.
- [6] 阳义南,肖建华. 罕见病医疗负担对支出型贫困的影响研究[J]. 中国卫生政策研究, 2019, 12(1): 19-28.
- [7] 刘菲,周静,胡明. 我国罕见病用药医疗保障政策及医保目录收录情况分析[J]. 中国卫生经济, 2018, 37(3): 71-76.
- [8] 刘芸男,彭荣荣,杨小丽. 实现我国罕见病药品可及性的困境与对策研究[J]. 中国卫生经济, 2020, 39(6): 30-32.
- [9] Heemstra He L H, Rodgers Rpc, et al. Characteristics of orphan drug applications that fail to achieve marketing approval in the USA[J]. Drug discovery today, 2011, 16: 73-80.
- [10] Gammie T L C, Babar Zud. Access to orphan drugs: a comprehensive review of legislations, regulations and policies in 35 countries[J]. Plos one, 2015, 10: 1371.
- [11] Shahid Hussain. A comprehensive review of orphan drugs policies, procedure, legislation, regulation, established in the United States and Australia [J]. Value in health, 2017, 20: A368-A368.
- [12] 吕梦凝,殷伊蓉,常峰. 国际环境下我国罕见病医疗保险的问题及对策分析[J]. 中国医药导刊, 2017, 19(8): 846-851.
- [13] Ministry of Health. Rara disease fund to provide financial support to singaporeans with rare diseases [EB/OL]. (2019-07-02) [2020-10-10]. <https://www.moh.gov.sg/news-highlights/details/rare-disease-fund-to-provide-financial-support-to-singaporeans-with-rare-diseases>
- [14] Thamer M B N, Semansky R. A cross-national comparison of orphan drug policies: Implications for the US Orphan Drug Act[J]. Journal of health policy and law, 1998, 23: 265-290.
- [15] 孙宇航,王萍. 国内外罕见病患者医疗保障现状探讨及启示[J]. 中国卫生质量管理, 2019, 26(3): 141-145.
- [16] 钟军,郜文,霍记平,等. 罕见病医疗保障的国际比较研究[J]. 药品评价, 2014(6): 8-11.
- [17] 张抒扬. 关爱罕见病,从保障用药开始[J]. 中国卫生, 2019(5): 63-65.
- [18] 胡善联. 罕见病药物政策和药物经济学研究的特征[J]. 国际药学研究杂志, 2019, 46(9): 652-658.
- [19] 国家医保局人力资源社会保障部. 关于将 2019 年谈判药品纳入《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录》乙类范围的通知[Z]. 2019.
- [20] 汉台区医疗保障局. 好消息! 戈谢病和庞贝氏病两种罕见病医疗有保障啦! [R]. 2020.
- [21] 成都市医疗保障局. 关于肝豆状核变性、普拉德-威利综合征和原发性生长激素缺乏症纳入门诊特殊疾病管理的通知[Z]. 2020.
- [22] 湖南省医疗保障局. 关于将部分药品纳入我省医疗保险特殊药品使用管理范围的通知[Z]. 2020.
- [23] 佛山市人民政府. “平安佛医保”下月起推出[EB/OL]. (2019-12-24) [2020-10-10]. <http://www.foshankj.com/33337707.html>
- [24] 成都医保. 成都市惠蓉保介绍[EB/OL]. (2020-05-08) [2020-10-10]. <http://cd.bendibao.com/live/202058/111207.shtm>
- [25] 黄如方. 青岛,罕见病保障开局[J]. 中国社会保障, 2014(10): 76-77.
- [26] 杨燕,何江江,王月强,等. 以青岛市戈谢病患者为例研究罕见病药物保障多方支付的可行性[J]. 中国药房, 2019, 30(19): 2593-2597.
- [27] 青岛市财政局,青岛市人力资源和社会保障局. 关于公布《青岛市补充医疗保险特殊药品和特殊医用耗材及精准诊疗项目目录》及有关问题的通知[Z]. 2018.
- [28] 浙江省医保局. 关于建立浙江省罕见病用药保障机制的通知[Z]. 2019.
- [29] 佛山市人民政府办公室. 关于印发佛山市医疗救助办法的通知[Z]. 2020.
- [30] 任珂,陈杏. 中国医疗救助政策演进与改善策略探索[J]. 中国卫生事业管理, 2020(3): 166-170.

[收稿日期:2020-09-23 修回日期:2020-11-19]

(编辑 薛云)