

我国现有罕见病患者逾2000万,随着罕见病用药保障发生重大变化,多层次保障体系逐步完善 用药“全球最低价”是如何做到的

据文汇报 每天早晨,父亲把蓝剑儿从床上扶起,用叠好的被褥垫在他的身后,帮他打开电脑,把他的右手搁到鼠标上,蓝剑儿就这样开始了一天的工作——在漫画里诉说自己的喜怒哀乐。

蓝剑儿是一名漫画作者,38岁,因患有“肌肉萎缩”,如今他全身上下只有右手能略微活动。

2月28日是第15个国际罕见病日,包括蓝剑儿在内的更多罕见病患者期待被“看见”。当然,“看见”不是故事的终章,而是起点。

为罕见病奔走多年的医学专家告诉记者,近年来,我国对罕见病的关注力度持续增强,尤其是去年,国家医保局为罕见病药物进入医保而进行的“最美谈判”,不仅引来全网刷屏,更提示着我国罕见病高值保障所处的政策环境发生重大变化:多层次的保障体系正在逐步完善,惠及更多患者。

生而“罕见”的他们,把自己活成一道光

罕见病是指患病率特别低的疾病。2021年,《中国罕见病定义研究报告》在上海发布。据估算,在我国有超过2000万各类罕见病患者。

关注罕见病,首先要发现罕见病。正是在这条发现之路上,不少人惊讶地看到,他们虽然经历着“罕见人生”,但很多人把自己活成了一道光。

在上海市罕见病基金会与上海教育电视台、上海科技发展基金会、上海市科普事业中心联合主办的《生而罕见,活出精彩》公益晚会录制现场,家住石家庄农村的蓝剑儿通过视频形式与大家见面。蓝剑儿从小因“肌肉萎缩”导致四肢无力,他在父母怀中跑遍了各大医院,却始终无法获得一个明确的诊断。15岁后,他日渐

僵硬的身体再也不能承受旅途劳顿,他的物理世界也就此被划定在家里的床榻上。

但蓝剑儿又是如此与众不同,从没接受过美术训练的他用绘画与世界对话。“鱼是会飞的,因为水把它困住了;我也是会飞的,因为地心引力把我抓住了。”这是蓝剑儿给自己的漫画配的小诗。

遗传学与罕见病科普公益平台“豌豆Sir”发起人陈懿玮说,完全没想到如此充满意趣的画作,竟会出自一名重症患者之手。

33岁的金晟是I型糖尿病患者。在大众印象里,糖尿病很常见,但I型糖尿病是“例外”,发病率仅为万分之二。I型糖尿病多发于儿童青少年。12岁那年,金晟确诊了,这可不不仅仅意味着他的人生从此离不开针筒——保证胰岛素注射。

“别人上门提着一堆礼物,我是拿着厚厚一叠医学报告,我得让岳父岳母放心。”金晟忆及自己作为“毛脚女婿”上门的画面。至于来自同学、同事因不了解而产生的“区别对待”,更是I型糖尿病患者共同的遭遇。

由于从小就是复旦大学附属儿科医院的“常客”,金晟与医护人员建立了深厚友谊。2019年,他索性辞去工作,成立“小糖人”公益组织,专为患儿提供援助。金晟说,他想成为患儿的榜样,用自己的经历证明,罕见病患者也能拥有精彩人生。

“天价药”进医保,实现“零的突破”

去年12月,国家医保局发布《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录(2021年)的通知》。基本医保目录新纳入了7个罕见病药品,数量仅次于肿瘤和抗感染领域。此外,9种罕见病用药成功谈判续约。

据统计,截至目前,有28种罕见

病的58种用药已纳入国家基本医保目录。新纳入医保的罕见病用药中,有2个原是高值用药,即所谓的“天价药”。

“此次通过大幅降价纳入国家基本医保目录,实现了罕见病高值用药国家医保‘零的突破’。”上海市罕见病防治基金会理事长李定国告诉记者,可能是因为我国的患者规模、竞争产品出现等多种因素,使得国家医保谈判可以争取到进口高值用药远低于国外市场的价格,甚至可以说是“全球最低价”。

展望新形势下罕见病高值用药保障,李定国分析,在未来一段时期内,更应该积极探索社会力量发挥重要作用的保障新机制、探索新模式。“面对加快出现的各类创新高值用药,确实无法通过基本医保来解决所有罕见病高值用药问题。”他同时谈到,随着竞争加剧等因素,有些罕见病高值用药可能会通过降价进入国家医保,但价格的下降不能只寄托于医保部门的谈判,更需要科技、工信、药监、税务、卫生等部门在药品的研发、生产、流通、使用等环节给予支持,以此不断激励医药研发动力,进一步推动政策性商业保险发展。简言之,不是拼“最便宜”,也不是被“天价药”吓倒,而是通过腾笼换鸟的多方共付机制,实现“健康至上”的最大公约数。

了解罕见病的医生,甚至比罕见病还罕见

当前,诊疗难、用药保障难,依旧是横亘在罕见病患者治疗路上的两座“大山”。

并非所有罕见病都有药可医。首先,目前全球已知的7000多种罕见病中,针对性药物开发成功的案例屈指可数。其次,即便有特效药,很多情况下也是唯一的“孤儿药”,由此又

带来“天价药”问题。

有医生告诉记者,即使当一些患者终于迈过“确诊难”这道坎,且幸运获悉自己所患的罕见病不仅有药可治,药费还很便宜,问题也没有就此结束。由于罕见病患者数量实在太少,廉价药动不动会面临“断药”……正因此,努力从未间断。

2019年,当蔡磊确诊肌萎缩侧索硬化(ALS)时,他迅速聚集社会资源,发起中国社会福利基金会“渐愈公益计划”,会同企业与华山医院神经内科开展研究者发起的研究,希望寻找ALS更有希望的新疗法。此前,他头戴另一顶耀眼光环:京东集团副总裁。“老天就是选中蔡磊来做这事。”蔡磊对别人这样说。他患的ALS还有另一个名字——渐冻症。罹患渐冻症的人,将在几个月到几年时间里逐渐“冻”住,最终因呼吸衰竭而死去。

刘轩飞身患肾上腺脑白质营养不良症,这病会造成听觉和视觉功能损害、智力减退、行为异常、运动障碍等一系列问题,95%患者为男性。刘轩飞正筹划一场“罕见病万里行”活动。去年夏天,他同病友张伟、病友家属左哥,三个男人驾驶一辆房车历时51天、行驶路程超过1万公里,走过了我国东部17个省市。刘轩飞说,1万公里的行程中听到了很多罕见病患者的故事。“从最开始的诊断时长,到后来的就医路、寻找针对性治疗药、治疗费用的覆盖,以及长期康复问题,罕见病患者的需求是长期的,且非常具体。”

李定国介绍,由于发病率极低、病例稀少,对各类罕见病的医学研究长期不足。“可以说,了解罕见病的医生甚至比罕见病本身还要罕见。也正因此,我们呼吁更多专业人士投身到罕见病研究及相关药物开发、医疗与社会保障的事业中。” ■唐闻佳

如何缓解运动引起的腰痛

据新华社 享受冰雪运动的乐趣之余,若出现腰痛等运动损伤,也需有应对之策。北京协和医院康复医学科康复治疗师陈铮威介绍,运动引起的腰痛是常见的运动损伤之一,也是急性腰痛的一种,通过卧床休息结合适当运动可以有效缓解。

陈铮威介绍,急性腰痛是腰部肌肉、筋膜、韧带等组织因外力作用突受过度牵拉,导致急性损伤或腰部小关节卡顿而引发的一组病症,表现为

腰部疼痛伴屈伸活动受限,体位变动时疼痛症状加重。

“将卧床休息和适当运动相结合才能达到更好的疗效。”陈铮威说,数十年来,卧床休息被认为是急性腰痛患者的标准治疗方式,但近年来多项研究证实,卧床休息并不会提升患者的恢复速度和程度;同时,有研究指出,急性腰痛患者应在耐受范围内维持规律的日常活动并进行一定强度锻炼,适当运动可以帮助缓解肌肉痉挛。

发生了急性腰痛,该如何卧床休息?陈铮威说,休息的姿势包括:仰卧位,在膝关节和头下各放置一个枕头,将肩部抬高;侧卧位,位于上方的膝关节屈曲,在两侧膝关节之间放置一个枕头;俯卧位,在腹部下方放置一个垫子,将腰部适度弯曲。“姿势应按照个人的舒适度进行调整。”

陈铮威提示,居家时还可利用热敷来缓解急性疼痛,可采取俯卧位,将热敷包加热至39℃至48℃后置于疼

痛部位,持续20分钟左右;工作或外出时可使用腰托来增加腰部稳定性。

除了卧床休息之外,陈铮威介绍,采取运动疗法既可以预防腰痛的初次发生,也可以防止复发。需要注意的是,扭伤3天内要“静多动少”,可做“核心收紧”运动;扭伤3天到1周及以后逐渐增加运动的比重,可做“俯卧伸展”等运动。若腰痛症状持续加重,范围累及下肢,应适时就诊。 ■田晓航

我国有近千万癫痫患者,药物手术无法治疗怎么办?

瑞金医院解密脑起搏器手术

据解放日报 根据中国最新流行病学资料显示,全球大约有5000万名癫痫患者,其中近五分之一在中国。癫痫已成为我国仅次于脑血管病的第二大神经科常见病。

随着治疗的规范化,虽然有七到八成患者可以控制病情,但有这样一个群体——药物难治性癫痫患者,不仅饱受疾病的折磨,还面临着治疗手段有限的困境,给病患及其家庭都带来极大的痛苦。不过近年来,这一困局有了优解。

日前,“高科技助力脑起搏器手术,脑机接口守护‘最强大脑’”活动在上海交通大学医学院附属瑞金医院脑病中心举办。专家们向公众科普脑功能性疾病,尤其是药物难治性

癫痫疾病的知识,解密“神奇”的脑起搏器手术、分享高科技智能手术助力精准微创治疗的先进理念、推广脑病中心“一站式”脑功能性疾病诊疗新模式,旨在推动社会对脑功能性疾病的关注和了解,加深患者对科学治疗手段的认知。

瑞金医院癫痫综合诊疗中心主任徐纪文介绍,脑深部电刺激(DBS),俗称“脑起搏器”,也是一种广义的脑机接口。通过植入大脑中的细微电极发射电脉冲刺激脑内核团,进而达到控制患者症状的目的。不同的核团可以治疗不同的癫痫类型。“它是神经调控治疗领域里程碑式的技术,迄今已在临床使用超过30年。在过往的临床应用中,脑起搏器

技术主要用于帕金森病、特发性震颤等运动功能障碍领域的治疗,并已取得非常好的疗效。”

癫痫作为脑功能性疾病,是由于大脑的异常放电导致,因此科学家尝试使用微弱电脉冲刺激大脑相关靶点,从而影响相应的神经环路,可以很好控制癫痫症发作。

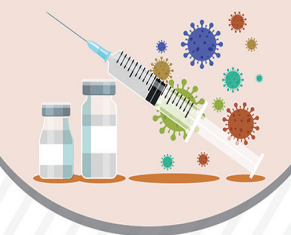
徐纪文表示,经国内外临床应用发现,脑起搏器手术能够有效减轻癫痫发作,同时有效缓解药物引起的并发症,从而明显改善药物难治性癫痫患者的生活质量。他们在临床还观察到,某些部位的微电流刺激可以明显改善癫痫的异常放电。该疗法正以其微创、可逆、可调的优势,成为药物难治性癫痫患者的新希望。

2021年5月7日,上海首家公立医院癫痫中心——瑞金医院癫痫综合诊疗中心成立,这是目前全国最大规模的癫痫外科诊疗中心之一。该团队包含神经外科医师、神经内科医师、儿科、电生理医师等。中心自成立以来,除为常规药物难治性癫痫患者进行详细的术前致痫灶定位检查外,还为患者制定个体化的药物、微创手术和电生理调控等一体式诊疗方案。

徐纪文表示,药物难治性癫痫不等于无药可医,社会大众应重视癫痫疾病,早发现、早诊断、早治疗。相信随着高科技疗法的引进和医疗技术的积累,一定能让更多病患回归美好生活。 ■黄杨子

新冠疫苗序贯加强免疫接种五问

权威解答在这里



什么是序贯免疫?

专家给出解释

即采用不同技术路线的疫苗,按照一定的时间间隔和一定的剂次,为了预防效果提高或者进一步降低严重不良反应风险,进行接种的一种策略

为何启动序贯加强免疫接种?

主要有两个目的

- 一是不同疫苗之间可以优势互补
- 二是不同人体质不一样,可能对某一类疫苗产生的副作用多一些,采用不同技术路线疫苗接种可以规避副反应

序贯加强免疫接种的条件是什么?

有四个重要条件

第一

此次序贯加强免疫的接种对象是18岁以上人群

第二

接种对象需满足已完成2剂次灭活疫苗接种的条件,且这2剂次接种的是国药中生北京公司、北京科兴公司、国药中生武汉公司的新冠病毒灭活疫苗

第三

要全程完成2剂次灭活疫苗接种,且接种间隔不能短于6个月

第四

接种对象没有进行过加强免疫,也就是没有打第三针

接种不同厂家的新冠灭活疫苗,算序贯加强免疫吗?

相同技术路线的疫苗,只不过厂家不同,不属于序贯免疫

已打第三针,是否还要序贯加强免疫接种?

如果前期打了两针新冠灭活疫苗,按照规定间隔6个月以上打了第三针新冠灭活疫苗,后续不需要采用序贯免疫来进行加强