毛群安 司长

郑宏 会长

葛均波 院士

张艳萍 社长

重点关注

# 呼唤罕见病国家战略

**医师报讯**（融媒体记者 **张玉辉**）3月5日，十三届全国人大五次会议在京开幕。**全国人大代表、山西医科大学血液病学研究所所长杨林花**带来了“完善罕见病患者治疗机制”的建议。国家医保局透露，下一步将继续探索建立罕见病用药保障机制，并鼓励商业保险机构为包括罕见病患者在内的人民群众提供更多保障产品。3月6日晚，在“声音·责任”2022全国两会医界代表委员座谈会上，杨林花代表就《关注罕见病 完善罕见病患者医疗保障机制》进一步进行阐释。

## 罕见病患者需要被关注

作为一位参加了8届“声音·责任”的全国人大代表、一名一线临床血液科医生的杨林花代表说：“其实，这并不是我第一次呼吁要关注罕见病了。对罕见病患者来说，最重要的就是实现病有所医、医有所药、药有所保。”

2018年，国家卫健委将121种罕见病纳入《第一批罕见病》，其中仅55种罕见病治疗方案纳入医保。但目前全球已经确认的罕见病超过7000种，并以每年250种至280种的速度递增。医疗费用成了部分罕见病患者和家庭无法承担的压力。

杨林花代表表示，对于血友病患者来说，一旦患病就要终生用药，虽然“三保合一以后，血友病门诊患者的治疗费用大约平均能报销70%～75%，患者自己承担25%左右，但仍有部分患者连这25%也无法承担。且罕见病远不止血液罕见病，他们并不能和血友病患者一样享受医保报销。

罕见病不仅是治疗费用高，而且面临着无药可用的困难境地。因此，杨林花代表今年带来的三个建议都有关罕见病。

杨林花代表说道：“我国人口基数十分庞大，罕见病其实并不罕见，罕见病患者需要被看到，也值得被关注。他们也应该和正常人一样得到国家医疗的保障。”

“如今政府将完善罕见病患者用药机制纳入重点工作中，相信通过国家的干预，罕见病患者会越来越好。”杨林花说。

会上，**全国政协委员、复旦大学附属妇产科医院院长徐丛剑**也表示，罕见病大多数都是遗传病。如果是单基因遗传病，目前利用生殖手段进行罕见病的家族遗传阻断比较容易，只是需要社会给予更多的关注和支持，并形成这方面的政策。

## 国家罕见病诊疗与保障委员会呼之欲出

“前几年，风靡全球的冰桶挑战使渐冻人进入大众的视野，其所患的肌萎缩侧索硬化（ALS）就是一种罕见病。还有患白化病的‘月亮宝宝’，脆骨病的‘瓷娃娃’，粘多糖贮积症的‘粘宝宝’，苯丙酮尿症‘不食人间烟火的孩子’等均属于罕见病。”**全国人大代表、山东第一医科大学附属省立医院（山东省立医院）神经内科主任医师卢林**在接受媒体采访时说。

“大多数罕见病可以通过预防来减少发病。我国近年来为了降低出生缺陷率采取三级预防，一是婚前、孕前筛查，二是产前筛查和产前诊断，三是新生儿筛查。”卢林代表提到，但目前仅5%的罕见病存在有效治疗方法，而且大多耗费巨大，给患者和家庭带来沉重的经济和心理负担。确诊难、没有药，新药上市后费用又难以负担，成为罕见病患者常常面临的困境。

卢林代表认为，“药有所保”是所有罕见病患者的期待，也是《“健康中国2030”规划纲要》大背景下不可忽视的“隐秘角落”。提高罕见病诊疗水平，提升罕见病药物可及性，已成为我国亟需解决的社会性难题。

对此，卢林代表建议，尽快启动我国罕见病国家战略及行动计划，成立跨部门的“国家罕见病诊疗与保障委员会”，部门包括卫健委、医保局、科技部、工信部、国家药监局、国家中医药局等，为罕见病诊疗提供顶层设计。

热点话题

## 持续加大医学科普推广力度

**医师报讯**（融媒体记者 **张玉辉**）政府工作报告中专门提到心脑血管疾病、肿瘤和罕见病。在过去的数年里我国脑中风、糖尿病等呈现暴发式增长，检查后得知大部分都与血管病有关。**全国政协委员、复旦大学附属中山医院心内科主任葛均波院士**认为这是大数据的提示——医生应充分认识到人是一个整体，疾病的发生要关注患者各个器官。

他表示，广义上的血管病其实就是代谢性病，营养过剩导致了我国越来越多的人患上高血糖、肥胖、高血压。我们应该思考：下一步如何做好上游的预防才能实现《“健康中国2030”规划纲要》宏伟目标？

“其实最重要的就是每个人都养成健康的生活方式，小的坏习惯越累越多，最后就会酿成大病。”葛均波委员认为，医生是健康科普的主力军，让更多人知道、养成健康的生活方式是医生的责任和义务，目前要做的就是持续加大基层医学科普的推广力度，助力全民健康素质的提升。

今年是葛均波任全国政协委员的第15年，他说：“作为医务工作者，制定国家大政方针可能不是我们的强项，但我们能从专业角度来促进国家整体医学的发展、为人民谋幸福。”

## 建议政府集采商业保险

**医师报讯**（融媒体记者 **王建生**）“居民医保、包括新农合，应由政府集中采购、强制购买常见大病的商业保险，或直接以治病花费多少（如大于等于五万或十万）为大病标准。”**全国人大代表、福建省立医院原副院长翁国星教授**建议，购买常见大病商业保险，最好是中央政府集中采购。可由政府根据这几年医保常见大病，全部购买。经费由中央政府每年增加的居民医保款，如今年新增30元，加上地方政府财政与受保个人共同支付。

翁国星代表说，由于现在已推行按疾病诊断相关分组（DRG）收费标准，所以以住院医疗费用作为大病标准也是可以考虑的方法。这种方法最大的优点就是更直接明了地解决患者的医疗负担。

翁国星代表认为，控制医疗费用，应以保证医疗质量为前提，特别是保证必须的高值耗材的应用。因为缺乏必要的高值耗材，反而会有潜在增加医疗成本的机会，主要是影响治疗的效果，增加并发症等而增加治疗费用。

## 下好健康教育“先手棋”

**医师报讯**（融媒体记者 **秦苗**）提升基层疾病诊治水平和慢病管理智能化，是**全国政协委员、山东省立医院院长赵家军教授**多年来的夙愿。因基层大多属于偏远地区地处偏远、信息不发达等客观因素，如青海、新疆等，他提出要强化科技创新，通过信息和智能化管理，来帮助解决基层诊疗的“痛点”，以便更好服务人民群众。

另外，国家改革开放40年，随着经济发展，我国慢病发病率也呈倍数增长，最主要原因不外乎与不良生活方式有关，根本问题在于健康教育未能深入人心。所以他建议：一是将健康教育的力量凝聚起来，形成共同参与系统化工程；二是健康教育要专业化、标准化，健康知识要讲具体、健康理论要讲到位，真正让健康教育深入人心、落地见效；三是要抓住重点，老年人和青少年是重点人群，应该更好地抓好“一老一小”。作为医务工作者，赵家军委员建议要做好健康科普教育的组织者、参与者、推动者，更好地为“健康中国”打好“基础桩”。