# 国家谈判罕见病药品的采购情况及可负担性分析

任俊名[1,2]，徐陆欣怡[1,2]，何　雪[1,2]，丘佳琪[1,2]，滕彩霞[1,2]，崔　丹[1,2]*
（1. 武汉大学公共卫生学院，湖北武汉 430071；2. 武汉大学全球健康研究中心，湖北武汉 430072）

**摘要：**近年来，纳入国家医保谈判目录中的罕见病药品数量呈上升趋势，国谈罕见病药品在医疗机构的落地是评价国谈政策效果的关键。现以湖北省医疗机构 2018 年 1 月至 2022 年 12 月的药品网上采购数据为依据，对 2017 年至 2021 年间 4 次国谈的罕见病药品开展研究。选择用药频度（defined daily doses，DDDs）、限定日费用及采购金额等指标进行政策前后比较，采用灾难性卫生支出指标评价国谈罕见病药品的可负担性。分析发现，2017 至 2021 年，在 21 种国谈罕见病药品中，5 种药品未被湖北省医疗机构采购。与 2018 年相比，2019 年的采购 DDDs 与采购金额下降，2020 年至 2022 年的国谈罕见病药品采购 DDDs 和金额逐年上升。在医保报销前，年治疗费用超过城镇、农村居民灾难性卫生支出的药品分别有 14、15 种。经职工医保报销后，年治疗费用超过城镇、农村居民灾难性卫生支出的药品分别有 7、10 种；居民医保报销后分别有 10、13 种。由此建议政府牵头完善罕见病药品多方共付的机制，对特困人群做到分类管理，以此夯实民生兜底保障。

**关键词：**国家谈判药品；罕见病；孤儿药；可负担性
**中图分类号：**R95　　**文献标志码：**C　　**文章编号：**1672-9188（2023）06-0661-07
DOI：10.13683/j.wph.2023.06.025



# Analysis on procurement and affordability of rare disease drugs in National Negotiation Drugs

REN Junming[1,2], XU Luxinyi[1,2], HE Xue[1,2], QIU Jiaqi[1,2], TENG Caixia[1,2], CUI Dan[1,2]*
(*1. School of Public Health, Wuhan University, Wuhan 430071, Hubei Province, China;*
*2. Wuhan University Global Health Institute, Wuhan 430072, Hubei Province, China*)

**Abstract:** In recent years, the number of rare dise ase drugs included in the national medical insurance negotiation list has been increased, and the landing of rare disease drugs in National Negotiation Drugs is the key to evaluate the effect of the policy. Based on the online drug procurement data of medical institutions in Hubei province from January 2018 to December 2022, this article conducted a study on rare disease drugs that had been negotiated four times between 2017 and 2021. Defined daily doses (DDDs), defined daily dose cost and procurement amount were selected to compare before and after the policy, and catastrophic health expenditure indicators were used to evaluate the affordability of rare disease drugs. The analysis revealed that among the 21 negotiated rare disease drugs, 5 drugs were not procured by medical institutions in Hubei province from 2017 – 2021. Compared with 2018, the DDDs and procurement amount decreased in 2019, but the DDDs and amount of negotiated rare disease drugs increased year by year from 2020 to 2022. Before reimbursement by medical insurance, there were 14 and 15 drugs with annual treatment costs exceeding catastrophic health expenditures for urban and rural residents, respectively. After reimbursement by employee medical insurance, there were 7 and 10 drugs with annual treatment costs exceeding catastrophic health expenditures for urban and rural residents, respectively. There were 10 and 13 drugs after reimbursement by residents' medical insurance, respectively. Therefore, it is suggested that the government should take lead improving the multi-party co-payment for rare disease drugs and achieve classified management for the extremely poor population, so as to consolidate the guarantee of people's livelihood.

**Key words:** National Negotiated Drugs; rare disease; orphan drug; affordability

**收稿日期：**2023-02-22
**作者简介：**任俊名，硕士研究生，研究方向：罕见病药物政策。
**通信作者：**崔丹，副教授，硕士生导师，研究方向：国家药物政策研究。
**基金项目：**比尔及梅琳达·盖茨基金会“完善中国医保制度研究”项目（OPP1199760）

罕见病是指发病率低、患者数量少的一类疾病[1]，其主要治疗方式是长期用药[2]，药品的可及性直接关系到患者的生存时间。然而罕见病用药价格通常较高，可及性问题突出[3]。自2015年起，我国依托价格谈判和战略性购买机制将部分专利药品纳入基本医疗保险的保障范围，其中不乏罕见病用药。以往研究表明，在国谈政策实施后药品可及性显著提高[4—5]，但较少有研究关注国家谈判罕见病用药（下简称“国谈药”）的落地情况。因此，本研究以国谈药在湖北省医疗机构的落地情况为例，探究在政策实施前后采购和患者费用负担情况，为提高罕见病用药的保障水平提供参考。

## 1 资料与方法

### 1.1 资料来源

#### 1.1.1 罕见病用药信息

检索美国、欧盟及日本药监部门的官方网站，查询已注册《第一批罕见病目录》[6]中发布的121种罕见病适应证的药品名称，通过国家药品监督管理局官网（https://www.nmpa.gov.cn/）查询相应药品在我国的上市和适应证注册情况。药品的审批上市时间根据国家药监局发布的相关药品最早的批件时间确定。

#### 1.1.2 湖北省医疗机构罕见病用药采购数据

使用湖北省药械集中采购服务平台的药品采购数据库，包括采购药品的通用名、剂型、规格、生产企业、采购单位、采购数量、采购金额、采购时间及采购医疗机构名称等信息，时间范围为2018年1月1日至2022年12月22日。

### 1.2 研究对象

本研究的纳入标准如下。罕见病用药范围：截至2022年12月31日前已在我国上市并注册罕见病适应证的药品。国谈药范围：2017年至2022年公布的《国家基本医疗、工伤保险和生育保险药品目录》，协议期内谈判目录中包含的罕见病用药。医疗机构范围：纳入湖北省内13个市州和4个省直辖地区所有医疗机构罕见病用药的采购数据，排除关键信息缺失、数据逻辑错误的采购记录。

### 1.3 评价指标

药品的用药频度（defined daily doses，DDDs）：该指标能够反映目标药品的采购量（单位：mg），DDDs＝年度总用药量/限定日剂量（defined daily dose，DDD）。DDD指主要用于治疗成人的药品平均日剂量，检索WHO药品统计方法协作中心网站（https://www.healthprofessionals.gov.sg/tcmpb/en）获取药品的DDD值，对未发布DDD值的药品，根据药品说明书的推荐治疗剂量确定，其中重组人凝血因子Ⅶa的DDD以制药企业提供的估算值计算。

平均限定日费用（defined daily dose cost，DDDc）：该指标能够反映目标药品的价格，DDDc＝年度总采购金额/DDDs。

采购金额：是指目标药品在政策实施前后的采购金额总和。

药品年治疗费用（元）：年治疗费用＝单位药品价格×药品年用量，城镇职工基本医疗保险和城乡居民基本医疗保险的自付比例分别按30%和50%计算。

灾难性卫生支出：是指一定时期内家庭自付的医疗卫生支出在家庭非食品性消费支出中的占比超过40%[7]。当药品支出超过家庭“灾难性卫生支出”时，可认为这种药品不具有可负担性[8]。根据2021年湖北省统计年鉴中城镇和农村居民的人均消费支出、人口比例及平均家庭规模等计算，城镇居民的灾难性支出为24 071.06元，农村居民为14 660.05元。

### 1.4 研究方法

采用描述性统计方法对2018年至2022年湖北省医疗机构罕见病用药的采购品种数、采购DDDs、平均DDDc及采购金额等进行总体统计，比较2019年、2020年及2021年国家药品价格谈判结果执行前后罕见病用药的用药频度和采购金额变化，通过计算药品的年治疗费用相当于居民灾难性卫生支出的倍数来评价药品的可负担性，该倍数≤1时表示药品的年治疗费用可负担。

## 2 结果

### 2.1 样本的基本信息

截至 2022 年 12 月，本研究共确定 95 种已上市的罕见病用药，在我国基本医保谈判药品目录进行的 4 次调整中，分别有 3、7、5、7 种被纳入。其中，人干扰素 β-1b（适应证：多发性硬化症）于 2017 年谈判纳入医保，但在 2019 年被调出医保目录。因此，在本研究中共确定 21 种国谈药。4 轮国谈药审批上市与纳入医保谈判目录的间隔时间中位值分别为 8.75、2.08、0.92 及 1.33 年，详见表 1。

2018 年至 2022 年共有 62 种罕见病用药有采购记录，涉及 2 211 家医疗机构。16 种国谈药有采购记录，涉及 86 家医疗机构，其中三级医院 57 家，二级医院 25 家，基层医院及未定级医院 4 家。如表 2 所示，2022 年湖北省医疗机构采购的品种数最多，但仍有 5 种国谈药未见采购记录，分别是麦格司他、人凝血因子Ⅸ、醋酸艾替班特、氯苯唑酸及氨吡啶，分别用于治疗 C 型尼曼匹克病、乙型血友病、遗传性血管性水肿、特发性心肌病及多发性硬化症。

### 2.2 湖北省国谈药的用药频度、平均限定日费用及采购金额变化

相比 2018 年，2019 年新增采购 1 种国谈罕见病用药（重组人凝血因子Ⅶa），采购 DDDs 与采购金额同比下降 16.11% 和 2.36%，平均 DDDc 增长 65.99%。2020 年、2021 年的国谈罕见病用药采购 DDDs 分别同比增长 334.19% 和 475.71%，平均 DDDc 分别同比下降 7.92% 和 2.20%，采购金额分别同比上升 1 273.01% 和 487.68%。2021 年医保目录调整后，2022 年谈判罕见病用药的平均 DDDc 同比上升 1.14%（表 3，其中 2022 年数据截至 2022 年 12



**表 1 国谈药的基本信息**

**Table 1 Basic information of National Negotiation Drugs**

| 纳入医保谈判时间 | 药品通用名 | 注册的罕见病适应证 | 上市时间 | 上市与医保谈判结果公布间隔时间/年 |
|---|---|---|---|---|
| | 重组人凝血因子Ⅶa | 血友病 | 2002年 | 12.50 |
| 2017年7月 | 人干扰素β-1b | 多发性硬化症 | 2008年10月 | 8.75 |
| | 依维莫司 | 结节性硬化症 | 2013年8月 | 3.92 |
| | 波生坦 | 特发性肺动脉高压 | 2006年10月 | 13.08 |
| | 利奥西呱 | 特发性肺动脉高压 | 2017年9月 | 2.17 |
| | 马昔腾坦 | 特发性肺动脉高压 | 2017年10月 | 2.08 |
| 2019年11月 | 司来帕格 | 特发性肺动脉高压 | 2018年12月 | 0.92 |
| | 麦格司他 | 尼曼匹克病 | 2016年11月 | 3.00 |
| | 硫培非格司亭 | 重症先天性粒细胞缺乏症 | 2018年5月 | 1.50 |
| | 特立氟胺 | 多发性硬化 | 2018年7月 | 1.33 |
| | 芬戈莫德 | 多发性硬化 | 2019年7月 | 1.33 |
| | 西尼莫德 | 多发性硬化 | 2020年5月 | 0.50 |
| 2020年11月 | 氘丁苯那嗪 | 亨廷顿舞蹈病 | 2020年5月 | 0.50 |
| | 依达拉奉氯化钠 | 肌萎缩侧索硬化 | 2019年12月 | 0.92 |
| | 尼达尼布 | 特发性肺纤维化/系统性硬化症 | 2017年9月 | 3.17 |
| | 依洛尤单抗 | 纯合子家族性高胆固醇血症 | 2018年7月 | 3.42 |
| | 氨吡啶 | 多发性硬化 | 2021年5月 | 0.58 |
| | 阿加糖酶α | 法布雷病 | 2020年8月 | 1.33 |
| 2021年12月 | 诺西那生 | 脊髓性肌萎缩症 | 2019年4月 | 2.67 |
| | 氯苯唑酸 | 特发性心肌病 | 2020年9月 | 1.25 |
| | 人凝血因子Ⅸ | 血友病 | 2020年7月 | 1.42 |
| | 艾替班特 | 遗传性血管性水肿 | 2021年4月 | 0.67 |

月 22 日）。

**2.3** 国谈政策实施前后湖北省国谈罕见病用药的用药频度与金额的变化

在 2019 年、2020 年及 2021 年医保目录调整后，分别有 3、5、3 种新增药品在谈判政策实施后 1 年内有采购记录，有 6 种药品谈判政策实施前无采购记录，有 5 种药品在谈判政策实施前后有采购记录。在前后均有采购记录的 5 种药品中，除了波生坦的采购 DDDs 及采购金额有所下降，硫培非格司亭、尼达尼布、诺西那生纳及依洛尤单抗均有所增长（表 4）。诺西那生纳在 2021 年纳入国谈目录前后的采购量变化最大，政策后的采购 DDDs 比政策前增长 38 400.00%；尼达尼布在 2020 年纳入国谈目录前后采购金额变化最大，政策后比政策前增长 2 318.97%。

**2.4** 国谈罕见病用药的限定日费用和可负担性分析

在 2022 年有采购记录的 16 种罕见病用药中，DDDc 值最高为 885.71 元（阿加糖酶 α），DDDc 值最低为 20.27 元（依洛尤单抗）。医保报销前，有 14 种药品的年治疗费用超过城镇居民灾难性卫生支出，15 种药品的年治疗费用超过农村居民灾难性卫生支出。在职工医保报销后，自付费用仍然超过城镇居民灾难性卫生支出的药品有 7 种，超过农村居民灾难性卫生支出的有 10 种。对于农村地区患者，居民医保报销后仅有 1 种药品相比于医保报销前，自付费用不再构成灾难性卫生支出（表 5）。

## 3 讨论与建议

**3.1** 国谈罕见病用药进入医疗机构存在滞后

本研究显示，随着近年来一系列罕见病政策“组合拳”的出台[9]，2018 年至 2022 年湖北省医疗机构采购罕见病用药的品种数量增加，但在 2022 年，仍有 33 种罕见病用药、5 种国谈罕见病用药未有采购记录，这可能与湖北省罕见病的疾病谱和患者用药需求等有关。此外，这也反映了医院药品的采购与国家医保目录调整的不协调性[10]，罕见病用药用量少、价格昂贵、管理成本高[11]，医疗机构采购的积极性并不高。2021 年，政府部门力图通过实施“双

**表 2 2018 至 2022 年湖北省医疗机构采购罕见病用药的品种数变化**

**Table 2 Changes in the number of rare disease drugs purchased by medical institutions in Hubei province from 2018 to 2022**

| 年份 | 执行医保目录版本 | 上市品种数 | 采购药品数 | 医保目录纳入数 | 采购医保药品数 | 国谈药品数 | 采购国谈药品数 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 2018 | 2017年版 | 64 | 40 | 40 | 36 | 3 | 1 |
| 2019 | 2017年版 | 68 | 46 | 40 | 37 | 3 | 2 |
| 2020 | 2019年版 | 78 | 47 | 49 | 40 | 9 | 5 |
| 2021 | 2020年版 | 92 | 57 | 55 | 50 | 14 | 10 |
| 2022 | 2021年版 | 95 | 62 | 62 | 56 | 21 | 16 |

**表 3 2018 至 2022 年湖北省医疗机构国谈罕见病用药的采购情况**

**Table 3 Procurement of rare disease drugs in National Negotiation Drugs by medical institutions in Hubei province from 2018 to 2022**

| 年份 | 执行医保目录版本 | 采购DDDs/万 | | 平均DDDc/元 | | 采购金额/万元 | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | 数值 | 增长率/% | 数值 | 增长率/% | 数值 | 增长率/% |
| 2018 | 2017年版 | 15.20 | | 107.70 | | 66.82 | |
| 2019 | 2017年版 | 12.75 | −16.11 | 178.77 | 65.99 | 65.25 | −2.36 |
| 2020 | 2019年版 | 55.36 | 334.19 | 164.61 | −7.92 | 895.86 | 1 273.01 |
| 2021 | 2020年版 | 318.73 | 475.71 | 160.98 | −2.20 | 5 264.77 | 487.68 |
| 2022 | 2021年版 | 1312.61 | 311.82 | 162.82 | 1.14 | 11 160.84 | 111.99 |

表 4 2019 至 2021 年国家谈判政策实施前后 1 年湖北省国谈药的采购情况变化

Table 4 Changes in the procurement of rare disease drugs in Hubei province one year before and after the implementation of the National Negotiation Drugs policy from 2019 to 2021

| 通用名 | 谈判年份 | 采购医院数量 | | DDDs/万 | | | 采购金额/万元 | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | 政策前 | 政策后 | 政策前 | 政策后 | 增长率/% | 政策前 | 政策后 | 增长率/% |
| 波生坦 | 2019 | 4 | 2 | 0.16 | 0.11 | −33.33 | 22.03 | 11.28 | −48.80 |
| 硫培非格司亭 | 2019 | 3 | 14 | 0.36 | 4.27 | 1084.76 | 106.61 | 827.86 | 676.55 |
| 马昔腾坦 | 2019 | 0 | 1 | − | 0.01 | − | − | 0.83 | − |
| 尼达尼布 | 2020 | 1 | 12 | 0.01 | 0.66 | 7233.33 | 6.47 | 156.42 | 2 318.97 |
| 氘丁苯那嗪 | 2020 | 0 | 1 | − | 0.01 | − | − | 0.88 | − |
| 芬戈莫德 | 2020 | 0 | 2 | − | 0.03 | − | − | 5.75 | − |
| 西尼莫德 | 2020 | 0 | 2 | − | 0.03 | − | − | 4.74 | − |
| 依达拉奉 | 2020 | 0 | 8 | − | 1.62 | − | − | 157.77 | − |
| 诺西那生纳 | 2021 | 1 | 5 | 0.01 | 4.62 | 38400.00 | 55 | 1,277.43 | 2 222.60 |
| 依洛尤单抗 | 2021 | 11 | 32 | 9.5 | 70.6 | 643.13 | 747.35 | 1,431.18 | 91.50 |
| 阿加糖酶α | 2021 | 0 | 1 | − | 0.03 | − | − | 29.76 | − |

表 5 2022 年国谈罕见病用药的 DDDc 及可负担性评价

Table 5 Evaluation of the DDDc and affordability of rare disease drugs in National Negotiation Drugs in 2022

| 药品名称 | 规格/mg | DDDc/元 | 医保未报销前灾难性支出倍数 | | 职工医保报销后灾难性支出倍数 | | 居民医保报销后灾难性支出倍数 | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 城镇 | 农村 | 城镇 | 农村 | 城镇 | 农村 |
| 依洛尤单抗 | 140 | 20.27 | 0.31 | 0.5 | 0.09 | 0.15 | 0.15 | 0.25 |
| 依维莫司 | 5 | 41.83 | 0.63 | 1.04 | 0.19 | 0.31 | 0.32 | 0.52 |
| 氘丁苯那嗪 | 6 | 78.2 | 1.19 | 1.95 | 0.36 | 0.58 | 0.59 | 0.97 |
| 依达拉奉氯化钠 | 依达拉奉30 | 97.36 | 1.48 | 2.42 | 0.44 | 0.73 | 0.74 | 1.21 |
| 波生坦 | 125 | 106 | 1.61 | 2.64 | 0.48 | 0.79 | 0.8 | 1.32 |
| 利奥西呱 | 1 | 110.7 | 1.68 | 2.76 | 0.5 | 0.83 | 0.84 | 1.38 |
| 马昔腾坦 | 10 | 138 | 2.09 | 3.44 | 0.63 | 1.03 | 1.05 | 1.72 |
| 硫培非格司亭 | 6 | 158.11 | 2.4 | 3.94 | 0.72 | 1.18 | 1.2 | 1.97 |
| 西尼莫德 | 2 | 181.5 | 2.75 | 4.52 | 0.83 | 1.36 | 1.38 | 2.26 |
| 芬戈莫德 | 0.5 | 228 | 3.46 | 5.68 | 1.04 | 1.7 | 1.73 | 2.84 |
| 尼达尼布 | 150 | 253.36 | 3.84 | 6.31 | 1.15 | 1.89 | 1.92 | 3.15 |
| 诺西那生纳 | 12 | 276.5 | 4.19 | 6.88 | 1.26 | 2.07 | 2.1 | 3.44 |
| 特立氟胺 | 14 | 282 | 4.28 | 7.02 | 1.28 | 2.11 | 2.14 | 3.51 |
| 司来帕格 | 0.2 | 445.5 | 6.76 | 11.09 | 2.03 | 3.33 | 3.38 | 5.55 |
| 重组人凝血因子Ⅶa | 1 | 531.84 | 8.06 | 13.24 | 2.42 | 3.97 | 4.03 | 6.62 |
| 阿加糖酶α | 3.5 | 885.71 | 13.43 | 22.05 | 4.03 | 6.62 | 6.72 | 11.03 |

通道”政策来破解国谈药品“进院难”的问题，湖北省将国谈药纳入“双通道”管理并施行单独支付和三定管理[12]，然而罕见病用药在零售药房的供应依然会受到医院处方外配、给药方式及流通成本等影响，此外各统筹区域内门诊慢特病病种数量并不一致，患者在不同地区享受的政策待遇也有差异，待遇衔接仍处于调整阶段。

**3.2** 罕见病用药纳入国谈后药品可及性改善

有 6 种罕见病用药在纳入国谈目录后才有采购记录。这表明该政策通过降低药品价格，减轻疾

病负担，让更多的罕见病患者得以治疗。本研究显示2019年后，随着医保目录的动态调整，湖北省2020年和2021年采购的国谈罕见病用药品种数、采购DDDs及采购总金额增加，平均DDDc下降，而2021年医保目录调整后，平均DDDc增加1.14%，主要是2021年的医保谈判罕见病用药中新增了诺西那生纳和阿加糖酶α两种高值药品，且阿加糖酶α在2021年未有使用记录，导致计算整体的平均DDDc上升。其中，诺西那生钠在纳入国谈后DDDs比政策前增长了38 400%，极大的增长率提示在这类高值药品未被保障前，大部分患者的用药需求难以得到满足。其采购金额相比政策前增长了2 222.60%，表明这类高值药品在纳入国谈后，企业虽然进行了大幅的降价，但随着用药人数的增加，药品市场规模大幅增加，实现了患者和制药企业的“双赢”。然而基本医疗保险也难以对这类高值药品全部进行覆盖，虽然其总额绝对值并不高，但是随着患者生存时间的延长和存活数量的增加，在我国各地区经济水平发展差异巨大的背景下，部分地区的医保基金可能难以承受。因此，在调整医保目录的过程中，需要充分考虑罕见病流行病学、药品疗效、患者生存期及可替代治疗方式、适应证范围以及对医保基金的影响等，制定能够体现罕见病用药临床价值的医保准入规则，在保“基本”的原则下尽力而为，量力而行[13]。另一方面，仍需发挥补充商业保险、专项基金、社会慈善力量的衔接作用，建立“多方参与”的支付机制，才能让罕见病患者的保障具有可持续性。

### 3.3 高值罕见病用药亟需多层次医疗保障

在2022年有采购记录的国谈罕见病用药中，仍有7种药品对有职工医保的城镇居民会造成灾难性支出，而对居民医保的参保患者和农村患者来说药品可负担性更加不容乐观。患者的自付费用是决定药品可及性的关键因素，国家谈判政策实施后，虽然已经在一定程度上减轻了患者的用药负担，但是保障力度仍然有限。以往研究也指出我国医保制度对于罕见病用药可负担性的改善程度作用有限[14]。另外，相较于有特定罕见病保障政策的地区，在无保障地区的农村居民与城镇居民对于罕见病的可负担性的差距会更大[15]，这显然违反了社会保障的“水平公平”原则[16]。因此面对较大的城乡差异，罕见病保障体系应做到对特困人群设定分类管理，根据家庭收入来设置不同的起付线，按照病种或治疗需求来设定相同待遇。

## 4 结语

综上，我国罕见病用药的上市数量与医保覆盖数量增加，但药品进院难问题有待破除，部分罕见病用药的保障力度还十分有限。面对近年来上市的高值罕见病用药，基本医保难以实现覆盖，同时也会对地方医保基金带来挑战。建议我国一方面要建立罕见病用药清单，重视药品研发的实际激励，推动罕见病用药上市，另一方面，通过单独筹资成立罕见病保障专项基金，完善多层次的罕见病保障体系，夯实民生兜底保障。



**参考文献：**

[1] 丁若溪, 张蕾, 赵艺皓, 等. 罕见病流行现状——一个极弱势人口的健康危机[J]. 人口与发展, 2018, 24(1): 72-84.

[2] Tambuyzer E, Vandendriessche B, Austin CP, *et al*. Therapies for rare diseases: therapeutic modalities, progress and challenges ahead[J]. Nat Rev Drug Discov, 2020, 19(2): 93-111.

[3] Guan X, Zhang J, Man C, *et al*. How far have we come? Challenges to orphan drug access in China, 2011–2017[J]. J Pharm Sci, 2019, 108(6): 2199-2205.

[4] 申远, 杨莹, 毛李宁, 等. 我国公立医疗机构国家谈判药品采购使用现状：基于13个地区的实证数据分析[J]. 中国卫生资源, 2022, 25(3): 283-290.

[5] 郑登滋, 李玉水, 陈纯, 等. 福建省推进国家谈判药品政策落地情况调研及实证分析——基于集中采购与特药药房数据[J]. 中国医疗保险, 2021, (10): 30-35.

[6] 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]. (2018-06-08)[2023-01-30]. http://www.nhc.gov.cn/yzygj/s7659/201806/393a9a37f39c4b458d6e830f40a4bb99.shtml.

[7] Xu K, Evans DB, Kawabata K, *et al*. Household catastrophic

health expenditure: a multicountry analysis[J]. Lancet, 2003, 362(9378): 111-117.

[8] 方龙宝, 左根永, 贾莉英. 我国基本药物可负担性测算方法及策略研究[J]. 中国卫生事业管理, 2016, 33(3): 197-198.

[9] 张抒扬, 张学. 近年中国罕见病相关政策和实践探索[J]. 罕见病研究, 2022, 1(1): 1-6.

[10] Qiao L, Liu X, Shang J, *et al*. Evaluating the national system for rare diseases in China from the point of drug access: progress and challenges[J]. Orphanet J Rare Dis, 2022, 17(1): 352.

[11] 陈子梦, 王丽, 章浴, 等. 基于供应链理论的我国孤儿药可及性分析与建议[J]. 卫生经济研究, 2022, 39(6): 55-59.

[12] 湖北省医疗保障局湖北省卫生健康委员会. 关于建立完善国家医保谈判药品“双通道”管理机制持续做好谈判药品落地工作的通知: 鄂医保发〔2021〕52号[EB/OL]. (2021-10-26) [2023-01-30]. http://wjw.hubei.gov.cn/zfxxgk/zc/gkwj/ywh/202110/t20211029_3835385.shtml.

[13] 易洪彬, 石丰豪, 蒯丽萍, 等. 医保目录调整对医院罕见病用药的影响研究[J]. 中国药房, 2022, 33(24): 2952-2956.

[14] 李奕昊, 唐贵忠. 罕见病用药可负担性评价及医保政策研究[J]. 卫生经济研究, 2022, 39(4): 53-57.

[15] 周婷婷, 潘杰. 不同保障水平下罕见病用药可负担性研究: 以脊髓性肌萎缩症为例[J]. 中国卫生经济, 2022, 41(2): 33-38.

[16] 于保荣. 未来5～10年中国医疗保障制度的设计与思考——《中共中央国务院关于深化医疗保障制度改革的意见》的解读[J]. 卫生经济研究, 2020, 37(4): 3-7.

（编辑：刘玲玲）



## 广 告 索 引

封二 华领医药技术(上海)有限公司
封三 CSL Behring
封底 中国医药工业信息中心
前彩插 1 赛诺菲(中国)投资有限公司
前彩插 2 《世界临床药物》杂志征订信息
中彩插 1 山东罗欣药业集团股份有限公司
中彩插 2 北京泰德制药
后彩插 1 山东齐鲁制药集团有限公司
后彩插 2 上海君实生物医药科技股份有限公司
541、648 页：公益广告