我国罕见病药物基本医保待遇现状、问题及优化对策

马龙浩[1]，陈 烨[1,2]，丁锦希[1,2]*
（1. 中国药科大学国际医药商学院，江苏南京 211198；2. 中国药科大学医药市场准入政策研究中心，江苏南京 211198）

摘要：目的 评估当前我国罕见病药品的医保覆盖情况，梳理罕见病患者报销政策及待遇现状，为提高我国罕见病患者医保待遇做参考。**方法** 统计 2023 版国家基本医疗保险目录中收录的罕见病药品数量；收集 31 个省会城市（不包括港澳台）的医保报销政策数据，以注射用重组人凝血因子Ⅶa 与艾加莫德 α 注射液为例模拟测算来评估罕见病患者医保待遇现状。**结果** 罕见病医保覆盖率与药品医保覆盖率分别为 68.42% 和 69.88%，仍有提升空间；罕见病患者整体上医保报销保障力度不足，普通门诊患者个人自负比例甚至达到 90% 以上。**结论** 建议国家加大罕见病药品医保准入力度、各省探索实施罕见病药品的单行支付政策、各统筹市将更多罕见病纳入门诊特殊疾病范畴，提高保障水平，同时建立多层次保障机制。

关键词： 罕见病；国家基本医疗保险；报销待遇；报销政策
中图分类号： R95 **文献标志码：** A **文章编号：** 1672-9188（2024）11-1125-007
引用： 马龙浩, 陈烨, 丁锦希. 我国罕见病药物基本医保待遇现状、问题及优化对策[J]. 世界临床药物, 2024, 45（11）: 1125-1131. DOI：10.13683/j.wph.2024.11.003

The current situation, problems and optimization countermeasures of the basic medical insurance treatment of orphan drugs in China

MA Longhao[1], CHEN Ye[1,2], DING Jinxi[1,2]*
（*1. School of International Pharmaceutical Business, China Pharmaceutical University, Nanjing 211198, Jiangsu Province, China; 2. Pharmaceutical Market Access Policy Research Center, China Pharmaceutical University, Nanjing 211198, Jiangsu Province, China*）

Abstract: ***Objective*** To evaluate the current medical insurance coverage of orphan drugs in China, sort out the reimbursement policies and treatment status of rare disease patients, and provide reference for improving the medical insurance treatment of rare disease patients in China. ***Methods*** The number of orphan drugs included in the National Reimbursement Drug List in 2023 was counted. The medical insurance reimbursement policies in 31 provincial capitals（excluding Hong Kong, Macao and Taiwan） were collected, and the status of medical insurance treatment for rare disease patients was evaluated by simulated calculation of Recombinant Human Coagulation Factor VIIa for Injection and Efgartigimod Alfa Injection. ***Results*** The coverage rates of medical insurance for rare diseases and medical insurance for drugs were 68.42% and 69.88%, respectively. On the whole, the medical insurance reimbursement for rare diseases patients was insufficient, and the proportion of personal self-sufficiency of general outpatients even reached more than 90%. ***Conclusion*** It is recommended that the we should increase the access of orphan drugs to medical insurance. Each province exploring and implementing the one-way payment policy for orphan drugs. At the municipal level, incorporating more rare diseases into the category of special diseases in outpatient clinics, to improve the level of protection and establish a multi-level security mechanism.

Key words: rare diseases; national basic medical insurance; reimbursement treatment; reimbursement policy

收稿日期： 2024-08-15
作者简介： 马龙浩，硕士研究生，研究方向：社会与管理药学。
通信作者： 丁锦希，教授，博士生导师，研究方向：医药政策法规、医药市场准入与药物经济学。

罕见病是对一类患病率极低、患者总数少的疾病的统称，发病机制复杂、治疗费用高、患者生存质量较低，是较为严重的特殊慢病。罕见病目前在国际上尚无统一定义。世界卫生组织将罕见病定义为患病人数占总人口 0.065%～0.1% 的疾病或病变；美国在 1983 年《孤儿药法案》中将其定义为患病人数少于 20 万的疾病 [1]。我国目前并未从法律层面上给出罕见病的定义，《中国罕见病定义研究报告 2021》将其定义为新生儿发病率＜ 1/ 万、患病率＜ 1/ 万、患病人数＜ 14 万的疾病。

罕见病患者一直以来都面临着大难题，其中主要原因有两点：一是罕见病用药的可获得性较低；二是罕见病用药费用高、可支付性低。本期专题第一篇已针对罕见病用药的可获得性成因进行剖析并提出优化建议，本研究在第一篇的基础上分析罕见病药品的医保覆盖情况与医保报销待遇。

2019 年，我国罕见病患者综合社会调查第一阶段结果显示，约 36.8% 的罕见病患者未接受治疗，其中医疗费用昂贵是主要原因 [1]。为解决上述问题，2019—2023 年国家医疗保障局通过谈判共纳入 42 种罕见病用药进入国家基本医疗保险药品目录（以下简称“医保目录”）。以诺西那生钠注射液为例，进入医保后，其价格由一针 70 万元降至一针 3.3 万元，极大减轻患者负担。然而目前仍有许多罕见病用药并未进入医保目录，且医保目录内的部分药品实际报销比例较低，因此本研究梳理罕见病用药的医保准入情况，以部分药品模拟测算患者实际个人自负比例，对我国罕见病用药基本医保待遇现状进行分析，为提高我国罕见病待遇情况提供参考。

1 研究资料与方法

1.1 资料来源

本研究涉及的数据来源主要有以下 4 个方面：一是国家卫生健康委员会等 6 部门联合制定的《第一批罕见病目录》[2] 和《第二批罕见病目录》[3]，以此两批目录来确认本研究限定的罕见病种类及数量；二是国家医疗保障局印发的《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录（2023 年）》[4]，用来统计罕见病对应药品医保准入情况，包括是否准入、谈判或常规准入、报销类别甲类或乙类等；三是药智网数据库和米内网数据库，药品疗程、用法用量来源于药智网数据库，平均中标价来源于米内网数据库；四是国家和各省（自治区、直辖市）医疗保障局、卫生健康委员会官方网站，对各地普通门诊、门诊特殊疾病、单行支付和住院报销政策进行梳理，并以 2 个典型药品对 31 个省会城市（不包括港澳台）的个人自负比例进行模拟测算。由于门诊特殊疾病报销政策各地纳入疾病种类差异巨大，笔者收集了 293 个地级市和 4 个直辖市共 297 个统筹市的门诊特殊疾病报销政策，其他形式报销政策仅统计 31 个省会城市的数据。

1.2 分析方法

利用 Excel 对收集到的数据进行整理，统计罕见病纳入医保的治疗药品数量以及药品报销类型；随后采用描述性统计分析比较不同报销政策、不同诊疗类型的报销待遇差距。在此过程中涉及的计算公式如下：

①罕见病医保覆盖率＝医保目录内药品涉及到的罕见病总数 / 已上市药品涉及的罕见病总数 ×100%；

②罕见病药品医保覆盖率＝医保目录内罕见病用药总数 / 我国已上市罕见病用药总数 ×100%；

③药品年治疗费用＝药品平均中标价 × 单日用量 ×365；

④个人自负比例＝（药品年治疗费用－医保报销费用）/ 药品总费用 ×100%。

2 结果

2.1 罕见病医保覆盖情况

2.1.1 总体情况

截至 2024 年 6 月 30 日，中国上市药品中适应证为罕见病目录内疾病的药物 217 种，其中超说明

书用药的治疗药物 41 种药品，未超说明书用药的治疗药物 176 种。本文以未超说明书用药的 176 种罕见病治疗药物作为研究对象，涉及 95 种罕见病[5]。医保目录共纳入 123 款罕见病治疗药物，涉及 65 种罕见病，罕见病医保覆盖率达 68.42%，罕见病药品医保覆盖率达 69.88%。

2.1.2 适应证分布

95 种罕见病在国内已有药品上市，但不同疾病纳入医保的药品数量差异巨大，其中 24 种罕见病有多个治疗药物，41 种有单个治疗药物，30 种医保内尚无对应治疗药物。纳入医保数量较多的疾病有帕金森病（青年型、早发型）、血友病、多发性硬化、特发性肺动脉高压及纯合子家族性高胆固醇血症，这些疾病医保内治疗药物已达 5 种以上；而全身型幼年型特发性关节炎、尼曼 - 皮克病及法布里病等在医保内仅有 1 种对应治疗药物。

2.1.3 目录类别分布

截至 2023 年 12 月 30 日，医保目录内罕见病治疗药品按照甲类报销有 24 种，占比 19.51%；乙类报销 99 种，占比 80.49%，其中有 49 种药品是通过谈判准入的。

2.1.4 药品费用情况

医保目录中 68% 的罕见病用药年治疗费用低于 10 万元，18% 为 10 万元至 20 万元；14% 高于 20 万元。治疗费用最高的 3 个药品为麦格司他、阿加糖酶 α 注射用浓溶液和注射用重组人凝血因子Ⅶ a，年治疗费用分别为 28.03 万元、32.24 万元和 43.08 万元。

2.2 罕见病医保报销情况

各地罕见病医保报销形式有门诊及住院 2 种，其中门诊又可分为普通门诊、门诊特殊疾病及单行支付 3 种类型。

普通门诊及住院报销是患者进行医保报销的常用方式，而门诊特殊疾病和单行支付是用于特殊疾病或者特殊药品的报销政策。门诊特殊疾病政策是门诊共济保障机制的重要组成部分，将患病率高、病情重、病程长、易复发的病种门诊治疗纳入基本医疗保险统筹基金的支付范畴，可以很好缓解特殊重症参保人的实际问题[6]。而单行支付政策是为了解决国家医疗保险谈判药品落地问题，国家医疗保障局提出从定点医疗机构与定点零售药店 2 个渠道解决国家医疗保险谈判药品的落地问题，同时针对国家医疗保险谈判药品中年治疗费用较高的药品提出单独支付保障机制[7]。

2.2.1 住院报销

2.2.1.1 城乡居民医保

31 个省会城市（不包括港澳台）的城乡居民医保住院患者报销比例均在 55% 以上，其中 12 个城市报销比例处于 55% ～ 65%，最低为银川的 55%；12 个城市报销比例处于 65% ～ 75%；还有 7 个城市报销比例高于 75%，最高为拉萨的 85%。

2.2.1.2 城镇职工医保

31 个省会城市（不包括港澳台）的城镇职工医保住院患者报销比例均在 80% 以上，其中 6 个城市报销比例处于 80% ～ 85%，最低为乌鲁木齐的 80%；17 个城市报销比例处于 85% ～ 90%，还有 8 个城市报销比例高于 90%，最高为兰州的 98%。

2.2.2 普通门诊报销

根据上述罕见病用药年治疗费用统计数据，79% 的罕见病用药年治疗费用高于 10 000 元，而各地区普通门诊封顶线设置较低，其封顶线的设置是影响药物报销的最大因素，因此此处仅展示 31 个省会城市（不包括港澳台）普通门诊封顶线的分布情况。

2.2.2.1 城乡居民医保

6 个城市城乡居民患者普通门诊报销封顶线设置不低于 1 000 元，最高的是北京的 4 500 元；杭州、南昌及上海三地未设置封顶线，其余城市封顶线设置均低于 1 000 元。详见表 1。

表 1 31 个省会城市（不包括港澳台）城乡居民医保普通门诊报销封顶线分布情况

Table 1 Distribution of reimbursement ceilings for general outpatient medical insurance for urban and rural residents in 31 provincial capitals (excluding Hong Kong, Macao and Taiwan)

封顶线设置/元	城市
0～<500	兰州、石家庄、西安、成都、太原、郑州、南京、南宁、拉萨、西宁、银川、武汉、昆明
500～<1 000	济南、哈尔滨、海口、贵阳、重庆、长沙、沈阳、广州、福州
≥1 000	长春、合肥、乌鲁木齐、呼和浩特、天津、北京
未设置	杭州、南昌、上海

2.2.2.2 城镇职工医保

7 个城市城镇职工患者普通门诊报销封顶线设置不低于 6 000 元，最高的是福州的 20 000 元；杭州、北京及上海三地未设置封顶线，其余城市封顶线设置均低于 6 000 元。具体见表 2。

表 2 31 个省会城市（不包括港澳台）城镇职工医保普通门诊报销封顶线分布情况

Table 2 Distribution of reimbursement ceilings for general outpatient medical insurance for urban employees in 31 provincial capitals (excluding Hong Kong, Macao and Taiwan)

封顶线设置/元	城市
0～<3000	海口、郑州、长春、西安、南昌、南宁、贵阳、长沙、成都、西宁、兰州、太原
3 000～<6000	石家庄、哈尔滨、重庆、武汉、乌鲁木齐、银川、合肥、呼和浩特、拉萨
≥6 000	济南、昆明、广州、天津、南京、沈阳、福州
未设置	杭州、北京、上海

2.2.3 门诊特殊疾病

本文统计纳入 293 个地级市和 4 个直辖市，共 297 个统筹市，门诊特殊疾病纳入罕见病数目差异较大：纳入 1 ～ 5 种罕见病的有 183 个，纳入 6 ～ 10 种罕见病的有 73 个，纳入 10 种以上的有 20 个，有 21 个统筹市未纳入罕见病。各统筹市中有 13 个仅纳入 1 种罕见病，而纳入最多的合肥市有 14 种罕见病可在门诊特殊病范畴进行报销。

在 276 个将罕见病纳入特殊疾病的统筹市报销政策中，185 个统筹市的报销比例高于 70%，仅有 24 个统筹市报销比例低于 60%，湖州、嘉兴、佳木斯和平凉四个城市报销比例最低，仅为 50%。

2.2.4 单行支付

目前仅有 8 个省级行政单位的省会城市明确实施单行支付药品政策，其中纳入罕见病用药数量最多的是长沙、石家庄及广州 3 个省会城市，均纳入了 26 种；罕见病用药数量暂居单行支付药品总数比例最高的是南宁，占比 36.36%。具体见表 3。

表 3 8 个省会城市单行支付药品中罕见病药品占比情况

Table 3 The proportion of rare disease drugs in one-way payment drugs in 8 provincial capitals

省会城市	单行支付药品数量/种	单行支付罕见病用药数量/种	占比/%
南宁	33	12	36.36
兰州	147	19	12.93
武汉	147	19	12.93
成都	154	19	12.34
南京	113	13	11.50
长沙	233	26	11.16
石家庄	334	26	7.78
广州	403	26	6.45

上述 8 个省份针对罕见病单行支付的报销比例差距较小，城乡居民医保报销比例平均为 58.89%；城镇职工医保报销比例平均为 68.89%。具体见图 1。

2.3 罕见病医保待遇模拟测算

为分析罕见病医保在门诊和住院使用不同报销政策的差异，本研究拟测算部分罕见病用药在全国 31 个省会城市（不包括港澳台）的个人自负比例，以此反映我国罕见病医保报销的待遇现状。

2.3.1 药物模拟测算筛选

为保证药物模拟测算各报销政策具有可比性，被测算药物应当符合以下特征：一是 50% 以上的统筹市将其适应证纳入门诊特殊疾病报销范畴，二是上述实行单行支付的省份城市将该药纳入单行支

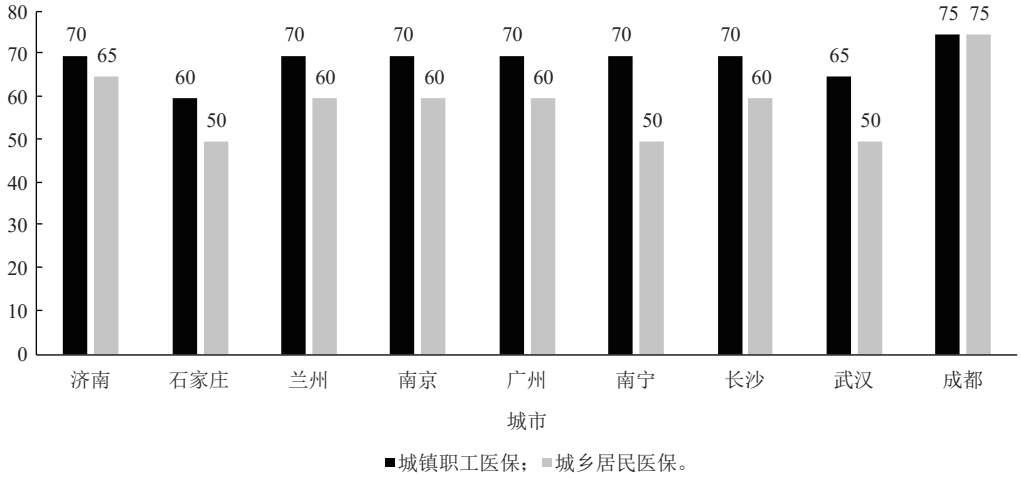


图 1 8 个单行支付省会城市城镇职工与城乡居民单行支付报销比例情况

Figure 1 The proportion of reimbursement for urban workers and urban and rural residents in 8 single-line payment provincial capital cities

付范畴。经筛选后，符合条件的有 2 种药品，分别为注射用重组人凝血因子Ⅶa 及艾加莫德 α 注射液。前者适应证为血友病，年治疗费用为 430 759 元；后者适应证为重症肌无力，年治疗费用为 269 200 元。

2.3.2 药物模拟测算结果

2.3.2.1 注射用重组人凝血因子Ⅶa

在 31 个省会城市（不包括港澳台）中，注射用重组人凝血因子Ⅶa 在普通门诊报销时患者自负比例最高，平均达到 90% 以上；特殊门诊及住院报销平均约为 60%；使用单行支付政策报销自负比例最低，平均自负比例约为 50%。具体见表 4。

表 4 注射用重组人凝血因子Ⅶa 不同报销方式患者平均自负比例

Table 4 The average self-paid ratio of patients with different reimbursement methods of recombinant human coagulation factor VIIa for injection

自负比例	普通门诊/%	特殊门诊/%	单行支付/%	住院/%
城乡居民	96.34	66.42	52.15	59.31
城镇职工	92.46	65.09	43.68	47.40

2.3.2.2 艾加莫德 α 注射液

与注射用重组人凝血因子Ⅶa 类似，艾加莫德 α 注射液普通门诊报销时患者自负比例最高，城乡居民及城镇职工个人自负比例平均 90% 以上；特殊门诊个人自负比例平均为 60%；城乡居民患者使用单行支付政策自负比例为 51.46%，城镇职工患者单行支付及住院患者个人自负比例均低于 50%。

表 5 艾加莫德 α 注射液不同报销方式患者平均自负比例

Table 5 The average self-paid ratio of patients with different reimbursement methods of argamod α injection

自负比例	普通门诊/%	特殊门诊/%	单行支付/%	住院/%
城乡居民	96.23	62.89	51.46	48.82
城镇职工	91.90	56.77	42.29	37.98

3 讨论

3.1 罕见病药品准入总体覆盖程度低，仍需纳入更多罕见病药品

罕见病医保覆盖率达 68.42%，罕见病药品医保覆盖率达到 69.88%。但仍有 53 种药品未被纳入医保目录，其中对应医保内无治疗药物的疾病有 30 种，分析发现这些疾病对应治疗药物费用过高是医保准入难的重要原因，比如治疗黏多糖贮积症Ⅳa 型的

依洛硫酸酯酶α注射液，其年治疗费用达到288万元，而目前来看年治疗费用在50万元以内的药品才能够获得谈判资格。这是因为若医保谈判后药品治疗费用较高，会给医保基金带来极大压力。因此，针对30种医保内用药空白的罕见病在进行医保准入时，建议给予一定的政策倾斜，在医保谈判时，针对罕见病用药的特殊性放宽价值的限定，降低其谈判资格门槛；为减轻罕见病用药准入后对基金的冲击，可探索医保支付的“量价协议”，即由医保部门与药品生产企业协商基本医保报销比例和支出限额，超过部分的药品费用由企业、商业保险及慈善基金等多方共同承担。

3.2 门诊患者自负比例高，建议提高罕见病门诊患者报销水平

注射用重组人凝血因子Ⅶa及艾加莫德α注射液普通门诊患者自负比例均达到90%以上，患者使用门诊报销疾病负担极大。各统筹市均在探索将罕见病纳入门诊特殊疾病报销范畴，且将患者自负比例降至60%左右，但目前来看仍旧存在罕见病种类少、患者自负比例高等问题。单行支付政策相较于上述2种门诊报销方式患者自负比例更低，但目前仅有8个省份明确实施单行支付药品政策，各地仍需进行积极探索。而通过住院报销注射用重组人凝血因子Ⅶa与艾加莫德α注射液，患者自负比例可降至53.36%和43.4%，故需采取措施减少门诊与住院的报销水平差异。对门诊报销政策进行分析，门诊特殊疾病与单行支付报销政策可显著降低患者自负比例，且上述两种报销政策仍有优化空间。

目前国内各地门诊特殊疾病政策由各地级市自主管理，而单行支付政策由省级行政单位统一管理，因此笔者建议：在省级层面上，未明确实施单行支付政策的省份可以积极探索单行支付政策在罕见病领域的应用；已实施单行支付政策的省份可不断扩大单独支付报销药品的种类。在市级层面上，由于罕见病纳入门诊特殊疾病的种类由各统筹市自行决定，地区之间差异巨大，因此可采取两类方法，将更多罕见病用药纳入门诊特殊疾病范围。一是采取策略，将罕见病按照治疗疗效、治疗费用、疾病的社会效益等划分为多个批次，优先纳入批次较高的疾病，逐步减少或消除罕见病患者住院门诊限制；二是由国家统一制定罕见病核心目录，要求各地将核心目录内罕见病纳入门诊特殊疾病范畴，各地也可根据当地情况自行进行增补。

3.3 整体报销水平不高，建议建立多层次医疗保障体系

注射用重组人凝血因子Ⅶa与艾加莫德α注射液住院患者平均自负比例分别为53.35%和43.40%，以其各自年治疗费用计算，患者仍旧需要自负229 819元及116 827元。2023年，我国人均可支配收入中位数仅33 036元[8]，患者负担仍较高。究其原因，基本医保内涵与罕见病的内涵相悖，仅依靠基本医保解决罕见病用药的负担问题并不现实。因此需建立多层次医疗保障体系，综合提升罕见病的保障水平。对于医保目录内的罕见病用药，依据各保障层次报销先后顺序可分为4个层级：基本医保、大病保险、商业保险及医疗救助。因此除发挥主体作用的基本医保外，多层次医疗保障体系的建立还可从大病保险、商业保险及医疗救助三方面着手。

对于部分治疗费用较高的药品而言，使用大病保险对经过医保报销后的部分进行衔接报销可显著降低患者自负比例。江苏太仓在2011年试点中，城镇居民基本医疗保险和新型农村合作医疗保险参保人的实际报销比例提高了12.4%；医疗费用超过5万元的患者，实际报销比例达到70%以上[9]。因此针对罕见病用药价格贵的问题，可建立相应的大病保险产品，提高患者的报销水平。

将价格高昂的高值创新药物的多元创新保障体系，可提高罕见病用药的保障水平，从而减轻患者负担。以江苏无锡为例，市政府通过政府购买服务或政府背书社会服务将普惠性商业补充医疗保险引

入罕见病用药保障机制中，探索更低成本、更高效率的实践方案。无锡的惠锡城 2022 对适应证包括黏多糖贮积症（Ⅰ、Ⅱ型）及血友病等 10 种罕见病在内的 7 种罕见病用药给予报销[10]；徐州 2023 年度新增 49 种药品、覆盖 35 种罕见病。

通过罕用药市场保障政策的调控管理，将罕见病治疗作为一项社会公共产品由公共医疗保险机构进行医疗救助已成为国际主流发展方向[11]。国内部分地区也已经探索医疗救助制度，例如青岛将重大疾病、罕见病、临床使用费用较高、疗效显著且难以使用其他治疗方案替代的药品，经专家论证后，确定为特药救助项目[12]。

4 总结

罕见病药品年治疗费用高，对于许多患者而言负担较重，因此需以医保为核心，各种政策及主体互相配合共同解决罕见病患者“用药贵”的问题。首先，医保应当提高罕见病药品的覆盖率，对于医保目录内仍有治疗空白的药品给与一定的政策倾斜；随后，鉴于普通门诊真实报销比例低的现状，应当探索特殊门诊支付和单行支付的渠道，提高患者的真实报销比例；最后，对于部分经医保报销后仍旧带给患者极大经济负担的药品，探索多方共付模式，建立多层次保障机制。

参考文献：

[1] 罕见病联盟. 2019中国罕见病患者综合社会调查第一阶段报告[R]. 北京: 中国罕见病联盟, 2019.

[2] 国家卫生健康委. 关于公布第一批罕见病目录的通知[EB/OL]. (2018-05-11) [2024-07-08]. https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/2018-12/31/content_5435167.htm.

[3] 国家卫生健康委员会. 关于公布第二批罕见病目录的通知[EB/OL]. (2023-09-18) [2024-07-08]. https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/202309/content_6905273.htm.

[4] 国家医疗保障局. 国家医保局 人力资源社会保障部关于印发《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录(2023年)》的通知[EB/OL]. (2023-12-23) [2024-07-08]. https://www.nhsa.gov.cn/art/2023/12/13/art_53_11674.html.

[5] 沙利文联合病痛挑战基金会. 2024中国罕见病行业趋势观察报告[R/OL]. (2024-02-28) [2024-07-08]. https://img.frostchina.com/attachment/17091360/nfCpGPwYkbfzchSGz1saSN.pdf.

[6] 蔡海艳, 张涛, 岳靖凯, 等. 我国部分城市门诊特殊疾病管理现状与策略研究[J]. 中国医院管理, 2021, 41 (3): 73-76.

[7] 杨钰婷, 胡婉慈, 左根永. 我国医疗保险国谈药品单独支付政策省际比较研究[J]. 中国卫生政策研究, 2024, 17 (1): 24-29.

[8] 国家统计局. 2023年居民收入和消费支出情况[EB/OL]. (2024-01-17) [2024-07-08]. https://www.stats.gov.cn/sj/zxfb/202401/t20240116_1946622.html.

[9] 郑秉文, 张兴文. 一个具有生命力的制度创新: 大病保险析[J]. 行政管理改革, 2013, (6): 21-29

[10] 无锡市人民政府. 医惠锡城2022保费维持99元不变[EB/OL]. (2021-11-08) [2024-07-08]. https://ylbzj.wuxi.gov.cn/doc/2021/11/08/3483092.shtml.

[11] 丁锦希, 季娜, 白庚亮. 我国罕见病用药市场保障政策研究[J]. 中国医药工业杂志, 2012, 43 (11): 959-965.

[12] 梁土坤, 尚珂. 青岛模式: 罕见病医疗保障制度的实践与展望[J]. 社会保障研究, 2014 (3): 64-73.

（编辑：刘玲玲）