罕见病用药多层次医疗保障体系的构建与优化

陈昕阳[1,2]，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 评估当前我国多层次保障体系对罕见病用药可负担性的改善情况，为罕见病用药多层次保障体系的构建和优化提供完善建议。**方法** 收集我国 333 个地级行政区门诊慢特病、大病保险、惠民保和医疗救助的实际报销政策，并利用世界卫生组织 / 国际健康行动机构标准调查法对 5 种年费用超过 10 万元的医保目录内、6 种年费用超过 90 万元的医保目录外罕见病用药进行可负担性评价。**结果** 对于医保目录外罕见病用药，仅单一惠民保特药目录保障下支付年数均高于 10 年，可负担性极差。对于医保目录内罕见病用药，仅门诊慢特病保障下，可负担性均较差（1.53 ～ 3.97 年）。当大病保险衔接后，特立氟胺（0.81 年）与重组人凝血因子Ⅷ（0.91 年）实现可负担，其余三种药品支付年数均有一定下降。当惠民保进行二次报销、医疗救助进行兜底保障后，人凝血因子Ⅷ（0.64 年）和麦格司他（0.84 年）也实现可负担，且每保障层次衔接后，支付年数均有显著性差异。**结论** 多层次医疗保障体系能够有效改善罕见病患者的用药可负担性。对此，建议尽快纳入医保目录外超高值罕见病用药，并加强各保障层次间的待遇衔接。

关键词：罕见病用药；多层次医疗保障体系；可负担性
中图分类号：R95 **文献标志码：**A **文章编号：**1672-9188(2024)11-1132-009
引用：陈昕阳, 陈烨, 丁锦希. 罕见病用药多层次医疗保障体系的构建与优化[J]. 世界临床药物, 2024, 45(11): 1132-1140.
DOI：10.13683/j.wph.2024.11.004

Construction and optimization of the multi-level medical security system for rare disease drug

CHEN Xinyang[1,2], 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: ***Objectives*** To evaluate the current situation of improvement of the affordability of rare disease drugs in China, and to provide recommendations for the construction and optimization of the multi-level medical security system for rare disease. ***Methods*** The reimbursement policies of outpatient chronic and special diseases, major medical expenses insurance, City Customized Commercial Health Insurance and medical assistance in 333 cities in China were collected, and the affordability of 5 National Reimbursement Drug List (NRDL) rare disease drugs with annual cost of more than 100 000 yuan and 6 non-NRDL drugs with annual cost of more than 900 000 yuan were evaluated by World Health Organization/ Health Action International standard survey method. ***Results*** For the 6 high-value non-NRDL drugs only covered by the city customized commercial medical insurance (CCCMI), the payment years for these treatments was higher than 10 years, and the affordability was extremely poor. For 5 NRDL rare disease drugs, the affordability was poor (1.53—3.97 years) only under outpatient chronic and special disease coverage. When the major medical expenses insurance was articulated, teriflunomide (0.81 year) and recombinant human coagulation factor Ⅷ (0.91 year) were affordable, and the payment years of the other three drugs have a certain decrease. Following secondary reimbursement through CCCMI

收稿日期：2024-08-02
作者简介：陈昕阳，硕士研究生，研究方向：社会与管理药学。
通信作者：丁锦希，二级教授、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。

and third reimbursement through medical assistance, human coagulation factor Ⅷ (0.64 year) and miglustat (0.84 year) were also affordable. And there was a significant difference in the number of payment years after the multi-level medical security system. ***Conclusion*** Multi-level medical security system can effectively improve the affordability of medication for patients with rare diseases. In this regard, it is recommended that non-NRDL rare disease drugs should be included in NRDL as soon as possible, and the link of various levels of reimbursement should be strengthened.

Key words: rare disease drug; multi-level medical security system; affordability

罕见病用药指用于治疗罕见病的药品，目前我国尚无官方定义，主要依靠国家卫生健康委员会发布的两批次《罕见病目录》界定。至今虽然已有部分高值罕见病用药上市，且部分已通过医保谈判被纳入基本医保，但罕见病患者通常需在门诊长期治疗[1]，仅单一基本医保门诊保障下，价格高昂的罕见病用药可负担性难以保证。因此，为加强罕见病患者待遇保障，2020 年中共中央国务院发布《关于深化医疗保障制度改革的意见》[2]，明确提出促进多层次医疗保障体系发展，探索罕见病用药保障机制。目前，中国已初步建立起以基本医疗保险为主体、医疗救助为托底，补充医疗保险、商业健康保险等共同发展的多层次医疗保障制度框架。

孙楚玉等[3]和李奕昊等[4]已分别按 70% 和 30% 的固定报销比例分析罕见病用药医保报销后的可负担性，但存在保障层次单一、固定报销比例缺乏真实性的局限性，无法明晰当前多层次医疗保障的实际政策效益。分析各层次现状及其衔接对药品可负担性的改善情况对完善多层次保障有重要意义。因此，本研究聚焦于当前我国罕见病多层次医疗保障体系，通过世界卫生组织（World Health Organization，WHO）/ 国际健康行动机构（Health Action International，HAI）标准调查法分析高值罕见病用药的可负担性现状，明晰现存问题并借鉴国内外成熟经验，提出改善我国罕见病用药多层次待遇保障的相关建议。

1 数据与方法

1.1 数据来源

本文采用数据均为公开数据。药品的价格数据来源于药智网药品市场中标信息，药品单价采用 2020 年 5 月至 2023 年 5 月的全国最低中标价。

本文共检索 333 个地级行政区，包括 293 个地级市、7 个地区、30 个自治州、3 个盟。相关待遇报销信息，门诊慢特病、大病保险、惠民保及医疗救助政策等待遇报销信息来源于各地人民政府网、医疗保障局官网及官方公众号等；城镇居民人均可支配收入来源于 2022 年中国统计年鉴[5]。

1.2 药品选择

本文选择的样本药品要求其适应证必须已纳入罕见病目录。对于国家基本医疗保险药品目录（以下简称“医保目录”）内罕见病用药，当前仅单一基本医保保障层次即可有效改善低值药品的可负担性，无需多层次保障。同时，本文基本医保保障基于各地级行政区的门诊慢特病待遇。因此，本文医保目录内罕见病用药需满足以下条件：①年费用高于 7 万元（根据《2022 年中国统计年鉴》全国人均可支配收入 35 128.1 元和基本医保门诊报销比例 50% 测算，当药品费用超过 7 万元，其基本医保门诊报销后费用可能超出人均可支配收入）的高值罕见病门诊用药；②纳入较多地级行政区门诊慢特病的罕见病病种；③疾病严重且危及生命；④该适应证下市场份额最高的药品；⑤纳入 2022 年医保目录。

医保目录外罕见病用药当前仅依靠惠民保特药目录进行保障，且特药目录对酶替代疗法药品保障最多。因此，本文选取特药目录中保障地级行政区最多的 6 种酶替代疗法药品作为测算样本。最终，本文选取特立氟胺、重组人凝血因子Ⅷ、人凝血因子Ⅷ、阿加糖酶 α 及麦格司他共 5 种医保目录内罕

见病用药，以及拉罗尼酶、艾度硫酸酯酶β、依洛硫酸酯酶α、阿糖苷酶α、伊米苷酶和维拉苷酶α共6种医保目录外罕见病用药进行待遇保障测算。

5种医保目录内罕见病用药大部分患者均为成年患者，因此按医保谈判药品用法用计算规则中的“成年人体质量按60 kg”计算。除重组人凝血因子Ⅷ及人凝血因子Ⅷ为非独家常规目录药品外，其余3种罕见病均为谈判准入品种，其中特立氟胺已有仿制药上市并转入常规目录，其余2种仍在谈判目录内。目录内样本药品年费用由10万至28万元不等，详见表1。

由于医保目录外的6种罕见病用药均为儿童用药且发病年龄差异较大，需根据实际体质量及疾病情况调整用药剂量。本文参考《中国罕见病高值药物医疗保障研究报告》[6]的我国真实世界中各罕见病组织统计的患者平均体质量，即黏多糖贮积症15 kg、糖原累积病38 kg、戈谢病46 kg进行测算，详见表2。

1.3 待遇测算

为贴近真实世界多层次保障下患者用药可负担性情况，本文梳理我国333个地级行政区各保障层次的实际待遇报销政策，测算患者药品自付情况。

由于罕见病患者通常需在门诊长期治疗[1]，同时绝大多数地级行政区的基本医保保障层中普通门诊无法与大病保险和商业健康保险衔接，导致无法评估普通门诊下的多层次保障。因此，本文罕见病保障中基本医保层面针对将罕见病纳入门诊慢特病保障的地区，同时将衔接门诊慢特病的大病保险纳入基本医保测算范围。

在商业健康保险补充层中，本文主要针对惠民保。对于有专属惠民保的地级行政区，优先按本市专属惠民保待遇进行测算；尚无专属惠民保的地级行政区，按省级惠民保进行测算。

在医疗救助托底层中，各省市根据贫困程度进行分类救助。由于并非所有罕见病患者均为建档立卡贫困户，因此本文主要考虑医疗救助中救助力度

表1 医保目录内样本药品基本情况

Tablet 1 Basic information of sample drugs in the National Reimbursement Drug List

疾病名称	纳入门诊慢特病地级行政区数量	药品名称	日剂量	给药次数×天数	规格	单价/元	年治疗费用/万元
法布雷病	16	阿加糖酶α	12 mg	1×27	3.5 mg/瓶	3 100	28.70
尼曼匹克病	34	麦格司他	600 mg	365	100 mg/粒	128	28.03
血友病	284	人凝血因子Ⅷ	4 500 IU	1×20.5	200 IU/支	370	17.06
		重组人凝血因子Ⅷ	4 500 IU	1×20.5	1 000 IU/支	1 512.92	13.96
多发性硬化	87	特立氟胺	14 mg	365	14 mg/片	282	10.29

表2 医保目录外样本药品基本情况

Tablet 2 Basic information of sample drugs outside the National Reimbursement Drug List

疾病名称	药品名称	获批时间	日剂量	治疗天数	规格	单价/元	年费用/万元
黏多糖贮积症	拉罗尼酶	2020.06	1 500 U	1×52	500 U/瓶	8 100	126
	艾度硫酸酯酶β	2020.09	7.5 mg	1×52	6 mg/瓶	13 889	90
	依洛硫酸酯酶α	2019.06	30 mg	1×52	5 mg/瓶	7 500	234
糖原累积病	阿糖苷酶α	2021.08	760 mg	1×26	50 mg/瓶	4 980	197
戈谢病	伊米苷酶	2017.09	2 760 U	1×26	400 U/瓶	18 180	326
	维拉苷酶α	2021.04	2 760 U	1×26	440 U/瓶	11 331	185

最低的因病致贫重病患者。

1.4 评价方法

1.4.1 可负担性评价方法

WHO/HAI 标准调查法是 WHO 和 HAI 共同提出用于评估基本药物可负担性的测量方法[7]，即以基本药物疗程费用相当于政府非技术工人最低工资（lowest paid unskilled government worker，LPGW）的天数来衡量，大于 1 则表示可负担性较差。考虑到罕见病患者用药周期较长，以及目前我国贫富差距较大、缺乏政府非技术工人最低工资数据，本文参考信枭雄等[8]对公式调整的方法，以城乡居民人均年可支配收入代替政府部门非技术人员最低日薪、罕见病用药年费用代替疗程费用，通过计算患者药品年实际自付费用相当于年人均可支配收入的年数（简称“支付年数”）评价药品可负担性。若支付年数≤ 1，则认为该药品可负担性良好，否则认为该药品可负担性较差。当前，多篇文献[9—10]已将改进后的 WHO/HAI 标准调查法用于医保目录内及医保目录外罕见病用药可负担性测算中，见式①。

$$N_{rj}=\frac{E_r}{N_j}=\frac{n\times DDD_r\times P_r\times R_j}{V_r\times I_j} \qquad 式①$$

其中，j 为地级行政区，r 为某一治疗药品，N 为支付药品年治疗费用所需工作年数，E 为药品年自付费用，I 为城乡居民年人均可支配收入，n 为 1 年内年用药天数，P 为药品单价（以近 3 年全国最低中标价为准），R 为实际报销比例，V 为药品包装剂量，DDD 为日剂量。

1.4.2 差异性分析

在各保障层次的可负担性差异中，使用 Wilcoxon 符号秩检验对保障层次前后支付年数进行差异性分析。

2 结果与分析

对于医保目录内罕见病用药，笔者依据各保障层次报销先后顺序共分离出 4 种保障路径（图 1）。下文将根据 4 种路径分析医保目录内罕见病多层次保障体系对患者可负担性的改善。对于医保目录外罕见病用药，当前仅依靠商业健康保险层中惠民保特药目录进行保障。

2.1 医保目录内（路径 1 ～ 4）与医保目录外（路径 5）罕见病用药可负担性对比

对于纳入基本医保的 5 种罕见病用药，除阿加糖酶 α 外普遍可适用“基本医保 - 惠民保 - 医疗救助”的多层次保障（所有医保目录内药品均可由医疗救助兜底，但本文仅对人凝血因子Ⅷ和麦格司他进行兜底测算）。在多层次保障后，5 种医保目录内罕见病用药支付年数均有较大下降，药品可负担性明显改善，除阿加糖酶 α 外所有药品均实现可负担，详见图 2。

对于 6 种医保目录外高值罕见病用药而言，目前大部分仅能通过惠民保特药目录进行保障。同时由于罕见病多为慢性病，部分惠民保设置既往症限制，患有既往症的患者报销比例通常较低。因此，医保目录外 6 种罕见病用药所需支付年数均超过 10 年，可负担性显著低于医保目录内药品。同时，黏多糖贮积症、糖原累积病及戈谢病 3 种疾病常于婴幼儿时期发病[11]。对于儿科罕见病，由于患儿不具备经济能力且罕见病用药周期更长，其总生命年所需药品治疗费用更高，因此该类儿科罕见病患者的家庭负担可能远远被低估，详见图 3。

仅单一惠民保特药目录保障下的目录外罕见病用药支付年数显著高于目录内多层次保障下的罕见病用药支付年数，可见将罕见病用药纳入基本医保并进行多层次保障，能有效改善药品可负担性。

2.2 门诊慢特病（路径 1）与大病保险（路径 2）衔接对可负担性的影响

对于 5 种目录内罕见病用药，在基本医保保障层仅门诊慢特病保障下，治疗多发性硬化、血友病、尼曼 - 皮克病和法布里病的年费用超过 10 万元的高值药品可负担性较差，所需支付年数均高于

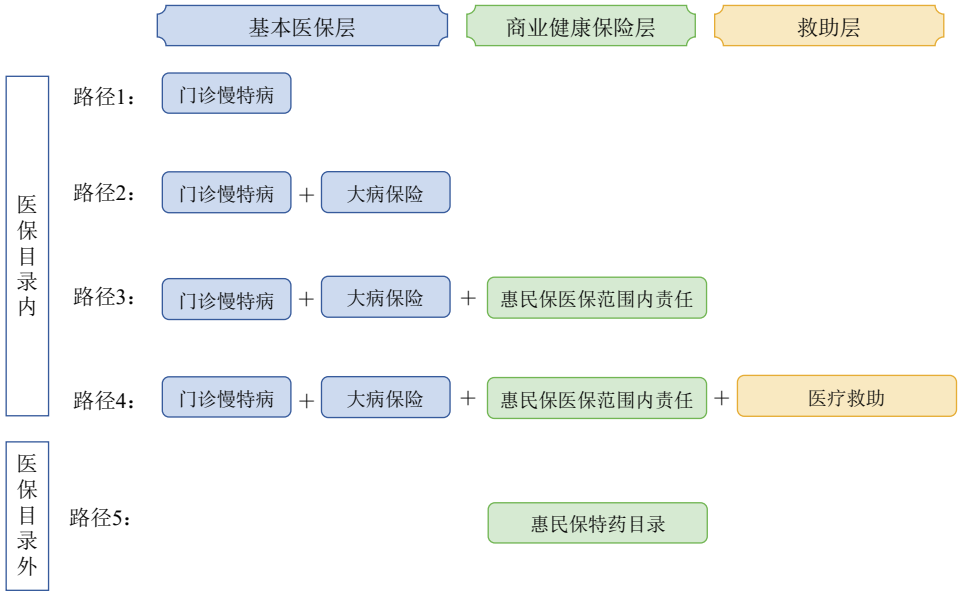


图 1　医保目录内与医保目录外罕见病用药保障路径

Figure 1　Medical security path of drugs in and outside the National Reimbursement Drug List

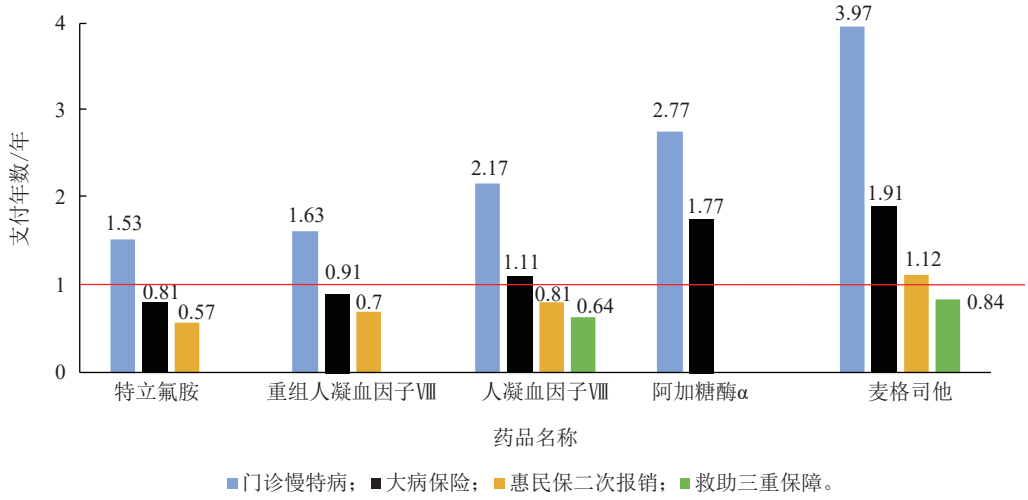


图 2　医保目录内罕见病用药平均支付年数

Figure 2　The number years required of rare disease drugs in the National Reimbursement Drug List

1（1.53 ～ 3.97）年。而经大病保险衔接报销后，特立氟胺和重组人凝血因子Ⅷ实现可负担，其余 3 种罕见病用药支付年数也有明显减少（图 2）。

本文对路径 2 所有样本大病保障前后的支付年数进行差异性分析，测算基本医保保障层中大病保险与门诊慢特病衔接对罕见病用药可负担性的影响。使用 Wilcoxon 符号秩检验对各地级行政区大病保险衔接前后的支付年数进行差异性分析。结果发现，通过大病保险对罕见病患者门诊慢特病保障后的自付部分进行二次报销后，5 种罕见病用药可负

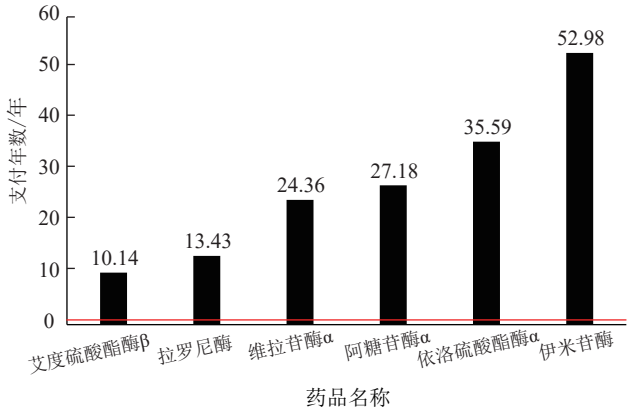


图 3 目录外罕见病用药惠民保特药目录支付年数情况

Figure 3 The number years required of rare disease drugs outside the National Reimbursement Drug List reimbursed by city customized commercial medical insurance

担性均有较大改善，支付年数减少 0.54 ～ 1.99 年，大病保险衔接前后支付年数具有显著性差异，详见表 3（由于低于 50 个样本无法进行 Wilcoxon 符号秩检验，因此阿加糖酶 α 无 *Z* 值和 *P* 值）。可见，大病保险在与基本医保层中的有效衔接能一定程度减少患者自付费用，提升药品可负担性。

2.3 惠民保（路径 3）与基本医保（路径 2）衔接对可负担性的影响

从图 2 可见，对基本医保层大病保险衔接门诊慢特病的样本测算经惠民保二次报销后的支付年数，发现仅麦格司他仍无法负担，但其支付年数得到改善。值得注意的是，在惠民保保障层中，仅当惠民保将患者门诊慢特病费用纳入医保范围内保障责任时，患者才可享受惠民保二次报销。然而对于将阿加糖酶 α 纳入门诊慢特病的地级行政区，其惠民保仅对患者产生的住院医疗费用进行保障，导致罕见病患者产生的门诊用药费用实际上无法享受惠民保二次报销，其可负担性无法得以进一步提升。

对路径 3 所有样本在惠民保保障前后支付年数使用 Wilcoxon 符号秩检验进行差异性分析，发现经惠民保二次报销后，患者支付年数减少 0.08 ～ 0.60 年，且具有显著性差异，详见表 4（由于低于 50 个样本无法进行 Wilcoxon 符号秩检验，因此特立氟胺和麦格司他无 *Z* 值与 *P* 值）。可见惠民保能有效减少患者自付费用，减轻患者负担。

2.4 医疗救助（路径 4）与惠民保（路径 3）衔接对可负担性的影响

医疗救助将对负担较重的因病致贫基本医保参保人进行兜底。本文针对基本医保和惠民保双重保障后待遇最差的麦格司他和人凝血因子Ⅷ进行第三层医疗救助待遇测算，发现经托底层医疗救助报销后麦格司他同样实现可负担，且人凝血因子Ⅷ可负担性进一步改善（图 2）。以麦格司他为例，通过按“因病致贫重病患者”救助水平进行可负担性测算，

表 3 5 种罕见病用药大病保险报销前后支付年数差异性分析

Tablet 3 Difference analysis of number years required before and after reimbursement of major medical expenses insurance for 5 rare disease drugs

药品名称	样本量/个	路径2仅门诊慢特病支付年数/年	路径2门诊慢特病＋大病保险支付年数/年	*Z*值	*P*值
特立氟胺	86	1.32（95%CI：1.16～1.48）	0.78（95%CI：0.71～0.85）	−8.125	＜0.01
重组人凝血因子Ⅷ	358	1.48（95%CI：1.40～1.57）	0.91（95%CI：0.88～0.95）	−17.464	＜0.01
人凝血因子Ⅷ	358	1.99（95%CI：1.88～2.10）	1.11（95%CI：1.07～1.16）	−17.944	＜0.01
麦格司他	61	3.90（95%CI：3.43～4.37）	1.91（95%CI：1.67～2.15）	−7.359	＜0.01
阿加糖酶α	17	2.54（95%CI：2.26～2.83）	1.77（95%CI：1.65～1.88）	–	–

注：95%CI 为 95%CI 置信区间。

Note: 95%CI is the 95% confidence interval.

25 个样本的患者平均支付年数由惠民保二次报销后的 1.12 年下降为 0.84 年，总体而言可负担性较好，但仍有 9 个样本不可负担（1.04 ～ 1.52 年）。

本文对麦格司他和人凝血因子Ⅷ由路径 4 进行医疗救助前后的支付年数进行差异性分析，发现经医疗救助兜底后，患者支付年数减少 0.17 ～ 0.28 年，且具有显著性差异，支付年数均值＜ 1，可负担性较好，详见表 5（由于低于 50 个样本无法进行 Wilcoxon 符号秩检验，因此麦格司他无 Z 值与 P 值）。可见医疗救助对支出型贫困、收入型贫困患者有重要的兜底作用。

3 讨论

3.1 多层次保障能有效改善药品可负担性，尽早将医保目录外药品纳入医保

通过对医保目录内外 11 种罕见病用药年费用及支付年数作比较发现，医保目录外药品可负担性与医保目录内药品相比极差。其原因主要在于医保目录外罕见病用药仅有单一惠民保特药目录保障，具有一定局限性。而医保目录内罕见病用药可享受多层次保障，即在通过基本医保进行主体保障后由商业健康保险进行补充保障，最后对于前两层保障不充分的支出型和收入型贫困患者由医疗救助进行兜底，这种多方支付的多层次保障体系能有效减轻罕见病患者负担。

纳入基本医保是享受多层次保障的前提，因此本文建议在医保准入时对罕见病用药给予适当的政策倾斜，尽快将医保目录外超高值罕见病用药纳入基本医保，享受多层次保障。我国可借鉴英国高度专业化技术评估的成熟经验[12]，对患病率极低的超罕见病用药在卫生技术评估方面扩大成本 - 效果阈值，以给予更大政策倾斜。同时，可探索在医保准入时引入风险分担协议，并收集准入后的真实世界数据，在罕见病用药医保续约时对其支付标准进行调整。在确保基本医保基金安全运行的前提下，更多地纳入医保目录外罕见病用药并实现多层次保障，进一步提升罕见病患者用药的可负担性。

表 4 4 种罕见病用药惠民保报销前后支付年数差异性分析

Tablet 4 Difference analysis of number years required before and after reimbursement of city customized commercial medical insurance for 4 rare disease drugs

药品名称	样本量/个	路径3仅基本医保支付年数/年	路径3基本医保＋惠民保支付年数/年	Z值	P值
特立氟胺	35	0.68（95%CI：0.59～0.78）	0.57（95%CI：0.51～0.63）	–	–
重组人凝血因子Ⅷ	149	0.78（95%CI：0.74～0.82）	0.70（95%CI：0.67～0.73）	−10.000	＜0.01
人凝血因子Ⅷ	149	0.94（95%CI：0.89～0.99）	0.81（95%CI：0.77～0.89）	−12.490	＜0.01
麦格司他	25	1.72（95%CI：1.27～2.18）	1.12（95%CI：0.91～1.34）	–	–

注：95%CI 为 95%CI 置信区间。

Note: 95%CI is the 95% confidence interval.

表 5 2 种罕见病用药医疗救助前后支付年数差异性分析

Tablet 5 Difference analysis of number years required before and after reimbursement of medical assistance for 2 rare disease drugs

药品名称	样本量/个	支付年数/年		Z值	P值
		路径4惠民保二次报销	路径4救助兜底		
人凝血因子Ⅷ	149	0.81（95%CI：0.77～0.85）	0.64（95%CI：0.60～0.67）	−11.875	＜0.01
麦格司他	25	1.12（95%CI：0.91～1.34）	0.84（95%CI：0.66～1.02）	–	–

注：95%CI 为 95%CI 置信区间。

Note: 95%CI is the 95% confidence interval.

3.2 完善大病保险与门诊慢特病衔接，保证基本医保成为保障主体

从基本医保保障下罕见病可负担性结果来看，对于年费用高于 10 万元的罕见病用药，经基本医保报销后部分药品可负担性较差。分析其原因主要为部分地区门诊慢特病与大病保险衔接不足，导致门诊慢特病保障后的自付部分无法通过大病保险进行二次报销。本文对 5 种罕见病用药路径 2 中大病保险衔接前后药品可负担性进行差异性分析，发现大病保险能够显著改善患者的用药可负担性。但当前仍有部分地区大病保险仅保障住院自付费用，尚未对接门诊慢特病。以湖南省为例，2021 年 8 月发布的《湖南省城乡居民大病保险实施办法》[13] 中规定，大病保险支付范围为参保人员住院总医疗费用，门诊（含普通门诊和特殊门诊）自付费用暂不纳入大病保险支付范围。纳入测算的 10 个湖南省地级行政区中，由于门诊慢特病封顶线均未超过 1 万元且不与大病保险衔接，导致基本医保报销下支付年数均超过 3 年。因此对于高值罕见病用药，除开展医保谈判通过价值购买使药价回归合理外，还需完善大病保险对门诊慢特病政策的衔接，对于高花费门诊慢特病罕见病病种优先对接大病保险，使医保资源向存在高额医疗费用负担的罕见病患者倾斜。

3.3 惠民保保障责任与门诊对接，实现惠民保补充保障作用

由于基本医保的定位是“保基本”，因此对于单一基本医保无法充分保障的高值罕见病用药需充分发挥惠民保对基本医保的补充保障与协同保障作用。我国正在大力推进商业健康保险的发展，各地也均出台惠民保政策，且当前惠民保定价普遍较低，集中于 60 ～ 120 元 [14]，可及性较高。然而，目前部分惠民保仅对患者住院产生的医疗费用进行二次报销，尚未与门诊慢特病、单行支付等其他门诊待遇模式进行衔接，导致患者的惠民保保障层次失灵。以治疗血友病的人凝血因子Ⅷ为例，进行待遇保障测算的 444 个样本中，高达 249 个样本的惠民保尚未与基本医保门诊待遇进行对接，其支付年数为 1.52 年，患者难以负担。反观其余惠民保同门诊慢特病和大病保险对接的 149 个样本，二次报销后支付年数为 0.81 年，药品可负担性得到显著改善。因此，本文建议需注重惠民保与门诊慢特病、单行支付等门诊待遇政策的衔接，做好惠民保普惠型补充医疗保险的定位，进一步完善多层次医疗保障体系。

3.4 精准救助，实现托底保障

2021 年 11 月 19 日，国务院发布《关于健全重特大疾病医疗保险和救助制度的意见》[15]，明确了医疗救助对象与保障，将救助对象范围扩大至因病致贫患者，有效保障罹患大病、罕见病的低收入人群。

虽然当前医疗救助与基本医保、商业健康保险衔接较好，但仅对基本医保政策范围内的费用进行救助，患者乙类先行自付部分、门诊慢特病起付线等均不纳入救助范围。本文对各地级行政区乙类先行自付比进行统计，超半数城市乙类先行自付比集中于 10% ～ 20%，其中少数城市高达 35%。若乙类先行自付比较高且医疗救助不将其纳入保障范围，罕见病患者的乙类先行自付部分将一直无法进行救助。当罕见病用药年费用超过 20 万元时，其无法救助部分将达 2 ～ 4 万元，甚至更高。因此，为更好实现医疗救助的托底作用，建议将乙类先行自付比、起付线等基本医保政策范围外的医疗费用纳入罕见病患者的医疗救助保障范围，实现精准救助，避免罕见病患者因病致贫、因病返贫。

参考文献：

[1] 詹洪春, 潘锋. 破解罕见病救治难题需统筹构建多层次保障机制[J]. 妇儿健康导刊, 2024, 3(7): 4-8.

[2] 中国政府网. 关于深化医疗保障制度改革的意见[EB/OL]. (2020-03-05)[2024-05-31]. https://www.gov.cn/zhengce/2020-03/05/content_5487407.htm.

[3] 朱楚玉, 孙维阳, 常峰, 等. 我国罕见病药品价格水平和可负担性研究[J]. 中国药房, 2021, 32(8): 897-903.
[4] 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.
[5] 国家统计局. 2022年中国统计年鉴[M]. 北京: 中国统计出版社, 2023.
[6] 艾昆玮. 中国罕见病高值药物医疗保障研究报告[R]. 上海: 艾昆玮.
[7] WHO/HAI. Measuringmedicineprices,availability,affordabilityand price components[M]. 2nd ed. Geneva: World Health Organization, 2008: 5.
[8] 信枭雄, 管晓东, 史录文. 基于5种罕见病可负担性评价的我国罕见病保障机制研究[J]. 中国药房, 2014, 25(5): 404-407.
[9] 周盛明, 李嘉瑶, 周静, 等. 中国罕见病用药可负担性评价[J]. 中国药业, 2021, 30(1): 9-15.
[10] 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.
[11] 国家卫生健康委员会. 关于印发罕见病诊疗指南(2019年版)的通知[EB/OL]. (2019-02-27)[2024-06-05]. http://www.nhc.gov.cn/yzygj/s7659/201902/61d06b4916c348e0810ce1fceb844333.shtml.
[12] 袁妮, 田婷婷, 张海军, 等. 英国罕见病用药纳入报销体系的主要途径及对我国的启示[J]. 中国药科大学学报, 2019, 50(1): 113-119.
[13] 湖南省医疗保障局. 关于印发《湖南省城乡居民大病保险实施办法》的通知[EB/OL]. (2021-11-04)[2024-06-05]. https://ybj.hunan.gov.cn/ybj/first113541/firstF/f2113606/202111/t20211104_20976600.html.
[14] 许闲. 坚持“更普惠”宗旨探索十大迭代方向《2023年城市定制型商业医疗保险(惠民保)知识图谱》解读[J]. 上海保险, 2023, (12): 12-18.
[15] 中国政府网. 关于健全重特大疾病医疗保险和救助制度的意见[EB/OL]. (2021-11-19)[2024-06-19]. https://www.gov.cn/zhengce/content/2021-11/19/content_5651446.htm.

(编辑：刘玲玲)

(上接第1124页)

[32] 何阿妹, 徐源, 宋捷, 等. 国家医保谈判药物中罕见病用药落地情况分析——以20种罕见病用药为例[J]. 中国医疗保险, 2023, (9): 18-26.
[33] 中国政府网. 关于印发罕见病目录制订工作程序的通知[EB/OL]. (2018-06-05)[2024-06-25]. http://www.nhc.gov.cn/yzygj/s7659/201806/927defed71934ec8b032ccfca0afe0fb.shtml.
[34] 刘小龙, 练东玲, 吴健. 进行性骨化性纤维发育不良1例报告[J]. 中国实用内科杂志, 2021, 41(3): 261-264.
[35] 包和婧, 朱立新, 杨联军, 等. 我国进行性骨化性肌炎104例文献分析[J]. 分子影像学杂志, 2015, 38(4): 365-368.
[36] 张皖晋, 卓阳, 孙搏. 欧美罕见病药物研发的监管机制分析及启示[J]. 中国新药与临床杂志, 2023, 42(2): 85-90.
[37] 中国政府网. 关于罕见病药品增值税政策的通知[财税(2019)24号][EB/OL]. (2019-10-15)[2024-06-28]. https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/2019-10/15/content_5439874.htm.
[38] 中国政府网. 国务院关税税则委员会决定调整进境物品进口税[EB/OL]. (2019-04-08)[2024-09-18]. https://www.gov.cn/xinwen/2019-04/08/content_5380553.htm.
[39] 陈昕, 熊潇磊, 龚时薇. 中美政府资助罕见病与罕用药科研基金项目的比较分析[J]. 中国医院药学杂志, 2016, 36(12): 961-963.
[40] Boat T F, Field M J. Rare diseases and orphan products: accelerating research and development [M]. Washington Dc: National Academies Press, 2011.
[41] 张抒扬, 董咚. 2020中国罕见病综合社会调研[R]. 中国罕见病联盟: 北京.

(编辑：刘玲玲)