

热点事件：罕见病用药进医保

一、热点概述

2024年2月29日，是第17个国际罕见病日。前不久，最新版国家医保药品目录调整新增15个目录外罕见病用药，覆盖16个罕见病病种，一些长期未得到有效解决的罕见病，如戈谢病、重症肌无力等均在其列。迄今，超过80种罕见病治疗药品已纳入国家医保药品目录名单。这有望为我国2000多万名罕见病患者带来福音。

世界卫生组织将罕见病定义为患病人数占总人口0.065%到0.1%之间的疾病或病变。诊断难、用药难、药价高，是罕见病患者面临的“三道坎”。对于罕见病诊治这道世界性难题，国家卫生健康委等部门携手社会各界关爱罕见病患者，不断探索罕见病防治诊疗工作的“中国方案”，尤其在罕见病用药的可及性和可负担性方面，努力让“医学孤儿”不孤单。

二、答题素材

1. 事实（举例）论证：

(1) 虽名为罕见病，但由于我国人口基数较大，其绝对数量并不低。而罕见病由于可用药物少、价格较高，一旦罹患对家庭来说就构成了巨大的负担。社会如何兜底，也考验着医保制度的成色。将罕见病用药纳入医保药品目录，当然是最有效的一种办法。这不仅大幅改善药物的可及性和可负担性，也会刺激药企进行药物投放和药物研发。据《2024中国罕见病行业趋势观察报告》（下称《报告》）称，截至2023年底，基于两批罕见病目录的发布，中国目前已有165种罕见病药物上市，覆盖92种罕见病种。

(2) 当然，当前罕见病用药保障也存在一些新课题。据《报告》所称，目前存在一些诸如进入医保目录的罕见病药物地方保障落地情况差距大、部分进入医保目录的药品无法在医院购买等问题，一些“最后一公里”的堵点仍需打通，这也意味着罕见病用药保障没有终点，仍需要各方努力臻于完善。

2. 道理论证：

(1) 就医保本身来说，在总量有限的情形下，如何给罕见病用药留足配额，也是一种非常细致的“切蛋糕”。病人是平等的，每一个患病的人都希望自己得到最大程度的关照。但作为一种集体性的制度安排，做好罕见病用药保障、或者说任何疾病的用药保障，仍需要医保基金不断做大蛋糕，充实资金量。只有在医保基金足够充裕的情况下，疾病保障的水位才会整体抬升，罕见病患者自然也会受惠于这种整体趋势，得到更多的托举。

(2) 事实上，人们和罕见病的斗争，也是人类和疾病斗争的缩影。而想取得一场场“战役”的胜利，不只是依靠医学，也得依靠“社会学”——社会利益的分配设计，公共政策的制定出台。从这个角度说，我们所有人都在和罕见病战斗，解决罕见病问题也是人类整体的胜利。

3. 对策建议:

- (1) 支持药企进行罕见病药物的研发工作, 帮助药企承担部分研发成本……
- (2) 设立罕见病用药的优先级, 确保罕见病患者的用药需求得到优先满足……
- (3) 通过建立专项基金或对相关药企进行税收减免等措施来丰富保障体系……

三、出题方向

(一) 你怎么看?

1. 近期, 最新版国家医保药品目录调整新增 15 个目录外罕见病用药, 覆盖 16 个罕见病病种, 一些长期未得到有效解决的罕见病, 如戈谢病、重症肌无力等均在其列。迄今, 超过 80 种罕见病治疗药品已纳入国家医保药品目录名单。对此, 你怎么看?

◎**审题判断——你怎么看? (热点现象类)——答题结构【点题/破题-意义-担忧分析-过渡-对策-总结结尾】**

◎**解题思路**

第一步——点题/破题:

随着新版国家医保药品目录的调整, 罕见病患者的治疗迎来了新的希望。我认为这一举措不仅体现了国家对罕见病群体的关注和关怀, 也为改善罕见病患者的生活质量和医疗状况带来了积极的影响……

第二步——意义:

其一, 罕见病患者长期面临着药物可及性和经济负担的巨大挑战, 这些新增的罕见病用药纳入医保目录, 意味着更多的患者将有机会获得必要的治疗, 从而改善病情和提高生活质量……

其二, 这一调整也显示了国家在医疗保障领域的积极进取和改革精神。这一举措, 传递出了国家对罕见病治疗的重视和支持, 有利于引导药企积极研发罕见病药物, 促进了医药行业的创新发展……

其三, 从这次医保药品目录调整也可以看出国家在持续关注百姓买药难的问题, 这一举措无疑是政策暖民心的体现, 也提升了百姓对政府工作的满意度……

第三步——担忧分析:

一方面, 目前存在一些诸如进入医保目录的罕见病药物地方保障落地情况差距大、部分进入医保目录的药品无法在医院购买等问题……

另一方面, 医保配额总量有限, 如何给罕见病用药留足配额, 做好罕见病用药保障也是一个亟待解决的问题……

第四步——过渡:

以上现状提醒我们, 罕见病用药保障没有终点, 仍需要各方努力臻于完善。对此, 我们还可以从以下几个方面采取行动:

第五步——对策:

第一, 提供政策支持。政府可以设立专项资金或提供研发补贴, 以支持药企进行罕见病药物的研发工作, 帮助药企承担部分研发成本, 减轻其经济负担。也可以促进药企之间、药企与科研机构之间的合作研发, 共享资源和知识, 提高研发效率……

第二，分好配额“蛋糕”。政府可以在医保配额分配中设立罕见病用药的优先级，确保罕见病患者的用药需求得到优先满足。也可以设立罕见病用药专项基金或保险计划，专门用于支付罕见病用药的费用。这样可以将有限的医保配额集中用于罕见病用药保障……

第三，打通用药“最后一公里”。政府可以加强对罕见病药物保障政策的协调和统一，建立全国性的罕见病药物保障政策体系，明确保障范围、支付标准和报销流程等。也可以与医院合作，建立罕见病药物采购和供应的机制。鼓励医院积极采购和储备罕见病药物，提高药品的可及性……

第六步——总结结尾：

对每一个小群体都要关爱、都不能放弃。这是健康中国建设的题中应有之义，也是温暖民生、彰显社会公平的生动写照。我相信通过以上措施，我们能够与罕见病患者并肩作战，共同克服病魔的困扰……