

齐鲁晚报·齐鲁壹点  
记者 李静 张琪

## 看医保谈判边看边哭

讲述人:马恒祥

**简介:**马恒祥,SMA患者小石头的爸爸。2018年,小石头出生。2018年10月,小石头被确诊为SMA。随后的几年,马恒祥用尽了一切能努力的方法去救孩子。

小石头到8个月大的时候,经常一坐就歪,两条腿完全不能动,只有脚丫能轻微晃动。我带着他做了很多检查,2018年10月8日,刚满9个月的石头,被医生告知很可能患有SMA。

刚开始做爸爸妈妈,孩子就生了这种病,我们难以接受。孩子从发病到确诊,我有两三个月的时间是完全崩溃和绝望的状态。

当时没有药在国内上市,治疗只能以康复训练为主。正常孩子轻而易举能完成的动作,石头却需要花费巨大的体力和精力。看着自己孩子痛,我却一点办法没有。只有当了爹妈,才会理解那种绝望、无奈、痛苦……

后来,大家就在患者群里互相交流,互相鼓励。我在群里获悉关于SMA的最新信息和康复训练方法,也在其中看到很多正能量的患者和温暖的故事。

2019年,诺西那生纳注射液进入中国市场。但是每针价格接近70万元,第一年需要打6针,往后每年打3针,绝大多数家庭打不起。

有药买不起,比无药可医更加无奈。尤其2019年10月份全国陆续有患者开始打针,但是我们拿不出钱,我每天每时每刻都会有绝望和愧疚的感觉。

2021年1月,这个药降价到55万元一针,通过慈善援助的方式,第一年是买1针送5针,以后每年是买1针送2针。2021年3月,我们交钱打针,从那一刻开始,压力就时刻笼罩着。每天一睁眼,我就想明天怎么办,明天怎么办,就是那种无以为继的煎熬和焦虑。

2021年12月3日,看到医保谈判过程,我一边看,一边哭,很感动。我们群里患者家属都很高兴,高兴地哭。这其中,有很多我们不知道的努力和工作。不光是医生和患者,还有各个领域的专家在关注,国家也在积极推动。

2021年12月份,3岁的小石头终于有了两个进步。一个是四点支撑,他的头可以抬起来20秒左右。再就是,他自己可以跪25秒左右。这两个以“秒”为计量单位的进步,在小石头评估量表上属于里程碑式的进步。这是一个不断给我们惊喜的过程,不知道哪一天他会更好。

## 让SMA患者有个家

讲述人:邢焕萍

**简介:**邢焕萍,美儿脊髓性肌萎缩症关爱中心执行主任。美儿SMA关爱中心,于2016年由患者家属冯家妹和患者马斌发起成立,是中国内地第一家民政注册,专注于SMA领域的非营利性组织。邢焕萍于2016年参与其中的工作。

# 从天价药到进医保 在绝望中等来希望

听相关人士讲述SMA患者群体的三年等待之路



“天价救命药”进医保让小石头(中)一家人看到了希望。 受访者供图

### 对话背景

2022年1月1日,“天价救命药”进医保落地首日,山东枣庄一名4岁SMA患者李佳树成为该药纳入医保后全国首例注射者。当日,北京、上海、广东、浙江等地近20名患者,接受诺西那生纳注射液治疗,迎来新年“最好的礼物”。

SMA、天价救命药,一度成为热词,备受社会关注。SMA究竟是种什么疾病?SMA又叫脊髓性肌萎缩症,是一种遗传性神经肌肉疾病的罕见病。据估算,我国SMA患者约有3万名。在我国新生儿中发病率为1/6000—1/10000,它可以导致严重的肌肉无力,不进行治疗甚至会致命。

诺西那生纳注射液是我国首个获批治疗脊髓性肌萎缩症的药物。2019年,诺西那生纳注射液进入中国市场,每瓶价格接近70万元,被患者称为“天价救命药”。每瓶5毫升的药液就是患者每次注射治疗的剂量,SMA患者第一年需用药6次,后续每年用药3次,且需长期使用。

2021年初,诺西那生纳注射液降价,每瓶价格55万元,再结合慈善援助,每位患者年治疗药费降至55万元。

2021年12月3日,国家医保目录调整结果官宣,74种新药进医保,其中7种罕见病用药进入医保目录。诺西那生纳注射液被“灵魂砍价”,以3.3万元每

针的价格进入新版医保药品目录。在谈判现场,国家医保局谈判代表称,“每一个小群体都不应该被放弃”。

对于罕见病家庭来说,罕见病药进医保是一个漫长的过程。由于罕见病总体发病率低,用药量少,市场较小,罕见病病人经常面临难以确诊、无处买药、药费较贵等难题。这一特殊群体值得我们给予特殊关注。

齐鲁晚报·齐鲁壹点记者为您梳理完“天价救命药”入医保全过程后,对话SMA患者父亲马恒祥以及美儿脊髓性肌萎缩症关爱中心执行主任邢焕萍,听他们讲述被“看见”过程中的焦灼、期盼、苦涩、温暖。

这是一个好长的故事,因为有太多年的积累。

美儿SMA关爱中心最初发起人之一叫马斌。4岁时,马斌出现走路不稳的症状,但四处求医,都无法确诊。高一那年,他因为行走困难而退学。1993年,马斌被诊断患有SMA。但诊断之后也就这样了,因为当时SMA还处于一个无法治疗的状态。在这种情况下,国内治疗罕见病的医生也极为罕见,而医生对于SMA的了解更是少之又少。

确诊以后,马斌想搞明白自己到底怎么了?SMA到底是什么病?马斌自学英语和计算机,翻译SMA相关资料。2002年,马斌搭建起一个论坛,叫“SMA之家”。他慢慢发现有很多“同类”,并把自己翻译的资料分享给大家。随后,通过论坛、BBS、QQ群、微信群,SMA患者聚在一起抱团取暖。

我们另一个发起人名叫冯家妹,高二那年她参加过“超级女声”并拿到成都赛区第四名。2012年,她的女儿“美儿”出生,9个月时被确诊患有SMA。2013

年,美儿因得不到治疗而去世。冯家妹觉得没有任何办法去努力,孩子就离开了。于是,她想能不能为这个群体做一点事情。

那几年,全国陆续出现很多在民政局注册的罕见病专业组织机构。大家通过这些专业组织机构,知道一种罕见病应该怎么去预防,怎么去治疗。但大众对SMA的认知度相当低。

2015年,冯家妹通过马斌得知,国外的SMA药物研究一直在快速进展。多款药物已经进入人体临床试验阶段,其中就包括诺西那生纳。2016年,马斌与冯家妹便在北京市民政局正式注册美儿脊髓性肌萎缩症关爱中心。我也加入了其中。

我们需要做的第一件事就是,不管有药没药,把患者聚在一起,让患者有一个家。让大家有希望地面对眼前的困境,而不是像孤岛一样,自己一个人面对这些恐惧。所以,我们建了患者数据登记库。

第二件事情,找医生。我们邀请国内外医生、专家,开了第一届中国SMA大会。当时针对单

病种的大会,是少有的。这次大会促进了医生之间的交流,也促进了医患之间的交流。

2016年圣诞节前夜,传来好消息。由渤健公司研发的诺西那生纳正式通过了FDA的上市批准,成为全世界第一个获批治疗SMA的药物。

药品进入中国不是一蹴而就的事情,所以2016年、2017年,这两年对我们来说是最难的。在尚无药可用的阶段还能做什么呢?我们在倡导、鼓励实施科学的患者日常管理上先行动起来,在营养、呼吸、骨骼等方面尽量提升患者的生活质量。

2018年5月,罗氏制药全球多中心SMA药物临床试验进入中国,落地北京大学第一医院和上海复旦大学附属儿科医院,两家研究中心的参与为这一试验项目的成功贡献了极为重要和宝贵的中国SMA患者数据。而试验药物正是于2021年在中国获批上市的第二款SMA治疗药物利司扑兰。

2019年及2020年,《脊髓性肌

萎缩症多学科管理专家共识》及《脊髓性肌萎缩症遗传学诊断专家共识》两份SMA医学领域的纲领性专家共识相继发表,为国内SMA患者诊疗及多学科管理指明了方向。我能够明显地感受到,在各学科医学专家团队的不懈努力和积极参与下,SMA疾病所获得的重视和患者所获得的关心支持都在不断提升。

2019年初,诺西那生纳注射液在中国获批上市。那几天,患儿家长都很开心。但是,一针近70万的价格,让他们望而却步,摆在他们面前的难题是“钱”。

2021年初,诺西那生纳注射液降价,每针价格55万元。在这样的价格下,想要惠及到更多的患者,我们只能寄希望于药物能够被纳入医保。而国家医保大环境改善,让我们幸运地迎来一个好时机。

其实我们也关注到了,2017年开始的国家医保谈判,主要针对那些最新、临床最需要或者价格偏贵的药物。国家与药企谈判,让它们以更合适的价格进入医保支付序列。

2018年,国家医疗保障局每年一次动态调整医保药品目录,罕见病用药也在调入之列。从SMA被纳入中国第一批罕见病目录,再到诺西那生纳作为临床急需新药,被纳入优先审批程序;不到6个月,诺西那生纳就走完了在国内的整个审批周期。可以对比的数据是,2018年,我国抗癌新药的审批周期平均是1年,这还是执行新政之后,此前,则需要2年。可以说,诺西那生纳这次的审批周期更快了。

2019年的国家医保谈判名单公布,其中有7个罕见病用药、4个儿童用药。所以,我们是看得到希望的。

2021年11月11日,诺西那生纳注射液被“灵魂砍价”。2021年12月3日,国家医保目录调整结果官宣,该药以3.3万元每针的价格进入新版医保药品目录。目前,罕见病药物已有40余种被纳入国家医保药品目录,涉及25种疾病。医保谈判的时候,药企第一轮报价是53680元每瓶。国家医保局代表张劲妮回答道:“希望企业拿出更有诚意的报价,每一个小群体都不该被放弃。”48000元、45800元、42800元、37800元……一轮轮砍价,我们看到后真的很激动。

在数据库中,我们第一年注册患者300多人,如今接近2400人。患者的声音是微弱的、嘈杂的,我们就是把患者最需要的告诉给各方,各方想要来了解患者的时候,能够真正地了解到。这个问题是很大的,不能一步到位、一时解决,但我们不会因为没有一步到位,就觉得我们是失败的。在当时的环境下,我们努力了就好。我们一直就是这么走过来的,现在看到了好的结果,这也是患者、各个领域,还有国家共同努力得来的。

药品进了医保以后,我们还面临着一些问题,比如孩子用药以后的康复治疗问题,孩子上学的问题,社会融入的问题,成年病友就业问题等等。我觉得,未来的路依然任重道远。



扫码下载齐鲁壹点  
找记者 上壹点

编辑:马纯潇 美编:继红 组版:洛菁

