

# 天价救命药进医保让罕见病患儿打得起针,打完针的孩子有了力气 希望成真后 看到新希望

文/片 齐鲁晚报·齐鲁壹点  
记者 郭春雨 李静

## 有了“下一针”的希望

“救命药”进医保是脊髓性肌萎缩症(SMA)患儿家长最初的希望。

SMA在欧美人群存活新生儿中的发病率约为1/10000,携带者频率1/40—1/50,位居2岁以下儿童致死性遗传病的首位。据估算,我国新生儿SMA患者每年新增1200人,存量患者约3万人。作为一种罕见病,SMA患儿最典型的症状就是“没劲”:胳膊没劲、小腿没劲,甚至随着年龄的增长,孩子有可能连吞咽的力气、呼吸的力气都失去。

SMA并不是无药可医,作为全世界最早获批进入临床治疗SMA的药物,诺西那生钠是目前国内唯一一种治疗该疾病的药物。

马飞是济南人。他儿子小石头刚查出SMA的时候,诺西那生钠还没有在国内上市。2019年2月,好消息传来,诺西那生钠在中国批准上市,却让很多家长更难受——进口到国内的一支药,定价699700元。

2021年1月,诺西那生钠降价了,每针价格55万元,结合慈善援助,每个患者每年花费约55万元。这也折射出罕见病的治疗困境:在罕见病领域,普遍存在科研投入少、诊断率低、缺乏有效治疗手段,绝大部分罕见病患者和家庭都面临着“病无所医”“医无所药”“药无所保”的困境。

“由于经济原因,大部分患者还没有接受诺西那生钠的治疗。”在2021年3月的一次采访中,山东大学齐鲁儿童医院小儿神经内科的主任金瑞峰曾告诉齐鲁晚报·齐鲁壹点记者,按照遗传学概率,普通人群中,大约每40—50个人里有一个SMA携带者,如果两个携带者结合,每次怀孕都有四分之一的概率生下SMA患儿。“全国范围内,目前选择打针治疗的有100多个患者。我自己坐诊的时候,一年平均能遇到六七例SMA患者,但目前在医院选择打针治疗的不到10个。”

“为了给石头打针,我们基本上花光了家里所有的存款,凑了所有能凑到的钱。”马飞说,打针的效果是明显的——石头的四点支撑,即双腿双手撑着能坚持到40秒;躺着能坚持到7分钟。这也就是说,只要是打针,石头的病情就会有所好转。但更难受的是,SMA患者需要终身用药,对于绝

1、2、3、4……40!  
摁下秒表,马飞有点想哭——儿子小石头四点支撑可以坚持到40秒,这意味着康复有了新的效果。  
小石头患有罕见病脊髓性肌萎缩症(SMA)。罕见病又称“孤儿病”,指那些发病率极低的疾病。每年2月最后一天是“国际罕见病日”,今年2月28日是第十五个“国际罕见病日”。我们在这个特殊的日子走近小石头这样的罕见病患儿,来看一下是什么让罕见病患儿及其家庭充满希望。



多多在进行康复治疗。

大多数的普通家庭来说,这样昂贵的药物,下次打针的钱在哪里?

转机在2021年12月3日。对于很多SMA患儿家庭来说,这将是终生铭记的一天。国家医疗保障局召开新闻发布会,公布2021年国家医保药品目录调整结果。其中7种罕见病用药通过谈判方式进入医保目录。此次药品目录的调整中,用于治疗脊髓性肌萎缩症(SMA)的诺西那生钠注射液等罕见病药物的调入,意味着近年来多方呼吁的高值罕见病药纳入医保实现了零的突破。

那场谈判,双方进行了一个半小时。

“今年夏天,石头再打针就可以用医保报销了。”马飞说,按照医保报销后的价格,打前三针的价格可以控制在5万元以内,这个价格,属于“踮踮脚,咬咬牙”就行的费用,“当时知道药物进入医保降价消息时,我们患儿群里的所有家长都哭了。对于我们来说,诺西那生钠纳入医保,意味着有了下一针的希望。”

## “我是奥特曼,我不蜷腿”

2月28日上午,山东枣庄4岁的SMA患者李佳树从枣庄市妇幼保健院出院。小佳树已经接受诺西那生钠注射液第四针注射。

在此之前,2022年1月1日,李佳树在枣庄市妇幼保健院接受SMA靶向药注射,他也是SMA靶向药砍价进医保后首例受益者。

2月26日,李佳树的妈妈李秀花带着他来到枣庄市妇幼保健院,等待第四针的注射。天黑以后,小佳树一直问李秀花:“妈妈,爸爸怎么还不来接我回家啊。”李秀花说:“你为什么想回家啊?你是不是害怕打针啊?”小佳树告诉妈妈:“我不害怕。”看到儿子故作坚强,李秀花的心里五味杂陈。

2月27日,小佳树进入手术室,接受第四针注射。经过6个小时观察之后,小佳树回到普通病房。一见到妈妈,小佳树就说:“妈妈,我打针没有哭。”

看着孩子的笑容,李秀花觉得一路上求药,等药的付出都值得了。

2017年12月3日,小佳树出生。8个月的时候会爬,9个月的时候能走几步路,11个月的时候总想蹲下。李秀花便带着孩子到医院检查,经过诊断,小佳树被确诊为SMA。

“明明知道有药能治这个病,但是离自己很遥远,怎么也能够不到。”李秀花只能带着儿子做康复训练,让孩子不要退步。2022年1月1日,新版国家医保目录执行首日,小佳树打上“全国首针”诺西那生钠注射液。对于这个家庭来说,在经历4年的漫长等待后,终于迎来新年最特殊的礼物。

“我好了以后想带着妈妈出去玩。”小佳树开心地对妈妈讲。

“打完针以后,佳树的心情特别好,每天都是乐呵呵的,现在越来越能说话了。”李秀花告诉记者。

经过治疗,目前小佳树在依靠一定辅助工具的条件下,已经能够站立两分钟。李秀花在给小佳树做伸腿蜷腿的动作训练时,能感觉他有抵抗的力量了。有时候,小佳树会调皮地说:“我是奥特曼,我不蜷腿。”聊到小佳树的进步,李秀花越说越起劲。

尽管天气寒冷,李秀花还是坚持每天带着小佳树去医院做康复训练。李秀花说:“打完针以后,坚持做训练,就希望他能进步得快一点。”有时候做拉伸也会疼,但是小佳树还会反过来安慰李秀花,“妈妈,我还能坚持,我什么困难也不怕。”

随着小佳树接受“全国首针”注射,李秀花也听医生说,很多患者陆续来打针了。现在小佳树已经打完四针,再间隔4个月进行第五针注射。李秀花说:“这个针已经纳入医保,作为父母,无论怎样都要想办法让孩子打上针。”

小佳树一直有一个心愿,就是去上学。看到小佳树现在的进步,李秀花也想尽快实现他的心愿。“等天气暖和了,看看能不能送佳树去上学。”李秀花充满期待。

## “大部分家长都预约了”

即将迎来8岁生日的多多是济南的一名SMA患儿。在打过第三针诺西那生钠注射液后,他告诉妈妈:“我觉得自己有力了。”

在多多两岁查出身患SMA

后,力气就一点点抽离了他小小的身体,到了上学的年纪,别的孩子在课间里跑跳游戏,而多多只能坐在教室里看着同学们玩耍。王敏想要给孩子打针,但是经济情况摆在眼前:夫妻俩老家都是农村,好不容易才在城市扎根。即便是咬咬牙给孩子凑出第一个55万元,下一针的费用从哪里出?

王敏不知道,也不敢想。为了照顾多多,王敏成了孩子的全程陪读,每天用小车推着孩子上学。作为一个母亲,她为孩子付出了一切能够付出的成本,但是55万元一针的诺西那生钠注射液依然让她无能为力。

“孩子现在长大了,也懂事了。跟他一起做康复训练的一个小朋友打针后能走路了,多多就问了我好多次,什么时候他也能打针。”王敏说,每次听到孩子问这个问题,她的心“都像针扎、油煎一样难受”。

在诺西那生钠注射液纳入医保后,王敏第一时间就去预约,现在已经给孩子注射了三针。

“打完针后,孩子爬行,抬胳膊都有了进展。”王敏说,原先抱着多多时,他的两条小腿没有力气支撑地面,现在感觉小腿都明显“有力”了。这样明显的效果,多多自己也有感受。

“多多跟我说,他觉得自己腿上有劲了,说自己的‘力气回来了’。”作为妈妈,王敏每天都在细致地感受着孩子的成长变化,打完针的几个月里,她感觉孩子身上开始长肉,体重也增加,这一点一滴的变化,都预示着孩子向着健康的方向成长。

王敏说,她所在的SMA患儿家长群里大概有400人,按照一位患儿有两位家长都进群来估计,也有200个家庭。据她了解,自从诺西那生钠注射液纳入医保后,群里大部分家长都给孩子预约了打针,“不是已经打针了,就是在打针的路上。之前听齐鲁儿童医院的医生说,医院排队约号的患儿已经到了3月底。”

注射诺西那生钠时需要从腰部脊椎间刺入,为了精准注射,孩子会被固定在手术床上。这个过程绝大多数的孩子都会害怕,多多也不例外。尤其是第一次打针,因为恐惧,在注射之前多多就吓得大哭——即便如此,他也从来没有说过“我不打针了”这种话。

“今天早上多多还跟我说,以后他有了力气,他负责去接妹妹放学,让我在家做饭就行,他会把妹妹接回家一起吃饭。”王敏说,她跟多多,都等着这一天。(应受访者要求,本文采访对象均为化名)

# 快来报名,带着爱心一起踏青赏春

## 齐鲁晚报·齐鲁壹点联合阿里巴巴天天正能量共同发起,助力特殊群体公益出游

齐鲁晚报·齐鲁壹点  
记者 王倩 赵卓琪  
实习生 姜睿 范若丹

盼望着,盼望着,春天来了。2月中旬,齐鲁晚报·齐鲁壹点联合阿里巴巴天天正能量发起的“2022·春天的约定”主题公益活动正式开启。很多爱心人士报名,希望作为志愿者陪伴孤寡老人、

失独老人以及行动不便人群共同出游,共沐春风。这其中有不少经验丰富的志愿者,大家对于这次公益出游充满了期待。

“作为齐鲁晚报·齐鲁壹点推荐的正能量合伙人,我第一个报名,我要带着孤寡老人一起出门走走,让他们也开开心心。”齐亚珍在看到活动启动的消息之后,第一时间联系到齐鲁晚报·齐鲁壹点记者,她表示,还将作为本次活动的组织人员,邀约孤寡老人。

齐亚珍给记者讲了一位孤寡老人的例子。据她介绍,这是她常年关注的一位孤寡老人,因为身边没有亲人,老人出行半径很小,

最远的地方是到离家3公里外的泉城广场,平时大部分时间就是在小区内溜达,“几年前的重阳节,我带老人去华山公园游玩,老人太开心了,当天穿上了一件只有过节才穿的新衣服,一整天也是笑个不停。”齐亚珍介绍,虽然之后也想带老人出门游玩,但受很多条件的限制没有成行,“她如果知道这个消息,肯定开心。”

春风十里,不及内心温暖的你。本次“2022·春天的约定”主题公益活动中,在山东区域内活动形式为“一起去春游”,公益活动主要面向两个群体,一是社会爱心人士及志愿者等,二是孤寡老

人、失独老人以及其他行动不便的特殊人群(可不局限于老人群体)。待到春暖花开的时候,由爱心人士及志愿者陪伴行动不便的特殊人群一起走出家门,踏青赏春,共沐春风。

齐鲁晚报·齐鲁壹点作为“2022·春天的约定”在山东的联合倡议发起媒体,壹点公益将全权负责本次公益行动的组织执行和宣传报道。即日起我们继续征集有需要的孤寡老人、失独老人以及行动不便的特殊人群,同步招募爱心人士和志愿者担任此次行动“正能量体验官”,和我们一起“为爱出游”。活动具体

实施时间为3月中下旬,具体日期和行程安排,请关注后续报道。

目前,活动报名通道已经开启,如果您有意向参与“2022·春天的约定——我们一起去春游”活动,可拨打热线电话0531—85193041咨询,您可以作为志愿者报名参加,也可以推荐有需要的特殊群体。

扫码下载齐鲁壹点  
找记者 上壹点

编辑:马纯潇 美编:马秀霞 组版:刘森