

罕见病公益组织“喊话”跨国药企 “血友病A”特效药的价格困局

最近，一封名为《比“无药可医”更令人绝望的是“有药难及”》的公开信，把血友病患者用药难的现实困境，带入了公众视野。

信中指出，跨国药企罗氏制药的艾美赛珠单抗注射液(商品名“舒友立乐”)在中国上市三年多来，销售价格居高不下，大量患者只能“望药兴叹”。



患者：药价难以接受 药企：定价相对最低

血友病是一种隐形遗传性罕见病，患者由于体内缺乏凝血因子导致凝血障碍，需终身用药。按照缺乏的凝血因子不同，血友病分为A型、B型和C型，其中A型(凝血因子Ⅷ缺乏)占比约80%-85%。

艾美赛珠单抗是罗氏制药的一款创新药，于2018年12月在我国正式获批上市，是目前国内上市的唯一一款适用于血友病A抗体患者的预防治疗药物，可显著降低A型抗体患者的出血事件。

这封公开信出自公益组织——北京血友之家罕见病关爱中心(简称血友之家)。血友之家会长关涛在接受采访时表示，一名体重60公斤的成年血友病患者，使用艾美赛珠单抗，一年的药费大约是130万元；即便是体重较轻的儿童患者，一年也至少需要60多万元。

“这个价格对绝大多数患者而言，是无法承受的。”关涛说，“之所以写这封公开信，是希望罗氏制药可以做出更多实质性的让步，推动艾美赛珠单抗降价。”

不过，罗氏制药相关工作人员称，“就这款药的价格而言，不是罗氏一方努力就能实现降价。”

这位工作人员表示，自艾美赛珠单抗在中国上市以来，这两年公司每年都会递交申请国家医保目录的材料，但实际上，连谈判环节都没进去。他说，从全球范围来看，艾美赛珠单抗在中国的定价一直处于最低水平，比韩国、日本的价格都要低。

即便是小剂量使用 一年药费也近40万元

“妈妈，我是不是要死了？”

“你好好吃饭不会死的。以前没药都没死，现在有药了，更不会死的。”

这是发生在宋曼和儿子小江之间的一段日常对话。宋曼说，自从2020年病情加重后，小江经常这样问她。

宋曼家住广东普宁市，儿子小江是一名血友病A型患者，今年10岁。小江出生七八个月时，被查出患上血友病，多年来，疾病的阴霾一直笼罩着这家人。

血友病患者终身具有轻微创伤后出血不止，甚至自发性出血倾向，临床主要表现为关节、肌肉、脏器的自发性出血，缺乏治疗可导致慢性和致残性的关节疾病，若出血点涉及脑部或其他主要脏器，短时间内即可导致不可逆的身体损伤，甚至危及生命。

该病的发病率约为万分之一。以此估算，中国约有14万血友病患者，绝大部分为男性。其中，作为“罕见病中的罕见病”，抗体患者通常在10次治疗(即输入因子制剂)后就会出现，且90%发生在5岁以下的儿童。

“孩子刚被诊断为血友病的时候，普宁的医院没有条件注射凝血因子，只能输血浆。后来有了凝血因子，打一针就能止血，当时真的很开心。”宋曼说，

但是这种情况并没有维持多久。

2017年，小江不小心摔倒，下巴不停流血，去医院缝了3次针，当时单靠凝血因子已无法止血。医生给出的诊断是，小江已经产生了抗体。这意味着，凝血因子对他正在失去疗效。

长期以来，抗体患者通常需进行大剂量凝血因子Ⅷ输注的耐受治疗，一旦耐受治疗失败或治疗期间发生创伤或自发性出血，只能采用凝血酶原复合物(健康人新鲜血浆分离提取，为含凝血因子Ⅱ、Ⅶ、Ⅸ等的混合制剂)或重组人凝血因子Ⅷa进行治疗，前者止血效果较差，后者止血效果虽好，但半衰期(反映药物在体内消除速度的快慢)仅3小时，且价格昂贵，仅可作为抗体患者的按需治疗药物使用，无法实现预防治疗。

小江也曾尝试过理疗、耐受治疗、频繁注射凝血因子等方法，但效果都不理想。在这样的情形下，今年3月份，他开始尝试使用艾美赛珠单抗。

“2020年医生就曾建议给孩子用这款药，但价格太贵了，现在也只是小剂量(30mg/每次)使用。”宋曼说。

即便是小剂量，一周一次，一个月4次，一个月的开销也需要3.24万元，一年就是38.88万元。

因为剂量不够，控制出血的程度并未达到预期。“艾美赛珠单抗不降价，不进医保，想要用大剂量，简直是奢望。”宋曼说，家里实在拿不出钱去买更多的药，只能眼睁睁看着孩子在生死边缘挣扎。

像小江这样的血友病A抗体患者不在少数。仅血友之家App用户大约就有1000人，真实数据应远大于这一数量。

税收上的优惠政策 能否让患者享受到

今年1月1日，美国渤健公司“70万元一针”、治疗罕见病脊髓性肌萎缩症(SMA)的药物诺西那生钠注射液正式被纳入国家医保，“灵魂砍价”一度刷屏。

作为全球首个SMA精准靶向治疗药物，诺西那生钠注射液于2019年2月在国内获批上市，上市之初价格昂贵。不过，诺西那生钠注射液最终以33000元/支的价格，成功通过医保谈判，进入新版医保目录，降价幅度高达95%。

同样作为罕见病用药，诺西那生钠注射液被纳入医保的消息，让血友病患者看到了希望，但艾美赛珠单抗何时能被纳入医保，实现大幅降价，仍是个未知数。

2021年国家医保谈判药品基金测算专家组组长郑杰曾表示，按照限定的支付范围，目前国家医保目录内所有药品年治疗费用均未超过30万元。

艾美赛珠单抗最初由罗氏制药旗下的日本中外制药株式会社发现。2017年11月，艾美赛珠单抗获得美国食品药品监督管理局(FDA)批准。2018年11月在中国获批进口，用于存在凝血因子Ⅷ抑制物的A型血友病患者的常规预防性治疗，以防止出血或降低出血发生的频率。

艾美赛珠单抗是近年来FDA批准的首个用于治疗体内含有Ⅷ因子抑制

物的A型血友病新药，也是目前国内获批上市的唯一一款适用于血友病A抗体患者的预防治疗药物。因为半衰期长、药物含量恒定且适用于抗体患者，这款药改变了抗体患者无预防性药物的治疗现状。

“这是一款能让患者有‘治愈感’的药。”关涛说。

然而，高昂的药价却让抗体患者“有药难及”。

作为终身使用药物，艾美赛珠单抗的用量与患者体重直接挂钩，标准用量为1.5毫克/周/公斤，按照销售价格8100元/30毫克的定价计算，患者年治疗费用约为2万元/公斤。

艾美赛珠单抗在国内上市三年以来，从未调整过售价。“对患者来说，最绝望的是有药难及。”关涛说，这种绝望的状态，不知会持续到什么时候。

就公开信一事，罗氏制药中国相关部门曾给出了回应。他们认为，价格确实是制约很多罕见病患者获得亟需治疗的重要原因之一，但高价值药品在挂网和进院方面的阻力，以及院外药房输注后的报销问题等因素都制约着患者对药物的可及性。这些工作都不是一家企业、一个组织，或一个疾病领域可以解决的。

罗氏方面强调，综合考虑到中国的经济发展水平、患者的经济承受能力，以及药物本身价值和后续研发的可持续性，艾美赛珠单抗的价格在中国一直处于低位。

罗氏制药称，正争取通过城市普惠型商业保险等多种渠道为血友病患者减轻经济负担。另外，罗氏制药中国与中国红十字基金会共同启动了珍罕关爱基金，将给予家庭困难的A型血友病患者现金补助。

关涛也是罗氏制药血友病援助项目的专家组成员。他透露，就珍罕关爱基金而言，罗氏制药添加了许多限制条件，比如1年的额度限制是100万元，半年只有50万元。这意味着，这种援助项目，一个患者5万元，只够10个患者用半年，只能是杯水车薪。

值得一提的是，国家财政部、海关总署、税务总局、药监局于2019年2月20日联合发布《关于罕见病药品增值税政策的通知》(财税〔2019〕24号)，规定自2019年3月1日起，对进口罕见病药品征收的进口环节增值税税率由原来的13%降为3%，降幅幅度高达10%。

“这降低的10%的进口环节增值税税率，能否体现在药价的降低上？”关涛提出，能理解企业的难处，但企业也应该看到患者的难处，起码可以把国家税收上的优惠政策真正让患者享受到。

从全球范围来看，艾美赛珠单抗上市后很畅销。据罗氏财报显示，2019—2021年，艾美赛珠单抗的全球销售额分别为13.8亿瑞士法郎(约合94亿元人民币)、21.9亿瑞士法郎(约合149.25亿元人民币)、30.22亿瑞士法郎(约合205.95亿元人民币)。这些销售收入的主要贡献来自美国、欧洲、日本等地区。

延伸阅读

事实上，即便解决了药费问题，血友病患者也有可能因为买不到药而无法及时用药。

前述公开信指出，自2018年12月艾美赛珠单抗在国内上市以来，全国范围内，罗氏制药中国仅委托上药云健康益药药房(上海)有限公司独家经销，在推动药品进药店、进医院等方面几无举措。这直接导致国内仅个别顶尖医院知晓该药品，欠发达地区患者仍处在“无药可医”的境地。

即便是已经开始用药的患者，也时刻面临着药品供应不及时，甚至出现购买到临期药品的情况，患者的用药需求和用药安全均难以得到充分保障。

“目前全国只有上海这家药店，能凭处方现场买到艾美赛珠单抗，其他地方的患者如果需要购买，要先挂号去医院，让医生开具处方，然后这家药店才能进行配送。”关涛说。

患者用药需求和用药安全均难以充分保障

全国仅一家公司独家经销

不过，据前述罗氏制药工作人员介绍，很多时候不是他们不愿意让药品进医院，而是很多医院在选择药品进院时，会有很多考量，例如药品存储时间、患者人数多少等因素。这是很多罕见病药品面临的一个共同问题。

在关涛看来，这个群体人数本身就不算多，药品向一些基层城市下沉的过程，所耗的成本也高，从企业角度看不太经济。对血友病患者群体而言，他们自身的社会影响力和关注度就很小，很多时候没有更多渠道和途径去发声，导致他们的诉求很难被考虑和采纳。

血友之家在公开信中提到，由于耐受治疗费用高昂，抗体患者常以忍痛和少用药甚至不用药为荣。儿童患者因常年出血而被迫休学、退学，患者因病致残、丧失劳动力，患儿家庭债台高筑、父母离异，甚至弃养等悲剧普遍存在。

虽然大部分时间躺在床上，但只要小江身体好一些，宋曼就会背着他接送上下学。“为了看病，他上课总是时断时续，现在已经10岁了。我担心他整天在家里会抑郁，到时候还要再去看心理医生，更麻烦。”宋曼坦言，不奢望儿子将来能考上大学，只想让他多识些字。

“如果将来艾美赛珠单抗能降价，能进医保，像小江这样的孩子就有可能有学上、有书读，能过上普通孩子的生活。”她说。(文中宋曼为化名)

本版稿件据中国新闻周刊



扫码下载齐鲁壹点
找记者 上壹点

编辑：彭传刚 美编：陈华 组版：洛菁