



得了罕见病,到底该不该治疗?治,可能是倾家荡产;不治,可能是生离死别。一面是无力承受的经济负担,一面是割舍不掉的亲情。罕见病的治疗问题已经成为患者心中的一个结。

# 罕见病治与不治的纠结

本报记者 周衍鹏 程凌润

## 现状

### 少数患者坚持,多数人放弃治疗

家里有一对双胞胎儿子本是一件令人羡慕的事,可双胞胎不幸患上一种罕见病,对父母而言,就是超乎寻常的痛苦了。作为一种世界范围内的罕见病,BH4(四氢生物蝶呤)缺乏症患者目前青岛仅有10名,胶州14岁的宝宝,贝贝这对双胞胎很不幸就是BH4缺乏症患者。尽管知道孩子们一生只能靠药物缓解,父母仍是坚持治疗了14年。

自1998年起,青岛开始筛查BH4缺乏症。作为岛城最早筛查出BH4缺乏症的患者,宝宝和贝贝是一对双胞胎。“孩子是1998年5月出生的,全家人高兴了不到20天,就接到了医院的通知,说孩子可能得了这种病,需要到北京分型。我们前前后后去了北京好几趟,才最终确诊。”孩子的妈妈王女士说。

最初时,两个孩子一年的医药费就要花费七八万元,这对于只是普通工薪阶层的王女士夫妇而言,

简直就是天文数字。夫妻俩没有放弃,拼命打工挣钱,舍不得吃,舍不得穿,攒钱为孩子治病,一治就是14年,现在每年的药费高达20多万元。

王女士说,孩子们已经14周岁了,一直没让他们知道得了这种病,每次吃药时她都告诉孩子是长身体用的。“主要是怕孩子万一知道得了这种病,会有心理负担。”王女士说就是因为考虑到这些原因,目前除了夫妻俩和孩子的奶奶外,包括所有亲戚在内的其他人都不知道这件事,为的就是能给孩子一片安静的成长天空。

记者采访时了解到,面对罕见病,并非所有的家长都能坚持治疗,许多人最终选择了放弃治疗。据不完全统计,仅血友病患者中,最后放弃正规治疗的就有近八成的患者,这还不包括其他更为罕见、更加难以治疗的病。

## 坚持

### 他们是我的孩子,我应该负责

王女士说,最初得知双胞胎儿子患上这种罕见病时,感觉整个天都要塌了,不知道该怎么办。但是难受过后,该承担的还是需要他们站出来承担。曾经也有人提醒过他们,说治疗这种病根本就是一个无底洞,不如趁早放弃,但是她和孩子的父亲都不这么认为,“我们当时就是想,既然孩子生到了我们家,我们就该对他们负责到底。”

“不同于普通苯丙酮尿症患者,BH4缺乏症患者除了要控制饮食外,还需要终生服用药物。现在则主要服用一种德国进口药。”王女士说,目前这种从德国进口的药价格十分昂贵,8000多元一盒。用量需要根据儿子的体重决定,一公斤需要用2到10毫克,现在一盒药仅够两个孩子吃10天左右,一个月下来就要两万多元,一年下来就是20多万元,

随着孩子体重的增加,药费也会大幅增加。

“只要吃上药,跟正常孩子一样。这也是我们不愿放弃治疗的原因。”王女士称,孩子只要能按时按量吃上药,就跟其他正常的小孩没有区别,这便成为王女士夫妻俩坚持下来的一个重要原因,每当看到孩子兴高采烈地从学校回到家,向他们讲述在学校里发生的趣事,他们俩就觉得所有的付出都是值得的。

更为重要的是,夫妻俩今年2月从北京参加完罕见病高峰论坛回来以后,通过多方求助,成功申请到了青岛市的特药救助,此次特药救助将按最高费用限额内个人自付费用的70%给予救助;大额救助对费用超过5万元的部分按60%的比例给予救助,救助额不超过10万元,这在极大程度上帮助他们家分担了经济压力。

## 放弃

### 巨额医药费成“最后一根稻草”

每年的药费高达三四十万元,这对于大部分血友病患者来说都很难承担。统计数据显示,青岛市仅有20%—30%的血友病患者接受了预防性治疗,近八成患者没有接受正规治疗,高昂的药费无疑成了血友病患者治疗路上的“拦路虎”。

据介绍,血友病是一组遗传性凝血因子缺乏引起的出血性疾病,该疾病会伴随患者终生。由于基因上的缺陷,血友病患者只能靠注射一种叫做“八因子”的药物辅助血

液凝血,一旦用药不及时,患者就会出现血流不止的症状,严重的还能致残。“只有20%—30%的患者接受预防性治疗,大部分患者是在发病之后才会治疗的。”青医附院建立了岛城首家血友病治疗中心,小儿血液科主任孙立荣介绍,岛城一万人中就会有一个血友病患者,但是有近八成的患者没有接受正规治疗。

孙立荣告诉记者,每支药要花费两三千元,一周至少用药两次,一年下来得花三四十万

元钱,这对于工薪阶层的家庭来说很难承受,这是很多患者不接受正规治疗的最主要原因,有的家庭甚至因为治疗这种病负债累累,另外一些患者的家属为了不想患者长久经受病痛,也会选择放弃治疗。

据介绍,虽然血友病已经纳入了青岛市门诊大病医保的范围,但是所支付的费用一般也不会超过15万元,这与预防性治疗的花费还有很大差距,社会保障缺失也是他们放弃治疗的一个因素。

## 专家

### 完善社保体系,为罕见病家庭减压

如果你的一位亲人得了一种伴随终生的罕见病,但是治疗所需医药费远远超过了你的家庭所能承受的能力,而且治疗仅能缓解病痛,不能够彻底地治愈,这种情况下,你会选择放弃治疗吗?14日,记者随机对市民进行了调查,20多名受访者中仅有1人表示会考虑放弃治疗。

在采访过程中,大部分市民均表示不会放弃治疗。“当然会治疗了,钱是可以再赚的,但是亲人去了就没了。”市民高先生告诉记者,如果亲人不幸得了罕见病,他肯定会选择治疗,自己有多大能力就尽多大能力,就算砸锅卖铁也得治疗。在考虑到家庭收入远不能满足治疗所需费用以及病人承受的病痛等因素时,原本选择治

疗的李女士称会考虑放弃治疗:“如果实在凑不齐钱的话,我会选择放弃治疗。”

“生命是珍贵的,如果我的亲人得了罕见病,第一个念头就是治病。”青岛市社会科学院调研员刘同昌介绍,随着科技和医疗水平的提高,很多罕见病都是可以治好的,大部分人选择治疗罕见病充分证明了割舍不掉的亲情。

刘同昌说,居民看病的成本很高,路费、挂号费、检查

费等各项费用已经给普通家庭造成了很大的压力,而罕见病专家少、研制罕见病药物的厂家少,罕见病的治疗成本就更大,加上当前社会保障体系不够完善,也没有实现异地报销,因病致贫的现象屡见不鲜,建议完善社会保障体系,让罕见病患者家庭能够减轻经济负担。

