

从6.38万降至3780元，罕见病SMA口服药利司扑兰进医保今日落地 单瓶降价94%，SMA患者再迎“生命减负”

记者 焦守广 实习生 宋家瑞

脊髓性肌萎缩症(SMA)患者再迎“生命减负”，口服药利司扑兰正式纳入医保并于3月1日落地执行，价格由每瓶63800元降至每瓶3780元。山东大学附属儿童医院康复科主任黄艳表示，SMA治疗的关键在于早发现早治疗和康复训练。

据介绍，SMA是一种罕见的遗传性神经肌肉疾病，最常见的是由5号染色体上的SMN1基因缺失或变异所引起，它是2岁以内婴幼儿致死致残性的最主要疾病之一。SMA常常会累及到多系统多脏器功能的损害，发病率大约1/10000，肌无力和肌萎缩是它的主要特征。

从出生便固定了一条特殊的人生轨迹，对于罕见病患者来说是不幸的，然而令人欣喜的是，医保政策在全国执行落地后，疗法简化、治疗减负的“双减”，大大提高了创新疗法的可及性，让我国SMA规范化诊疗“更进一步”，患儿治疗有了新的希望。

伴随着利好政策的频频释放以及社会多方的聚力破局，越来越多“小群体”的用药困境正在被破解——2023年1月，重磅神经创新药物利司扑兰(艾满欣)正式列入国家医保目录，并于3月1日起落地执行新医保谈判价格，价格由每瓶63800元下降至每瓶3780

元，降幅超过94%，SMA患者再迎“生命减负”。

2021年底国家队“灵魂砍价”时，医保谈判专家的那句“每一个小群体都不应该被放弃”，引起了社会对SMA的普遍关注。黄艳表示，利司扑兰属于终身用药，这次纳入医保后降价，确实在很大程度上减轻了SMA患者家庭的经济负担。

黄艳介绍，利司扑兰作为一种小分子蛋白，其优势是可以透过血脑屏障，作用到全身的各个系统，包括中枢神经系统和周围神经系统，全身性增加SMN蛋白水平。利司扑兰也是SMA领域目前首个且唯一的口服治疗药物，相对于儿童来说，可能更容易接受一些，同时也为现有的临床治疗方案提供了重要补充。

据了解，根据国家医保局公布的名单，包括利司扑兰在内，共有7种罕见病用药新增进入2022国家医保目录，而此前已有45种罕见病用药被纳入医保目录，覆盖26种罕见病。这些药品价格降幅基本上在40%-80%，个别药品的价格降幅甚至超过了90%。根据专家估算，目前目录内通过谈判纳入医保的罕见病用药中，有46个药物年治疗费用降到15万元以下，叠加医保报销和其他救助政策，罕见病家庭负担明显降低。

关注罕见病

“月亮的孩子”

全身毛发和皮肤发白的白化病

“瓷娃娃”

即使轻微碰撞也会严重骨折的成骨不全症

“蝴蝶宝贝”

皮肤像蝴蝶翅膀一样脆弱的大疱性表皮松懈症

罕见病通常为慢性、进行性，病情严重且很可能伴随终生

亨廷顿舞蹈病

手臂、躯体不自觉地任意扭动，伴脚步态不稳、言语和吞咽障碍

肌萎缩侧索硬化症

俗称渐冻症，全身肌肉逐渐萎缩直到完全丧失活动能力

卟啉病

皮肤晒太阳会发痒、水肿甚至糜烂

.....

这些只是罕见病的冰山一角

罕见病患者长期遭受困境

发病初期漏诊、误诊，不少患者错过最佳治疗期，病情难以逆转

全球已知的罕见病中至少90%尚无有效治疗药物，大部分已有的罕见病药品极其昂贵

延伸阅读

每年都有罕见病用药纳入医保目录

“瓷娃娃”“蝴蝶宝贝”“黏宝宝”……这些罕见病别名背后，是患者经历的常人无法想象的痛。每年2月的最后一天是国际罕见病日，罕见病是诊疗难度极大的疾病，也是一个比较突出的公共卫生问题。目前，全世界发现的罕见病超过7000种。在我国，不少罕见病患者依然面临“诊断难、治疗难、费用高”的难题。

罕见病之所以罕见，是因为这些疾病种类繁多、临床表现多样、病变常累及多器官、系统，导致诊断难、易误诊漏诊；而与罕见病患者相比，从事罕见病诊疗的专科医生更为罕见，尤其基层医生对罕见病的认识不够，从以往的数据来看，部分罕见病患者可能需要经历5到15年的时间才能确诊。此外，罕见病患者还要面对治疗难、用药难等问题，甚至一些罕见病患者至今无药可用。“有药可用”事关罕见病患者的健康福祉。从全球范围来看，目前已知的罕见病中95%的罕见病无有效治疗药物。

近年来，有关部门大力支持罕见病防治与保障工作，加强罕见病研究、诊疗和药品研发供应。国家药监局数据显示，目前已有

60余种罕见病用药获批上市。各地也对用药保障机制进行了积极探索。全国已有十多个省市建立了涉及罕见病高值药物的用药保障机制，主要模式包括专项基金、大病医疗保险、财政出资、医疗救助、政策性商业保险等。许多地方已不只是单一的制度保障，而是由政府、市场、社会等提供多元保障，对国家基本医保进行补充，实现了一部分需要高值药物治疗的罕见病患者的“用药可及”。

罕见病治疗费用高，是横在全球罕见病患者面前的一大难题。为了大力支持罕见病防治与保障工作，医保目录也在不断调整，每年都有新的罕见病用药纳入目录，患者治疗负担大幅减轻。今年年初公布的最新版国家医保药品目录，新增7个罕见病用药。5年来，医保目录内药品数量新增618个，其中包括22个罕见病用药，覆盖法布雷病、庞贝病、戈谢病、脊髓性肌萎缩症等罕见病。2022年的医保药品目录谈判还特别规定，罕见病治疗药品不受上市时间限制，及时将符合条件的罕见病用药按程序纳入医保药品目录。综合新华社、央广网等

编辑：于海霞 美编：继红 组版：刘燕

日照大乐透1012万元大奖得主 看开奖直播眼瞅着自己中了一等奖

看直播已成为当下流行的生活方式，对于不少体彩购彩者来说，看开奖直播更是每晚雷打不动的项目。可通过看直播眼瞅着自己中了千万元大奖是种什么体验？今天就听听这位来自日照的购彩者赵先生(化姓)怎么说。原来赵先生在2月11日第23014期的超级大乐透开奖中，喜中一等奖1注、四等奖30注，加上其它若干小奖，共收获奖金1012万余元。近日，赵先生在家人的陪同下领走了幸运奖金并讲述了他的中奖故事。

中奖秘诀是复式投注

据了解，赵先生购彩已经有十余年的时间了，最喜欢的玩法是大乐透，因为他觉得大乐透数字组合比较多，很有挑战性，平时投注都是自己选号。当被问到有没有选号秘诀时，赵先生幽默地说：“选号没啥秘诀，就是看着哪个顺眼选哪个。不过我倒有

投注秘诀，那就是复式投注，当看中的号码无法取舍时可以都选上，当然投注金额也会相应增加。我的投注金额每期都不固定，大多数时候都不超过100元。这期是投注金额最多的一次，翻来覆去的看那些号码，每一个都不舍得删，考虑了很久最终才下定决心投注。”

通过开奖直播眼瞅着梦想变成现实

中奖当晚赵先生手里握着彩票看开奖直播，随着摇出最后一个大乐透号码，赵先生感觉那一刻全身的血液都涌上了心头，内心的激动无以言表，但他仍然不敢相信自己能有这么好的运气，第一时间把全家人叫到一起，反反复复核对了好几遍，最终确定自己就是那个幸运儿！“多年来我一直坚持购买大乐透，希望在奉献爱心的同时也能收获一份幸运，这次眼瞅着梦想变成

现实，简直太高兴了！”说起中奖当晚的情景，赵先生仍然难掩内心的激动。

不忘公益暖人心

领奖结束后，赵先生主动向山东省扬善仁体彩慈善基金会捐出2万元爱心款。他说：“作为资深购彩者，我非常认同体彩的公益理念，上天给了我这次中大奖的机会，我希望尽自己的一点力量将温暖和爱心传递给那些有需要的人。”爱心不分大小，像赵先生这样中奖后不忘回馈社会的购彩者还有很多，正是这一份份爱心让越来越多的人感受到了公益体彩的温暖和光芒。

公益离不开每个人的努力，一张大乐透彩票不仅给我们的生活增添一份希望，也为公益事业贡献了一份力量，希望每位购彩者在随手公益的同时都能收获幸运，实现心中的梦想。



济南体彩为7星彩500万元大奖中出站点授牌



2月19日，7星彩第23018期开奖，中奖号码2 8 0 4 2 3 + 4，全国共中出一等奖1注，济南购彩者凭借一张10元的单式票，将这注幸运大奖收入囊中，收获奖金500万元。

2月22日，济南体彩为大奖中出站点举行授牌仪式。济南市体育局一级调研员石德峰、省体彩济南分中心主任陈新、历下区教体局体育事业发展中心主任张海胜等一行，为大奖中出站点授牌。活动现场，不少围观市民也纷纷加入到庆典活动中，通过游

戏互动，随机获得了电饭锅、电热水壶、扑克牌等幸运奖品。市体彩网点互助会会长崔胜利、副会长章德禄、历下区网点互助会会长蓝峰等互助组成员也一同出席参加了活动，与业主合影留念，沾喜气、享幸运。

新年新气象，彩市好运齐分享。近日，体彩彩票的各类玩法呈现井喷式中奖，2月15日大乐透23016期中出1.2亿元大奖，2月18日大乐透23017期再度中出2.4亿元大奖，两个亿元大奖的热力不减，幸运大奖持续发

力。本次济南购彩者幸运揽获的7星彩500万元大奖，成功拉开泉城幸运大奖序幕。

不管是大乐透，还是7星彩，作为中国体育彩票的经典数字游戏玩法，在为购彩者惊喜圆梦的同时，不断为社会筹集公益金，让随手公益成为一种美德和习惯，为公益事业、体育事业发展助力续航。与中国体育彩票来一次美好的邂逅吧！选择一张彩票，期待一份惊喜，为自己开启一次美妙的幸运之旅。