



不让罕见病患者群体掉队

——2022年中国罕见病大会侧记

本报记者 刘喜梅

“我国已有45种罕见病用药被纳入国家医保药品目录,覆盖26种罕见病。”

“人才是第一资源,创新是第一动力,人才队伍建设和创新发展是罕见病防治工作的重中之重。”

“罕见病是一个世界性的医学难题,也是全球共同的重大公共卫生问题。”

在10月29日至11月4日举办的2022年中国罕见病大会上,国家有关部门负责人、医学专家、药企负责人、患者等呼吁全社会一起关注罕见病。

这已经是中国罕见病大会的第四届年度大会了,但罕见病患者依然面临着诊断难、救治难、看病贵的问题,需要社会集中发力。正是因此,社会各界再次齐聚大会,共同探讨如何用更好的诊疗方案让病人、社会和病人家庭真正获益。

罕见病防治应成为人民群众健康促进的工作内容

今年9月,抗疫英雄、湖北省卫健委副主任张定宇宣布,要捐献遗体用于新发传染病研究,相关新闻一度冲上热搜。在2020年的“武汉保卫战”中,公众知道了张定宇的另一个身份——渐冻症患者。

2018年,被世界卫生组织列为五大绝症之一的渐冻症,收录于国家卫生健康委等5部门联合制定的《第一批罕见病目录》中。这种目前尚无法治愈但能够致死的疾病,从患者出现症状到去世能够存活的时间仅约2-5年。

张定宇把脑组织和脊髓组织作为“最后的子弹”贡献于科研,是希望人类能够攻克渐冻症,希望未来和他一样被确诊为渐冻症的人能够不再像他一样绝望。

绝望的不只有张定宇。因为人口基数大,我国目前已有超过2000万人的罕见病患者,且每年新增人数超过20万。遗憾的是,这些患者群体中有90%目前尚无法得到有效救治。

沉重的发病现状,也快速凝聚了罕见病防治的各界共识。会上,全国政协副主席、农工党中央常务副主席何维指出,党的二十大开启了全面建设社会主义现代化、全面推进中华民族伟大复兴的新征程,罕见病防治目标与党和国家事业发展目标是高度适应的。他特别强调,习近平新时代中国特色社会主义思想的“六个坚持”首要就是“坚持人民至上”,要在全面建设社会主义现代化国家的新征程上把保障人民健康放在优先发展的战略位置,罕见病防治应成为人民群众健康促进的工作内容。

“的确,在全面建设社会主义现代化国家的道路上,罕见病这个群体不能掉队。下一步,国家卫生健康委将把罕见病防治纳入健康中国行动的专项工作中,纳入卫生健康事业发展的规划中,纳入国民健康的政策中,纳入服务体系的建设项目中,调动更多的资源,汇聚更大的力量,为罕见病防治作出更大贡献。”会上,国家卫生健康委副主任于学军表态,情深意切。



10月29日,在2022年中国罕见病大会上,一位小女孩在观看罕见病公益摄影展。

多部门合力推动我国罕见病事业发展打开新局面

力量汇聚,也推动了我国罕见病事业发展呈现合力性新局面。

无药可医,一直是罕见病患者苦恼的头号问题。对此,国家药品监督管理局副局长黄果表示,国家药监局高度重视罕见病患者的用药需求,持续深化药品审评审批制度改革,支持罕见病用药的研发创新,从2018年审批上市6个到2021年批准上市21个,四年来,已累计批准56个罕见病药品上市。

有药但价格昂贵用不起,同样让罕见病患者倍感煎熬。对此,国家医保局医药管理司司长黄华波表示,国家医保局成立以来,持续完善医保药品目录准入,以破解罕见病用药“价格贵”问题。

“70万一针的诺西那生注射液纳入医保了!”去年12月3日,国家医保局公布一年一度医保谈判结果,包括诺西那生注射液在内的7种罕见病药物成功纳入医保的消息刷屏。患者们在各种通讯群奔走相告,甚至有人喜极而泣。

其实,这已经不是国家医保局首次将罕见病药物纳入医保。

“目前,已有45种罕见病药物被纳入国家医保目录,覆盖26种罕见病。2018年以来,国家医保局通过谈判新增了19种罕见病用药进入目录,平均降价52.6%。在2022年国家医保药品目录调整中,国家医保局还对罕见病用药开通了单独申报渠道,支持其优先进入医保目录。”黄华波介绍。

工信部党组成员、副部长王江平也在会上表示,近些年来,工信部切实发挥医药工业主管部门作用,采取了一系列举措来提高我国罕见病用药的保障水

平——一是建立罕见病用药供应监测机制,通过动态监测企业生产供应情况,加强生产调度和生产要素保障,确保生产平稳、供应充足。二是持续提高罕见病用药研发和产业化水平,将罕见病用药研发列入“十四五”医药工业发展规划的重点任务,支持建立罕见病用药生产技术公共平台,支持中医药参与罕见病防治,确保小品种用药生产供应稳定。三是持续强化国家医药储备蓄水池作用,健全药品储备体系,推动建立中央和地方两级常态短缺药品储备。

“可以说,党的十八大以来,各部门认真贯彻落实习近平总书记作出的‘将健康融入所有政策,全面推进健康中国建设’的重要指示,制定了多项政策措施并逐步形成政策合力,推动了我国罕见病事业发展迈上新台阶。”何维表示。

新征程上罕见病防治工作尚需继续加强

“近年来我国罕见病防治工作实现了一系列突破,但总体而言,我国罕见病事业发展仍处于初级阶段,诊断难、治疗难、缺医少药、高值药品负担重等问题依然突出。”在何维看来,面对罕见病防治工作的严峻形势,各部门还要继续加强罕见病防治工作。

为此,何维提出了三点建议:一是提高对罕见病的认识,二是多措并举加强罕见病的科学防治,三是加强基层的罕见病识别和管理能力。

“习近平总书记在党的二十大报告中指出,要深入贯彻以人民为中心的发展思想,坚持人民至上、生命至上,病有所医、弱有所扶,推进健康中国建设。罕见病虽然发病率很低,但病种繁多,我国人口基数大,患者绝对数量并不少,严重威胁人民健康。在多发病、常见病取得良好保障的基础之

上,提高对罕见病的关注,推动罕见病防治,这项工作本身就是贯彻新发展理念、构建新发展格局、推动社会主义现代化建设的民生保障实践。”何维强调。

对于罕见病的科学防治,何维建议,要从“摸底数,明负担”“重诊疗,强预防”“善创新,求突破”“强保障,量力而行”四个方面着手,开展更大范围、更高质量的全国罕见病直报工作,尽快摸清我国罕见病底数和负担,为政策制定提供数据基础。同时,不断完善全国罕见病诊疗协作网的建设和功能,通过上下协作机制,提升整体诊疗能力,并实现关口前移,对有适宜预防筛查技术的病种加强预防。此外,罕见病在全球各个国家都是发展欠充分的领域,由于罕见病发病机制特殊,我国需抓住罕见病资源优势开展医学研究,寻求病因、治疗和药物研发的突破,力争在科技自立自强上做篇文章。

对于罕见病药物的研发问题,全国政协经济委员会副主任、中国国际经济交流中心常务副理事长毕井泉表示,罕见病药物研发具有患者招募难、开发难度大、市场规模小的特点,鼓励企业研发罕见病治疗药物,是解决罕见病有药可用的关键。

在何维看来,罕见病防治还需要创新思路。“调查发现,罕见病延误诊断的主因是基层初诊医生对罕见病认知不够,确诊、转诊不及时。确诊的罕见病患者只能到大城市大医院随访,导致了患者诊疗负担加重。因此,有必要分批分类,从典型和相对常见的罕见病做起,加强基层的罕见病识别和管理能力,有效缩短确诊时间、减轻医疗负担。”何维说。

“需要特别强调的是,在我国目前有限的医疗保障能力下,还应尽快探索罕见病多层次医疗保障的解决方案,减轻患者的医疗负担,防止因病致贫、因病返贫,坚持尽力而为、量力而行,循序渐进,最终实现积小胜为大胜。”何维最后表示。

七日链接 QIRILIANJIE

今冬要警惕流感与新冠病毒叠加流行

本报讯(记者 陈晶)11月1日,在2022年“世界流感日”科普宣传与学术会议上,多位专家在会上提醒,应格外关注今年冬季的呼吸道传染病疫情,警惕流感与新冠病毒叠加流行。

“全球仍然面临着新冠肺炎疫情和流感疫情叠加流行的风险,特别是今年冬季。”中国工程院院士钟南山表示,新冠病毒和流感病毒都是呼吸道病毒,呼吸道病毒感染往往潜伏期短、传播迅速、传播范围较广、传播性强、发病率高、较难控制。呼吸道病毒造成的疫情一旦暴发,往往会导致严重的公共卫生事件,进而成为全球传染病防控的重点。

“今年6月以来,欧洲出现新一轮禽流感疫情,同时美国也出现前所未有的禽类感染H5N1疫情,存在极高的溢出并感染人风险。所以流感和新冠肺炎叠加,是我们今冬明春面临的非常大的挑战。”全国政协委员、中国科学院院士高福指出,当前新冠疫苗接种水平逐步提高,但流感疫苗接种率却普遍偏低。

中国科学院院士董晨也表示,目前全球仍面临较高的流感和新冠肺炎等呼吸道传染病叠加流行的风险,呼吸道传染病的防控任重道远。

来自俄罗斯、英国等不同地区的学者共同认为,新冠肺炎疫情的防控经验值得借鉴,例如研制快速可及的诊断手段或将对防控流感疫情起着至关重要的作用。

国内首次采用免缝合瓣膜完成“再”置换

本报讯(记者 李宁馨)天津市胸科医院心外科近日为一名主动脉瓣置换术后22年的女患者植入新型免缝合生物心脏瓣膜,患者恢复顺利已出院。此次手术为该患者第三次进行心脏瓣膜手术,也是全国首例采用免缝合瓣膜进行再次主动脉瓣置换手术。

据了解,这名52岁的女患者分别于2019年进行二尖瓣机械瓣置换术和主动脉瓣瓣下狭窄松解术,2000年进行主动脉瓣机械瓣置换术,此次因主动脉瓣人工瓣膜狭窄到天津市胸科医院心外科就诊。考虑到患者多次开胸手术史,胸骨后组织粘连严重,极易造成心脏损伤甚至破裂出血。同时,患者主动脉血管直径偏细,术中操作空间狭小、手术操作距离远,增加了手术难度。

天津市胸科医院心外科副主任、心外三病区主任王联群等专家团队术前反复评估,最终决定为患者采用主动脉瓣免缝合生物瓣膜置换术。术中确定人工瓣膜尺寸后,成功将人工瓣膜输送装置定位并释放瓣膜,整个植入过程耗时约3分钟。患者术后23小时后拔出气管插管,第二天晚上进食半流质,第四天转出监护室,术后10天出院。

据介绍,主动脉瓣病变是心脏大血管外科常见的病种之一,手术治疗是此类疾病的首选治疗方法。传统手术中需缝合瓣膜缝线、打结。免缝合生物心脏瓣膜是一种新型的完全靠支架支撑、不用缝线固定的、耐久性长的瓣膜,可简化手术植入操作、缩短心脏停搏和体外循环时间,具有手术时间短、安全性高、术后恢复快等优势。

图说进博会 TUSHUOJINBOHUI

众多健康类“首发、首展”产品亮相进博会

本报记者 田福良



正在举办的第五届进博会上,医疗器械及医药保健展区依旧“火爆”。众多“全球首发”“中国首展”药品、医疗器械、养老康复及辅助产品等令人目不暇接,新品发布、合作签约接连不断。多位参展商负责人表示,来中国参加展出是因为看好中国医药市场的增长潜力以及创新产品的发展机遇。

图①:美敦力展台,“经导管肺动脉瓣膜”国内真品首展。

图②:光神巴德在进博会上吸引了众多参展人员,是现场最受欢迎展位之一。

杏林传承展新颜

——江苏省常熟市政协关注传统中医药发展见实效

通讯员 解嘉

“当我在党的二十大报告中听见‘促进中医药传承创新发展’这句话时,内心激动无比。同时,我也感到责任重大,中医药只有在服务群众健康中发挥作用才能持续发展。作为县级市的基层政协委员,我和群众距离近、交流多,我要发挥好这一优势,满足群众维护健康、防治病的需求,让中医药在服务基层中不断传承创新!”江苏省常熟市政协委员、苏州禾平医药有限公司董事长邹惠国说。

常熟市政协主席沈晓东在与委员们共同学习党的二十大精神时也特意叮嘱道:“‘传’需要老一辈中医师的不懈努力,‘承’需要培养好新一代接班人精益求精,‘创新’则需要所有中医药工作者精勤不倦、砥砺前行。6月份,我们召开主席会议专题协商‘促进常熟中医药传承创新发展’,委员们提出了很多好的、务实的意见建议,我们要以推动意见建议落地落地的实际行动,学习宣传贯彻好党的二十大精神。”

工作室里委员忙

“这是艾叶、这是白芷、这是藿香,这

是称药材用的戥秤……”今年8月以来,为了让市民感受中医魅力、学习中医知识、传承中医文化,江苏省常熟市中医药博物馆创新推出了中药香囊制作小课堂,邹惠国每个月都会为青少年作中医药科普介绍。

让委员在常熟中医药博物馆驻点讲解,就是今年“促进常熟中医药传承创新发展”主席会议专题协商的成果。迁到古里镇知旅街区新址的常熟中医药博物馆于今年8月27日开馆,同日,国医馆揭牌成立。

“要促进常熟中医药传承创新发展,就要重视凝聚社会共识,加强中医药文化宣传推介,全面巩固中医药战略地位。”要围绕“诊疗+研学+中医+旅游+文创”,做精做强中医药文化研究,做广做远中医药文化传播……根据委员们在会议上的建言成果,常熟市政协牵头,邀请邹惠国委员与常熟中医药博物馆展开深度合作,进行中医药文化的传播和推广活动,这个驻点讲解服务就是推广活动的一环,也是邹惠国委员工作室的服务内容。

邹惠国委员工作室位于国医馆,以中医药服务为主题特色,通过委员倡导带动,邀请名中医参与坐诊的方式,推动国医馆与常熟中医药博物馆联合参与到委员“服务在基层”活动,将中医药服务送到基层。住在古里镇苏家尖村的王阿姨刚在此处就诊,“秋天干燥,小毛病也不想去医院排队,现在好了,家门口就有了专家门诊,而且委员工作室的医生靠谱,又耐心细致,真是太方便了!”

“我与中医药结缘30年,我想把这些年积累的知识与资源都融合到我的委员工作室中,把这里打造为集中医文化学习体验和中医健康服务为一体的多业态融合的中医综合体,切实为群众带来便利,助力全市中医药健康产业做实做优。”邹惠国说道。

常熟城里岐黄香

邹惠国深耕中医药产业,离不开常熟深厚的中医药文化底蕴。虞山医派源远流长,拥有着悠久的历史积淀和灿如星汉的中医形象,从明代名医缪希雍,到近代名医陶君仁、周本善等,无不彰显了常熟中

医药文化的独特魅力。

常熟中医药文化历史悠久,近年来,常熟市政协围绕“发挥中医药在公共卫生应急管理体系中的作用”“以‘互联网+’助力中医药社区卫生服务”“进一步发挥中医‘治未病’作用”等提案,通过专题调研组织提案办理协商,引导委员为中医药事业在新时代的发展与运用出谋划策。今年以来,常熟市政协全面开展“界别联镇、委员联村”活动,委员们立足自身专业特长,积极参与到服务基层第一线。

常熟市政协委员、市中医院护理部主任殷丽梅就是其中一员。她积极响应、主动作为,在挂钩联系的高尚镇翁家庄村开展了中医针灸下乡活动,组织中医院的同仁下沉田间地头,将中医特色疗法带到群众身边。“真的太神奇了,就那么被针一扎,瞬间就感觉浑身都轻松了不少呢。”村民陈阿姨惊喜道。

不少村民闻讯而来,整整一上午,义诊专家团连水也没顾得上喝一口,把脉、检查、针灸各个项目都排了长队。一位老伯伯对这次的义诊一个劲儿地夸赞,说以后还去中医院找这些医生针灸。

岐黄之道,源远流长,幽幽一缕药香穿越古今,讲述着一代又一代中医药人的坚守与匠心。常熟市政协委员们不甘人后,或是关注中医药文化宣传推广,将健康的种子播撒在人们心间;或是专注自身本职工作,兢兢业业为群众提供高品质可信的中医药产品;又或是发挥联系广泛优势,组织专家名医把服务带到田间地头。