

工作论文

SSL Working Paper Series

WP No.166-20231214

中国社科院世界社保研究中心 主办



这期刊发的《工作论文》是由郑秉文和李辰联合撰写的《罕见病用药保障困境与建立种子基金的构想》，该文已公开发表。如引用，请注明上述期刊出处——编者。

罕见病用药保障困境与建立种子基金的构想

郑秉文

中国社科院世界社保研究中心主任

李辰

中国社会科学院大学政府管理学院博士生

摘要：在罕见病群体所面临的诸多困境中，用药支付困境始终是最难以解决且无法回避的难题。本文梳理了国内罕见病用药保障政策及实践，认为当前我国多层次多主体的罕见病用药保障机制雏形已开始显现。然而，在职工医保制度的财务压力和待遇清单制度的约束下，多项地方罕见病超待遇保障项目面临清理，罕见病用药保障受到冲击，急需在国家层面重组资源和重建替代性机制。基于此，本文提出“种子基金”的构想，详细阐释其筹资原理，指出种子基金初始资本的本质是“制度套利”的红利，可被视为我国医保制度第一层次的延伸，是多方共付的杠杆和平台。根据当前职工医保基金运行和罕见病药品保障现状，测算出种

子基金规模。结果表明，种子基金不仅能覆盖当前登记患者的全部年用药费用 67 亿元，而且仍有结余。文章认为，种子基金提供的罕见病用药保障能力将可完全满足未来需要，且随着资金规模的扩大，种子基金的社会功能可逐渐扩展，成为践行共同富裕道路上的标杆性机制。

关键词：种子基金；罕见病；医保支付方式；用药保障机制；医保基金

一、罕见病基本概况及我国罕见病患者面临的困境

党的二十大报告中指出，要“采取更多惠民生、暖民心举措，着力解决好人民群众急难愁盼问题……扎实推进共同富裕”^①。我国对罕见病的研究起步较晚，用药保障机制尚未成功建立，罕见病群体面临的用药困境为患者、家庭乃至社会带来沉重的经济负担。实现全民健康是党和国家的庄严承诺，也是保障人民健康权益的基本责任。这意味着，要尊重每一个弱势群体的生命健康，不放弃每一位患者追求健康的权利。因此，探求罕见病群体用药保障之道、化解我国罕见病用药保障困境，是实现全民健康不容忽视的一环，对推动国家健康保障体系完善成熟具有重要意义。

（一）罕见病基本概况

罕见病（Rare disease），又称“孤儿病”（Orphan disease），是指患病率极低的一类疾病，通常以患病率或患病人数定义。据全球最大的罕见病数据库 Orphanet 显示，当前全球已发现的罕见病高达 6000~7000 种^②，其中 80%以上是由遗传或先天性畸形引起的^③。而遗憾的是，仅有不足 10%的罕见病拥有有效治疗方案^④，近三分之一的罕见病患者在五岁之前就因未得到有效治疗而死亡^⑤。

对罕见病的定义，目前国际上尚未达成共识。世界卫生组织将罕见病定义为患病率在 0.65%~1%之间的疾病^⑥。各国对罕见病的界定标准虽有不同，但总

^① 习近平.高举中国特色社会主义伟大旗帜为全面建设社会主义现代化国家而团结奋斗[M].北京:人民出版社,2022.

^② 参见 Orphanet 数据库官网:https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education_AboutRareDiseases.php?lng=EN.

^③ McClellan, J., & King, M. (2010). Genetic Heterogeneity in Human Disease. Cell, 141(2), 210-217. Retrieved from <https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S009286741000320X>

^④ NORD. (2019). Rare Diseases Facts. Retrieved from <https://rarediseases.org/wpcontent/uploads/2020/11/nord-rareinsights-rd-facts-2019.pdf>

^⑤ Institute of Medicine (US) Committee on Accelerating Rare Diseases Research and Orphan Product Development. (2010). Rare Diseases and Orphan Products: Accelerating Research and Development. (M. Field & T. Boat, Eds.). National Academies Press. Retrieved from <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/21796826>.

^⑥ Lavandeira, A. (2002). Orphan drugs: legal aspects, current situation. Haemophilia, 8(3), 194

体差异不大：美国在 1983 年颁布的《孤儿药法案》(Orphan Drug Act, ODA) 中将罕见病定义为美国患病总人数少于 20 万（患病率低于 0.5%）的疾病；或患病总人数超过 20 万，但美国尚不存在能使药物研发部门获得合理利润的治疗方案^①；欧洲议会和欧盟委员会在 1999 年末颁布的《孤儿药条例》(the Orphan Regulation) 中将罕见病定义为患病率低于 0.5% 的疾病；或患病率高于 0.5%，但会导致人体衰弱甚至危及生命的严重慢性疾病^②；日本将该国患病总数不超过 5 万人或患病率低于 0.4% 作为罕见病的界定标准；我国台湾地区的罕见病界定标准为患病率低于 0.1%、由遗传引起的疑难疾病^③。而迄今为止，我国大陆地区仍未明确罕见病种的界定标准。2018 年 5 月，国家卫健委等五部委联合印发《第一批罕见病目录》，共收录了 121 种罕见病，这是我国政府首次以疾病目录形式界定罕见病范围。《罕见病目录》也成为日后国家和地方政府制定相关政策的重要参考依据。由于我国官方尚未针对罕见病开展系统的流行病学调查，因而罕见病诊疗信息管理体系的建立也相对滞后。但由于我国人口基数很大，可以预见我国受罕见病影响的患者并不是一个小数目。据《中国罕见病定义研究报告 2021》统计，当前我国罕见病约 1400 种，患者数量将近 2000 万^④。

（二）罕见病群体面临的困境

我国罕见病患者群体属于社会弱势群体，社会关注度较低，加之罕见病临床病例稀少、经验不足，现阶段各方面保障机制发展薄弱。因此，罕见病往往被称为“医学的孤儿”。无论是诊疗、用药，还是日常护理，我国罕见病患者都面临重重阻碍与困境。

1. 罕见病诊疗资源稀缺且分布不均，误诊率、漏诊率居高不下

一方面，罕见病临床病状复杂且病例稀少，病情的精准诊断往往需要具备多学科交叉背景的临床专家才能胜任，而我国具备这种诊断能力的医疗人才十分稀缺，这就导致高误诊、高漏诊的发生。另一方面，我国罕见病诊疗资源分布不均，优质诊疗资源多集中在发达地区，偏远地区的医疗体系对罕见病认知程度很低，

-198. doi:10.1046/j.1365-2516.2002.00643. x.

^① <https://www.fda.gov/industry/designating-orphan-product-drugs-and-biological-products/orphan-drug-act-relevant-excerpts>.

^② Regulation (Ec) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on Orphan Medicinal Products[J]. OJEC, 2000, 43:1-5.

^③ Hedley, V. et al (2018). Overview Report on the State of the Art of Rare Disease Activities in Europe, 33-35.

^④ 王琳.中国罕见病定义研究报告 2021[R].上海:中国罕见病/孤儿药定义第三次多学科专家研讨会, 2021.

具备罕见病诊疗能力的临床医生紧缺，罕见病患者的诊疗难度更大。据中国罕见病联盟发布的《2020 中国罕见病综合社会调研》数据显示，我国罕见病患者从首次看病到最终确诊的平均年限为 0.9 年，如果不包括当年确诊的患者，则平均确诊年限将达到 4.26 年；同时，42% 的患者至少被误诊过一次；北京和上海的患者在本地实现确诊的比例可达 93% 以上，而绝大多数西藏、内蒙古的患者则必须要去省外医院才能获得确诊^①。

2. 国内上市的罕用药种类少且贵，罕见病患者深陷支付困境

即使翻越了“确诊”这座大山，罕见病患者也仍然面临用药困难。很多海外孤儿药因国内市场价值有限，并未在我国同步批准上市。在《第一批罕见病目录》所涉及的 121 种罕见病中，目前仍有 9 种罕见病面临“境外有药、境内无药”的局面。患者虽能看见一丝希望，却始终无法得到有效治疗。即使部分罕见病在国内有相关治疗药物上市，但这些药物并非《罕见病诊疗指南（2019 年版）》中推荐的一线治疗药物。受国内无特效治疗药物的现实所迫，患者不得已选择二、三线治疗方式，这势必会使治疗效果大打折扣。尽管国家已将大部分已上市的罕见病药品纳入《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录》（下简称医保目录），但仍有涉及 12 种罕见病的 13 种罕见病药品没有纳入医保目录之内，且这些药品多为天价药。在罕见病用药保障机制尚不完善的现实下，每年动辄上百万的医药费让大量患者望而却步。

3. 国内特医食品供应不足，市场准入壁垒阻碍生产行业发展

《第一批罕见病目录》中收录了多种诸如苯丙酮尿症、甲基丙二酸血症等先天性代谢疾病，这些疾病目前暂无有效治疗药物，主要通过服用特医食品为身体提供生存及改善预后所需的营养素。而当前国内市场能买到的特医食品种类极其有限，罕见病患者的特医食品需求无法得到有效满足。究其原因，是由于我国对特医食品的注册标准监管十分严格，厂商生产的特医食品必须进行注册并通过审批才能进入市场。然而，特医食品的申报注册费用高昂，动辄上百万；审批程序也相对复杂，部分特定全营养产品还需按照药品注册要求开展临床试验。如此高的市场准入壁垒，限制了国内特医食品生产行业的发展，致使国内特医食品供给严重短缺。以特医食品为生的患者只能通过代购等方式购买产品，不仅价格高昂

^① 张抒扬,董咚. 2020 中国罕见病综合社会调研[M].北京:人民卫生出版社, 2020.

且供应渠道不稳定，一旦遭遇疫情等特殊情况导致供应中断，将有危及生命的可能。

对绝大多数罕见病患者而言，持续的药物治疗是最有效的干预方式，这也使得用药支付困境成为罕见病患者所面临的诸多困境中最无法回避的难题。目前我国尚未建立完善的罕见病用药保障机制，沉重的经济负担很可能成为压垮罕见病患者及其家庭的最后一根稻草。因此，维护罕见病患者的平等医疗权、探索建立完善的罕见病用药保障机制是医疗保障制度改革进程中不可忽视的重要工作内容。

二、国内罕见病用药保障的实践与探索

2016年10月，中共中央和国务院印发《“健康中国2030”规划纲要》，提出要“完善罕见病用药保障政策”。2020年2月，中共中央和国务院颁布的《关于深化医疗保障制度改革的意见》要求“探索罕见病用药保障机制”。过去几年，从中央到地方，我国在探索罕见病用药保障机制的道路上始终坚持“多方共付”原则，形成了以政府主导，基本医保、大病保险、医疗救助综合保障，社会各方力量协同发展的多层次罕见病用药保障格局，切实提高罕见病用药可及性，共同与罕见病挑战作斗争。

（一）国家引领：积极推动罕用药研发审批上市并纳入医保

1. 加速罕用药审批上市与研发，打破“境内无药”局面

为尽快打破罕见病“全球有药，境内无药”的局面，国家逐渐构筑罕见病顶层设计，出台多项鼓励研发、优先审批等利好政策。2018年11月至今，国家食品药品监督管理局药品审评中心（CDE）先后发布了三批临床急需境外新药名单，名单内的药品可进入国家药监局（NMPA）优先审批绿色通道。过去三年，共有25款罕用药获批上市，且获批数量逐年攀升。同时，为加快罕用药审批速度，国家不断探索制度创新。对于部分国内未上市的罕用药，可在海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区使用，这也为CDE药物审评审批上市提供了可靠的真实世界数据参考。此外，国家也出台多项激励政策鼓励仿制药研发。截至目前，国家卫生健康委联合科技部等多部门先后发布了两批鼓励仿制药品目录，纳入目录的药品可在临床试验、一致性评价、优先审评审批等方面获得支持。这两批鼓励仿制药品目

录共计 49 个药物，其中包含 6 种罕见病用药^①。这些利好政策足以见得国家对罕见病用药保障的重视，也使我国罕见病用药困境在一定程度上有所缓解。

2. 国家医保谈判向罕用药倾斜，化解“有药难及”矛盾

基本医疗保险作为我国多层次医疗保障体系的基础性制度，其目标在于最大限度地满足人民群众的基本医疗需求。“保基本”的制度定位决定了基本医保无法囊括所有罕见病群体的用药需求。尽管如此，国家医保局仍秉承尽力而为、量力而行的理念，在兼顾罕见病患者需求和医保基金承受能力的同时，尽可能地扩大互惠性。随着国家医保目录的动态调整，罕用药纳入医保支付范围的数量也在逐年增加。截至 2022 年国家医保谈判，基于国家《第一批罕见病目录》，目前在我国明确注册的罕见病适应症药品有 103 种，涉及 47 种罕见病；其中，73 种药物已纳入国家医保目录，覆盖 31 种罕见病^②，超过国内上市罕见病药物总数的 70%，并包括“天价”高值药。同时，国家医保谈判还尽可能压低药物价格，有效提高了部分罕见病患者的用药可及性。

（二）地方探索：多方协同探寻罕用药多层次保障创新模式

在国家层面引领下，地方医保局联合多部门出台激励政策（表 1），致力于探索以政府为主导，商业保险、药品企业等多方资源广泛参与的罕见病用药多层次保障创新模式，助力罕见病患者走出“用药难”、“支付难”困境，切实减轻患者负担。目前地方保障模式较为成熟的省市主要包括：广东省佛山市、四川省成都市、浙江省及江苏省。

表 1 部分地方罕见病保障政策与实践

省/市	时间	文件编号	文件名称
广东深圳	2015 年 4 月	深人社规〔2015〕7 号	《深圳市重特大疾病补充医疗保险试行办法》
浙江	2015 年 10 月	浙人社发〔2015〕126 号	《关于加强罕见病医疗保障工作的通知》
天津	2018 年 9 月	津人社局发〔2017〕8 号	《关于做好庞贝氏症参保患者医疗费用报销工作有关问题的通知》
山西	2019 年 3 月	晋医保发〔2019〕13 号	《关于部分高额费用“罕见病”医疗保障问题的通知》
陕西	2019 年 12 月	陕医保发〔2019〕33 号	《关于加强部分罕见病参保患者医疗保障工作的通知》

① 沙利文，病痛挑战基金会. 2023 中国罕见病行业趋势观察报告[EB/OL], 2023:31。

② 上述数据由沙利文和北京病痛挑战基金会计算得出并提供。

浙江	2019年12月	浙医保联发(2019)25号	《关于建立浙江省罕见病用药保障机制的通知》
广东佛山	2020年4月	佛府办(2020)7号	《关于印发佛山市医疗救助办法的通知》
江苏	2020年12月	苏医保发(2020)120号	《关于建立罕见病用药保障机制(试行)的通知》
山东	2020年12月	鲁医保发(2020)73号	《关于进一步完善我省大病保险制度的通知》
四川成都	2021年3月	成医保发(2021)1号	《关于建立罕见病用药保障机制的指导意见》

资料来源：根据各地医保局及政府官网公开文件整理。

1. 佛山：医疗救助与商业保险不限病种全目录补充保障

佛山市通过医疗救助和商业保险对罕见病患者提供无病种差别的多层次保障。2020年佛山市人民政府印发了《佛山市医疗救助办法》(佛府办(2020)7号)，无差别地将《第一批罕见病目录》中涉及病种均纳入医疗救助保障范围，明确罕见病医疗救助对象在符合条件的罕见病医疗机构诊治罕见病的指定药品、治疗性食品费用，经基本医疗保险、大病保险和各类补充医疗保险核报，剩余个人需要支付的指定药品、治疗性食品费用由其个人先行支付后，由户籍所在区医保部门予以救助。随后以罕见病医疗救助药品、治疗性食品及医疗机构目录的形式明确了罕见病药物救助范围。这是国内首个罕见病医保药物目录，共收录了目前国内批准上市的133种罕见病药物，保障范围达到61种罕见病。同时，佛山于2020年1月推出了商业补充医疗保险——“平安佛医保”。针对罕见病保障，其最大的特点在于保障药品不受医保目录限制，只要是121种罕见病适应症的合理用药，均可得到相应赔付。对医保目录范围内的药品，在经其他保险费用补偿后医疗费用累计在8万~50万元之间部分可报销90%，50万~100万元部分报销比例高达100%。

2. 成都：大病保险与药企共筹资保障患者持续规范用药

成都市依托大病保险建立起与药品生产企业“负担可控、责任共担”的罕见病用药保障机制。2021年成都市医保局、财政局和卫生健康委员会联合印发《关于建立罕见病用药保障机制的指导意见》(成医保发(2021)1号)，对符合条件的患者用药实行一个治疗年度内累加计算、分段报销。罕见病保障资金由大病医疗互助补充保险资金和药品生产企业(或供应商)共同负担。具体方案是：每年先按照上一年度大病医疗互助补充保险筹资总额的2%筹集罕见病保障资金，单

独设立科目核算，结余清零。若当年度出现超支，则超支部分由大病医疗互助补充保险资金和药品生产企业（或供应商）共同分担。同时，文件严格要求药品生产企业，不能在有国内赠药方案的药品纳入罕见病用药保障之后，降低原赠药力度。这是药企参与政府层面罕见病用药保障的成功制度创新。

3. 浙江：引入超定额缴费率先建立省级罕用药专项基金

浙江省通过引入超定额个人缴费建立起全国首个省级罕见病用药保障专项基金。2019年浙江省医疗保障局等四部门联发的《关于建立浙江省罕见病用药保障机制的通知》（浙医保联发〔2019〕25号）中提出，根据基本医保参保人数，按每年每人2元的标准一次性从大病医疗保险基金中上解资金，形成浙江省罕见病用药保障基金。参保人在一个结算年度内发生的药品费用，实行累计计算、分段报销，个人自付10万元封顶。其中，0~30万元，报销比例为80%；30~70万元，报销比例为90%；70万元以上费用，全额予以报销。这一报销比例在全国范围内属领先水平。浙江省还结合本省经济社会发展水平、罕见病用药保障基金结余等情况，开展大病保险特药谈判，先后将多种罕用药纳入大病保险基金支付范围。除了罕见病专项基金和大病保险外，仍有支付困难的患者还可享受医疗救助和慈善帮扶。浙江省通过充分践行多层次保障，使罕见病患者因病致贫风险降到最低。

4. 江苏：惠民保成为罕用药高层次保障的重要补充角色

受“浙江模式”启发，江苏建立了依托罕见病高值药保障专项基金、医疗救助、慈善帮扶的多层次罕见病用药保障模式。除此之外，江苏部分地市政府通过政府购买服务或政府背书社会服务将普惠性商业补充医疗保险引入罕见病用药保障机制中，探索更低成本、更高效率的实践方式。例如，无锡的“医惠锡城2022”对包括黏多糖贮积症（I、II型）、血友病等10种罕见病在内的7种罕用药进行报销；徐州的“惠徐保”2023年度更是新增了35种罕见病的49种医保目录外用药保障，成为原有罕见病用药保障机制的重要补充。与普通商业保险相比，惠民保的优势在于投保门槛低、价格便宜、保额高，且最重要的是可以使用职工医保个人账户为全家参保缴费，这在很大程度上激发了群众的参保积极性。同时，惠民保由各地政府参与定制，可有效提高群众接受度，为提供罕见病用药高层次保障创造可能。

（三）社会参与：多元力量共助罕见病患者用药最后一公里

在政府引导下，病友组织、慈善组织、网络互助等社会力量也广泛参与到罕见病用药保障工作之中。

我国早在 2000 年就开始自发成立罕见病患者组织，通过共享罕见病药品信息和医疗知识，加强与政府、医院和药物研发机构的交流合作，努力争取罕见病用药保障利好政策。例如，瓷娃娃罕见病关爱中心自 2008 年成立以来，共筹集善款总额超过 2000 万元，提供医疗康复救助 1300 余人次，服务覆盖 3000 多个罕见病、残障家庭^①。

慈善公益组织也是罕见病用药保障中不可忽视的一环。近年来，业界多家基金会都长期开展罕见病公益项目，如中华慈善总会、中国初级卫生保健基金会、中国出生缺陷干预救助基金会都开展了罕见病专项援助计划；再如，北京病痛挑战基金会专注于罕见病群体的迫切问题，通过与地方政府、医院、药企、互联网医疗平台、商业保险公司等对患者有利的主体搭建沟通协作平台，凝聚多方力量打通罕见病患者用药的最后一公里。

此外，药品生产企业也着重强调社会责任，通过与政府共担风险、开展让利和慈善援助项目尽可能承担部分药品费用，为罕见病用药保障奉献力量。例如，武田制药旗下两款罕见病创新药在国内上市一年内就成功纳入医保目录；赛诺菲自 1999 年起先后与世界健康基金会、中华慈善总会合作，为戈谢病、法布雷病患者提供无偿药品援助或制定专项赠药方案，为提高医保目录内外药品的可及性做出很大贡献。

（四）小结

经过近些年的努力，以上所有工作均取得进展，多层次多主体的罕见病用药保障机制雏形开始显现，普遍受到罕见病患者的欢迎和好评。综合来看，我国在建立罕见病用药保障机制中始终坚持遵循多方共付原则，基本实现了制度、主体、筹资、支付四个维度的多元化探索。一是制度多元化，各地方罕见病用药保障制度主要以基本医保、大病保险、医疗救助为主，囊括了我国医疗保障制度第一层次的基础性、普惠性和兜底性保障，同时，辅之以商业保险和民间慈善组织等第三、四层次的补充性保障；二是主体多元化，罕见病用药保障涉及多方主体，包

^① 参见瓷娃娃罕见病关爱中心官网：<http://chinadolls.org.cn/type/110>。

括政府部门、医药企业、商业保险公司、民间慈善以及个人（病友组织）等；三是筹资多元化，罕见病用药保障资金来源于国家医保基金、政府专项基金、社会救助资金和企业及个人捐赠；四是支付多元化，不同参与主体通过创新制度模式共同探索完善罕见病用药支付体系。可见，多元化的发展定位已成为罕见病保障领域共识，而政府如何引导、动员社会资源以挖掘其投身于罕见病用药保障事业的潜力，才是问题的关键所在。

三、“中华罕见病种子基金”的资金来源与制度设计

总体看，现阶段我国罕见病用药保障机制发挥主导作用的依然是基本医保制度，并且业界对基本医保制度发挥更大作用寄予较高的期盼，社会力量共同参与的多方共付局面还处于初级阶段。但是，“保基本”的基本医保制度定位注定无法回应罕见病群体的全部诉求，并且基本医保也面临人口老龄化的巨大压力。

（一）医保制度的财务压力和待遇清单制度的约束

我国职工医保采取的是“权益积累型”模式^①，即在职缴费，终生享有，退休人数越多，医保基金承受的支付压力越大。例如，2021年在医保基金发生的1.29万亿元医疗机构费用中，退休人员医疗费用占比高达57.7%，而退休职工人数占比仅为26.3%^②。这个数据意味着，随着我国人口少子老龄化趋势的不断加快，医保基金的可持续性面临的挑战日益严峻。据官方披露的预测数据^③，企业职工基本医疗保险统筹基金累计结余预计将于2024年出现累计赤字，这无疑对我国现收现付制的基本医保制度提出挑战。

习近平总书记指出：“社会保障体系建设要坚持国家顶层设计，做到全国一盘棋。要增强制度的刚性约束，加强对制度运行的管理监督。各地区务必树立大局意识，严肃落实制度改革要求，不得违规出台地方‘小政策’”^④。为确保医保制度可持续性和公平性，做到全国一盘棋，2021年1月，国家医保局会同财政部印发《关于建立医疗保障待遇清单制度的意见》（医保发〔2021〕5号），指出基本医疗保险制度包括基本医疗保险、补充医疗保险（居民和职工大病保险等）和医疗救助，各地在基本制度框架之外不得新设制度，地方现有的其他形式制度

① 郑秉文. 改革职工医保“权益积累型”缴费模式已是大势所趋[J].中国医疗保险, 2021(08):15-18.

② 国家医疗保障局. 2021年全国医疗保障事业发展统计公报[R].北京:国家医疗保障局, 2021.

③ 编写组.党的十九届五中全会<建议>学习辅导百问[M].北京:党建读物出版社/学习出版社, 2020:186.

④ 习近平.促进我国社会保障事业高质量发展、可持续发展[J].求是, 2022(8):4-10.

安排要逐步清理过渡到基本制度框架中，特殊人群保障政策由国家统一制订，各地严格按照国家基本医疗保险药品目录执行，不得自行变通增加目录内药品和出台特殊待遇政策，要求“地方按照国家规定政策执行”。待遇清单制度的建立规范了基本医疗保障制度与其他层次保障制度的功能边界，实则厘清了政府与市场的责任边界，地方层面自行设立的罕见病用药保障机制面临清理。

在要求清理地方超待遇保障项目的同时，为确保罕见病用药保障力度不减，罕见病患者人心不乱，政策平稳过渡与社会和谐稳定，应另辟蹊径，既坚守医保待遇清单制度底线，又不额外加重各级财政负担，充分挖掘社会资源潜力，在国家层面重组资源和重建替代性机制，尽快纳入罕见病用药保障制度之中。否则，部分罕见病患者用药保障很可能出现“断裂”，不利于实现共同富裕和社会稳定。例如，在第16个国际罕见病日到来前夕，2023年2月27日，一封由38位“戈谢病”患者按手印的《关于戈谢病患者持续用药的公开求助信》在网上流传，信中讲述了几个省份的患者由于《待遇清单制度》的实施，部分地方出台的戈谢病用药保障政策将面临中断，今后高价药可能无处报销^①。

作为一个替代性的长治久安的制度安排，本文提出关于设立“中华罕见病种子基金”（下简称种子基金）用于我国罕见病目录外用药保障的设想。设立种子基金的作用在于代表政府践行罕见病用药保障多方共付模式，并成为引导和动员社会资源的平台与机制。这不仅是政策过渡期保障医保基金可持续性的有效办法，也是实现我们党对“共同富裕路上一个也不能掉队”的庄严承诺。

（二）设立种子基金的资金来源及其制度基础

种子基金的机理是利用城镇职工基本医疗保险基金投资体制改革存在的“窗口期”，在统筹基金实行市场化投资之前，每年从中“借支”一部分（账户基金不动用），委托给全国社保基金理事会进行投资，将“本金”和利息“退回”给各省之后，留下投资收益作为种子基金的“初始资本”，建立种子基金并进行运营，每年拿出投资收益的一部分用于罕见病用药保障机制。

^① 红星新闻记者罗丹妮：《38位“戈谢病”患者家庭联名求药背后：退出省医保目录后，罕见病患者用药何解？》，见腾讯网：<https://new.qq.com/rain/a/20230301A008E800>

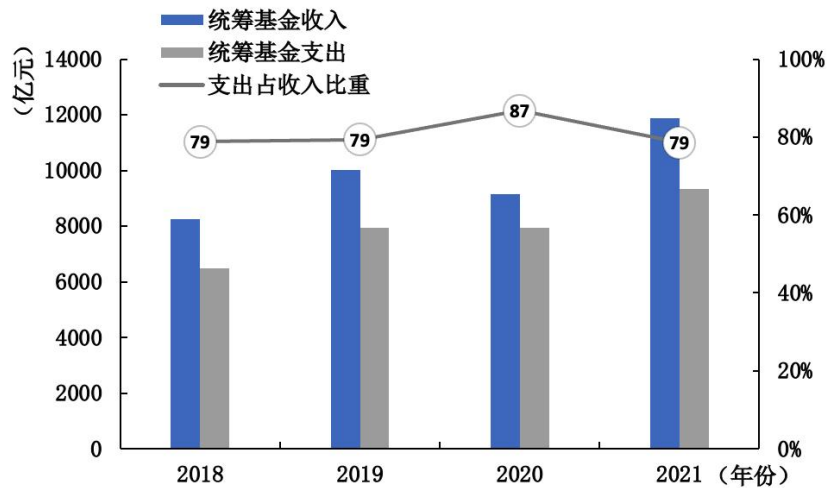


图1 2018~2021年职工医保统筹基金收支情况

资料来源：2018~2021年《全国医疗保障事业发展统计公报》。

在过去的十几年里，我国城镇职工基本医疗保险（含生育保险，全文同）统筹基金当期缴费收入留有 20% 的结余注入累计基金并存入财政专户。例如，2021 年职工医保基金收入 1.90 万亿元，其中，统筹基金收入 1.19 万亿，支出 0.93 万亿元，当期结余 0.25 万亿元，累计结余 1.77 万亿元（见图 1）^①。而目前医保基金增值保值的办法沿用的是 1998 年印发的《国务院关于建立城镇职工基本医疗保险制度的决定》（国发〔1998〕44 号）（下简称“44 号文”），其基金投资保值的规定是：“基本医疗保险基金的银行计息办法：当年筹集的部分，按活期存款利率计息；上年结转的基金本息，按 3 个月期整存整取银行存款利率计息；存入社会保障财政专户的沉淀资金，比照 3 年期零存整取储蓄存款利率计息，并不低于该档次利率水平”。中国人民银行对活期存款利率、3 个月期整存整取和 3 年期零存整取储蓄存款利率规定有明确的基准利率，它们分别是 0.35%、1.1% 和 1.3%^②。这一存款利率明显低于近年来 CPI 的平均水平 2.46%，医保基金将面临贬值^③。

2021 年 6 月，国家医保局在向全社会公布的《医疗保障法（征求意见稿）》中提出，“医疗保障基金在保证安全的前提下，按照国务院规定投资运营实现保值增值”。同时，笔者于 2022 年 3 月向全国政协提交了《关于加快医保基金保值增值》的提案，建议医保基金尽快委托给全国社保基金理事会进行市场化投资。

^① 国家医疗保障局. 2021 年全国医疗保障事业发展统计公报[R].北京:国家医疗保障局, 2021.

^② 参见中国人民银行官网: <http://www.pbc.gov.cn/zhengcehuobisi/125207/125213/125440/125838/125885/125896/2968995/index.html>.

^③ 郑秉文.医保基金保值增值迫在眉睫[J].中国医疗保险,2022(03):15.

国家医保局在 2022 年 7 月的提案答复函中明确，将积极探索在确保基金安全和平稳运行的前提下，实现基本医保基金保值增值。这意味着，职工医保基金投资体制改革或将成为未来发展趋势，在统筹基金尚未实行市场化投资之前，种子基金由各地统筹基金借出存在政策可行性，这也是成功设立种子基金的前提和基础。

（三）设立种子基金的原理释义

种子基金的原理可分四步阐释（如图 2 所示）：

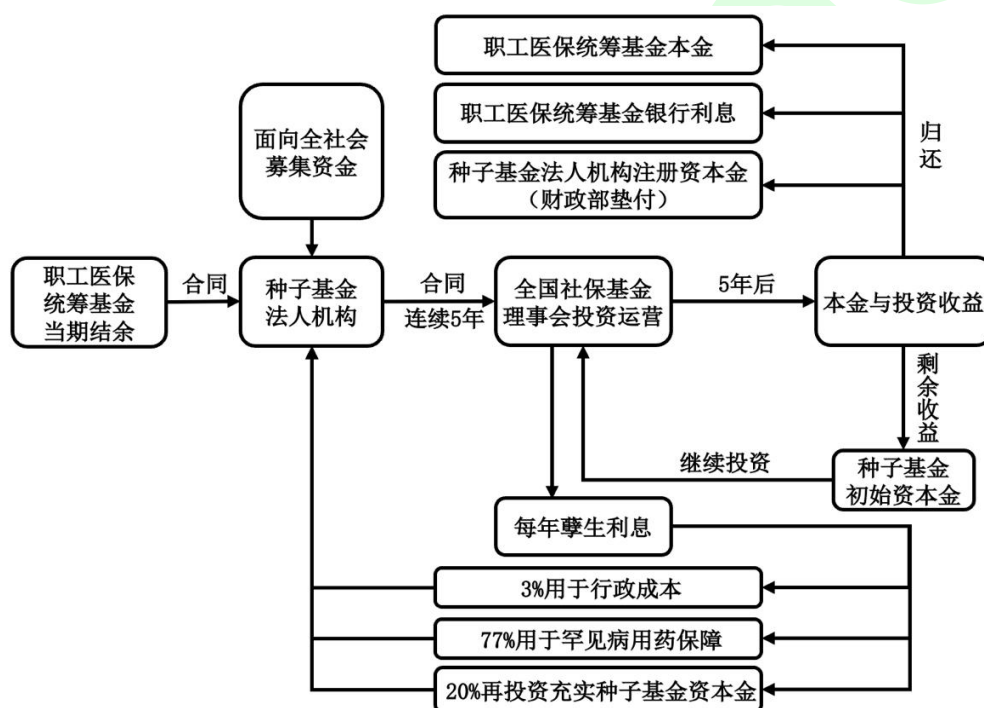


图 2 “中华罕见病种子基金”资金流示意图

资料来源：作者绘制。

第一步，国家医保局建立“罕见病种子基金”社团法人机构（下简称种子基金法人机构）。种子基金注册资本金可先行向财政部“借支”10 亿元人民币，财政部予以垫付。待五年期满后（假定改革“窗口期”为五年）连本带息归还给财政部。

第二步，种子基金法人机构通过与各省签订五年期合同，约定每年从职工医保统筹基金“借支”当年收支的结余部分，各统筹单位对当期收支余额全部即时“借支”给种子基金法人机构，后者即时委托给全国社保基金理事会实行为期五

年的市场化投资。

第三步，五年期满后，依照合同归还“借支”的职工医保统筹基金“本金”、本应获得的银行存款利息以及财政部垫付的注册资本金本息，剩余投资收益形成种子基金初始资本金。

第四步，种子基金初始资本金依然委托给全国社保基金理事会进行投资，每年产生的孳生利息中，剔除 3%用于行政成本，留取 20%用于“再投资”（充实种子基金的资本金），剩余 77%用于每年罕见病用药保障。

（四）种子基金的资金性质与制度功能

1. 种子基金初始资本源自“制度套利”的红利

种子基金初始资本金的性质是“制度套利”的结果，“制度套利”是指合规运用两种不同制度运行机制之间的短暂差异性所获红利的行为。在筹集种子基金过程中，任何一方都没有受到损失。首先，医保基金没有受到一分钱的损失，其应得利息收入没受到任何损失。通过签订合同，种子基金的筹资与运营受《中华人民共和国合同法》约束，医保制度参保人的合法权益没受到任何损害。其次，财政没有一分钱的转移支付，垫付的注册资本金也连本带息归还。最后，种子基金作为法人实体实行完全市场化的运作模式，所有人工等运行管理费用列入种子基金的行政成本之中。因此，种子基金完全是制度套利红利与市场化投资运营的结果。同时，种子基金“借支”的职工医保统筹基金只涉及当年结余，与历年累计结余无关。种子基金法人机构与各省签订合同后，各统筹单位将当期缴费资金流收支以外的全部结余上解到省级，由省级单位统一汇入种子基金。因此，种子基金的筹集不受基本医保统筹层次的限制。

2. 种子基金药品目录的机制调整与制度补充

种子基金的定位是做好基本医保的重要补充，从而种子基金应在药品纳入方面为基本医保预留一定的保障空间。对于患病人数相对较多的罕见病药品而言，在医保谈判方和企业定价方的相互博弈下，药品企业可以接受通过薄利多销的方式进入基本医保目录，实现双赢。这是市场机制自动调节的结果。而对于患病人数很少的罕见病药品，医保谈判方和企业定价方之间的矛盾是无法调和的，这就是种子基金的保障重点。也就是说，种子基金应优先保障因患者人数过少而无法通过市场机制自动调节的药品。基于此，种子基金药品目录的纳入标准应遵循以

下原则：一是疾病的罕见性，即是否为超级罕见病；二是药品的有效性，即是否为能够有效提高患者生命质量的特效药；三是药品的唯一性，即当前医保目录中是否无其他替代性治疗方案。同时，种子基金法人机构应严格按照以上原则组织考核罕见病药品指标，定期对种子基金药品目录动态调整。

3. 种子基金的建立有助于目录外罕见病药品的研发与供给

从供给侧看，罕见病药物研发周期很长，价格很贵；从需求侧看，超级罕见病的患者数量十分“罕见”，表 2 显示，大部分登记罕见病患者数量仅为几百人，只有两种病的患者超过一千人，在没有医保制度覆盖的情况下，由于患者支付能力与药物价格间的巨大差距，每一个单病种药物都难以形成有效需求。有效需求难以显性化的结果必将导致供给侧在药物研发、量产、上市、进口等各个环节都难以“唤醒”，“有需无供”的窘境将剥夺罕见病患者的治疗权利，这种社会压力最终要传导到医保制度，医保基金将面临巨大的支付压力。种子基金的建立在满足需求侧的同时可对供给侧形成稳定的预期，有助于目录外罕见病药物价格机制的形成，对罕见病用药保障机制的源头即药物供给的各个环节在客观上形成“有需有供”的一种“保障”，彻底解决医保基金螺旋式扩大罕见病目录导致的财务可持续性难题。

（五）种子基金的制度定位与机制功能

1. 种子基金是我国医疗保障制度第一层次的“延伸”

从主办者角度看，种子基金是由政府主办、其下辖法人机构管理运营的公益性组织。从资金来源上看，种子基金的初始资本来源于职工医保基金。因此，种子基金的功能可视为基本医保制度的延伸，是中国特色多层次医保制度的组成部分，是在大病保险制度之后又一个特重大疾病保险制度，是为城镇职工和城乡居民两个医保制度参保人罕见病患者提供用药保障的市场化机制。种子基金建立以后作为一个独立的法人实体，资本金委托全国社保基金实行完全市场化运行，投资收益用于运营成本和罕见病用药保障机制。

2. 种子基金是多方共付的杠杆和平台

罕见病用药保障机制最终要实现的是“多方共付”的原则，即制度多元化、主体多元化、筹集多元化和支付多元化。“中华罕见病种子基金”应是国家医保局下辖的法人机构，是动员社会资源建立罕见病用药保障机制的重要机制设计。

这种机制设计将产生对药企捐助和慈善公益聚集的激励性。目前，药企对罕见病的捐助是碎片化、非组织化的，完全处于“自发”状态。种子基金的建立将使这些社会资源得到全社会范围的动员与聚集，不断壮大种子基金的规模，深挖药企和相关慈善公益机构对罕见病用药保障的积极性。种子基金作为一个平台，不仅便于对治疗罕见病进行广泛而持续的社会宣传，同时，种子基金也将会成为全国最大的慈善公益社团组织，成为“大爱”和“共同富裕路上一个也不能掉队”的标杆性社会动员机制。

四、“中华罕见病种子基金”的规模测算与未来构想

(一) 种子基金参数设定及计算公式

假定以 2021 年为基期，城镇职工基本医保基金投资体制改革的“窗口期”为 5 年，则种子基金初始资本金筹集时限为 2021~2026 年。2021 年职工医保统筹基金当期结余为 2543 亿元。其余相关参数设定如下：(1) 医保基金存款利率：参照央行规定的金融机构人民币存款基准利率。(2) 全国社保基金投资收益率：全国社保基金理事会公布的《2021 年度社保基金年度报告》显示，社保基金自成立以来以来的年均投资收益率 8.30%。考虑到医保基金流动性需求较大，实际投资收益率必然低于养老基金，因此设定医保基金交由全国社保基金理事会的年化投资收益率为 6%。(3) 财政部垫付注册资本金存款利率：按照央行规定的一年期整存整取银行存款基准利率 1.5% 计算。(4) 全口径社平工资增长率：根据《中国统计年鉴》相关数据计算，2020 年全口径城镇单位就业人员平均工资增长率为 7.6%，而疫情前 2015~2019 年城镇非私营、私营单位就业人员工资年均增长率分别为 8.5% 和 7.9%，均高于 2020 年水平。考虑到 2020 年受疫情冲击严重，未来社平工资增长率将略有回升，因此设定全口径社平工资增长率为 8%。

具体计算过程如下：

“借支”的职工医保统筹基金“本金”为：

$$S = S_0 \sum_{t=0}^4 (1+w)^t \quad (1)$$

式中， S 代表“借支”的职工医保统筹基金“本金”， S_0 为第一年职工医保统筹基金当期结余； w 为全口径社平工资增长率。

将“本金”交由全国社保基金理事会投资 5 年后的本息为：

$$R = S_0(1+r)[(1+r) + (1+w) + \dots + (1+w)^4] \quad (2)$$

式中， R 代表医保基金交由全国社保基金理事会投资 5 年后的本息； r 为全国社保基金投资收益率；其余符号意义同公式（1）。

将“本金”存入银行 5 年后的本息为：

$$I = S_0(1+i_1)\left[\sum_{t=0}^4(1+w)^t + \left(1 + \frac{i_2}{4}\right)^4 \cdot \sum_{t=0}^3(1+w)^t + (1+i_3)^3 \cdot \sum_{t=0}^2(1+w)^t\right] \quad (3)$$

式中， I 代表医保基金存入银行 5 年后的本息； i_1 为央行活期存款利率； i_2 为 3 个月期整存整取银行存款利率； i_3 为 3 年期零存整取储蓄存款利率；其他符号意义同公式（1）。

财政部垫付的种子基金注册资本金 5 年后应归还本息为：

$$C = C_0 \cdot (1+i_4)^5 \quad (4)$$

式中， C 代表财政部垫付的种子基金注册资本金 5 年后应还本息； C_0 为种子基金注册资本金； i_4 为财政部垫付注册资本金存款利率。

种子基金初始资本金为：

$$H_0 = R - I - C \quad (5)$$

种子基金初始资本金交由全国社保基金理事会投资每年孳生利息为：

$$H_i = H_0(1+r) \quad (6)$$

式中， H_i 代表种子基金初始资本金每年孳生利息；其余符号意义同公式（1）。

（二）纳入种子基金药品的治疗费用规模测算

基于《第一批罕见病目录》，结合对应适应症药品保障现状，当前符合种子基金纳入原则的药品包括两类：一是国内已上市但尚未纳入医保目录的罕用药大约 13 种药，登记患者人数不到 6000 人，每年药费支出约 65.65 亿元（表 2）。二是临床急需但国内尚无替代治疗方案的罕用药，即使未来在国内上市，也会因患者人数少而极大概率不能纳入医保目录，估计这部分用药支付费用每年全国不到 1 亿元。上述两类费用加总后，每年支付金额约 67 亿元。

1. 国内上市但尚未纳入医保的罕用药

表 2 显示，基于《第一批罕见病目录》，截止 2022 年国谈，我国现已上市但未纳入医保的罕用药有 13 种，覆盖 12 种罕见病。这部分药品不仅缺少替代治疗方案，且通常价格较高，属于罕见病中的“高值药”，这也是这部分药品难入医保的主要原因。对于超级罕见病的界定标准，国际上普遍将患病率设定为百万分之一至二十不等^①，这里暂将超罕病的患病率标准设定为百万分之一。根据目前的实际统计和我国人口总量推算，患病人数在 1400 人以下的罕见病可定义为超罕病，每年药费支出约 65.65 亿元。

表 2 国内上市但尚未纳入医保的罕用药及其费用测算

目录编号	病种	药品名称	药品单价	假定患者平均体重(kg)	用药剂量	年人平均治疗费用(万元)	登记患者人数(人)	预计年总支出(亿元)	批准上市时间(年)	生产企业
8	非典型溶血性尿毒症	依库珠单抗	300mg/支 /20600 元	25	前 2 周 600mg/周，之后 900mg/2 周	163	100*	1.63	2018	阿斯利康
16	Castleman 病	司妥昔单抗	100mg/瓶 /3748 元	60	660mg/3 周	43	1000*	4.30	2021	百济神州
18	瓜氨酸血症	苯丁酸钠	150g/瓶 /12620 元	20	14.4g/日	44	500	2.20	2021	兆科药业
31	戈谢病	伊米苷酶	400U/瓶 /21850 元	40	1500U/2 周	218	444*	7.90	2008	赛诺菲
		维拉苷酶 α	400U/瓶 /11380 元		2400U/2 周	178			2021	武田
35	糖原累积病 II 型	阿糖苷酶 α	50mg/瓶 /5480 元	40	800mg/2 周	228	256*	5.84	2015	赛诺菲
51	低磷性佝偻病	布罗索尤单抗	10mg/瓶 /25889 元	40	40mg/4 周	135	530*	7.16	2021	协和麒麟
73	黏多糖贮积症 I 型	拉罗尼酶	500U/瓶 /9114 元	25	2500U/周	237	129*	3.06	2020	赛诺菲
	黏多糖贮积症 II 型	艾度硫酸酯酶 β	6mg (3mL)/瓶 /13888 元	24	12mg/周	144	400	5.76	2020	北海康成
	黏多糖贮积症 IVa 型	依洛硫酸酯酶 α	5mg (1mg/ml)/瓶/7500 元	20	40mg/周	312	103*	3.21	2019	百傲万里
85	鸟氨酸氨甲酰基转移酶缺乏症	苯丁酸钠	150g/瓶 /12620 元	20	14.4g/日	44	500	2.20	2021	兆科药业
88	阵发性睡眠性血红蛋白尿	依库珠单抗	300mg/支 /20600 元	25	前两周 600mg/周，之后 900mg/2 周	163	1300*	21.19	2018	阿斯利康

^① Richter, T., Janoudi, G., Amegatse, W., & Nester-Parr, S. (2018). Characteristics of drugs for ultra-rare diseases versus drugs for other rare diseases in HTA submissions made to the CADTH CDR[J]. Orphanet Journal of Rare Diseases, 13(1). doi:10.1186/s13023-018-0762-1.

96	原发性轻链型淀粉样变	达雷妥尤单抗	100mg/5ml /瓶/1300 元	60	前 8 周 960mg/周, 第 9-24 周 960mg/2 周, 之后 960mg/4 周	29	42*	0.12	2019	西安杨森
115	原发性酪氨酸血症	尼替西农	300mg/瓶 /14980 元	20	20mg/日	36	300	1.08	2021	汉光药业
49	高苯丙氨酸血症	盐酸沙丙蝶呤	3g/瓶 /7480 元	25	0.5g/日	46	-	-	2010	百傲万里
90	苯丙酮尿症									
113	四氢生物蝶呤缺乏症									
总计		-	-	-	-	-	5604	65.65	-	-

资料来源：部分药品价格及用药剂量数据由病痛挑战基金会搜集并提供，其余数据来自药智网，作者整理并测算。

注：1. 患者人数由病痛挑战基金会提供，其中标*号的病种为患者病友组织登记人数，其余病种为药品企业提供人数（数据截至 2023 年 2 月 22 日）。由于该数据为组织机构登记在册人数，因此，实际患者人数可能更多。2. 伊米苷酶和维拉苷酶 α 均是通过 FDA 认证的戈谢病特效药，考虑到维拉苷酶 α 治疗费用相对较低，因此假定所有患者均选择维拉苷酶 α 治疗。3. 达雷妥尤单抗现已纳入医保，但医保规定该药品仅可用于治疗多发性骨髓瘤，因此原发性轻链型淀粉样变患者的治疗费用应纳入测算。4. 90 号和 113 号病种为 49 号病种的亚型，均需要盐酸沙丙蝶呤治疗，而盐酸沙丙蝶呤目前已退出国内市场，仿制药也将于近期上市，因此不纳入测算。

2. 临床急需但国内无替代治疗方案的罕用药

为加快临床急需的境外上市新药进入中国，国家药品监督管理局、国家卫生健康委员会共同组织专家遴选出三批临床急需境外新药。其中，针对《第一批罕见病目录》相关病种适应症的药品有 35 种，已在国内上市的超过三分之二，但目前仍有 11 种药品未在国内上市。未来一段时间，这些药品可能会陆续进入中国市场。据悉，在这 11 款临床急需境外新药中，只有治疗黏多糖贮积症 VII 型的药品 Vestronidase Alfa-Vjbjk 在国内未有任何替代治疗药品，即黏多糖贮积症 VII 型患者只能选择服用该药品进行治疗。目前国内黏多糖贮积症 VII 型的患者非常罕见，根据国内患者组织“北京正宇黏多糖关爱中心”登记的数量仅有 6 人。因此，未来一段时间包括该药在内的少量罕见病药品上市后纳入医保的可能性不大。根据美国目前上市价格，Vestronidase Alfa-Vjbjk 的单价为 2mg/525.45 美元^①，在足量用药情况下，每位患者的年治疗费用约 82 万美元，如果再加上其他一些可能“漏掉”或尚未统计的病种或药品，估计这部分用药支付费用全国不到 1 亿元。

（三）种子基金规模测算结果

^① 参见美国药物信息数据库官网：<https://www.drugs.com/price-guide/mepsevii>。

根据种子基金参数设定和计算公式可得，2021年职工医保统筹基金当期结余2543亿元，连续“借支”五年，考虑到社平工资增长因素，实际累计“借支”总额将达1.492万亿元。在全国社保基金理事会6%复利的作用下，五年后投资收益总计约为2751亿元，总资金池达1.767万亿元。在“归还”1.492万亿元“本金”和约393亿元的利息（严格按照44号文的规定）以及种子基金法人机构注册资本金“本金”10亿元和利息0.773亿元之后，种子基金可获得大约2347亿元的初始资金。种子基金初始资本金依然委托全国社保基金理事会进行投资，每年孳生收益141亿元。这141亿元收益在剔除3%的行政成本和20%的“再投资”资本金之后，每年用于罕见病保障用药和救治的资金约108亿元。这意味着，种子基金不仅可覆盖目前患者病友组织与药企提供的全部近6000人的用药费用支出67亿元，而且还有结余41亿元。

（四）种子基金未来的发展与构想

第一，种子基金提供的罕见病用药保障能力将可完全满足未来的需要。种子基金在满足全部6000人67亿元的用药保障之后，还留有结余41亿元，而当前我国现存罕见病种类约1400种，本文测算的罕见病支出规模是基于《第一批罕见病目录》中121种罕见病涉及药品的治疗费用，未来将进一步遴选出第二批、第三批罕见病目录，这意味着，种子基金不仅可满足当前罕见病的用药保障需求，还有潜力和空间保障未来罕见病的用药保障需求。

第二，未来种子基金规模将继续不断扩大。种子基金不断扩大的内生机制有两个。一是每年连续将投资收益的20%投入到种子基金资本金中，这部分资本金的投资收益率远远大于CPI的增长率；二是种子基金向社会公开募集，可将部分药企与慈善公益对罕见病的捐助集中在种子基金之中。本文为便于测算，将制度窗口期假定为五年。若未来窗口期是十年，种子基金的初始资本规模将再扩大一倍。

第三，种子基金的用药保障机制和社会功能可逐渐扩展。一方面，种子基金在政府主导、多方共付的多层次罕见病用药保障机制将成为一个枢纽，另一方面，随着资本金和投资收益的不断提高，可将其用药保障机制适时延伸到特重大疾病的救治领域，甚至届时可改名为“中华罕见病和特重大疾病种子基金”。在提供罕见病和特重大疾病的救助功能的同时，种子基金事实上也发挥了大力传播和践

行“诚信、友善”的公民基本道德规范的社会功能，成为传递大爱无疆的一个播种机。

五、罕见病用药保障的政策体系与政策建议

除建立种子基金外，今后一段时期应进一步完善罕见病用药保障的政策体系，为此提出以下政策建议：

（一）将罕见病保障上升到国家战略层面

从经济学意义上讲，罕见病保障属于准公共物品，建设完善的罕见病保障体系必然需要政府承担主体责任。因此，应尽快从国家层面建立罕见病和相关孤儿药顶层设计，切实维护罕见病患者的应有权益。首先，应尽快解决罕见病定义缺失的问题。若以罕见病目录的形式确定病种，则应制定明确的纳入和更新原则，持续动态更新罕见病目录。其次，应把罕见病保障上升为健康中国之国家战略的一部分，明确总体规划及阶段性目标任务。从国际经验看，许多发达国家都已建立起罕见病国家框架。欧盟在《关于罕见病领域行动方案的议会建议》中要求成员国在 2013 年前建立罕见病国家框架^①；日本在《今后的疑难杂症对策》中明确了未来罕见病事业的重点发展方向^②；澳大利亚也于 2020 年制定了《罕见病国家战略行动计划》^③。

（二）建立国家罕见病数据信息协作平台

掌握丰富的罕见病信息资源是制定罕见病相关政策、开展罕见病学术研究的前提。由于我国对罕见病关注较晚，官方数据信息系统尚未建立起来，患者、医生、药企、学者等多方主体对我国罕见病实际情况了解甚少，笔者在搜集整理罕见病患者数量信息时对此深有感触，这不仅不利于提高医务工作者的诊疗能力和全社会对罕见病的认知，也容易使药企因信息不对称导致药物研发生产受到影响，甚至不利于罕见病药物正常的价格机制的形成。为此，各方主体需通力协作，在明确罕见病定义的基础上，开展全国调查，尽快建立国家罕见病信息系统，并同步建立地区级和跨地区信息共享平台，以提高罕见病诊疗可及性；同时，应建

^① 参见欧盟理事会和欧洲理事会官网：https://www.consilium.europa.eu/uedocs/cms_data/docs/pressdata/en/lsa/108383.pdf。

^② 参见东京都政府官网：https://www.metro.tokyo.lg.jp/tosei/hodohappyo/press/2017/03/31/documents/18_01.pdf。

^③ 参见澳大利亚卫生和老年护理部官网：<https://www.health.gov.au/sites/default/files/documents/2020/03/national-strategic-action-plan-for-rare-diseases.pdf>。

立罕见病药品信息系统，包括有效治疗药物短缺信息、审批信息、报销保障信息等，以提高罕见病药物可及性。

（三）建构立足于国情的罕见病法律体系

完备的法律法规体系是有效开展罕见病保障工作的制度基础。目前我国尚未出台罕见病针对性法律，对罕见病的基础理论及配套探索仍处于起步阶段，因此，国家在明确罕见病工作顶层设计的基础上，应尽快出台罕见病专门法律，在药物研发生产审批、医疗保障、患者权益等多方面规制罕见病保障工作。应充分反思我国在罕见病救治与保障领域的薄弱环节，处理好平等医疗权与医疗资源有限的关系，明确在罕见病预防、诊疗和救助不同保障阶段的优先级，建构具有中国特色的罕见病法律体系。立法过程中，应通过多种方式征求社会各界意见，保证各利益相关方的充分参与并合理表达意见，以确保罕见病法律更好地均衡各方利益。

（四）探索罕见病多元保障创新付费模式

罕见病保障涉及民生，是关乎人民福祉的社会问题，因此，除国家引导外，应鼓励患者组织、商业保险、慈善组织等多方协同发力，积极探索罕见病多元保障创新付费模式，打好罕见病用药保障“组合拳”。对于疗效尚不确切的罕见病药物，可借鉴中医价值付费理念，通过医保部门与药企合作建立基于疗效价值的付费方式，共担支付风险；对于尚未进入国家医保覆盖范围的罕见病药品，可探索开展公益性小额信贷，结合家庭收支情况，向低收入罕见病患者家庭提供小额医疗贷款，形成基于罕见病种的特惠性医疗保障模式。同时，地方政府应广泛借鉴地方政策性商业保险成功实践，并采取强制性措施严禁商业保险公司将罕见病写入免责条款。

声明:

中国社会科学院世界社保研究中心(简称“世界社保研究中心”),英文为 The Centre for International Social Security Studies at Chinese Academy of Social Sciences, 英文缩写为 CISS CASS, 成立于 2010 年 5 月, 是中国社会科学院设立的一个院级非实体性学术研究机构, 旨在为中国社会保障的制度建设、政策制定、理论研究提供智力支持, 努力成为社会保障专业领域国内一流和国际知名的政策型和研究型智库。

中国社会科学院社会保障实验室(简称“社会保障实验室”), 英文为 The Social Security Laboratory at Chinese Academy of Social Sciences, 英文缩写为 SSL CASS, 成立于 2012 年 5 月, 是我院第一所院本级实验室。“社会保障实验室”依托我院现有社会保障研究资源和人才队伍, 由“世界社保研究中心”直接领导, 日常业务运作由“世界社保研究中心”管理, 首席专家由“世界社保研究中心”主任郑秉文担任。

“社会保障实验室”于 2013 年 2 月开始发布《快讯》和《工作论文》两项产品。其中, 《快讯》产品版权为“社会保障实验室”所有, 未经“社会保障实验室”许可, 任何机构或个人不得以任何形式翻版、复制、上网和刊登, 如需使用, 须提前联系“社会保障实验室”并征得该实验室同意, 否则, “社会保障实验室”保留法律追责权利; 《工作论文》版权为作者所有, 未经作者许可, 任何机构或个人不得以抄袭、复制、上网和刊登, 如需引用作者观点, 可注明出处。否则, 作者保留法律追责权利。

如需订阅或退订《快讯》和《工作论文》, 请发送电子邮件至: cisscass@cass.org.cn。

地址: 北京东城区张自忠路 3 号院东院北楼。

电话: (010) 84083506

传真: (010) 84083506

网址: www.cisscass.com

Email: cisscass@cass.org.cn

联系人: 董玉齐