



让救命药更实惠



近年来，好几种疾病的潜在治疗药物出现了重大创新。为了加快患者获得这些药物的进程，美国食品和药物管理局(FDA)逐步增大力度，加快药物审批。比如，2012年生效的FDA突破性药物计划已经批准了近140种突破性药物，新药审批时间缩短了近一年。到2025年，FDA可望每年批准10-20种细胞和基因治疗产品，其中许多拟成为一次性治疗药物。

然而，尽管付出了这些加速评估药物安全和疗效的努力，许多新药物的应用仍比预计的慢得多。为何滞后？应用的迟滞很大程度上是由于新药的高额费用以及商业和公共支付机构在保险承保和偿付方面的障碍。尽管出现了诸如以价值为导向的支付模式等新的支付方式，保险公司也对某些药物提供了更多的赔偿，但是仍然还有许多患者要么药物承保被拒，要么在获得理赔时遭遇严重延误。生产这些新药方面也存在挑战。

如果我们希望确保患者能够获得改变人生的新的治疗药物，应对这些障碍至关重要，其中许多障碍需要及早处理才最有效。幸运的是，现在有大量值得关注的创新解决方案正在测试当中。

所面临的挑战

虽然监管政策试图加快患者获得突破性药物的速度，但是赔偿政策却未能跟进。原因有几点。

首先，美国的医疗保健体系主要遵循药物按服务收费的模式（即按剂量论价的模式），患者在接受治疗时，由支付方偿付治疗费用。目前的体系

没有进行优化，无法为即将到来的一大波一次性预付费用高昂、收效却要终生积累的药物买单，这可能会限制患者获得新近研发但价格高昂的药物。例如，嵌合抗原受体-T 细胞(CAR-T)药物。这是一种通过在基因上改变人体自身免疫细胞来识别并攻击癌细胞的药物，在儿童白血病患者和成人淋巴瘤患者身上都已显示了疗效。尽管这种药估计性价比很高，但它的推广应用十分迟缓。(披露：作者杰和邱飞是 CAR-T 药物 Kymriah 制造商诺华制药的员工)。这一点不足为奇。

Yescarta (Kite and Gilead 公司生产的另一种 CAR-T 药物) 和 Kymriah 这两种药的标价在 37.3 万美元至 47.5 万美元之间——首次宣布就引起广泛关注的价格。在监管部门批准后的四个月内，只有五名患者接受了 Yescarta 治疗，尚有人因为保险偿付困难只能列入等待名单。对于某些高死亡率的疾病，耽误治疗的风险可能会很大（比如，儿童急性淋巴细胞白血病和成人弥漫性大 B 细胞淋巴瘤标准治疗的中位存活期分别为 7.5 个月和 6.3 个月）。

同样，2013 年首次得到批准的医治丙型肝炎病毒(HCV)的新药也同样面临保险理赔障碍。2016 年到 2017 年 4 月期间，公共和商业保险公司拒绝让三分之一以上的患者接受 HCV 新药物治疗。在医疗补助计划中，31 个州对晚期肝纤维化或肝硬化患者的药物治疗加以了限制，尽管疾病的早期治疗被证明疗效更高，终生的年度后续费用更低，并能更久地延长寿命。此外，肝硬化患者在经过治疗之后需要额外的监测和治疗，即使在治愈之

后仍然有患肝癌的危险。HCV 新药最初一个疗程的费用接近 8 万美元，在几个月的疗程中提供给患者，但治愈的疗效可以持续终生。这与其他慢性疾病的治疗药物形成了鲜明对比。那些药物要终生每天服用，并不能治愈疾病，而且在有非注册商标类药品提供时，每年的花费可能达数百美元。

其次，当一种治疗药物首次得到批准时，新药的长期临床数据通常是有限的。比如，SparkTherapeutics 公司的 Luxturna 是一种旨在治疗 RPE65 基因介导的遗传性失明的基因药物(标价为每只眼睛 42.5 万美元)，它是依据有限的跟踪数据获得批准的。支付方理所当然可能不愿意为长期效果不确定的药物买单。

第三，患者频繁变更保险公司。许多人认为这减弱了各家支付机构愿意为治疗药物的费用承保的动机，因为患者与同一支付机构相处的时间不够长，无法让支付机构享受这些治疗药物带来的潜在节省，或者无法评估它们的长期疗效。然而，这种说法与如下事实相悖：对于严重慢性病的情形，患者可能不愿意改换健康保险计划。

第四，在主要的政府健康计划中，处理新药问题可能特别棘手。对于住院情形下要使用的药物，医疗保险(Medicare)支付要在诊断相关类别(DRG)系统的框架内进行。根据该系统，住一次院就会被归入特定的 DRG，它来确定医疗保险向医院支付的费用。对于新技术的情形，可能没有现成的 DRG 可以充分捕获使用新药的固有费用。另外，监管机构可以使用的工具(如允许为新技术进行附加支付的能力)可能需要时间安装到位，而且

可能造成支付数额低于治疗的成本。

另一个问题是，对于由患者自行管理的药物，参与医疗保险 D 部分的私人计划按要求须提出年度申报，用于确定下一计划年度中该特定计划的参保保费。2020 年 1 月 1 日起始的计划年度，其申报截止时间为 6 月的第一个星期一。那么长的时间间隔使得计划难以准确预测将会产生的索赔，尤其是对那些申报必须提交时尚未得到批准的新药的赔付。在医疗保险中，各州支付的费用占了医保方案的很大比例。各州必须在它们的年度或两年一度的政府预算编制过程中考虑医疗补助计划预算，将医疗补助计划资金与教育、基础设施等其他州预算项目进行权衡。预算本身的滞后，加之政治背景，可能造成的局面就是价格昂贵的新医疗技术也许得不到保险偿付。

传统支付方式难题

解决这些棘手的问题需要对支付模式进行大量改革，而改革又必须解决若干问题，包括为高昂的前期治疗费用提供资金，确保保险公司只为能够持续产生响应的治疗买单，承认保险公司的动机与那些前期费用高昂而收效却大多累积给未来保险公司的药物可能难以很好地调和。我们已经看到新支付模式的出现，它们或许有助于解决部分问题。

比如，以效果为本的合同。只有在患者服用的药物成功达到预定临床终点的情况下才给予制药商赔付。这可以降低保险计划为疗效不及预期的药物支付过多前期费用的风险，而且允许这种风险由制药商和支付方共同承担。这种合同（其中的保险赔偿取决于预定的目标效果是否在预设的时

间段内实现) 在欧洲已得到更广泛的应用, 比如意大利的各种肿瘤治疗。不过, 在美国的实施可望增加, 尤其是随着即将到来的一大波细胞和基因药物得到批准。

旨在解决巨大前期费用的另一种模式是分期付款, 均摊在预定的时间段里。分期付款有助于克服昂贵治疗药物带来的短期预算风险。虽然分期付款模式对任何潜在治疗药物很有吸引力, 可以帮助长期均摊费用, 但是它对于患者存量巨大、现在突然有可能治愈的慢性疾病而言尤其实用。

以效果为本的合同也可以调整为分期付款的模式, 从而帮助解决许多罕见病药物高额的前期费用带来的挑战。Spark Therapeutics 公司针对基因药物 Luxturna 的偿付策略就是将以效果为本的模式和分期付款模式结合起来, 其中 Luxturna 必须显示出短期的疗效 (30-90 天) 和长期的耐久性 (30 个月) 才能获得赔偿, 效果通过视力测试来衡量。此外, 支付方可以通过数年分期付款的方式来偿付 Luxturna 的费用。蓝鸟生物科技公司 (Bluebird Bio) 和葛兰素史克公司 (GlaxoSmithKline) 也在欧洲分别为它们的基因药物 Zynteglo 和 Strimvelis 提供类似的以效果为本的和分期付款

预览已结束, 完整报告链接和二维码如下:

https://www.yunbaogao.cn/report/index/report?reportId=1_32069

