

report
2018
清科研究中心
ZERO2IPO RESEARCH

首批罕见病国家目录发布，孤儿药市场有待挖掘

2018年5月

首批罕见病国家目录发布，孤儿药市场有待挖掘

背景导读

2018年5月22日，国家卫生健康委员会、科技部、工信部、国家药监局、国家中医药管理局等五部委联合制定的《第一批罕见病目录》正式发布，共收录121种疾病，这是有关部门在贯彻中央关于深化审评审批制度改革、鼓励药品医疗器械创新的意见的一项重要举措，有利于加强我国罕见病管理，提高罕见病诊疗水平，维护罕见病患者健康权益。

罕见病患者药物依赖性强，治疗负担重

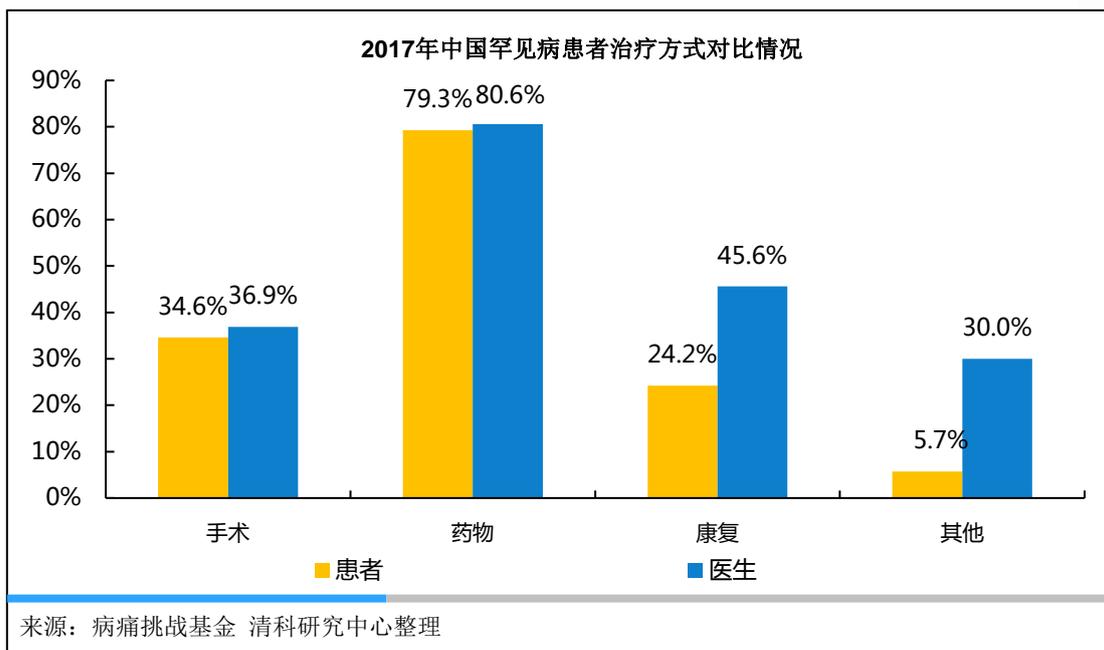
罕见病又称为“孤儿病”，是指仅在极少数人身上发生的稀罕病症。世界卫生组织(WHO)将罕见病定义为患病人数占总人口的0.65%~1%的疾病，但世界各国根据自己国家的具体情况，对罕见病的认定标准存在一定的差异。现阶段研究表明，80%的罕见病和遗传因素相关，许多罕见病会在患者的生命早期发病，疾病症状会伴随患者终身。

目前，已经明确的罕见病有7000多种，全球预计有超过3亿名罕见病患者，占全球人口的1/15，其中，约一半罕见病患者为儿童，大约有30%患有罕见病的儿童在5岁之前便死亡。在中国，已有超过1680万的罕见病患者。

例如：史蒂芬·霍金所患疾病——**肌萎缩侧索硬化症(ALS)**，便属于世界罕见病的一种。肌萎缩侧索硬化症(ALS)也称“渐冻症”，是运动神经元疾病的一种。该病会使患者像被冰雪冻住一样，丧失任何行动能力，主要致命原因有两个，一是影响主宰呼吸的肌肉，呼吸衰竭导致死亡；二是吞咽肌肉失能，导致营养不良、脱水而死。根据渐冻人协会资料显示，ALS发病率1/100000，患者可以撑过20年的几率低于5%，有约50%患者会在3年内死亡，90%的患者存活不超过5年。

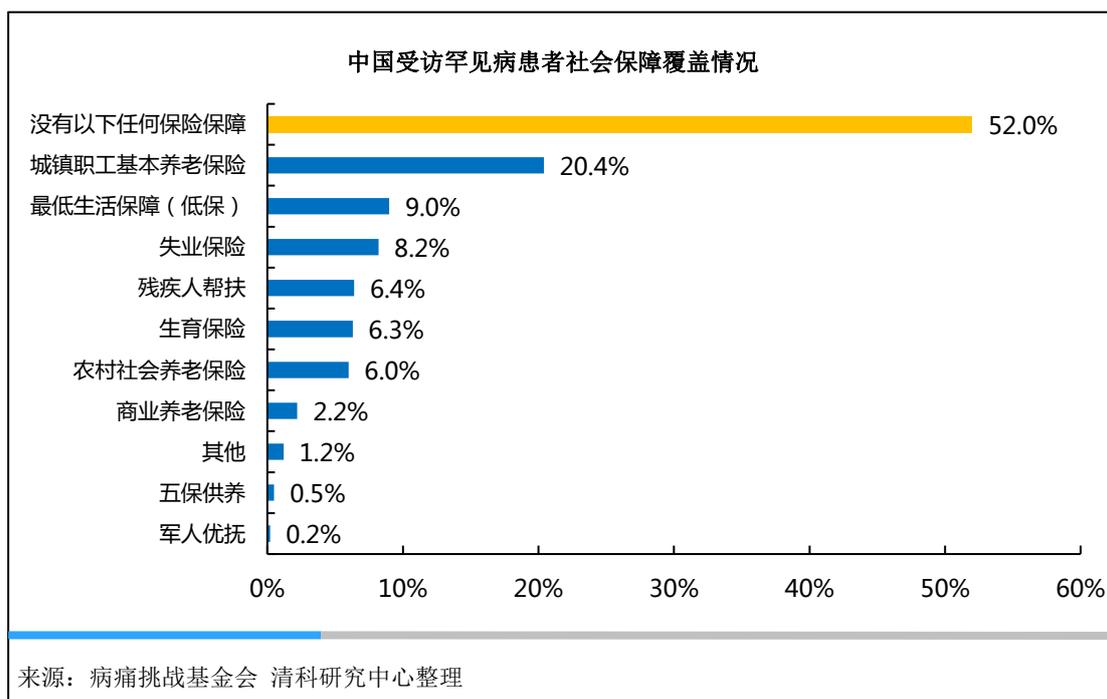
现阶段，**药物治疗已经成为罕见病患者的最主要治疗方式**。根据相关数据显示，2017年中国约80%的罕见病患者和医生首选药物治疗，比例远远高于其他治疗方式。然而，目前仅有1%的罕见病有药可治，95%的罕见病目前没有特效治疗药物。大部分罕见病患者也只能是依靠药物维持生命，对于治疗药物有着很强的依赖性，这无疑会成为罕见病患者的长期负担，使之遭受精神和肉体的双重折磨。

图1 2017年中国罕见病患者治疗方式对比情况



罕见病患者个人支付医疗费用比例过高，面临比较重的治疗负担。由于罕见病医保覆盖面窄，因此对于患者及其家庭来说，需要负担的医疗费用高昂。就自费的医疗开支与罕见病患者的个人收入及家庭总收入相比较来看，大部分患者面临比较重的负担。根据数据显示，2017年中国罕见病患者中，在看病吃药、康复治疗方面平均花费是50773.6元。同时，医疗保险可以报销的平均数额为10366.1元，仅占有所有医疗支出的20.4%。这就意味着，罕见病患者需要个人负担近80%的医疗费用。此外，从受访罕见病患者社会保障覆盖情况来看，约一半患者无任何保险保障。

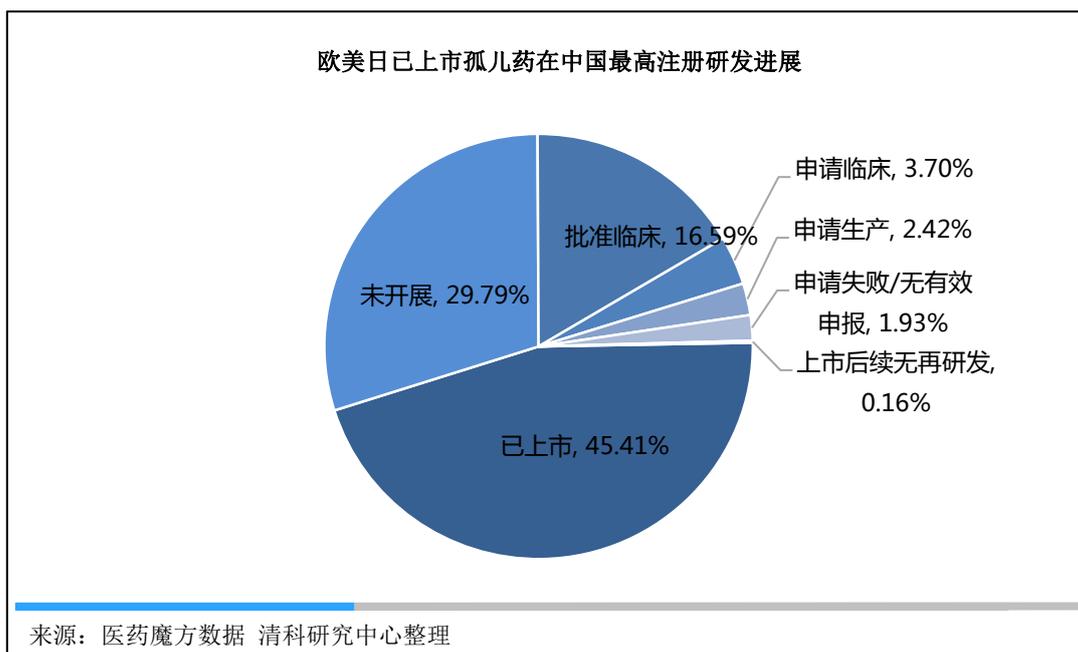
图 2 中国受访罕见病患者社会保障覆盖情况



中国孤儿药研发水平较低，市场有待进一步挖掘

中国孤儿药引进药品品种有限，与欧美日存在一定差距。“孤儿药”是指用于预防、治疗、诊断罕见病的药品。目前，欧、美、日三地共上市 621 个孤儿药品种，按通用名/活性成分在中国的最高注册进展来看，其中 45.41% 已在中国上市，22.71% 在中国处于研发阶段。但是，目前仍有 29.79% 的孤儿药尚未引入国内。如：治疗 II 型粘多糖沉积病/亨特氏综合症的 Elaprase，其在欧美日均已上市，而在中国尚未引入。

图 3 欧美日已上市孤儿药在中国最高注册研发进展



中国药企对于孤儿药研究动力不足，研发水平有待提升。此次《第一批罕见病目录》发布的 121 个病种中，仅有 44 个病种有相关药物在全球上市，其中，在中国上市的不到一半。从这 44 个疾病相关药物国内注册进展来看，早发性帕金森病等疾病的国内外研发比较成熟，且我国已有多个品种上市；血友病等部分疾病的药品已在国内上市，还有部分在研发中。除此以外，国内的研发水平低于国外，许多品种还未开展研发。

此外，剩余的 77 种疾病目前没有相关药物上市。一方面由于相对于其他病种，患病人数少，未来市场收益回报低，企业对相关药物研发缺乏动力。另一方面，由于罕见病的特殊性，药物研发企业很难找到足够数量的病人开展相关临床试验，最终导致该类疾病的治疗药品无法满足上市需求。不过，随着药品审评审批制度的改革，未来国外已上市孤儿药会加快进入中国市场。

政策鼓励孤儿药研发上市，助力罕见病治疗

目前，政府为了加大对孤儿药研发上市的重视，已对相关药物的研发推进做了很多政策

上的鼓励与支持。

2017年5月，国家食品药品监督管理总局发布关于征求《关于鼓励药品医疗器械创新加快新药医疗器械上市审评审批的相关政策》(征求意见稿)。意见稿提出，罕见病治疗药物申请人可提出减免临床试验申请，加快审评审批。对于在国外已批准上市的罕见病治疗药物，可有条件批准上市，上市后在规定时间内补做相关研究。**罕见病治疗药物的优先审评审批，有利于加速相关孤儿药上市，降低企业的研发成本，从而激发相关药企对罕见病药物研发的积极性，让更多企业加入到罕见病药物的研发中来。**

此外，2017年10月8日，中共中央办公厅国务院办公厅关于《关于深化审评审批制度改革鼓励药品医疗器械创新的意见》，再一次明确提出支持罕见病治疗药品医疗器械研发，同时还公布罕见病目录、减免临床及药品附带条件上市等政策，为罕见病患者带来福音。

而这次中国首次发布罕见病国家目录，将为中国各地的罕见病预防、筛查、诊疗和康复，以及制定相关科技研发、社会保障、医疗救助政策等相关工作提供参考和依据。目前，《第一批罕见病目录》已发布，未来减免临床及药品附带条件上市等政策也会相继展开，**随着国家政策对罕见病用药的扶持逐步强化，中国罕见病治疗药品研发已引起制药企业重视，未来将会有更多企业把握孤儿药研发的重大机遇，加入孤儿药研发布局中，从而惠及更多罕见病患者。**

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_14805

