

“我不是藥神”又一實例，羅氏制藥該給救命藥降價嗎？

最近，一封名為《比“無藥可醫”更令人絕望的是“有藥難及”》的公開信，把血友病患者用藥難的現實困境，帶入了公眾視野。

信中指出，跨國藥企羅氏制藥的艾美賽珠單抗注射液(商品名“舒友立樂”)在中國上市三年多來，銷售價格居高不下，大量患者祇能“望藥興嘆”。

血友病是一種隱形遺傳性罕見病，患者由于體內缺乏凝血因子導致凝血障礙，需終身用藥。按照缺乏的凝血因子不同，血友病分為A型、B型和C型，其中A型(凝血因子Ⅷ缺乏)占比約80%-85%。

艾美賽珠單抗是羅氏制藥的一款創新藥，于2018年12月在我國正式獲批上市，是目前國內上市唯一一款適用于血友病A抗體患者的預防治療藥物，可顯著降低A型抗體患者的出血事件。

這封公開信出自公益組織——北京血友之家罕見病關愛中心(簡稱血友之家)。血友之家會長關濤在接受採訪時表示，一名體重60公斤的成年血友病患者，使用艾美賽珠單抗，一年的藥費大約是130萬元；即便是體重較輕的兒童患者，一年也至少需要60多萬元。

“這個價格對絕大多數患者而言，是無法承受的。”關濤說，“之所以寫這封公開信，是希望羅氏制藥可以做出更多實質性的讓步，推動艾美賽珠單抗降價。”

不過，羅氏制藥相關工作人員說，“就這款藥的價格而言，不是羅氏一方努力就能實現降價。”

這位工作人員表示，自艾美賽珠單抗在中國上市以來，這兩年每年都會遞交申請國家醫保目錄的材料，但實際上，連談判環節都沒進去。他說，從全球範圍來看，艾美賽珠單抗在中國的定價一直處於最低水平，比韓國、日本的價格都要低。

有藥買不起

“媽媽，我是不是要死了？”

“你好好吃飯不會死的。以前沒藥都沒死，現在有藥了，更不會死的。”

這是發生在宋曼和兒子小江之間的一段日常對話。宋曼說，自從2020年病情加重後，小江經常這樣問她。

宋曼家住廣東普寧市，兒子小江是一名血友病A型患者，今年10歲。小江出生七八個月時，被查出患上血友病，多年來，疾病的陰霾一直籠罩着這家人。

血友病患者終身具有輕微創傷後出血不止，甚至自發性出血傾向，臨床主要表現為關節、肌肉、臟器的自發性出血，缺乏治療可導致慢性和致殘性的關節疾病，若出血點涉及腦部或其他主要臟器，短時間內即可導致不可逆的身體損傷，甚至危及生命。

該病的發病率約為萬分之一。以此估算，中國約有14萬血友病患者，絕大部分為男性。其中，作為“罕見病中的罕見病”，抗體患者通常在10次治療(即輸入因子制劑)後就會出現，且90%發生在5歲以下的兒童。

“孩子剛被診斷為血友病的時候，普寧的醫院沒有條件注射凝血因子，祇能輸血漿。後來有了凝血因子，打一針就能止血，當時真的很開心。”宋曼說，但是這種情況並沒有維持多久。

2017年，小江不小心摔倒下巴不停流血，去醫院縫了3次針，當時單靠凝血因子已無法止血。醫生給出的診斷是，小江已經產生了抗體。這意味着，凝血因子對他正在失去療效。

2020年，因為自發性出血頻繁，小江每天都要注射凝血因子，但效果越來越不好，他的抗體水平越來越高，還伴隨着反復發燒，幾個月後，左膝關節開始出現嚴重腫脹和自發出血。

長期以來，抗體患者通常需進行大劑量凝血因子Ⅷ輸注的耐受治療，一旦耐受治療失敗或治療期間發生創傷或自發性出血，祇能採用凝血酶原復合物(健康人新鮮血漿分離提取，為含凝血因子Ⅱ、Ⅶ、Ⅸ等的混合劑)或重組人凝血因子Ⅶa進行治療，前者止血效果較差，後者止血效果雖好，但半衰期(反映藥物在體內消除速度的快慢)僅3小時，且價格昂貴，僅可作為抗體患者的按需治療藥物使用，無法實現預防治療。

小江也曾嘗試過理療、耐受治療、頻繁注射凝血因子等方法，但效果都不理想。在這樣的情形下，今年3月份，他開始嘗試使用艾美賽珠單抗。

“2020年醫生就曾建議給孩子用這款藥，但價格太貴了，現在也祇是小劑量(30mg/每次)使用。”宋曼說。

即便是小劑量，一周一次，一個月4次，一個月的開銷也需要3.24萬元，一年就是38.88萬元。

因為劑量不夠，控制出血的程度並未達到預期。“艾美賽珠單抗不降價，不進醫保，想要用大劑量，簡直是奢望。”宋曼說，血友病患者一旦產生抗體，意味着以前適用的凝血因子毫無療效。但家裏實在拿不出錢，去買更多的藥，家長祇能眼睜睜看着他在生死邊緣掙扎。

像小江這樣的血友病A抗體患者不在少數。僅血友之家APP用戶大約就有1000人，真實數據應遠大于這一數量。

這1000人中，有出血情況的患者176人，其中全年出血24次以上的抗體患者達35人，占有出血患者人數的20%。

為何價難降？

今年1月1日，美國渤健公司

“70萬元一針”、治療罕見病脊髓性肌萎縮癱(SMA)的藥物諾西那生鈉注射液正式被納入國家醫保，“靈魂砍價”一度刷屏。

作為全球首個SMA精準靶向治療藥物，諾西那生鈉注射液于2019年2月在國內獲批上市，上市之初價格昂貴。不過，諾西那生鈉注射液最終以33000元/支的價格，成功通過醫保談判，進入新版醫保目錄，降價幅度高達95%。

同樣作為罕見病用藥，諾西那生鈉注射液被納入醫保的消息，讓血友病患者看到了希望，但艾美賽珠單抗何時能被納入醫保，實現大幅降價，仍是個未知數。

2021年國家醫保談判藥品基金測算專家組組長鄭杰曾表示，按照限定的支付範圍，目前國家醫保目錄內所有藥品年治療費用均未超過30萬元。

艾美賽珠單抗最初由羅氏制藥旗下的日本中外製藥株式會社發現。2017年11月，艾美賽珠單抗獲得美國食品藥品監督管理局(FDA)批准。2018年11月在中國獲批進口，用于存在凝血因子Ⅷ抑制物的A型血友病患者的常規預防性治療，以防止出血或降低出血發生的頻率。

艾美賽珠單抗是近年來FDA批准的首個用于治療體內含有Ⅷ因子抑制物的A型血友病新藥，也是目前國內獲批上市唯一一款適用于血友病A抗體患者的預防治療藥物。因為半衰期長、藥物含量恒定且適用于抗體患者，這款藥改變了抗體患者無預防性藥物的治療現狀。

“這是一款能讓患者有‘治愈感’的藥。”在關濤看來，目前就全球範圍的血友病藥物而言，艾美賽珠單抗的效果是領先的，尤其是針對抗體患者而言，因此才有這麼多患者迫切希望盡早用上藥。

然而，高昂的藥價卻讓抗體患者“有藥難及”。

艾美賽珠單抗在國內上市三年以來，從未調整過售價。“對患者來說，最絕望的是有藥難及。”關濤說，這種絕望的狀態，不知會持續到什麼時候。

就公開信一事，羅氏制藥中國相關部門曾給出了回應。他們認為，價格確實是制約很多罕見病患者獲得亟需治療的重要原因之一，但高價值藥品在掛網和進院方面的阻力，以及院外藥房輪注後的報銷問題等因素都制約着患者對藥物的可及性。這些工作都不是一家企業，一個組織，或一個疾病領域可以解決的。

羅氏方面強調，綜合考慮到中國的經濟發展水平，患者的經濟承受能力，以及藥物本身價值和後續研發的可持續性，艾美賽珠單抗在中國一直處於低位。

羅氏制藥稱，正爭取通過城市普惠型商業保險等多種渠道為



血友病患者減輕經濟負擔。在城市普惠型商業保險方面，目前已有41個城市生效的普惠險可以報銷，並在11個城市的普惠險產品中獲得特藥列名。另外，羅氏制藥中國與中國紅十字基金會共同啓動了珍罕關愛基金，將給予家庭困難的A型血友病患者現金補助。

關濤也是羅氏制藥血友病援助項目的專家組成員。他透露，就珍罕關愛基金而言，羅氏制藥添加了不少限制條件，比如1年的額度限制是100萬，半年祇有50萬。這意味着，這種援助項目，一個患者5萬元，祇够10個患者用半年，祇能是杯水車薪。

值得一提的是，國家財政部、海關總署、稅務總局、藥監局于2019年2月20日聯合發布《關於罕見病藥品增值稅政策的通知》(財稅[2019]24號)，規定自2019年3月1日起，對進口罕見病藥品徵收的進口環節增值稅稅率由原來的13%降為3%，降稅幅度高達10%。同年9月，艾美賽珠單抗注射液被列入第二批適用增值稅政策的抗癌藥品和罕見病藥品清單。

“這降低的10%的進口環節增值稅稅率，能否體現在藥價的降低上？”關濤提出，能理解企業的難處，但企業也應該看到患者的難處，起碼可以把國家稅收上的優惠政策，真正讓患者享受到。

從全球範圍來看，艾美賽珠單抗上市後很暢銷。據羅氏財報顯示，2019-2021年，艾美賽珠單抗的全球銷售額分別為13.8億瑞士法郎(約94億人民幣)、21.9億瑞士法郎(約149.25億人民幣)、30.22億瑞士法郎(約205.95億元人民幣)。這些銷售收入的主要貢獻來自美國、歐洲、日本等地區。

僅一家公司獨家銷售

事實上，即便解決了藥費問題，血友病患者也有可能因為買不到藥，無法及時用藥。

前述公開信指出，自2018年12月艾美賽珠單抗在國內上市以來，全國範圍內，羅氏制藥中國僅委托上藥雲健康益藥房(上海)

有限公司獨家經銷，在推動藥品進藥店、進醫院等方面幾無舉措。這直接導致國內僅個別頂尖醫院知曉該藥品，欠發達地區患者仍處在“無藥可醫”的境地。

即便是已經開始用藥的患者，也時刻面臨着藥品供應不及時，甚至出現購買到臨期藥品的情況，患者的用藥需求和用藥安全性均難以得到充分保障。

“目前全國祇有上海這家藥店，能憑處方現場買到艾美賽珠單抗。其他地方的患者如果需要購買，要先掛號去醫院，讓醫生開具處方，然後這家藥店才能進行配送。”關濤說。

不過，據前述羅氏制藥工作人員介紹，很多時候不是他們不願意讓藥品進醫院，而是很多醫院在選擇藥品進院時，會有很多考量，例如藥品存儲時間、患者人數多少等因素。這是很多罕見病藥品面臨的一個共同問題。

在關濤看來，本身這個群體人數就不算多，藥品向一些基層城市下沉的過程，所耗的成本也高，從企業角度看不太經濟。對血友病患者群體而言，他們自身的社會影響力和關注度就很小，很多時候沒有更多渠道和途徑去發聲，導致他們的訴求很難被考慮和採納。

血友之家在公開信中提到，由于耐受治療費用高昂，抗體患者常以忍痛為榮、以少用藥甚至不用藥為榮。兒童患者因常年出血而被迫休學、退學，患者因病致殘、喪失勞動力，患兒家庭債臺高築、父母離異、甚至棄養等悲劇普遍存在。

雖然大部分時間躺在床上，但祇要小江身體好一些，宋曼就會背着他去學校，接送上下課。“為了看病，他上課總是時斷時續，現在已經10歲了。我擔心他整天在家裏會抑鬱，到時候還要再去看心理醫生，更麻煩。”宋曼坦言，不奢望兒子將來能考上大學，祇想讓他多識些字。

“如果將來艾美賽珠單抗能降價，能進醫保，像小江這樣的孩子就有可能有學上、有書讀，能過上普通孩子的生活。”她說。

(文中宋曼為化名)

家長稱9歲娃玩遊戲充八萬餘元，華為：無證據

近日，河北邢臺的楊先生質量報告投訴平臺【進入黑貓投訴】反映，9歲的女兒使用家長手機，在華為平臺一款名為樂樂捕魚的遊戲中前後充值了83000元。楊先生在發現此事後，立即與華為官方充值平臺取得聯繫，並數次提供退款材料申請退款，但申請始終被拒。

3月27日，華為方面回應稱，因充值賬戶採用的實名認證是成年人，賬戶充值行為無直接證據證明是未成年人操作，因此無法進行退款。

消費者投訴：

楊先生稱，2022年初，受疫情

影響，學校提前放假，家中9歲女兒上網課需用到手機，他便將手機留給孩子使用。春節期間，楊先生從外地務工回家，發現孩子在使用手機的幾個月裏，在一款名為樂樂捕魚遊戲裏前後充值了83000餘元。

楊先生表示，自己的證件都放置于家中的一個固定地方，手機上支付密碼也不知如何被女兒得知，“孩子拿了我的身份證在華為支付平臺進行了實名認證，由此進行了多次大筆金額充值。”

根據楊先生提供的消費流水，近半年時間內在該遊戲中累計充值487筆，充值金額達83000餘元，

其中單筆消費金額最大的618元。這些錢多用于購買遊戲內“金幣”“鑽石”等道具。

楊先生介紹，自己在發現此事後立即撥打了樂樂捕魚遊戲官方熱線，遊戲平臺客服回復他稱，遊戲是通過華為應用市場下載的，充值的費用最終劃向華為賬戶，應聯繫華為客服進行退款。楊先生說，他在致電了華為消費者熱線後，依照華為充值平臺客服要求提交了退款材料，但退費申請始終被拒。

在此後多次與華為客服的協商中，無論是自助系統還是官方客服，皆以“賬戶實名認證身份為成

年人，無法證實屬未成年人操作”為由拒絕了楊先生的退款申請。

公開資料顯示，“樂樂捕魚”遊戲是一款街機類休閒捕魚手游，遊戲操作簡單，玩家需要使用武器發射漁網，便可以進行捕魚，在成功進行捕魚後，就可以獲得對應的金幣獎勵。2020年1月上線的“樂樂捕魚”遊戲，上線當月僅IOS端遊戲收入已超300萬美金。

楊先生表示，他們是農民家庭，這筆費用已經超出了一年收入，“希望華為能夠將錢退回。”

企業回應：

3月26日，就此事聯系華為消費者熱線。

次日，相關負責人回應稱，經核實，該賬號實名信息為成年人，遊戲內的每一筆充值都需主動操作，需輸入支付密碼或經過指紋、面部等驗證方式才可支付成功。訂單現已成功充值到賬，且遊戲道具存在消耗。無法通過楊先生退款訴求。

但3月29日，華為平臺客服聯系稱，因充值消費行為涉及到用戶隱私，需要華為與消費者本人進行溝通，處理結果將在與遊戲方核實結算後告知楊先生。