

天价药 降价



宁宁正在做作业,如果不用药,再过几年她可能就无法握笔;宁宁的基因确诊报告



第一年药物治疗自付费用从140万降至55万
SMA患者:已经减了一半,继续加油

2021年1月4日,南京SMA病友群被一条消息刷屏——“中国初级卫生保健基金会决定,为进一步减轻SMA患者的治疗负担,提高治疗可及性,患者第一年的药物治疗自付费用将从原有的约140万元降至55万元,降幅约60%。”微信群里,患者家属相继发着鼓掌、祝贺的表情。方恬点开微信设置,屏蔽了群消息,把手机丢在一边,她并没有把这个利好消息转到朋友圈。5年前,她的女儿宁宁被确诊为SMA(脊髓型肌萎缩症)II型(中间型)患者。

现代快报记者了解到,据不完全统计,截至2020年8月,全国登记在册的SMA患者约1500名,南京有近20名。目前,约130名患者已注射能延缓肌肉萎缩的特效药诺西那生钠。

现代快报+ZAKER南京记者
张瑾文/摄

特效药降价 第一年降幅约60%

2021年1月4日,中国初级卫生保健基金会正式宣布,为进一步减轻罕见病患者的治疗负担,提高治疗可及性,“脊活新生——脊髓性肌萎缩症患者援助项目”于2021年1月1日起正式启动全新援助方案。项目援助药物将继续由渤健公司捐赠,在全新援助方案的帮助下,患者第一年的药物治疗自付费用将从原有的约140万元降至55万元,第一年降幅约60%;之后每年的药物治疗自付费用将从原有的平均每年约105万元降至55万元,降幅约50%。

国家医疗保障局官网显示,2020年十三届全国人大三次会议上,有18位人大代表提议“健全常见罕见病SMA患者权益保障体系”,呼吁将诺西那生钠纳入医保。第7365号建议回复——通过准入谈判,2019年已将10余个罕见病药品纳入国家医保药品目录,对于部分价格特别昂贵的特殊罕见病用药,由于远超基金和患者承受能力,无法纳入基本医保支付范围。

现代快报记者从江苏省医保局了解到,江苏正在研究罕见病用药保障机制的方案,以帮助减轻患者的个人负担。

“新年新气象,已经减了一半了,继续加油!”南京SMA病友群里,病友们展开热火朝天的讨论,但方恬一点都不想点开微信,“55万一年,我还是付不起。”她期盼着,有一天诺西那生钠能够纳入医保。

宁宁的故事

患上罕见病,没有特效药可治

抽血、拍片、核磁共振、肌电图……排除脑瘫、遗传代谢病、甲状腺疾病、脊髓灰质炎等,儿童医院的医生看了又看检查报告后说,“90%是SMA。”那一天是2016年的5月26日。

2015年,1岁的宁宁渐渐不爱走路,走两步就坐在地上不动了,“我最初以为是她懒,不愿意动。”方恬想不通,女儿怎么就被1/10000的概率砸中?宁宁身体的变化实实在在地发生着——脚底板变平了一点、脚掌变厚了一寸、膝盖向内凹陷了一点、脊柱向左侧弯了一点……

“SMA是一种基因缺陷导致的常染色体疾病,也是一种罕见病,表现为全身肌肉无力和萎缩,伴有脊柱侧弯、关节变形、重症肺炎等并发症。她以后可能连坐都坐不住,现在没有药可以治,很多人不到10岁就……”在医生的描述里,渐冻症是“中老年版”的SMA,而SMA与其最大的不同是存在致命风险。

“好不容易凑齐首付买房,我以为后半生的幸福开始了。”方恬带着宁宁四处求医,北京、上海;尝试各种听说能医好的药,厨房里总弥漫着中药味儿。那个时候,全世界范围内SMA尚无任何特效药。

有特效药了! 一针70万

2018年9月,好消息来了,由渤健公司研发的全球首个SMA精准靶向治疗药物诺西那生钠注射液在境外上市。2019年2月,诺西那生钠注射液通过优先审评审批程序在中国获批,同年4月28日在上海上市。据悉,该药能延缓肌肉萎缩。

2019年10月,好消息又来了。3名SMA II型患者在复旦大学附属医院接受注射,注射后情况良好。

69.97万元!得知一针特效药需要近70万元,方恬很无助。一针是5毫升,一毫升是20滴,一滴就是7000块,一年要打5针,即使参加中国初级卫生保健基金会SMA援助的项目,个人一年还是要掏140万元。

那时,宁宁确诊已两年有余,她已经完全无法自主站立,膝盖也无法弯曲。

再不用药,连坐也坐不住

支付不起指定医院的康复训练费用,在一所高校担任宿管的方恬一直坚持自学护理知识,然后花1万元在中医院办了一张小儿推拿卡。这钱还是借的。“我一个月工资2600块,我老公3000多,要还2900块的房贷。别说140万,14万我都凑不起来啊。”

宁宁今年7岁,这么大的孩子体重一般在50斤左右,但宁宁有65斤。这是由于她无法自己站立,缺少锻炼造成的。为了让肌肉和骨骼知道有站立的需要,每天下午宁宁要被绑在站立架上站一会,还要穿着特制的矫正鞋。方恬担心,再不用药,宁宁的肌肉萎缩到一定程度后,连坐也坐不住。“我没告诉她有药可以治,我又没钱给她治,告诉她干嘛呢?”

“妈妈,我要是能走路就好了。”方恬最害怕听到宁宁说这句话,但每次她都努力扯开嘴角,告诉宁宁:“快了,你很快就会走路了。”

“这个虾是初秋买的,20块一斤,买回来冻在冰箱里,冬天买要30多块一斤。”方恬有很多类似的省钱经验。不大的厨房里,她正等待着冻虾融化。卧室里,宁宁拿着机车警察的玩具,正在模拟警察抓小偷的游戏。一不小心,机车警察滑下来掉在脚边,宁宁伸了伸手,还差一点就能够到……



掉落在脚边的机车警察玩具,宁宁差一点就能够到

机车警察是宁宁最爱的玩具,她梦想着可以和警察一样奔跑

直播挣来用药钱 现在房子也卖了

和方恬一样,王雨也被天价特效药折磨着,她是患者双双的妈妈。2020年8月,在好心网友的帮助下,6岁的双双打了第一针诺西那生钠。3月,在ICU住了100多天的双双出院。医生说,再不抓紧用药,孩子可能熬不过2021年。

双双是SMA I型(严重型)患者。拍百日照时,王雨发现女儿四肢无力,以为只是孩子年龄小,长大就好了,不曾想被确诊为SMA I型。双双的卧室就像一个小型的ICU,有呼吸机、咳嗽机、制氧机……王雨和丈夫像专业护士那样,定时给孩子吸痰、拍背……当年确诊时,医生曾告诉王雨,SMA I型绝大多数活不过两岁……

双双出院后,王雨在短视频平台开了账号,发布照顾双双的日常,并以此募集药费。7月,她凑够75万元善款,双双打上第一针诺西那生钠。“我也不想!很多人骂我,说我拿孩子营销,但我能怎么办呢?”辞去工作的王雨没有收入,亲戚们都借遍了,如今已开不了口了。“他们都知道这是个富贵病,超级富贵的病。”

“脚趾头能动了,她能感受到我在挠她的脚心。”第一针打完没几天,王雨欣喜地感受到女儿的变化。这种日常母女间的互动,对于他们一家来说,迟到了4年。

欣喜并未持续太久。王雨算了一笔账:400g的奶粉,318元,3小时喂一次,一次20g,一天就要127元……因肌肉无力无法正常咳嗽,痰液在气管、支气管和肺部越积越多,普通感冒在双双身上非常容易变成重症肺炎,一个月至少去一趟医院更换医疗器具。救护车来回得1000元,ICU住一晚是1500元,一趟医院下来就是五六千,为了维持双双的生活,一个月至少要花1万元……2020年5月,王雨不得不把房子卖了。

房子已经卖了,明年,双双还能打上针吗?

(文中受访者皆为化名)