

不忽视小群体

我国超90种罕见病用药进医保

新华社记者 李恒 徐鹏航

近日国家医保局等部门发布的新版国家医保药品目录新增91种药品,其中包含用于治疗肥厚型心肌病的玛伐凯泰胶囊等13种罕见病用药。截至目前,超过90种罕见病治疗药品已纳入国家医保药品目录。

罕见病,因其极低的发病率、有限的患者人数、高昂的药物研发成本,很长一段时间是医疗领域“被遗忘的角落”。

罕见病防治,关爱不能缺席。在各部门努力下,我国加速构建罕见病防治保障之路,为患者搭建生命的桥梁,在用药的可及性和可负担性方面,不断实现“从0到1”的突破。

在今年国家医保药品目录谈判中,上万名难治性癫痫患儿的“救命药”氯巴占进医保了。药片价格几毛钱的小调整,给患者家庭带来实实在在

的希望。

难治性癫痫,有着“低治愈率、高致残率、高致死率”的特点。根据有关统计,国内难治性癫痫持续状态患儿,病死率达20%以上。

长期以来,因兼具罕见病用药和二类精神药品的双重属性,管控严格,市场规模有限,氯巴占迟迟未能在国内审批上市,患者往往选择从国外代购“救命药”。

2020年,一起充满争议的涉及海外代购氯巴占案件引起社会广泛关注。随后,多个罕见病癫痫患儿家庭联合发出求助信,呼吁关注氯巴占的进口和使用问题。

是药,更是民生。

2022年6月,国家卫生健康委、国家药监局联合发布《临床急需药品临时进口工作方案》和《氯巴占临时进口工作方案》,优先采用临时进口方式,缓解患者“无药可用”困境,同时支持氯巴占药品国产化。

国产氯巴占2022年获批上市,2024

年进入医保,这小小的药片,燃起患者的生命希望。

同样,阵发性睡眠性血红蛋白尿症(PNH)患者用药,也是今年国家医保药品目录调整关注的一个焦点。

PNH,一种极罕见的后天获得性溶血性疾病,临床主要表现为血管内溶血、骨髓造血功能衰竭和反复血栓形成,患者生命受到严重威胁。

2021年3月,一位PNH患者遭遇断药,怀着一线希望,向中国罕见病联盟求助。中国罕见病联盟携手北京协和医院、国家药监局及药企开启“同情用药”的爱心征程。80余天后,从瑞士引进的新药成功落地北京协和医院,患者获得救治。新版国家医保药品目录将这一创新药——盐酸伊普可泮胶囊纳入,将为更多患者带来希望。

近几年,脊髓性肌萎缩症(SMA)、戈谢病、重症肌无力等罕见病治疗用药相

继被纳入目录……自2018年国家医保局成立以来,已经连续7年开展医保药品目录调整。目前,已有90余种罕见病用药被纳入国家医保药品目录,罕见病药品保障水平稳步提升。

一路走来,是努力,更是希望。

“医保药品目录的调整,是国家对每一个生命的尊重与呵护,是对特殊群体的特别关爱。”中国罕见病联盟执行理事长李林康说,罕见病患者“药篮子”的每一步调整、每一次增加,都不容易。

从“无药可医”到“有药可用”,再到“用得起药”……把保障人民健康放在优先发展的战略位置,我国积极探索罕见病用药新模式,加强药物研发,让患者更有“医靠”。

一个社会的文明程度如何,既看其如何对待“多数人”,也看其如何关怀“极少数人”。一股股让罕见病患者得到更好保障的力量,正汇聚成暖流,浸润着每一个需要关怀的心灵。 新华社北京12月8日电



哈尔滨采冰节启幕

影片《绿野仙踪》小红鞋以2800万美元拍卖

美国好莱坞影片《绿野仙踪》中的知名道具小红鞋12月7日被成功拍卖。拍卖行原本预计这双鞋可拍得300万美元,不料竞拍过程异常激烈,最终成交价高达2800万美元。

美联社报道,赫里蒂奇拍卖行上月启动对这双道具鞋的网上竞拍程序,潜在买家们纷纷竞价,本月7日竞拍达到高潮,又有不少人以电话等方式展开竞价,最终一名买家以2800万美元拍得这双鞋。

《绿野仙踪》1939年出品,片中的女主角多萝西由朱迪·嘉兰扮演,而小红鞋给予女主角神秘力量,助她躲过女巫袭击、平安返家,给影迷们留下深刻印象。这双鞋2005年8月在位于明尼苏达州的朱迪·嘉兰博物馆失窃。

美国联邦调查局2018年7月在一场诱捕行动中找到这双鞋。2023年10月,时年76岁的美国老翁特里·马丁当庭承认盗窃罪名。他说,自己误以为这双鞋由红宝石打造,2005年用锤子击碎博物馆的玻璃罩,盗走小红鞋,但后来发现鞋是玻璃做的,便设法在黑市上将其卖掉。 据新华社

演习成真!

瑞士雪崩被埋3人获救

大约40人12月7日在瑞士东部地区举行雪崩救援演习,不料“演习成真”,真有一部分雪体崩塌,造成其中3人被埋。在场人员反应迅速,将他们成功救出。

多家媒体报道,演习地点位于瑞士格里松州阿尔卑斯山区,这40人分成多组,在山间展开雪崩救援演习。当天将近13时,突然有一段大约宽30米的雪体崩塌,导致3人被埋在雪下。

瑞士应急部门7日在一份声明中说,“演习变成真的了”,在场人员一方面发送求救信号,寻求直升机救援,另一方面动手挖掘,不到10分钟便将埋3人全部挖了出来,此时直升机尚未抵达。

获救3人“身体状况尚算良好”,其中一人稍后被直升机送往附近医院接受检查。 据新华社

半机械昆虫问世 或可用于搜救

澳大利亚昆士兰大学一名学生制作出半机械昆虫,可以通过电信号控制其行动。他未来这种昆虫能在救灾方面发挥作用。

据美国有线电视新闻网12月4日报道,这名学生名为拉克伦·菲茨杰拉德,攻读数学和工程专业。他选择了体长可达8厘米的犀牛蟑螂以及对环境适应能力极强的拟步甲进行改造。改造实验在学校的生物机器人实验室进行。他先给改造对象洗了一个“冰浴”以达到麻醉效果,再小心翼翼地将一块微小的电路板安装在昆虫背部,从而得到一只可控

制的活体半机械昆虫。

这块电路板可以发射电信号,从而控制昆虫的行进方向。“只有当它离开了我们设计的理想路径时,我们才会干预,告诉它应该怎么走。”菲茨杰拉德说。他希望有朝一日能打造一支“半机械昆虫大军”,帮助搜救人员开展工作。“未来发生地震或爆炸等灾难后,如果救援人员无法安全地进入现场,就可以派遣一群半机械昆虫快速、高效地在灾区行动。”

菲茨杰拉德说,这种改造本身不会影响昆虫的寿命。他认为,半机械昆虫比机械昆虫等传统机器人更具优势。“与

人工机器人系统相比,昆虫的适应能力更强。这是因为人工机器人系统必须进行大量计算才能应对现实世界中可能出现的各种不同情况。”菲茨杰拉德说,半机械昆虫也许能在救灾时对人类提供帮助,比如发现并报告幸存者的位置、在救援人员到达之前向受困者提供急救药物等。

不过,半机械昆虫投入“实战”之前还有很长的路要走,比如如何精确控制它们的行进方向。菲茨杰拉德说,虽然这项工作现在看起来似乎很像科幻电影,但几十年后,半机械昆虫可能真的会拯救生命。 据新华社