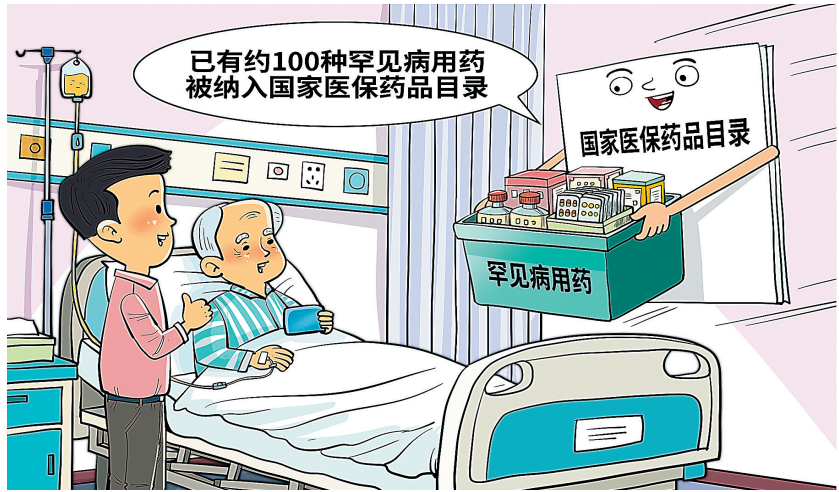


已有约100种罕见病用药进医保

让生命之光照亮每一个“罕见”人生



已有约100种罕见病用药被纳入国家医保药品目录。 新华社发

这是一场关乎生命与希望的对话，一次科学与温情的交融。

9月20日至21日，2025年中国罕见病大会在京举行。大会传递的数据温暖且令人振奋：目前全国罕见病诊疗协作网医院达419家，罕见病直报系统现有626家医院参加登记，罕见病目录扩展至207种病种，已有约100种罕见病用药被纳入国家医保药品目录。

保障更全！多层次保障体系点亮患者生命之光——

最新数据显示，国家医保药品目录内罕见病用药覆盖42个罕见疾病种类。2024年医保基金为协议期内罕见病药品支付86亿元，约占协议期药品总支付的7.7%。

“医保基金坚持‘尽力而为、量力而行’，但罕见病用药保障不能仅靠基本医保。”国家医保局医药服务管理司司长黄心宇说，我国正构建基本医保、大病保险、医疗救助三重保障体系，并积极探索商业健康保险、社会慈善等多元保障路径。

从药物研发、快速审评、纳入医保，到“双通道”供药机制、门诊慢特病保障……一张更加立体、温暖的罕见病保障网越织越密。

科研更强！创新驱动为精准诊疗注入新动能——

从“无药可医”到“有药可治”，背后是无数科研人员、临床工作者执着追求、甘坐“冷板凳”的坚守。

北京协和医院院长、中华医学会罕见病分会主任委员张抒扬分享了这样一个案例：几十年前，一位19岁的家族性高胆固醇血症患者，因无药可治在手术中不幸离世。目前相关药物不仅研发上市，还纳入医保，可用于多种血脂异常患者。

“一个罕见病的突破，受益的往往是整个大病群体。”张抒扬说，罕见病诊疗看似是“小众需

求”，实则是衡量医疗进步、社会文明的重要标尺，既守护了个体的生命尊严，也推动着医学、社会向更精准、更公平的方向发展。

中国罕见病综合云服务平台专注于罕见病诊疗智能应用开发，构建罕见病诊疗与保障地图；北京协和医院与中国科学院自动化研究所共同研发的“协和·太初”罕见病大模型，整合超13万病例数据与多模态知识，有望实现从筛查、诊断到决策的全链条支持……前沿科技正深入诊疗的“无人区”，为罕见病患者搭建更多“希望的阶梯”。

“罕见病不仅是一个医学难题，更是一个社会命题。”中国罕见病联盟执行理事长李林康说，我们将持续推动多方协作、跨界融合，让科技之光照亮“罕见”的角落，为更多生命保驾护航。

关爱更广！为全球罕见病诊疗贡献“中国智慧”——

全球患者总数超3亿人！罕见病是关乎全球健康治理的重要议题。而中国，正在成为这一议题的重要参与者和贡献者。

今年5月，第78届世界卫生大会通过关于罕见病的决议。这份决议背后，离不开中国的大力推动。

据了解，我国已牵头建立覆盖11.5亿人口的罕见病直报系统，登记病例164万例；建成包含253个研究队列、9万余个病例的国家罕见病注册系统，为临床研究和新药试验提供重要基础。

大道不孤，大爱无疆。我国

约100种罕见病用药进医保！生命与希望在集结

大会传递的数据温暖且令人振奋：

- 目前全国罕见病诊疗协作网医院达419家
- 罕见病直报系统现有626家医院参加登记
- 罕见病目录扩展至207种病种
- 已有约100种罕见病用药被纳入国家医保药品目录

最新数据显示

- 国家医保药品目录内罕见病用药覆盖42个罕见疾病种类
- 2024年医保基金为协议期内罕见病药品支付86亿元
- 约占协议期药品总支付的7.7%

多部门携手社会各界关爱罕见病患者，不断探索防治诊疗工作的“中国方案”。

国务院办公厅发文提出加快罕见病用药医疗器械审评审批，国家自然科学基金委为罕见病设立专项，科技部批准建设疑难重症及罕见病国家重点实验室，国家卫生健康委组织对《第二批罕见病目录》中的86个病种分别制定诊疗指南……

更令人感动的，是小细节里的大关爱——

一些医院将罕见病门诊设在一楼，只为让行动不便的患者“少走一步路”；罕见病病房实行“首诊负责制”，医生对患者终身随访；多位专家带伤参会、坚持义诊，只因“患者需要我们”……

“我们不仅仅是在搭建一套体系、完善一串流程，更是为每一个曾经隐形的生命，拂去尘埃，点亮归途。”张抒扬说。

尽管我国罕见病防治保障体系已取得显著进展，但仍有诸多挑战亟待破解。

比如，基层地区对罕见病知晓率有限，“诊断难”仍是拦在患者面前的一道坎；创新药物研发成本高、适用患者少，高昂药价与患者“用药渴望”之间如何对接；从审评审批到市场准入，政策链条堵点如何更快疏通……

让“罕见”被看见，让关爱更持久。始终坚持人民至上、生命至上，爱的阳光就能照亮更多罕见病患者的生命之路，书写健康中国的温暖答卷。 据新华社电

435种药品——7年来，国家“团购药品”让老百姓药盒里不仅装着质优价廉的常用药、救命药，更装着实实在在的民生保障

稳临床，让供给与需求更匹配

超4.6万家医疗机构参与新一批国家药品集采的报量

其中近80%的报量具体到了所需品牌

保质量，守好药品集采底线

此次调整提高了投标企业的质量“门槛”

防国标，破除“小团体”利益

规则明确

对于在股权、管理、注册批件转让、委托生产等方面存在紧密联系的企业，投标时视为1家

对于国标串标企业，除了列入“违规名单”外，还将根据医药价格和招标采购信用评价制度，按最严格规定顶格处置

反内卷，旗帜鲜明反对过度竞争

为避免个别企业的超低价干扰正常竞争，规则新增了多项内容

【相关】不再简单选用最低报价 第十一批药品集采首提“反内卷”

据新华社电 20日，第十一批国家组织药品集采规则对外发布，诸多细节可圈可点：首提“反内卷”，不再简单选用最低报价、新增“复活”机会、对投标企业新增3条资质要求……调整旨在为药企、医院、患者之间搭建精准对接的“供需桥梁”，推动用药保障与行业发展的双向平衡。

为避免个别企业的超低价干扰正常竞争，规则新增了多项内容：最低价低于入围均价50%时，以入围均价50%作为价差控制“锚点”；对于口服固体制剂小于等于0.1元、小容量注射剂小于等于1元等，设置“兜底价”；每家投标企业作出不低于成本报价的承诺，报价过低的企业要对报价合理性进行解释。