

# 基于5种罕见病可负担性评价的我国罕见病保障机制研究

信泉雄<sup>1\*</sup>, 管晓东<sup>1,2</sup>, 史录文<sup>1,2#</sup>(1.北京大学药学院, 北京 100191; 2.北京大学医药管理国际研究中心, 北京 100191)

中图分类号 R95 文献标志码 A 文章编号 1001-0408(2014)05-0404-04  
DOI 10.6039/j.issn.1001-0408.2014.05.07

**摘要** 目的:为我国建立完善罕见病保障机制提出政策建议,以解决因其所致的“因病致贫、因病返贫”问题。方法:分别通过世界卫生组织/国际健康行动组织(WHO/HAI)标准调查法、灾难性支出评价法和致贫作用评价法3种方法对我国城镇和农村居民多种羧化酶缺乏病、苯丙酮尿症等5种罕见病的可负担性进行分析。结果:按WHO/HAI标准调查法,5种罕见病年治疗费用都很高,费用最低的疾病也相当于城镇居民0.28年的收入,农村居民比城镇居民疾病负担更重;按灾难性支出评价法,5种罕见病在全国范围内造成灾难性支出的人口比例均不超过0.060 6%,但对部分罕见病,一旦居民患病并采用药物治疗,即陷入灾难性卫生支出;按致贫作用评价法,5种罕见病在城镇、农村的致贫率均很低,但仅这5种罕见病在全国范围内会导致超过20万人陷入贫困。结论:我国罕见病及军用药的可负担性较差,不同收入水平的居民均有一定的支付困难,因病致贫、因病返贫现象普遍。因此应完善罕见病患者保障机制,建立专门针对军用药的费用负担方式。

**关键词** 罕见病;可负担性评价;保障机制;建议

## Research on Rare Disease Security Mechanism in China Based on the Affordability Evaluation of 5 Rare Diseases

XIN Xiao-xiong<sup>1</sup>, GUAN Xiao-dong<sup>1,2</sup>, SHI Lu-wen<sup>1,2</sup>(1.School of Pharmaceutical Sciences, Peking University, Beijing 100191, China; 2.International Research Center of Medicinal Administration, Peking University, Beijing 100191, China)

**ABSTRACT** OBJECTIVE: To give suggestions to the establishment of rare disease security mechanism in China so as to solve the problems of “illness-caused poverty”. METHODS: The 5 rare diseases (as carboxylase deficiency, phenylketonuria) affordability of urban and rural residents were analyzed according to WHO/HAI standardized approach method, the catastrophic expenditure evaluation method and the impoverishment evaluation method. RESULTS: Based on WHO/HAI standardized approach method, the cost of 5 rare diseases was very high and as 0.28 times as the urban income; the rural burden is heavier than the urban. Based on catastrophic expenditure evaluation method, the population of catastrophic expenditure caused by 5 rare diseases occupied less than 0.060 6%. However, the residents who suffered from some rare diseases and received drug treatment would fall into catastrophic expenditure. Based on the impoverishment evaluation method, the rate of poverty caused by 5 rare disease was very low in urban and rural areas but the only 5 rare diseases would cause over 200 000 people into poverty in nationwide. CONCLUSIONS: The affordability of rare diseases and orphan drugs is poor in China. There is certain payment difficulty for residents with different levels of income. Due to the common phenomenon of illness-caused poverty, we should improve the security mechanism of the rare disease and set up specialized cost affording ways for orphan drugs.

**KEYWORDS** Rare disease; Affordability evaluation; Security mechanism; Suggestion

罕见病是指发病率极低的疾病或病变,其诊疗难度较大、治疗具有不可替代性<sup>[1]</sup>。罕见病的治疗药物通常被称为孤儿药(Orphan drug),亦称军用药。国际上对罕见病没有统一的定义及界定标准,世界卫生组织(WHO)将罕见病定义为患病率在0.65‰~1‰的单种疾病<sup>[2]</sup>。

20世纪80年代起,世界各国尤其是发达经济体纷纷对罕见病进行立法并出台有关孤儿药研发、生产、注册审批、定价、医疗保险、税收、社会救助等各个方面的配套政策,以保障患者及其家庭的权益<sup>[3]</sup>。我国自2009年开始实施的新医改已取

得初步成效,患有常见疾病的患者得到了一定保障;但是对于诊疗费用较高的罕见病,我国尚缺乏治疗保障机制。在我国,罕见病患者是一个庞大的弱势群体,其治疗所需孤儿药的可及性亟待提高。罕见病的诊疗通常需要较大的开支,一些患者因病致贫、因病返贫,一些患者所患罕见病明明有药可医,却因为药品价格昂贵而不得不放弃治疗。罕见病虽然发生在少数个体、家庭身上,但是其给社会带来的冲击远远超过个人和家庭的范围,这涉及社会公平与正义的基本价值,涉及社会的稳定与和谐发展。我国在罕见病的法律制度设计、政策应对等方面,远远滞后于医学的发展和社会的需要。因此,建立完善的罕见病保障机制,有着重要的社会意义。本文基于多种羧化酶缺乏病、苯丙酮尿症、肌萎缩侧索硬化症、肢端肥大症、戈谢氏病等5种罕见病的可负担性评价,对我国建立罕见病患者保障机制提出了建议。

\* 博士研究生。研究方向:药事管理。电话:010-82805019。E-mail: xinxiaoxiong@gmail.com

# 通信作者:教授,博士研究生导师。研究方向:宏观药物政策、药品价格政策和药物经济学。电话:010-82805019。E-mail: shilu@bjmu.edu.cn

## 1 数据与方法

可负担性是一个相对的概念,很难对其进行直接评估。对于疾病的可负担性评价,一般有3种方法:第一,WHO和国际健康行动组织(Health Action International, HAI)创立的WHO/HAI标准调查法,即以非技术政府工人每天的最低工资(LPGW)为单位,计算某一疾病的药品费用相当于工资的天数,以衡量该疾病的可负担性<sup>[4]</sup>;第二,灾难性支出评价法(The catastrophic method),即当疾病的治疗费用超过收入的一定比例时则认为该疾病对患者造成灾难性支出(不可负担)<sup>[5]</sup>;第三,致贫作用评价法(The impoverishment method),即当患者的收入水平因为疾病治疗费用而从贫困线以上降至贫困线以下(因病致贫)时,则可以认为该疾病对患者造成致贫作用<sup>[6]</sup>。

由于我国城乡差距较大,本研究对罕见病的可负担性评价拟将城镇居民和农村居民分开,并分别通过上述3种方法进行分析。

### 1.1 样本罕见病及治疗药品的确定

研究需要确定疾病种类及其治疗方案,以确定治疗费用。本研究选取我国有患者存在且治疗费用水平不同的5种罕见病,按照我国《罕见性遗传病知识手册》和欧盟 Orphanet 数据库确定治疗药品、患病率、治疗费用等情况<sup>[7-9]</sup>。由于罕见病需要长期治疗,所以本研究采用疾病的年治疗费用,相关情况汇总详见表1。

表1 罕见病与治疗药品情况汇总

Fig 1 Summary of rare diseases and drugs

疾病	患病率	治疗方案	年人均费用,万元
多种羧化酶缺乏病	1/60 000	口服生物素,治疗初期给予左旋肉碱、甲钴胺、维生素C,稳定后每日给予10 mg维生素C	0.6
苯丙酮尿症	1/16 500	低苯丙氨酸饮食,并给予四氢生物蝶呤、5-羟色胺、左旋多巴(患儿需服用特殊奶粉)	2
肌萎缩侧索硬化症	1/20 000	利鲁唑片 50 mg,每日口服2次	5.5
肢端肥大症	1/20 000	注射用醋酸兰瑞肽 40 mg,每2周注射1次	10
戈谢氏病	1/100 000	酶替代疗法,注射用伊米苷酶 60 U/kg,每2周注射1次	200

### 1.2 数据处理方法

1.2.1 WHO/HAI标准调查法。根据WHO/HAI标准调查法年人均收入计算罕见病的可负担性,即计算单个病种治疗费用相当于居民收入的年数。本研究将5种罕见病的治疗费用分别除以我国城镇居民年人均可支配收入和农村居民年人均纯收入即可得出评价结果。

1.2.2 灾难性支出评价法。当卫生保健支出超过家庭可支配收入的40%时,WHO将其定义为灾难性支出<sup>[10]</sup>。通过5种罕见病的治疗费用和比例,可以计算出为了不导致灾难性支出,患者需要的最低年收入,即年收入低于该值的居民因患病而发生的灾难性支出。为确定陷入灾难性支出的人口数量及其占总人口的比例,需要我国人口收入分布情况。本文将城乡分开进行收入分布曲线的模拟,城镇居民以年人均可支配收入为纵坐标,将人口分为七分位并以人口比例为横坐标;农村居民以年人均纯收入为纵坐标,将人口分为五分位并以人口比例为横坐标。假设每个区间内人均收入呈线性关系,我国城镇及农村人口收入分布曲线见图1、图2<sup>[11]</sup>。

根据上述模拟曲线,即可推算出治疗某种疾病的灾难性人口比例。此外,本研究调整灾难性卫生支出比例(30%、40%、50%),以进行敏感性分析。

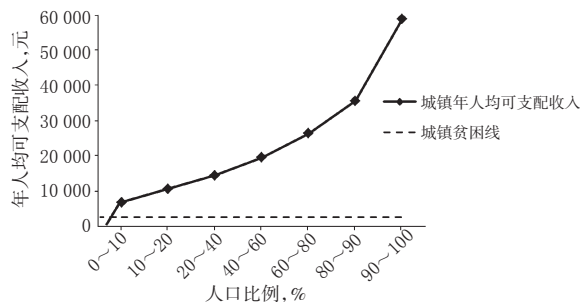


图1 我国城镇居民年人均可支配收入分布曲线

Fig 1 Distribution curve of annual disposable income per capita in Chinese urban people

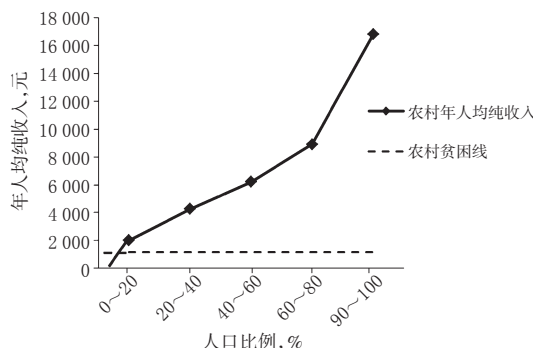


图2 我国农村居民年人均纯收入分布曲线

Fig 2 Distribution curve of annual pure income per capita in Chinese rural people

1.2.3 致贫作用评价法。该方法用于疾病的可负担性评价,实际上指的是对“因病返贫”现象的研究,主要关注原本不贫困但由于某种疾病的治疗导致其收入低于贫困线的患者,不考虑患病前已陷入贫困的人口。该方法需要首先确定城乡贫困线,我国没有全国统一的贫困线,本研究依据全国城市和农村最低生活保障情况确定相应贫困线并在图1和图2中绘出。2011年全国城镇合计最低生活保障人均每月支出224.79元<sup>[12]</sup>、农村合计最低生活保障年人均支出96.4元<sup>[13]</sup>。将最低生活保障年人均支出作为贫困线,故城镇贫困线为2 697.48元,年末贫困人口为2 277万人;农村贫困线为1 156.8元,年末贫困人口为5 313万人。

某种疾病的致贫人口数量为本来年人均收入高于贫困线,但扣除该疾病治疗费用后收入低于贫困线的人口数量。

致贫率<sup>[6]</sup>=因患疾病而致贫的人口数量÷患病前不贫困人口总数×100%。

## 2 结果与分析

### 2.1 WHO/HAI标准调查法

2011年城镇居民年人均可支配收入为21 809.78元,农村居民年人均纯收入为6 977.29元<sup>[11]</sup>,由此计算得出5种罕见病在我国的可负担性评价结果,详见表2。

表2结果表明:(1)以年人均收入来看,多种羧化酶缺乏病和苯丙酮尿症的治疗费用低于城镇居民1年的平均收入,而仅多种羧化酶缺乏病的治疗费用低于农村居民1年的平均收入,说明5种罕见病的年治疗费用都很高,对患者负担普遍较重,农村居民由于收入水平较低负担更重。(2)国外研究发现,在欧盟地区,孤儿药的价格与其所治罕见病的患病率成反比<sup>[14]</sup>。5种罕见病的治疗费用与患病率也符合这一规律,说明企业在

表2 5种罕见病按WHO/HAI标准调查法的可负担性评价结果

Tab 2 Affordability of 5 rare diseases measured by WHO/HAI standardized approach

疾病	患病率	相当于城镇居民年人均可支配收入,年	相当于农村居民年人均纯收入,年
多种羧化酶缺乏病	1/60 000	0.28	0.86
苯丙酮尿症	1/16 500	0.92	2.87
肌萎缩侧索硬化症	1/20 000	2.52	7.88
肢端肥大症	1/20 000	4.59	14.33
戈谢氏病	1/100 000	91.70	286.64

制订孤儿药价格时会考虑市场规模,但这会给患者带来极大负担。(3)一些疾病的治疗费用过高,如戈谢氏病相当于城镇居民91.7年的平均收入。城镇最富裕的10%的人口年人均可支配收入为58 841.87元<sup>[1]</sup>,但即使是这部分人群,也需要34年的平均收入才可以负担1年的治疗。对于类似的罕见病,仅靠患者自身不可能负担得起。

## 2.2 灾难性支出评价法

按照灾难性支出评价的计算方法和拟合的收入曲线,计算考虑患病率的情况下,5种罕见病治疗费用会导致城镇居民、农村居民陷入灾难性支出的人口比例。由于城乡居民医疗保健支出占家庭消费支出的比例差距较大,所以本研究做了敏感性分析,结果详见表3。

表3 5种罕见病灾难性支出评价结果及敏感性分析

Tab 3 Catastrophic expenditure and sensitivity analysis of 5 rare diseases

疾病	比例阈值,%	年人均最少收入,元	灾难性人口比例,%		灾难性人口数量,万人	
			城镇	农村	城镇	农村
多种羧化酶缺乏病	30	20 000	0.0 086	0.0 164	0.59	1.08
	40	15 000	0.0 053	0.0 142	0.37	0.93
	50	12 000	0.0 034	0.0 130	0.23	0.85
苯丙酮尿症	30	66 667	0.0 596	0.0 606	4.12	3.98
	40	50 000	0.0 553	0.0 606	3.82	3.98
	50	40 000	0.0 527	0.0 606	3.64	3.98
肌萎缩侧索硬化症	30	183 333	0.0 500	0.0 500	3.45	3.28
	40	137 500	0.0 500	0.0 500	3.45	3.28
	50	110 000	0.0 500	0.0 500	3.45	3.28
肢端肥大症	30	333 333	0.0 500	0.0 500	3.45	3.28
	40	250 000	0.0 500	0.0 500	3.45	3.28
	50	200 000	0.0 500	0.0 500	3.45	3.28
戈谢氏病	30	6 666 667	0.0 100	0.0 100	0.69	0.66
	40	5 000 000	0.0 100	0.0 100	0.69	0.66
	50	4 000 000	0.0 100	0.0 100	0.69	0.66

表3结果表明:(1)以40%为阈值,5种罕见病在全国范围内造成灾难性支出的人口比例均不超过0.060 6%,多种羧化酶缺乏病在城镇的灾难性人口比例仅为0.005 3%。但是我国人口基数较大,仅多种羧化酶缺乏病在全国范围内就造成1.3万人陷入灾难性支出,而目前全球范围内已知的罕见病近7 000种<sup>[2]</sup>。我国病种情况尚无统计数据,但因患罕见病而陷入灾难性支出的人群仍应引起重视。(2)肌萎缩侧索硬化症、肢端肥大症、戈谢氏病造成的灾难性支出人口比例在城镇和农村之间没有差别,说明这3种疾病负担极重。我国居民一旦患病并采用药物治疗,即陷入灾难性支出,如果按照40%的阈值计算,戈谢氏病患者年人均收入需达到500万元以上才能避免陷入灾难性支出。(3)40%阈值时,多种羧化酶缺乏病和苯丙酮尿症这2种费用相对较低的疾病对城乡居民的影响不同,分别

会造成0.37万、3.82万城镇居民以及0.93万、3.98万农村居民陷入灾难性支出。(4)敏感性分析发现,阈值变化时,仅多种羧化酶缺乏病和苯丙酮尿症的城镇灾难性支出人口数量有一定变化,其余变化不显著或没有变化,说明该评价方法稳定性较好。

## 2.3 致贫作用评价法

按照致贫作用的计算方法,结合收入曲线和贫困线数据,计算考虑患病率情况下5种罕见病的致贫率和致贫人口数量,结果详见表4。

表4 5种罕见病的致贫率与致贫人口情况

Tab 4 Impoverishing rate of 5 rare diseases and the situation of poverty population

疾病	患病率	城镇		农村	
		致贫率,%	致贫人口,万人	致贫率,%	致贫人口,万人
多种羧化酶缺乏病	1/60 000	0.001 1	0.07	0.008 9	0.54
苯丙酮尿症	1/16 500	0.035 0	2.34	0.060 6	3.66
肌萎缩侧索硬化症	1/20 000	0.047 2	3.15	0.050 0	3.02
肢端肥大症	1/20 000	0.050 0	3.34	0.050 0	3.02
戈谢氏病	1/100 000	0.010 0	0.67	0.010 0	0.60

表4结果表明:(1)5种罕见病在城镇、农村的致贫率均很低,苯丙酮尿症在农村的致贫率最高,为0.060 6%;多种羧化酶缺乏病在城镇的致贫率最低,为0.001 1%。但是如果计算致贫人口,仅这5种罕见病在全国范围内就会导致超过20万人陷入贫困,由此可见我国罕见病因病致贫的问题比较严重。(2)5种罕见病中,治疗负担较轻的多种羧化酶缺乏病对农村人口影响显著大于城镇人口,该病仅导致0.07万城镇人口陷入贫困,但会导致0.54万农村人口陷入贫困。而一些罕见病如肢端肥大症在低收入人群中的发病率更高,因此农村人口的疾病负担情况更应引起重视。(3)肢端肥大症的总致贫人口最多,分别导致3.34万城镇居民和3.02万农村居民陷入贫困,分别导致城镇、农村贫困人口增至2 280.34(2 277+3.34)万人、5 316.02(5 313+3.02)万人。(4)肢端肥大症、戈谢氏病对于城镇人口的致贫率以及除多种羧化酶缺乏病外的其余4种罕见病对农村人口的致贫率均等于相应疾病患病率,说明一旦患病即陷入贫困,这个结果需要引起有关部门的重视。

## 3 讨论与政策建议

### 3.1 方法的局限性

本研究在评价罕见病及孤儿药可负担性时选用的3种方法都存在一定的局限性。

按WHO/HAI标准调查法在计算过程中使用的是居民年人均收入,而我国贫富差距较大,以人均收入得出的结果不能真实地反映整个人群的可负担性情况。现有数据可以将结果细化为城镇7个收入水平及农村5个收入水平的评价结果,但计算仍然使用的是各人群的人均收入,还是不能有效反映一些高收入和低收入群体的情况。灾难性支出评价法使用的阈值是WHO定义的40%,但罕见病的诊疗费用通常较高,所以在对罕见病进行灾难性支出计算时,可以适当提高阈值。灾难性支出和致贫作用评价法在计算时都需要结合人口收入分布曲线,但需要说明的是,在对收入曲线进行拟合时,我们假设每段收入群体收入分布呈线性关系,这会导致一些低收入群体的负担能力被高估、高收入群体的负担能力被低估。

此外,3种方法在计算过程中有一个共同的假设,即罕见病患者的治疗费用完全由患者承担,没有考虑共付的情况,低

估了患者的负担能力。我国已有部分地区将罕见病纳入保障范围或设立相关基金,例如在上海,苯丙酮尿症、枫糖尿症等12种可治疗的罕见病可获得不同程度的医保报销和基金资助<sup>[15]</sup>。

### 3.2 完善罕见病患者保障机制

孤儿药的高价格是导致罕见病患者负担如此之重的直接原因,由此可见对罕见病药品降价势在必行。但由于市场规模较小,孤儿药多属于垄断产品,降价后很多患者可能仍然无法负担,因此将罕见病纳入医保范围、由多方共同支付患者治疗费用是减轻罕见病患者负担的有效手段之一。

3.2.1 建立适用于我国的孤儿药定价机制。罕见病药品价格昂贵,从5种样本罕见病可以看出部分罕见病的治疗费用远远超出个人的支付能力。因此,应理顺孤儿药定价机制,我们认为我国对孤儿药定价时应注意:第一,可采取比较定价与利润控制相结合的方式,定价时参考其他国家和地区的情况,并控制一定的利润率,适当降低孤儿药的价格。第二,有关部门可建立罕见病药品价格谈判机制,对谈判药品实行医疗保险覆盖以扩大药品市场,从而适当降低孤儿药价格;对于覆盖品种,可组织各部门及相关学科专家对其进行评估,根据其临床疗效、患者数量、国外保障情况等综合考虑,制订医保支付价格。

3.2.2 初步建立罕见病治疗费用多方共付机制。健全医保体系是新医改的改革重点之一,因此我们认为在积极的政策背景下,建立罕见病及孤儿药的医疗保障机制恰恰符合新医改的期望。由于罕见病无法按照地区和人群进行有效划分,所以应当建立一个全国统一的罕见病医疗保障制度,减轻患者负担的同时还可以此为契机逐渐形成各项医疗保障的一体化发展。此外,应建立多方共付的保障机制。从卫生经济学的角度考虑,WHO建议在发展中国家,每延长1个质量调整生命年(Quality adjusted life year, QALY)所需要的成本小于3个人均国内生产总值(GDP)是可以接受的<sup>[16]</sup>。我国2011年人均GDP已达35 181元<sup>[17]</sup>,由此可推算,平均而言,我国支付1个QALY的可接受成本已高达10万多元,因此完全可以将部分有明确治疗方案、费用适中的罕见病纳入保障范围。但是,我国毕竟处于发展阶段,社会医疗保险带有“低水平、广覆盖”的性质,医保基金的承受能力不高,想要将罕见病患者更好地保护起来需要建立费用共担的机制。所以,我国应充分协调和利用社会资源,鼓励慈善组织、企业等进行捐助,建立一个由医保基金、患者和第三方资助共同承担治疗费用的模式,以降低患者的自付比例,让更多的患者可以得到治疗且不会因病致贫、因病返贫。

为罕见病患者提供保障的过程应循序渐进。我们发现,就全国来看,对年治疗费用在2万元以下的罕见病,我国居民能够在一定程度上负担,所以对于这部分疾病,可以首先由个人支付,随着医保支付水平的提高逐步将部分价格较低的孤儿药纳入医保报销范围之内;对于年治疗费用在2万元~10万元之间的罕见病,各地可根据当地发病情况、经济情况等综合考虑,逐步将部分病种纳入大病保障范围以减轻患者负担;对于治疗费用更高的疾病,通过多方共付的方式有效地降低患者自付费用。随着我国经济水平的不断发展,有关部门可不断提高保障和支付水平、扩大保障范围,不断完善罕见病保障机制。

### 参考文献

- [1] 陶勇,邵元福,张纯,等.美国罕用药管理的历史与现状[J].中国药学杂志,2001,36(9):58.
- [2] 刘玉聪,董江萍.欧盟罕见病及孤儿药管理现状的研究[J].中国药学杂志,2012,47(5):395.
- [3] 龚时薇.促进我国罕见病患者药品可及性的管理策略研究[D].武汉:华中科技大学,2008:8-10.
- [4] Cameron A, Ewen M, Ross-Degnan D, et al. Medicine prices, availability, and affordability in 36 developing and middle-income countries: a secondary analysis[J]. *Lancet*, 2008, 373 (9 659): 240.
- [5] Xu K, Evans DB, Kawabata K, et al. Household catastrophic health expenditure: a multicountry analysis[J]. *Lancet*, 2003, 362(9 378): 111.
- [6] Wagstaff A, van Doorslaer E. Catastrophe and impoverishment in paying for health care: with applications to Vietnam 1993-98[J]. *Health Economics*, 2003, 12(11): 921.
- [7] 中华慈善总会罕见病救助办公室,世界卫生组织遗传病社区控制合作中心,中国健康教育中心.罕见性遗传病知识手册[EB/OL]. (2012-10-21) [2013-05-01]. [http://www.nihe.org.cn/data/upload/aaaaaaaaaaaaa/1qrKtsrWsu-ExMDAyMC4uWzFd\\_mfluw8.pdf](http://www.nihe.org.cn/data/upload/aaaaaaaaaaaaa/1qrKtsrWsu-ExMDAyMC4uWzFd_mfluw8.pdf).
- [8] 医学知识库.巨人症与肢端肥大症[DB/OL]. (2012-10-21) [2013-05-01]. <http://pmpmp.cnki.net/DiseaseResearch/Details.aspx?id=340>.
- [9] ORPHANET. Rare diseases search[EB/OL]. (2012-10-23) [2013-05-01]. <http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease.php?lng=EN>.
- [10] WHO. Designing health financing systems to reduce catastrophic health expenditure[EB/OL]. (2012-11-10) [2013-05-01]. [http://apps.who.int/iris/bitstream/10665/70005/1/WHO\\_EIP\\_HSF\\_PB\\_05.02\\_eng.pdf](http://apps.who.int/iris/bitstream/10665/70005/1/WHO_EIP_HSF_PB_05.02_eng.pdf).
- [11] 国家统计局.2012统计年鉴[EB/OL]. (2013-03-01) [2013-05-01]. <http://www.stats.gov.cn/tjsj/ndsj/2012/index.htm>.
- [12] 民政部.2011年12月份全国县以上低保情况:城市[EB/OL]. (2012-10-23) [2013-05-01]. <http://files2.mca.gov.cn/cws/201202/20120209103721108.htm>.
- [13] 民政部.2011年12月份全国县以上农村低保情况[EB/OL]. (2012-10-23) [2013-05-01]. <http://files2.mca.gov.cn/cws/201202/20120209103459767.htm>.
- [14] Steven Simoons. Pricing and reimbursement of orphan drugs: the need for more transparency[J]. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 2011, 6: 42.
- [15] 卫生部.医改快讯:第27期[EB/OL]. (2012-11-25) [2013-05-01]. <http://www.moh.gov.cn/publicfiles/business/htmlfiles/mohzcfgs/s9665/201205/54891.htm>.
- [16] 胡善联.“基械”制总设计师的难题[EB/OL]. (2012-11-25) [2013-05-01]. [http://web.yyjbb.com: 8080/html/2012-11/05/content\\_179077.htm](http://web.yyjbb.com: 8080/html/2012-11/05/content_179077.htm).

(收稿日期:2013-05-10 修回日期:2013-09-06)