

无声的苦难：中国大陆罕见病的认知与管理评估

在2019年11月至12月期间，经济学人智库(The Economist Intelligence Unit)访问了100名来自中国大陆的医疗机构执业人士，作为亚太地区罕见病认知与挑战分析项目的一部分。

中国大陆的受访者包括全科医生或首诊医生(44%)、专科医生(36%)、护士(6%)和药剂师(14%)。大多数受访者在公立医院工作(74%)，13%在教学医院，8%在私立医院或诊所工作。

调查结果:中国的卫生系统

- 2019年中国人口约为14.3亿。¹ 据估计，2018年的平均预期寿命为76岁，婴儿死亡率为11.8%，²远高于经合组织(OECD)3.8%的平均水平。中国快速老龄化的人口，加上低出生率，对政府来说是一个迫在眉睫的医疗挑战。非传染性疾病造成了中国85%的死亡，其中缺血性心脏病、慢性阻塞性肺病、肺癌和阿尔茨海默病是主要死因。
- 大约95%的人口有一定程度的基本医疗保险，尽管36%的医疗支出仍需自费。现有三种公共医疗保险计划，包括就业人口强制投保的“城镇职工基本医疗保险”。根据世界卫生组织的数据，自愿型商业健康保险仍然很少见，2016年仅占医疗支出的4%。
- 中国约有360万名医生和400万名护士，每千人约有2.3名医生。据估计，中国约有3.2万张病床，即每千人有3.9张病

床。虽然中国60%的医院是私立医院，但大多数的住院治疗(超过80%)是由公立医院提供的。尽管三甲公立医院仅占医院总数的5%，但它们提供了约50%的医疗服务。

重视罕见病：缺乏推动中国政策的数据依据

- 中国疾病预防控制中心估计，鉴于中国的人口规模，中国拥有世界上数量最多的罕见病患者(2014年为1,680万)。³
- 中国尚无罕见病的正式定义，但当地医学专家普遍接受以新生儿疾病发病率万分之一、其他疾病患病率50万分之一作为分界线。由于缺乏流行病学数据，政策中规定的任何数值界限在很大程度上都是理论上的。⁴
- 本次调查发现，31%的中国大陆受访者不知道是否存在统一的罕见病定义，而59%的受访者表示确实存在相关定义。
- 除了低患病率之外，中国医疗保健专业人员在罕见病进行统一定义时最常参考的因素是：疾病的遗传性或遗传基础、严重或慢性的性质、诊断困难性及经济负担。
- 2016年，中国国家卫生健康委员会成立了“罕见病诊疗与保障专家委员会”，并于两年后发布了第一批罕见病国家目录。然而，在中国最近发布的罕见病目录中，仅有14种疾病有发病率和患病率的国家数据。

¹ United Nations Population Division, World Population Prospects 2019. Estimates 1950–2020.

² The Economist Intelligence Unit. Industry Report Healthcare China. 3rd Quarter 2019.

³ Ibid.

⁴ Peipei Song et al., “Innovative measures to combat rare diseases in China,” *Intractable & Rare Diseases Research*, 2017.

赞助：

CSL Behring

- 在中国，政策制定者仅侧重于可从现有临床医疗手段中获益的患病人口。因此，中国列出的罕见病集中在相对常见、已有治疗药品的疾病上。⁵
- 越来越多的孤儿药正在获得批准，自2019年10月以来，中国的大型医疗保险计划似乎正在寻找提高覆盖率的方法。
- 卫生部门正在制定“国家罕见病注册系统”，预计到2020年将涵盖50种罕见病。⁶

医疗保健专业人员似乎对他们的罕见病知识相当有信心，尽管接触病人的机会不多

- 在本调查中，中国大陆受访者对自己罕见病知识的评分平均为3.69分(总分5分)，

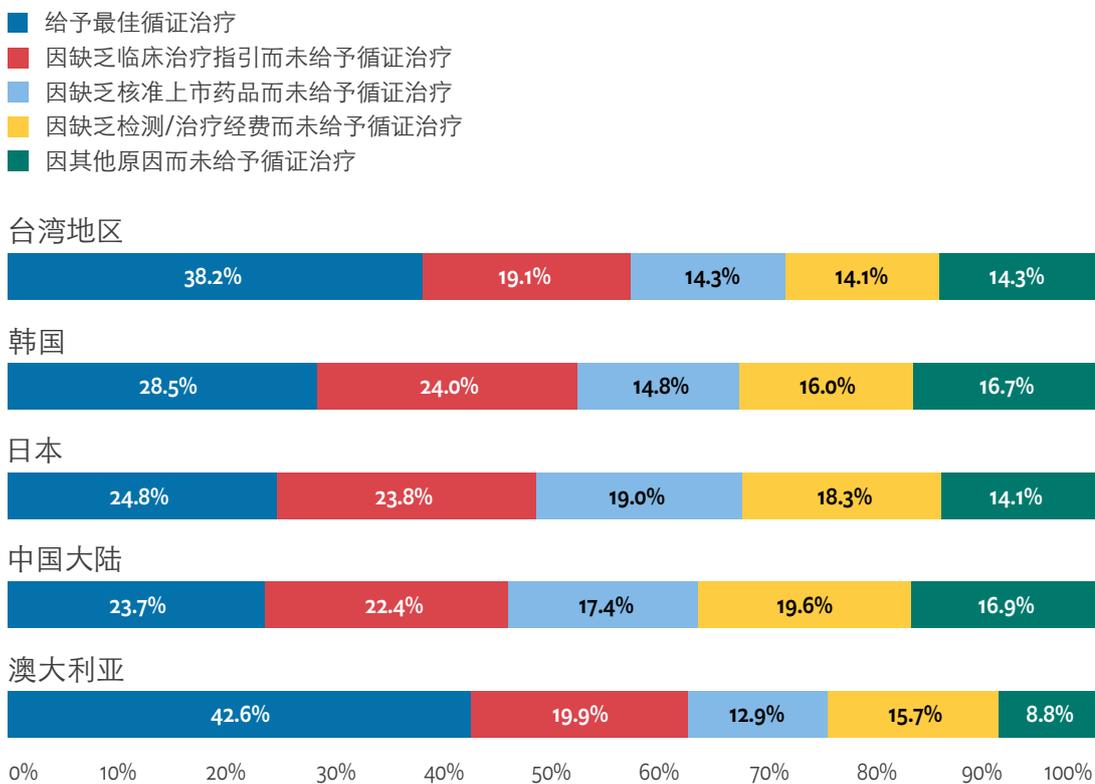
对同行的评分平均为3.62分(总分5分)。

- 在中国大陆，超过一半(55%)的受访者表示至少每六个月就会接诊一位新的罕见病患者，而16%受访者表示每月都会接诊一位新患者。

在中国提供高质量的医疗服务面临多重挑战

- 在调查中，来自中国大陆的受访者平均在速度和质量方面给他们的医疗系统打了最高分。虽然受访医护人员显然对医疗系统有信心，但这可能并不能反映罕见病患者的现实状况。受访者表示，只有24.4%的患者得到了最佳治疗，而这在本研究中比例相对其他地区是最低的(图一)。

图一、在五个亚太市场中，受访者表示患者接受最佳或次佳治疗的平均比例。



⁵ Jiangjiang He et al., "China has officially released its first national list of rare diseases," *Intractable and Rare Diseases Research*, 2018.

⁶ Peipei Song et al., "Innovative measures to combat rare diseases in China," *Intractable & Rare Diseases Research*, 2017.

- 在诊断和管理罕见病的困难度方面，所有项目都被认为是挑战。下列项目的中位数评分为4分(1分为从不、5分为总是个挑战)：具有临床数据、获得正确诊断、药品可及性、药品获批上市速度、提供诊断或治疗资金、确立转诊路径、与患者沟通、以及大众的知识。
 - 值得注意的是，37%的受访者表示，能否找到专科医生诊治“总是个挑战”。
- 当被问及应该采取什么行动来改善中国罕见病的管理时，回答包括：改善财务支持、改善政府支持更好地确定诊断和治疗途径。
 - 在中国大陆有几个相当完善的病友团体，特别是中国罕见病发展中心(CORD)和病痛挑战基金会，两者皆为本次调查有所贡献。
- 总的来说，中国大陆的医疗专业人士认为，患者组织应该在各个领域更频繁地做出贡献(调查结果在61.5%到69.2%之间)。
 - 值得注意的是，少部分，但不可忽略的受访者认为，患者组织不应参与临床路径诊疗流程设计(17.9%)，以及确定临床疗效研究(15.4%)。这一发现并未出现在其他市场的研究中。

对患者组织的贡献潜力认识较低

- 在本调查中，41%的医疗专业人士不知道在中国大陆是否存在罕见病患者组织，20%的人错误地认为并不存在任何罕见病患者组织。