

为创新型细胞和基因疗法在中国落地做好准备

万思瀚博士

诺华集团首席执行官

摘要

在过去数十年中，中国政府在改革及改善医疗体系方面取得了巨大进展，延长了国民的预期寿命，提高了他们的健康水平。随着中国以及全球医疗创新步伐的加快，我们建议，中国的政策制定者可以考虑调整其改革着力点，以确保中国始终走在新疗法研究和开发的最前沿。这些改革还可使最新的创新疗法尽快落地，造福中国患者。

细胞和基因疗法是在医学界发展最活跃的领域之一。该类疗法通常为针对疾病根本原因的一次性治疗，并且在某些情况下具有治愈患者的潜力，而不是仅仅简单地治疗其症状。中国在这些新疗法的研究和开发方面取得了迅速进展。

诺华认为，中国政府有机会在以下三个方面加速新疗法的发展：一，强化细胞和基因疗法的监管框架；二，加强对能从细胞和基因疗法中受益患者的特殊医疗需求的关注；三，发展新的解决方案，提高细胞和基因治疗的可及性。这三方面的改革将进一步深化中国医疗体系所做的巨大努力和取得的令人瞩目的成就，并促进中国社会和经济的持续发展。同时，这将帮助中国

政府提升药物治疗、特别是细胞和基因治疗的质量标准，并满足患者的需求，确保患者安全。

该领域的积极政策环境也将进一步促进在华投资，吸引更多具有全球视野和经验的药物研究人员选择在中国开发细胞和基因疗法。提高与细胞和基因疗法相关领域的水准，也将帮助中国政府实现在这一领域赢得国际领先地位的目标。

调整监管框架

细胞和基因疗法与常规疗法不同，可能需要特殊设施来处理患者细胞，以及经过专门培训的技术人员。中国在制定促进该类新疗法实施的法规方面已经做了大量工作，但是，若再进一步加强监管框架，将能更好地确保新疗法按照高水准的国际标准生产和运输。

为人体细胞材料和相关材料的出口和再进口制定清晰透明的程序，将有助于快速、安全地开展实验性细胞和基因疗法的临床试验，并有助于确保患者接受获批疗法的安全治疗。按照国际标准为临床试验制定更严格的法规，为细胞和基因疗法在中国的注册制定更明确的框架，将有助于最大程度确保患者安全。这方面法规的内容可以包括：风险管理计划；批准后安全监督；加速提升危重患者的药物可及性，例如通过专门的注册途径、临床试验豁免或提早准入方案。

满足患者护理的特殊需求

细胞和基因疗法的实施可能涉及复杂的多步骤流程，要求医疗专业人员具备特定的技能和经验。与患者讨论其医疗需求和治疗体验，可促成明智妥善的监管决策。为从事细胞和基因治疗的医护人员和医院提供标准和要求方面的指导（包括必要设备、技能和培训），可确保患者护理的质量和安全。要求将所有患者按特定的疾病类型进行登记，可提高透明度，提升监督水平。

改革患者用药可及性模式

中国患者通常自费支付一部分医疗费用。为了确保他们能够获得这类创新性疗法的治疗，必须尽快制定出新的支付和出资模式。解决方案可以包括制定灵活的支付机制，充分考虑细胞和基因疗法对患者和护理机构的价值。

替代性的出资模式可以包括商业健康保险和统筹基金（如：大病保险）。

诺华凭借在细胞和基因治疗领域的丰富经验，愿意随时为中国政府提供相关支持，并期待就我们的建议开展讨论。

一、导论

生活水平的提高、诊断和医疗创新方面的重大进展以及医疗卫生服务的普及，延长了世界各地人民的寿命，并使生活变得更为充实、更有成效。经济合作与发展组织（OECD）成员国国民的平均预期寿命已达到了 80 岁左右，在一代人的时间内延长了十余年，并且还在继续提高。这方面的成功很大程度上归功于医疗创新；而医疗创新则是制药企业、研究机构和医疗机构在抗击疾病方面持续投入和潜心专研所取得的成果。

今天，我们正在目睹一股激动人心的医疗创新浪潮的到来，这股浪潮预计未来几年将影响到众多医生和患者。细胞和基因疗法以及免疫疗法使个性化医疗成为现实，为那些需求未得到满足的患者，包括患有罕见病患者，带来了突破性疗法。我们必须继续努力，为这些患者寻找解决方案；这项工作相当艰巨，因为现存罕见病大约有 6,000 种，其中仅少数能有效治疗。

中国政府已经认识到创新对经济增长的强大推动作用，尤其是医疗保健领域的创新所起的作用。中国政府正在通过持续的医疗改革来造福国民，实施了包括“健康中国 2030”在内的一系列综合计划，以满足医疗卫生需求并推动医疗改革。中国科技部配合“十三五”规划发布了生物技术创新专项计划，该计划的目标是：到 2020 年，生物技术产业占国内生产总值的 4% 以上。在这一背景下，新技术不断涌现，产业结构得以升级，监管体系要素改革的指导原则也已出台。

面对众多未满足的医疗需求、人口结构的变化以及随之而来的慢性病的高发，药物创新是应对这一系列挑战的最佳方式。然而，药物创新非常复杂，

伴随着失败风险，由此带来了独特的挑战。诺华的科学家们正在创想药物的定义，并正在研究治疗疾病的新方法。例如，更好地了解疾病的分子机制和新型疗法有望产生强有力的新药。我们在细胞和基因治疗领域的成果之一就是全球首个获美国食品药品监督管理局批准的 CAR-T 疗法¹，用于治疗特定类型的白血病。细胞和基因疗法是一个全新的治疗方式，具有一次性治疗和潜在治愈疾病的优势。另一个例子是 Luxturna 基因疗法，这一疗法已于 2018 年 11 月被中国国家药品监督管理局列为 40 个《第一批临床急需境外新药名单》中的药物之一。

医疗卫生系统需要不断调整，以充分利用技术的快速发展所带来的全部优势，并让患者能够从这些突破性创新中获益。随着患者越来越多地参与自己的医疗决策，并要求治疗安全、程序透明；他们期望医疗系统能提供更高质量的医疗服务。

为了让针对中国患者的先进疗法能顺利开发并安全应用，诺华建议，细胞和基因疗法的以下三个领域值得关注：

- 1. 对监管框架进行调整，以适应先进疗法的特点**
- 2. 满足患者护理的特殊需求**
- 3. 改革患者用药可及性模式**

本文件中提出的建议，旨在支持中国的医疗政策，以促进创新并为患者寻求最佳治疗方案。严格实施建议的框架，还将有助于中国实现成为生物

¹嵌合抗原受体 T 细胞免疫疗法(CAR-T) 利用患者自身免疫系统的 T 细胞。经基因改造的 T 细胞可识别并清除癌细胞。

技术领域领先国家的目标，吸引更多对中国生物技术领域的投资，并最终为患者提供最具创新性的药物。

二、状况分析和诺华的建议

虽然细胞疗法和基因疗法常常被放在一起讨论，但这两种造福患者的治疗方法有显著区别。细胞疗法是对患者施用改性活细胞，以治疗某种疾病。基因疗法专注于导致疾病的缺陷基因，加入健康基因，或用健康基因取代缺陷基因，从而关闭缺陷基因或激活可预防或改变疾病进程的基因。

我们对该提案的分析专注于细胞和基因疗法的生产、开发、应用和患者用药可及性中的特定要素，解决与这些新疗法相关的各种复杂问题。

(一) 对监管框架进行调整，以适应先进疗法的特点

细胞和基因疗法不采用适用于其他疗法的常规生产模式。这些疗法的产生带来了独特的挑战和风险，需要特定的基础设施和众多经过专门培训的各方参与，包括货运官员、生产商及医疗机构。

1. 细胞和基因疗法的本地生产

中国状况分析

中国的政策鼓励通过技术合作、外国直接投资和研发外包的方式，在当地制造药品（包括细胞和基因疗法）。跨国公司可以参与联合研发，开展国家生物制药开发项目，并在中国生物制药行业打造开放创新生态系统进程中

发挥作用。根据业务模式和公司战略，建立国际和本地公司之间的制造合作，可以为双方提供绝佳的机会。

目前，生产商和生产点必须满足复杂的要求才能在中国获得商业生产许可证。然而，对临床试验材料的生产，则不需要特别许可；没有专门的要求或监督，可能无法保证产出高质量的临床试验材料。

诺华的建议

在临床试验期间和上市许可之后，用于导入患者细胞的遗传物质必须在严格的质量控制下制备，以确保最高的纯度和完整性。对于细胞疗法，必须在从收获细胞到将细胞重新输入患者整个过程的各个步骤中，确保供应链的质量和完整性，让患者免受可预防的伤害。因此，应该执行所有国际公认的药品质量标准（如：良好生产规范（GMP））来确保对生产过程的充分控制，包括对人员的持续培训。

由于监管机构负责发放生产许可证，因此我们建议监管机构充分考虑细胞和基因疗法的特点，并确定对生产场所的具体要求。例如，并非所有 GMP 要求在技术上都是可行的。相反，GMP 应该适应细胞和基因疗法的具体特点，例如：考虑产品的变异性、小批量及稳定性等特点。同时还应该制定基于风险的方法，根据个案进行灵活管理，同时最大程度确保患者的安全。在这方面，欧盟已经发布了《先进治疗药物产品的良好生产规范指南》（*Guidelines on Good Manufacturing Practice specific to Advanced Therapy Medicinal Products*）。²

² https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/files/eudralex/vol-4/2017_11_22_guidelines_gmp_for_atmps.pdf

基于这些考虑，一个旨在鼓励跨国公司参与细胞和基因疗法本地生产的监管框架应该：

- 利用医院和生产现场的所有步骤中执行国际标准，以确保产出高质量的治疗用产品。
- 采取措施维持这些高质量标准，包括在获上市许可之后。
- 将这些高标准应用于从事细胞和基因治疗的所有医院、实验室和生产点。
- 切实执行与药品生产相关的知识产权。

为支持中国生产的药品在本地开展临床试验，诺华建议中国政府分两步提供生产许可证：一个许可证针对临床试验用药，另一个针对商业化药品生产。应该合理设计前期各步骤，允许在不影响患者安全的情况下快速启动临床试验。美国、欧盟、日本和澳大利亚都遵循这样的模式。与这些国家的监管机构定期交流，有助于分享经验和最佳做法。

2. 细胞和基因疗法的进口

中国状况分析

当某特定细胞或基因疗法在中国境外生产时，必须先将患者的细胞或遗传物质出口到生产点。CAR-T 疗法生产中的一个步骤是通过将经基因改造的成分导入 T 细胞，以操纵细胞³。然后，这些细胞必须重新进口到中国，用于患者治疗。目前，中国尚未制定 CAR-T 相关材料出口和再进口的指南或程序。这导致了一系列可能导致人体材料受损并延误患者治疗的问题，例如：

³ 在同种异体细胞疗法中，供体与细胞接受者不是同一人。自体细胞疗法使用患者本人的细胞，并在细胞改造后将其重新置入该患者体内。

- 将患者血细胞出口，再将经基因改造的患者血细胞重新进口时，涉及到中国海关、中国人类遗传资源管理办公室等多个政府主管部门。这些部门之间沟通不畅、责任划分不清，导致程序混乱、工作耗时。对于危重病患者，治疗药物可能会到来的太晚。
- 中国卫生部门要求药物在用于患者之前，其样品必须经过本地质量检测。对于细胞和基因治疗药物，这个要求无法达到，因为药物产品中没有足量的材料可用于检测，且相关检测会拖延时间，使药物无法及时送到患者手中。

诺华的建议

需要建立清晰透明的机制，以便快速、可靠地出口及进口成分、中间体、人体材料和其他类型的材料。对海关和监管官员开展细胞和基因疗法一般性培训和关于运输条件的特定培训（例如：实行现场检查），一方面可使管理人员对血细胞的进出口事务更有信心，另一方面可加快办事程序，造福患者。理顺人体材料、细胞和基因疗法产品出口和再进口机制，将有助于实现双重目标：一是让境外患者得到中国本土生产的疗法的治疗，二是让企业将中国境外生产的高度创新产品提供给中国患者。

此外，诺华建议在全国范围内引入并实施这一政策：向虽未获国内许可、但国际获批的疗法提供特殊进口途径。例如，上海于 2018 年 7 月出台了一项政策⁴，建议建立一个“绿色通道”，用于为特定医院提供已在美国或欧盟注册的进口药物。该绿色通道还应包括适用于基因改造物质常规出口和再

⁴上海“健康服务业 50 条”第 38 条提出推动健康服务业发展，建设亚洲一流医学中心城市
<http://www.shanghai.gov.cn/nw2/nw2314/nw2319/nw10800/nw11407/nw42843/u26aw56500>

进口的机制。负责放行和接收此类材料的海关之间应交流相关经验和最佳做法，将大有裨益。

此外，必须建立一个可靠的供应链来负责相关材料在医院和生产点之间的双向输送，这样才能确保高质量的治疗尽快送达患者。

3. 符合国际标准的专门监管程序

中国状况分析

中国在细胞和基因治疗方面取得了快速进展。一些医院几年前开始进行首次临床试验，据报道，目前中国针对各类疾病的细胞和基因疗法的临床试验已超过 100 项。

然而，监管部门最近才颁布具体的指导原则，以规范具有未知安全风险的新疗法领域的药物测试以及临床试验。例如，中国国家食品药品监督管理局在 2017 年颁布了“细胞治疗产品研究与评价技术指导原则”，迈出在这一快速变化领域提供监管指导的第一步。该指南涵盖了与细胞疗法相关的许多方面，但没有特别针对基因疗法。对这些疗法的生产和运输中所用原材料必须达到的标准，该指导原则未给予详细的说明。此外，该指导原则要求所有试剂和耗材都要注册，这会花费大量时间，并可能延误治疗药物的生产、开发和审批。

另外，中国对于先进疗法还未建立专门的注册通道。目前情况下，注册细胞和基因治疗产品有两种选择：或通过中国国家药品监督管理局注册，该

部门将疗法作为药物进行注册和管理；或通过国家卫生健康委员会注册，将疗法作为一种医疗技术。这种情况可能会使质量参差不齐的产品进入市场。

诺华的建议

将患者的基因材料进行改造，再将改造后的细胞植入患者体内，存在独特的风险。因此，在采用这类疗法之前，需要对其安全性和有效性进行严格评估；企业应该依照专门的监管框架获得上市许可。为了推动细胞和基因疗法的有序发展，建立合适的注册制度，诺华建议中国国家药品监督管理局为先进疗法建立一个类似于欧洲药品管理局“先进疗法药品法规”的专门框架。

该框架的核心应该：

- 通过专业机构工作人员向临床研究发起者提供科学建议，支持临床研究计划的开展，以克服研究用药品特征描述和临床试验设计方面的难题，包括与患者群体较小相关的各项考虑。
- 按国际标准制定批准后风险管理规划的标准，从而能在很长一段时间内对接受治疗的患者进行安全性监控。
- 规定对监管人员进行持续培训，使其能从患者利益出发，对开发项目和注册文件做出最明智的决策。
- 允许在中国境内豁免产品的质量检测，因为在产品生产点已经过了严格的质量检测。欧洲药品管理局和日本的医药品和医疗机器综合机构豁免此类质量检测。

- 按国际标准对患者血细胞制备或运输过程中所使用的原材料制定指导原则。管理部门还可以考虑建立过渡性或加速程序，以便让尚未在中国注册的材料能够得以使用。
- 由国家药品监督管理局采用完整的正式上市许可流程（包括高品质控制措施），对细胞和基因治疗产品进行分立注册，并考虑优先审查之外的加速注册路径。

由于许多患者病情危重，因此中国管理部门也可以考虑采取过渡性措施，使患者尽快获得治疗药物，例如：对细胞和基因疗法给予临床试验豁免，或作出批准后承诺。让患者早日获得药物的另一个方法是，建立一个能在药物获得上市许可或医保决策之前将药物提供给患者的体制。例如，在法国，通过事先获得临时使用许可，患者可以使用未获得上市许可且未经过临床试验的药品。⁵

小结

在建立一个顾及细胞和基因疗法特殊性的成熟监管框架的过程中，基本要素包括：

- 建立一个综合性的框架，确保细胞和基因疗法生产和运输过程的高质量标准。
- 为人体细胞和相关材料的出口和再进口制定清晰透明的程序，为患者提供快速、安全的临床试验和治疗。
- 按照国际标准，对临床试验和注册提出相关要求，以最大程度确保患者的安全。

⁵ https://ansm.sante.fr/var/ansm_site/storage/original/application/cadfbcf9594614d59c8915670853a28b.pdf

- 按照国际通行要求，执行风险管理计划和批准后的安全监督。
- 让危重症患者更快获得药物，例如：通过专门的注册通道、临床试验豁免或提早准入方案。

（二）满足患者护理的特殊需求

实施细胞和基因治疗，会是一个非常复杂的过程，包括许多关键步骤，需要特定的技能和经验。除了上述困难之外，许多医疗专业人员还可能没有足够的经验来正确诊断罕见疾病。借鉴患者的经验和见解，可以有助于解决以上两方面难题。

1. 为细胞和基因疗法的实施做好专业技术人员和基础设施方面的准备

中国状况分析

在中国，患者很少参与表达其自身需求。一个例外是参加中国罕见疾病组织（CORD）的患者。该组织成立于 2013 年 6 月，致力于促进罕见疾病患者与相关组织、医学专家、制药公司和政府机构之间的交流与合作。在细胞和基因治疗领域，加强患者参与有助于作出更好的决策。

一些细胞和基因疗法对医院基础设施有严苛要求，例如：要求邻近相关科室和合适的设备；要求某些紧急药物可随时取用；要求医院医护人员具备某些技能、接受相关培训。目前，对于有意从事这类疗法的医院，尚未制定出相关指导原则。

此外，美国和欧洲的经验表明，所有接受过先进疗法治疗的患者都应进行患者登记。中国尚未建立成熟的基于疾病类型的患者登记系统，但于最近推出了针对所有新化合物疗法（包括细胞和基因疗法）一个批准后登记系统——“批准后强化安全监测”。然而，该登记系统仅侧重于安全数据的收集，并且对数据收集方法或数据格式没有特定要求。

诺华的建议

二十多年前，欧洲药品管理局认识到与患者的合作非常重要，特别是要收集真实体验，以促进有关药物和监管决策的科学讨论。诺华在整个药物开发过程中倾听患者群体的意见。这种合作使我们能够提供最有效的治疗方法，并设计出相应的配套服务。诺华建议中国可考虑采用类似的方法来了解患者的需求，例如：支持创建患者组织，并让其参与监管流程。诺华还与多学科的临床专家团队合作，以现有知识为基础，加速新药的研发，提升患者护理水平。

患者的安全至关重要，因此诺华公司提出一系列措施建议，以确保患者的安全治疗，应对潜在的不良副作用：

- 与当地卫生部门合作建立适当的认证体系，以便对医疗服务人员或机构进行资格认证。该体系可以以医学界、制药业和患者等所有利益相关方共同制定的指导原则为基础。
- 为有意从事细胞和基因治疗的医院或临床护理单位提供充足的资源。这应包括：足够数量训练有素的人员，以及与每种疗法各个步骤所必需的设

备和工具。此外，设备精良的急诊部和紧急药物充足的医院药房应该全天候待命。

- 规定细胞和基因治疗仅由相应领域的医疗专家来施行。医院团队的成员也应该能够尽早发现任何不良反应的迹象，并能够立即采取措施。

由于细胞和基因治疗产品通常使用起来很复杂，因此诺华还建议中国建立一种机制，让国内外的医学专家能够交流信息和经验。这种机制的一个很好的例子是欧洲参考网络（ERN）⁶，这是一个连接整个欧洲医疗服务提供商的虚拟网络。该系统旨在简化对复杂或罕见疾病和病症的讨论；这类疾病和病症的治疗需要高度专业化治疗，以及丰富的知识和资源。这样的交流网络可以帮助中国专科医生确保为患者提供最佳治疗。在此背景下，中国国家卫生健康委员会有意为制定国内首个针对罕见疾病的专门治疗指南，并建立一个治疗网络和“患者登记系统”，诺华对此充满期待。

我们建议，在设计“患者登记系统”时，按疾病类型进行分类，并涵盖全国所有医院的所有患者。该系统应该包括安全性信息之外的数据栏，例如：长期效果。此外应明确定义数据的输入格式，为个体患者创建数据集，使医疗机构能够跟踪患者情况，以便采取后续措施。对于拥有类似登记系统的团体之间的国际协调与合作，应给予支持。

小结

细胞和基因治疗要取得成功，适当的医院基础设施和充足的资源起到至关重要的作用。核心要素包括：

⁶ https://ec.europa.eu/health/ern_en

- 与患者讨论其医疗需求，以促成明智的监管决策。
- 为从事细胞和基因治疗的医疗保健专业人员和医院提供标准和要求方面的指导（包括必要设备、技能和培训），以确保患者护理的质量和安全。
- 强制要求将所有患者按特定的疾病类别进行登记（包括接受细胞和基因治疗的患者），从而提高透明度，并进行更好的监督。

（三）改革患者用药可及性模式

用细胞和基因疗法治疗的疾病，仅影响到为数不多的患者，但却会给这些患者及其家人带来沉重的负担。随着高度创新的先进疗法（例如细胞和基因疗法）的不断发展，我们迫切需要找到最合适的支付和资助模型，以便将这些疗法提供给患者。

1. 引入灵活的支付模式

中国状况分析

在过去几十年，中国政府在医疗改革方面取得了显著成就，特别是在医疗保险方面。现在基本实现了全民医疗保险覆盖，主要包括城镇职工基本医疗保险、城镇居民基本医疗保险、以及新型农村合作医疗保险。根据 2017 年国务院发布的《中国健康事业的发展与人权进步》白皮书，到 2016 年底，全国基本医疗保险覆盖已超过 13 亿人——覆盖率超过 95%⁷。在中国，尽管全民基本医疗保险覆盖已基本实现，但创新疗法的自费支出仍然很高。2017 年国务院该白皮书还指出，基本医疗保险的报销比率在过去几年大幅提高；其中城镇住院报销率为 70–80%，农村住院和门诊报销率分别为 80% 和 50%。

⁷ http://english.scio.gov.cn/2017-09/30/content_41672354_6.htm

最近，政府通过价格谈判努力提高患者的负担能力和创新性肿瘤治疗的可及性，这一努力受到广泛的欢迎。最近中国开展的全国药品价格谈判，并随后在国家医保药品目录中纳入精选创新药物，这为创新药物的扩大市场和医保覆盖提供了新的可能性。这项谈判有望开创一个新的时代：生产商在一个更广大的医保市场中运营，同时中国患者可以进一步减负。在过去两年中，中国人力资源和社会保障部（现“国家医疗保障局”）通过由临床、制药、卫生经济学和药物经济学专家组成的全国专家委员会的投票，更新了国家医保药品目录。中国政府正在研究制定一个国家医保目录更新的新框架，目标是创建一个更具动态的流程，以实现国家医保目录的更频繁的动态更新，并定义更明确的标准来，将真正的创新药物与其他药物区别开来。这些举措非常必要，并受到了广泛的欢迎。这种基于价值的药物评估方法将在今后的国家医保目录更新中得以体现。

诺华的建议

细胞和基因疗法可以为患者带来巨大好处，降低总体成本和疾病负担，最终使患者在自身和护理人员共同努力下重返健康和富有成效的生活。报销和医疗卫生系统政策需要改革，以适当地认可、容纳及奖励这些变革性疗法。专注于这些疗法所提供的价值，并将资源划拨于那些给医疗保健系统带来最高价值的干预措施，可以提高效率，并不断地激励高价值解决方案。其他需要考虑的因素包括：大多数细胞和基因疗法都是一次性治疗，具有疾病治愈的潜力；相对较少的患者需要这些先进疗法。

诺华公司认识到，对于有治愈潜力的治疗性细胞和基因疗法，即使其价格被认为具有成本效益，还是会给患者造成不小的经济负担。为了解决这个问题，我们正在使用真实世界证据来试行这样的支付模型——支付方只根据

实际的临床结果支付费用。例如，诺华公司与美国医疗保险和医疗补助服务中心就我们的 CAR-T 疗法 Kymriah 开展了一项新的合作；只有当患有急性淋巴细胞白血病的儿科和年轻成人患者在接受治疗一个月内对治疗有应答的情况下，才向医疗机构支付费用。

诺华正与各政府共同探讨的其他灵活支付模式还包括：基于结果的担保，以及年金支付。

2. 考虑替代性出资模式

中国状况分析

除了进一步扩大公共报销范围外，中国还开始研究其他出资模式，包括：

- **商业保险：**面对医疗负担和医疗不公平等问题日益加剧的难题，中国政府近几十年来开始推广商业健康保险，并出台了一系列政策，为其发展创造有利环境⁸。然而，商业健康保险的发展仍处于早期阶段，特别是因为人们对保险的概念和好处认识不够。
- **统筹基金：**一个例子是 2012 年由国家发展和改革委员会、卫生部和其他四个部委发布的《关于开展城乡居民大病保险工作的指导意见》中提出的针对危重疾病的大病保险。该模式减轻患者及其家属面临的疾病经济负担，避免患者家庭因巨额医疗支出而陷入绝境。这种保险的实施在各省之间是有差异的。然而，2016 年，大病保险已覆盖了超过 10 亿城乡居民，根据各省政策，实际报销比例提高了 10% 至 15%。

⁸ www.hindawi.com/journals/bmri/2018/3163746/

多种细胞和基因疗法有可能取代费用昂贵、耗费人力的长期护理，通过一次性治疗，实现治愈。然而，这些创新性高价值疗法的前期成本高于常规疗法，因为在出资模式方面给业界和支付方提出了新的难题。

诺华的建议

将高度创新的先进疗法（如：细胞和基因疗法）纳入中国基本医疗保险范围并不是唯一的可行的选择。中国政府也可以考虑商业保险或统筹基金等模式。每个出资方案都需要一个框架，对有关标准和程序步骤给出详细指导，并明确界定相关角色和责任。

为了改造患者资助模式，需要让所有利益相关方进行一次讨论，包括：中国国家医疗保障局、支付方、医疗保健专业人员和制药行业。相关问题包括：

- 支付款项应该由基本医疗保险还是商业保险计划来覆盖？
- 对于有可能完全治愈的一次性治疗，应该采取何种适当的支付模式来支付高昂的前期费用？
- 由于这些治疗可能是由数量极少的专科医院承担，是否可考虑与医院个别签订合同？

在进行该项讨论的同时，还需要努力增强普通民众对健康保险相关概念和特定保险方案的认识和教育。这种教育举措将提高保险的普遍可接受性，从而扩大医疗保险对疾病的覆盖。

小结

资金问题是患者获得细胞和基因治疗的一个主要障碍。应采取以下措施来克服这个障碍：

- 建立灵活的支付机制，考虑细胞和基因疗法对患者和医疗机构的价值。
- 发展替代性的出资模式，以确保患者能获得细胞和基因疗法的显著益处（这些患者可能没有其他治疗选择）。出资模式可以包括商业健康保险和统筹基金（如：大病保险）。

三、结论

细胞和基因疗法可以为广泛的疾病领域提供有效的创新解决方案，包括免疫缺陷疾病、癌症、神经、血液和眼睛疾病等领域。这些疗法疗效持久，并且可通过解决疾病基因层面的根本病因，达到治愈。为使这些先进疗法造福患者，需要创新的政策解决方案，以及企业、政府管理部门、专业医疗服务机构之间的密切合作。

细胞和基因疗法的开发和应用是医学界的一个快速发展的领域。我们正在积累这方面的经验，制定相关监管标准。参与这一新领域，能为中国提供绝好契机，塑造有利的政策环境，并成为国际社会中该领域的思想领袖。诺华致力于与中国政府、监管机构、医疗机构及支付方合作，建立最佳的监管框架和支付模式，为患者提供及时且负担得起的治疗方法。该框架的实施将帮助中国在其不断推进的医疗改革过程中，实现其既定目标，并造福患者。