

提升治疗可负担性是促进细胞和基因疗法 高质量发展的关键

武田制药

摘要

细胞和基因疗法是生物医药领域的前沿创新疗法，在治愈率、有效率及安全性方面的表现尤为突出，展现出巨大的发展潜力。然而，当前技术转化落地的最大矛盾集中于少数高值细胞和基因疗法药物的可及性、可负担性难题。解决这一难题具有深刻的社会意义与时代价值，能够提升健康公平，实现中国健康产业从“跟跑”到“领跑”的转型升级，并为其他国家提升医疗可及性提供了可借鉴的解决方案。

中国在提升创新药可及性方面已经取得了长足的进步，但在部分领域仍有改善空间。中国尚未构建完善的细胞和基因疗法多元支付体系，基本医疗保险、医保专项基金与商业保险均无法独立报销其治疗费用。至今，尚无细胞和基因疗法药物通过医保谈判纳入国家医保药品目录，无法使用基本医保报销；多地虽已设立细胞和基因疗法专项基金，但主要用于技术研发与产业化，对支付支持有限；细胞和基因疗法虽被纳入多款商业健康保险，但存在覆盖率低、赔付不足及不可持续等问题。国内虽有按疗效支付等创新支付实践，但风险主要由患者及药企共担，其他支付方未有效分摊风险。

全球经验表明，以公共保险报销为主，辅以专项基金和商业健康保险，为细胞和基因疗法等高值创新产品进行支付，能够有效解决治疗的可负担性。使用基于疗效支付等创新支付方式进行风险共担，能够有效降低支付方基金的支付压力和风险。

结合国际经验与中国的现状，报告从建立多元支付体系、探索创新支付方案等方面提出建议，希望可以帮助中国建立健全多层次医疗保障体系，进一步提升细胞和基因疗法的可负担性。

- **搭建细胞和基因疗法多元支付体系。**强化创新药多元支付顶层制度设计与执行，明确细胞和基因疗法多元支付的筹资来源，确保基本医保有所作为。充分发挥医保丙类目录支持高值创新药的作用。建立政府主导的创新药支付专项基金。引导商业健康保险高效支付细胞和基因疗法。

- **探索创新支付方案进行风险共担。**通过按财务和按疗效支付进行风险共担，高效管理基金支出风险。

- **优化卫生技术评估制度。**在价格测算过程中，坚持鼓励真创新的原则，清晰科学地基于证据和价值定价，加速细胞和基因疗法纳入国家基本医疗保险。

- **地方先行先试。**鼓励具有产业基础、政策配套及监管能力的地方先行先试，为构建全国细胞和基因疗法多元支付体系积累宝贵经验。

一、前言

细胞和基因疗法是生物医药领域的前沿创新疗法，是继小分子和大分子靶向疗法之后的新一代精准疗法，可通过修复致病机制实现“一次治疗、终身受益”，在治愈率、有效率及安全性表现尤为突出，且具有技术迭代快和可个性化定制等独特优势，展现出巨大的发展潜力。

截至 2023 年底，全球已批准 76 款细胞和基因疗法药物上市，较 2013 年累计获批产品总量翻了一番。¹2016 年至 2020 年全球和中国细胞和基因疗法市场分别从 5000 万美元、200 万美元增长到 20.8 亿美元、300 万美元。预计 2025 年全球和中国市场规模将达到 305.4 亿美元和 25.9 亿美元。²在研发和临床试验方面，截至 2023 年 6 月，全球生物制药行业管线中共有 3771 种在研细胞和基因疗法药物。³临床试验主要集中在美国、中国、英国、欧盟、日本。其中，中美两国的试验数量最为领先。截至 2023 年 3 月，中美两国完成的基因疗法药物临床试验数量分别为 651 和 2054 项。⁴

近年来，国家高度重视细胞和基因疗法，已做出多项战略部署，推动行业高质量发展。细胞和基因疗法被纳入《“十四五”规划和 2035 年远景目标纲要》和《“健康中国 2030”规划纲要》等多项国家战略，以及《“十四五”生物经济发展规划》等多个五年规划，体现了国家支持医药创新提升国民健康的战略方向。2024 年，国家继续扩大细胞和基因疗法行业对外资

1 中国医药创新促进会（PhIRDA）. 深度！细胞和基因疗法发展趋势报告出炉。

https://www.phirda.com/artilce_34643.html

2 弗若斯特沙利文. 《中国细胞与基因治疗产业发展白皮书》:44

<https://img.frostchina.com/attachment/2022/08/09/qVBJ8JRGsXFFwQtK4N5qVE.pdf>

3 Chancellor, D., Barrett, D., Nguyen-Jatkoe, L., Millington, S., & Eckhardt, F. (2023). The state of cell and gene therapy in 2023. *Molecular Therapy*, 31(12), 3384.

<https://www.cell.com/action/showPdf?pii=S1525-0016%2823%2900602-0>

注：管线中 3771 种细胞和基因疗法包括细胞、基因和 RNA 疗法，且分类并不互斥。

4 Ginn, S. L., Mandwie, M., Alexander, I. E., Edelstein, M., & Abedi, M. R. (2024). Gene therapy clinical trials worldwide to 2023—an update. *The Journal of Gene Medicine*, 26(8), e3721:24

<https://onlinelibrary.wiley.com/doi/am-pdf/10.1002/jgm.3721>

开放，促进国际合作，行业迎来新的发展机遇。基于创新药研发长周期、高风险和高投入的特点，2024年7月国务院常务会议审议通过《全链条支持创新药发展实施方案》，在国家顶层设计层面，从创新药发展生态要素上，提出支持创新药高质量发展各项政策协同，支持创新药良性循环与发展。

作为全球科技与产业竞争的重要新赛道，细胞和基因疗法行业将在政策支持和技术创新的推动下快速发展，助力生物医药产业跃升新高度，推动医药生态圈变革，领航全球医药新方向。

二、提升细胞和基因疗法可负担性的意义

细胞和基因疗法已成为突破传统医学边界的颠覆性技术。然而，当前技术转化落地的最大矛盾集中于可及性与可负担性难题，解决此难题具有深刻的社会意义与时代价值。

保障细胞和基因疗法可负担体现了健康公平。由于治疗成本高、产品难以实现批量生产，加之市场规模有限，国家基本医疗保险尚且无法对其覆盖，创新产品的商业化进程和患者可负担性必然受到影响。通过政策调控、技术创新和医保覆盖等手段降低治疗成本，能够确保更多患者平等享有健康权益，避免因经济差异造成“生命权鸿沟”。这是健康公平的体现，有助于缩小城乡、区域间医疗差距，为共同富裕目标的实现提供支撑。

提升细胞和基因疗法可负担性能够助力健康产业发展。解决治疗支付问题将大幅释放市场需求，促进产业良性竞争，鼓励企业在研发和生产上进行技术创新，推动产业链上下游协同发展。同时，可负担性提升将吸引更多资本与人才涌入生物医药领域，促进产学研深度融合，推动国内细胞和基因疗法突破技术壁垒，最终实现健康产业从“跟跑”到“领跑”的转型升级。

保障细胞和基因疗法可负担还有助于提升中国的全球影响力。在人口老龄

化与医疗费用负担加剧的全球背景下，中国通过制度创新，构建细胞和基因疗法创新支付体系，既能展现“健康中国”战略的实践智慧，也为其他国家提升医疗可及性提供了可借鉴的解决方案。

三、国外细胞和基因疗法支付模式与经验

全球经验表明，不同国家和地区的细胞和基因疗法支付模式根据当地医疗体系和医保制度有所差异，但多以公共保险报销为主要筹资模式；部分国家和地区设立了专项基金为细胞和基因疗法等高值创新产品进行支付。支付方式上，国外多使用基于疗效支付等创新支付方式进行风险共担，降低支付方基金的支付压力和风险。

表 1 国外细胞和基因疗法筹资模式

筹资模式	资金来源	案例
公共保险基金	税收、公共保险保费	英国
专项基金	财政拨款、社会捐赠	英国、俄罗斯

表 2 国外细胞和基因疗法支付方式

风险共担类型	支付方式	案例
按疗效共担	按疗效支付、按真实世界数据支付	英国、巴西
按财务共担	制定药物支出预算总额、报销患者人数及用量上限、量价协议、折扣和返利	巴西

（一）公共保险基金支付为主导

法国、德国、意大利、西班牙和英国等发达国家的卫生健康系统主要采取单一支付方，即公共健康保险覆盖所有或绝大多数居民。细胞和基因疗法

与其他高值创新药品均可纳入公共医保基金报销。

以英国为例，英国国家医疗服务体系（National Health Service）为居民提供免费的医疗服务，医疗的各项开支由国家税收支付。2018年，英国国家医疗服务体系宣布报销嵌合抗原受体 T 细胞（CAR-T）疗法药物 Kymriah（tisagenlecleucel）用于治疗复发或难治性 B 细胞急性淋巴细胞白血病（ALL）。⁵此外，支付方要求药企持续收集真实世界数据，用于未来卫生技术再评估并调整支付标准。⁶

（二）建立专项基金为高值创新药进行支付

部分国家和地区建立了独立于公共保险基金之外的专项基金，用于细胞和基因疗法与其他高值创新药品的专项支付。专项基金筹资来源多为财政拨款，专款专用，一些专项基金也接受社会捐款。

以英国为例，英国国家医疗服务体系建立了创新药物基金（Innovative Medicines Fund），专门为治疗罕见病和遗传疾病的高值创新药进行医保准入前支付。Hemgenix 是一款用于治疗成年 B 型血友病的基因疗法。2024 年，英国国家医疗服务体系与提供 Hemgenix 的药品企业签订协议，为产品提供全民医保准入前支付。⁷

俄罗斯卫生部于 2021 年成立“善意圈”基金（Circle of Kindness），专门为罹患严重疾病，特别是罕见病的儿童患者提供治疗。俄罗斯财政部门将国内所有高收入人群（年收入超过 500 万卢布，约 37.5 万人民币）个人所

5 Pharmaceutical Technology. NHS to fund Europe's first CAR-T childhood cancer treatment. September 6, 2018. <https://www.pharmaceutical-technology.com/news/childhood-cancer-treatment-nhs-fund-car-t/>

6 Jørgensen, Jesper, and Panos Kefalas. The use of innovative payment mechanisms for gene therapies in Europe and the USA. *Regenerative medicine* 16.4 (2021): 410.

<https://www.tandfonline.com/doi/pdf/10.2217/rme-2020-0169>

7 NHS England. Welcoming a new era of innovative treatment for haemophilia patients.

<https://www.england.nhs.uk/blog/welcoming-a-new-era-of-innovative-treatment-for-haemophilia-patients/>

得税的 2%专门用于资助基金会。⁸2021 年，基金会以每针 1.6 亿卢布（约 1200 万人民币）的价格购买了 21 针用于治疗脊髓性肌肉萎缩（SMA）的 Zolgensma 基因疗法药物，为符合适应症的儿童患者提供了治疗。^{9 10}

（三）采用创新支付方式进行风险共担

目前细胞和基因疗法的疗效存在不确定性，缺少足够的真实世界数据证明治疗成本与长期收益之间的关系，国外支付方普遍采取创新支付方式进行风险共担，降低支付资金风险，有效控制成本。根据机制不同，风险共担主要分为按财务和按疗效共担。

按财务共担风险通过制定药物支出预算总额、报销患者人数及用量上限、量价协议、折扣和返利等形式直接控制高值药品支出对支付方资金的影响。

按疗效共担风险的常见形式为支付方同药企达成协议，若药物未达到约定的疗效，药企需向支付方提供折扣、退款或降价。此外，支付方还可要求药企收集并提供药物治疗的真实世界数据，用于调整未来药品定价和报销标准。

以巴西为例，巴西卫生部与提供 Zolgensma 的药品企业于 2022 年达成协议，以每针 570 万巴西雷亚尔（约 720 万人民币）的价格采购此基因疗法药物为患者提供治疗。协议规定巴西卫生部向药企每年支付药价 20% 的费用，分五年付清所有费用。药企在患者开始接受治疗时收到首款，卫生部定期对患者治疗效果进行评估，只有在药物达到约定疗效的情况下，药企才会收到剩余四期付款。协议还约定了巴西卫生部在协议头两年内最多采购 250 剂 Zolgensma 的上限，并要求药企在必要情况下额外无偿提供 40 剂药物。

8 Circle of Kindness Foundation. Funding of the Circle of Kindness Foundation.

<https://circleofkindness.ru/funding/>

9 GxPnews. The Circle of Kindness has expanded the age limits for the use of Zolgensma. December 10, 2021. <https://gxpnews.net/en/2021/12/the-circle-of-kindness-has-expanded-the-age-limits-for-the-use-of-zolgensma/>

10 TASS. Russian Health Ministry registers Zolgensma medication for spinal muscular atrophy. December 10, 2021. <https://tass.com/society/1373443>

此外，协议要求药企提供每剂价格 3%（17 万巴西雷亚尔，约 21.5 万人民币）的折扣，专门用于支持全国新生儿脊髓性肌肉萎缩筛查。¹¹

四、国内细胞和基因疗法支付现状及可负担性挑战

（一）国内细胞和基因疗法支付现状

普惠型商业医疗保险是近年来兴起的新险种，由政府和市场共同参与。其中大部分普惠型商保设立了单独的特药责任为医保目录外的高值药品提供保障，是细胞和基因疗法支付的重要途径。以国内市场占有率最高的某款 CAR-T 产品为例，2023 年全国接受 CAR-T 治疗的患者中，三成使用了城市定制型商业医疗保险（惠民保）报销，一成使用其他商业健康险支付，其余主要由患者自费支付治疗费用。¹²

中国尚未构建完善的细胞和基因疗法多元支付体系，国家基本医疗保险、医保专项基金与商业保险均无法独立报销其治疗费用：目前，尚无细胞和基因疗法药物通过医保谈判纳入国家基本医疗保险药品目录，无法使用基本医保报销；多地虽已设立细胞和基因疗法专项基金，但主要用于技术研发与产业化，对支付支持有限；细胞和基因疗法虽被纳入多款商业健康险，但存在覆盖率低、赔付不足及不可持续等问题。在风险共担方面，国内虽有按疗效支付等创新支付实践，但风险主要由患者及药企共担，其他支付方未有效分摊风险。

（二）细胞和基因疗法纳入国家医保受限

尽管医保谈判日渐加大对前沿创新、弥补临床空白产品的倾斜力度，但

11 Guimarães, Reinaldo. New challenges in health technology assessment (HTA): the case of Zolgensma. *Ciência & Saúde Coletiva* 28 (2023): 1881-1889. <https://www.scielo.org/article/csc/2023.v28n7/1881-1889/en/>

12 财新周刊（2024）. 细胞疗法突破实体瘤.

https://weekly.caixin.com/2024-06-01/102202234.html?originReferrer=caixinsearch_pc

基本医保的筹资水平仍然有限。“保基本”的特征和“以收定支，收支平衡”的运行原则限制了其支付能力。医保谈判过程中，医保部门组织专家对谈判药品进行卫生技术评估。然而，目前国内对创新药有效性、创新性、经济性和公平性的医保准入评价指标内涵定义仍然不够清晰，评价上趋于主观和定性。相关产品纳入国家医保有可能因此遇到挑战。

首先，细胞和基因疗法药物经济学评价的参照方案选择存在真空。目前医保部门规定参照药品“原则上应为同治疗领域内临床应用最广泛的目录内药品”。¹³然而，部分细胞和基因疗法药物，特别是用于治疗罕见病的产品，目标患者少、替代治疗方案有限、成本效益普遍较低。因此，参照药品选择可能存在困难。

其次，细胞和基因疗法的评估受到传统预算影响分析模式的限制。医保基金预算影响分析采取年度评估，这种评估方式适用于治疗成本随时间分摊且变化幅度较小的卫生技术。然而，细胞和基因疗法多为一次性疗法，通常需要在治疗初期单次集中支出高额费用，而后续治疗的费用支出显著小于初期。这一治疗特点意味着细胞和基因疗法不适用于传统的年度预算影响分析。

另外，细胞和基因疗法的卫生技术评估仍然缺少充足的临床数据支持。目前治疗可负担性低，接受治疗的患者数量少，未产生足够的临床数据用于证明治疗的临床和经济价值。国内尚未建立系统的细胞和基因疗法真实世界数据收集系统，并缺少真实世界数据医保应用的制度设计。

（三）地方积极探索专项基金，但国家层面实践不足

2024年以来，国内重点生物医药产业集群陆续设立细胞和基因疗法专项基金，但鲜有针对支付环节的投入。例如，由深圳市政府牵头成立的细胞

¹³ 国家医疗保障局. 2024年国家医保药品目录调整申报材料（公示版）.
<https://www.nhsa.gov.cn/attach/Ypsn2024/YPSN202400030/YPSN202400030.pdf>

和基因产业投资基金，主要投向技术研发等领域。¹⁴北京市医药健康产业投资基金和上海生物医药产业股权投资基金也将细胞和基因疗法的研发及产业化作为重点投资领域。¹⁵¹⁶虽然有望通过降低成本间接解决支付问题，但目前专项基金对终端支付的直接作用有限。

在高值罕见病支付领域，部分地区的专项基金试点已经形成具有创新价值的模式。例如，浙江省级罕见病用药保障专项基金已成功对年人均花费250万元的某罕见病特效药进行支付。此专项基金在省级医疗保险基金财政专户中下设独立子账户，按每年每人2元标准，一次性从大病保险基金中筹款。该省医疗保障局通过“专家论证、价格谈判、动态调整”的方式，循序渐进地将药物纳入保障范围。通过分段报销和自付封顶来减轻患者负担。¹⁷此模式虽尚未覆盖细胞和基因疗法，但为构建风险共担体系提供了有价值的参考。

（四）现有商业健康险对细胞和基因疗法支付不足

近年来，在政策和市场需求推动下，更多以惠民保为代表的商业健康险开始报销CAR-T疗法等细胞和基因疗法。例如，上海“沪惠保”已经累计为CAR-T产品赔付3300万元。¹⁸但整体来看，商业健康险对创新药的总体支付水平仍然较低。2023年商业健康险对创新药支付总金额为74亿元，仅占创新药市场规模的5.3%。其中，惠民保支出占15亿元，约占创新药总支

14 深圳市财政局. 关于公开遴选深圳市细胞与基因产业基金管理机构的公告.

http://szbmpa.cn/xyqy/info_39.aspx?itemid=4090

15 北京市人民政府. 北京市医药健康产业创新发展情况.

<https://www.beijing.gov.cn/shipin/zhuantishipin/24674.html>

16 上海市科学技术委员会. 上海市促进基因治疗科技创新与产业发展行动方案（2023 - 2025 年）.

<https://www.shanghai.gov.cn/nw12344/20230919/156c4c9972bf402ab8e6b0e70ab93383.html>

17 蔻德罕见病中心, et al. 浙江罕见病保障专项基金模式分析. <http://www.cord.org.cn/news/550.html>

18 上海市人民政府新闻办公室. 2024 年 3 月 1 日市政府新闻发布会问答实录.

https://www.shio.gov.cn/TrueCMS/shxwbgs/2024n_3y_wdsl/content/4dc52afb-e215-4fed-ba70-594fb79c03b6.html

出 1.1%。¹⁹商业健康险对细胞和基因疗法的覆盖及保障仍存在以下不足：

商业健康险参保率低，筹资规模有限。截至 2024 年，健康险市场保费规模为 9773 亿元，但就《关于促进社会服务领域商业保险发展的意见》中提出 2025 年商业健康险市场规模“超过 2 万亿”的规划目标，还相距甚远。

²⁰ ²¹全国惠民保 2023 年总参保人次仅 1.68 亿，平均参保率不足 20%，个别地区低于 5%，²²且仍有 199 个城市存在惠民保产品缺口。²³

另外，赔付比例与机制存在不足。低保费模式的惠民保为了控制成本，会对 CAR-T 等创新产品设置显著偏低的既往症赔付比例。其次，由于惠民保多为“一城一策”，部分地市医疗机构不具备提供细胞和基因疗法的条件，约三分之二的惠民保都不包含 CAR-T 责任。²⁴ ²⁵此外，部分商业健康险参保人认为报销流程繁琐²⁶，“先自费后报销”加剧患者负担。

商业健康险的设计运营存在可持续性风险。商业健康险需平衡参保率和赔付率，以实现盈利和良性发展，具有一定公共产品属性的惠民保也不例外。目前惠民保“一年一续”，健康投保人或因获得感低而不再续保，导致非健康投保人占比上升推高赔付率。保险公司为确保盈利可能提高保费或缩小保障范围，例如不再承保 CAR-T 等高值药品，这会进一步削弱参保意愿，形

19 波士顿咨询公司, et al. 《中国商业健康险创新药支付白皮书（2024）》:12-13

20 国家金融监督管理总局. 2024 年 12 月全国各地原保险保费收入情况表.

<https://www.nfra.gov.cn/cn/view/pages/ItemDetail.html?docId=1197408&itemId=954>

21 中国银保监会等十三个部门. 《关于促进社会服务领域商业保险发展的意见》.

https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/2020-03/26/content_5495737.htm

22 南开大学卫生经济与医疗保障研究中心，圆心惠保科技有限公司. (2024):3-4. 《惠民保发展模式研究报告(2024)》. 北京：南开大学卫生经济与医疗保障研究中心.

23 许闲 et al. 2024 年城市定制型商业医疗保险（惠民保）知识图谱. 复旦大学

24 中再寿险. (2024). 《惠民保的内涵、现状及可持续发展》:20. 北京：中再寿险.

25 南开大学卫生经济与医疗保障研究中心，圆心惠保科技有限公司. (2024):62. 《惠民保发展模式研究报告(2024)》. 北京：南开大学卫生经济与医疗保障研究中心.

26 人保健康, et al. (2024). 《中国商业医疗险发展研究蓝皮书》:61

成“死亡螺旋”。²⁷

(五) 国内尚未充分采取创新支付方式进行风险共担

国内细胞和基因疗法已出现分期付款和按疗效支付等创新支付模式。分期付款模式已推行数年，主要由药企独立运作或与金融机构合作，为患者提供分期支付服务，缓解了患者的即时支付压力，但治疗费用及相关成本仍主要由患者和药企承担。

国内已开始探索按疗效支付模式。例如，某 CAR-T 产品定价 120 万元，若治疗无疗效或未达预期，患者可获返还自费金额的一半。此模式提升了药品可及性，但也存在局限：一方面，医保等其他支付主体尚未参与疗效风险分摊，“高费用、低疗效”风险主要由患者和药企承担；另一方面，国内目前细胞和基因疗法临床数据有限，难以制定合理的治疗结果判断标准。²⁸

五、提升细胞和基因疗法可负担性的政策建议

(一) 搭建细胞和基因疗法多元支付体系

1. 强化创新药多元支付顶层制度设计与执行

解决细胞和基因疗法可负担性问题，是提升患者健康、推动医药技术进步并促进行业高质量发展的基础，需要国家层面的顶层设计和布局谋划，推动整体解决方案在多个政府部门中的执行。国内地方实践也证实了仅靠单方力量解决高值药品可负担性问题远远不够，以政府为主导的多层次保障势在必行，而国家医保在其中应充当主力角色。同时，还需要引导保险公司、医疗机构、慈善机构等多个利益相关方的积极参与和创新投入。建议明确细胞和基因疗法多元支付的筹资来源，确保基本医保有所作为，商业健康险和社

27 黄晟馨, et al. “嵌合抗原受体 T 细胞产品商业健康保险模式分析.” 世界临床药物 43.04 (2022): 363. <http://www.jwph.com.cn/CN/abstract/abstract1948.shtml>

28 财新. (2024, 1 月 12 日). 国产 CAR-T 试水按疗效付费 疗效不佳最高退费 60 万元. 财新网. https://www.caixin.com/2024-01-12/102155951.html?originReferrer=caixinsearch_pc

会筹资作为补充，提升创新药支付的筹资能力。探索并建立一套符合国情的细胞和基因疗法创新支付模式，构建清晰透明可操作的制度与流程，由政府牵头，多方共同协作落实与执行。建议参考厦门市通过整合政府、慈善及社会资源建立的重特大罕见病综合保障机制。²⁹

2.充分发挥医保丙类目录支持高值创新药的作用

2025年全国医疗保障工作会议明确提出研究探索制定丙类药品目录，促进创新药市场准入及支付，加速高值药品惠及患者。国家医保局目前尚未对丙类药品目录的制定流程给出明确指示，因此建议从药品遴选、筹资模式和支付标准等方面建立健全丙类目录管理规范。

在目录药品遴选方面，可参考各地惠民保特药目录，在此基础上进行梳理评估，准入条件应为高价值、临床亟需、无法替代，但对基金影响大的创新药。建议由国家医保局主导目录遴选和标准工作，充分平衡商保、患者和医药企业的利益及承受能力，形成全国层面统一的目录。同时，建议丙类目录实施动态管理，允许丙类目录药品通过谈判纳入谈判药品目录，之后再根据产品在市场表现，逐步纳入国家基本医疗保险乙类和甲类目录中。

在筹资方面，建议盘活职工医保个人账户资金，为丙类药品目录筹资。对于不同经济发展水平地区医保个人账户筹资的差异，建议通过中央财政补助来弥补，从而承担政府对重大疾病治疗上兜底的责任。随着丙类目录运作逐步成熟，可以考虑融合商保、慈善基金和专项基金作为兜底。

在支付标准方面，由于高值产品特点不一，具体支付协议可能无法统一。建议支付标准、报销比例、药品用量等可根据各地惠民保筹资水平来定。在确定每个丙类目录药物的价格和支付方式时，建议采取折扣返利、风险共担

²⁹ 国家医疗保障局. 福建厦门：盘活用好多方资源 重特大罕见病多元帮扶暖人心.
https://www.nhsa.gov.cn/art/2022/8/15/art_82_8852.html

协议的方式，合理制定报销比例、封顶、既往症要求，确保罕见病患者等群体能够公平地获得细胞和基因疗法报销待遇。

丙类药品目录亦可充当按病组和病种分值（DRG/DIP）支付制度框架下的一种附加药品目录。建议允许丙类目录内的高值创新药不占用 DRG 支付额度，且由政府严格把控费用支出，有效控制高值创新药给 DRG 支付制度带来成本压力，同时提升患者的高值创新药可负担性。

3.建立政府主导的创新药支付专项基金

建议由政府主导建立用于解决支付问题的专项基金，为细胞和基因疗法等临床数据尚不充足的突破性疗法提供支付。专项基金可在医保准入前提供过渡性支付，确保患者及时获得治疗机会，同时积累真实世界临床数据，为后续卫生技术评估提供证据支持。同时，临床反馈可指导研发优化，降低生产成本。

支付专项基金运营模式可借鉴罕见病基金，设立专款专用的独立核算账户，结合“专家论证、价格谈判、分段报销、动态调整”机制，平衡患者负担与基金可持续性。资金来源可参考地方试点从医保大病基金划拨的模式，或探索中央财政专项转移支付、从烟草税等公共健康相关税收中按比例定向拨款等，强化资金保障与社会责任共担。

4.引导商业健康险高效支付细胞和基因疗法

提升商业健康险对细胞和基因疗法的保障力度，需从三方面构建高效支付体系：提高保险覆盖率、优化赔付机制、增强产品可持续性。

建议推动试点惠民保与基本医保“强制捆绑，自愿退出”机制，利用基本医保的全民覆盖性扩大参保基数，在参保率低地区加强保险宣传和财政补贴。同时，优先在区域医疗中心配备细胞和基因疗法资源，并实现跨市就医

异地结算。

提高赔付效率，需推动医院、药企与保险公司数据直连，实现直接结算，减少患者垫付压力。同时，规定惠民保对高值疗法设定最低赔付比例，禁止保险公司通过模糊条款变相降低实际赔付。

提升商业健康险可持续发展，建议医保、专项基金及再保险等渠道合作，分担临床价值和治疗费用双高创新药的高赔率风险。完善数据共享机制，引导商保接入医保脱敏数据库，提升精算能力并动态调整保费，对连续参保的健康人群提供“无理赔折扣”，对团体参保提供税收优惠，吸引健康群体续保，稳定风险池，打破“死亡螺旋”。

（二）探索创新支付方案进行风险共担

实施财务和疗效风险共担能够有效管理基金支出风险。尤其是财务风险共担，通过预先约定基金支出总额的方式，帮助支付方规划预算并管理高值创新药品的合理使用。建议医保部门同药企达成协议，通过设定报销人数及用量上限、量价协议、折扣和返利等形式进行风险共担。

目前国内已开始实践按疗效支付。然而，治疗失败的风险更多是企业和患者双方承担。因此，需国家医保、专项基金、商保等支付方充分参与到细胞和基因疗法的风险共担中，建立科学合理的疗效评估标准，组织专家定期对患者开展临床结局评估，根据疗效确定支付标准。

（三）优化卫生技术评估制度，加速医保准入

建议医保目录调整继续保持鼓励真创新的导向，在价格测算过程中可更清晰科学地基于证据和价值定价，优化卫生技术评估制度，加速细胞和基因疗法纳入国家医保。

在卫生技术评估参照药品选择方面，建议引入差异化的准入评估规则，

对缺乏参照方案的药品豁免成本效果分析评估或放宽评估条件。针对细胞和基因疗法多为一次性疗法、不适用传统年度预算影响分析的特点，建议考虑使用长年限预算影响分析方法。针对临床数据不足的问题，建议加强真实世界数据医保应用的制度设计，推动真实世界数据应用成为细胞和基因疗法价值评估和医保价值购买的政策工具。

（四）支持地方先行先试，逐步提升可负担性

细胞和基因疗法支付尚处于前期探索阶段，地方试点可成为解决治疗可负担问题的重要路径，降低全国范围推广新政策可能带来的不确定性和风险。建议鼓励具有产业基础、政策配套及监管能力的地方带头探索多元支付体系的筹资模式和支付方式，并在地方开展真实世界数据积累与应用，为卫生技术评估提供证据支持。通过试点，收集公众和利益相关方的反馈，调整政策方向，提升社会认同感和政策可行性，为后续大规模推行创造良好的社会基础。