

“孤儿药”类精神药品管控完善路径研究

刘钦典 李 阁

湖南警察学院侦查系 湖南长沙 410000

摘 要: 以国内代购特殊精神药品被诉“贩毒”事件为切入点, 深入研究我国及国内外“孤儿药”类精神药品管控制度与路径差异, 剖析罕见病患者面临的困境内因, 探讨毒品管控热点问题, 研究我国管控体系存在的问题, 结合实际提出完善国内“孤儿药”类精神药品管控路径的建议。

关键词: “孤儿药”类精神药品; 管控问题; 完善路径

罕见病虽发病率低, 但我国庞大人口基数下, 约有 1680 万患者深受其害。稀有病防治及诊断类药物因其需求较低、研制成本较高而被誉为“孤儿药”, 鲜有制药企业涉足。(1983 年, 美国通过了《孤儿药法案》), 这是世界上第一个关于孤儿药物的法律。此后, 日本、澳大利亚和欧盟分别在 1993、1997 和 1999 年立法支持孤儿药^[1]。“孤儿药”用于防治罕见病, 却因需求低、研制成本高, 面临诸多困境。我国在“孤儿药”类精神药品管控方面存在不足, 部分患者因药品短缺, 通过境外途径获取药物, 甚至引发法律问题。因此, 完善“孤儿药”类精神药品管控路径迫在眉睫。

1 孤儿药类精神药品管控概述

1.1 孤儿药类精神药品的概念

罕见病具有发病率低、病情严重、诊断困难、误诊率高和治愈率低的特点。“孤儿药”这一称呼源于美国 FDA 清理药物目录时发现的无人问津项目, 体现了罕见病患者的艰难处境。据不完全统计, 目前我国罕见病患者已达 2000 万人, 截至 2018 年 9 月 1 日, 我国将 170 种新精神活性物质列入管制条例, 部分“孤儿药”类精神药品涉及其中, 涉及相关犯罪将依法处理^[2]。

1.2 孤儿药类精神药品的特点

1.2.1 管控性

新精神活性物质与列管药物化学结构相似, 有兴奋性、刺激性和成瘾性, 长期滥用危害健康。它与毒品在法律上有本质区别, 被管制后, 非法使用、走私等行为将受法律制裁。根据《中华人民共和国刑法》第三百五十七条规定, 刑法所称毒品, 指的是国家规定可以使人形成毒瘾的鸦片、海洛因、冰毒、吗啡、大麻、可卡因等麻醉药品和精神药品, 以及国

家规定管制的其他毒品^[3]。

1.2.2 复杂性

21 世纪初, 欧美等国新型精神活性物质广泛使用, 如芬太尼类药物毒性极强。我国对部分新型精神活性物质进行梳理管制, 其在合法管制后有相应法律规定, 但因其具有首次滥用和滥用危险性, 管理较为复杂。在此基础上, 新型精神药物被合法地加以管制后, 变成合法的药物, 在非法走私, 走私, 运输, 制造中, 存在滥用情况, 并带有危险性, 更为复杂。

2 我国“孤儿药”类精神药品管理和控制存在的问题

2.1 立法不完善

近年来, 我国医药领域法律保障制度逐步完善, 在孤儿药方面, 《中华人民共和国药品管理法》《基本医疗卫生与健康促进法》, 以及《药品注册管理办法》《新药注册专项审批管理规定》等法律法规均有所涉及。然而, 我国目前尚无专门针对孤儿药的法律, 现有法律法规中的相关规定较为零散, 难以构建起完善的孤儿药法律体系^[4]。2018 年我国公布了第一批涵盖 121 种罕见病的目录, 给患者带来希望。然而, 对比美国、欧盟、日本等地已上市 74 种罕见病治疗药物的情况, 我国孤儿药领域仍存在诸多问题^[5]。在国内, 有 9 种罕见病目前处于无治疗药物的状态。与此同时, 部分已有的罕见病治疗药物存在超出批准适用证范围使用的现象。再者, 13 种用于治疗罕见病的药品尚未被纳入医保支付体系之中。不仅如此, 即便有些药品已被医保覆盖, 却在进入市场环节面临诸多阻碍。总体而言, 我国在孤儿药立法保障方面仍存在不足, 导致实际操作困难, 未能充分实现相关法律法规的目的, 亟待完善。

2.2 研发生产引进困难

2.2.1 研发难题

孤儿药的研发难度相较于普通新药而言,存在着极大的挑战。虽然我国在近些年陆续出台了一系列的鼓励性政策,为孤儿药的发展构建了一定的基础框架,然而,其研发过程中投入的资金庞大、研发的周期漫长、面临风险巨大的特性依然极为突出。罕见病的患病人群范围较为狭窄,疾病治疗的难度颇高。在新药研发进程里,临床试验要求有充足数量的患者参与其中,但是单一病种的罕见病患者数量极为稀少,难以达到临床试验对患者数量的要求,这在很大程度上延长了新药的研发周期。而且,罕见病大多属于遗传性疾病,常常在儿童阶段就开始发病,这使得孤儿药临床试验在道德准则以及法律法规层面均面临着一定的风险隐患。除此之外,孤儿药研发的前端需要投入巨额资金,但是后端的药品市场却缺乏稳定可靠的保障机制,药企在此过程中往往需要承担沉重的经济压力。

2.2.2 市场失灵

我国的孤儿药产业目前仍处于发展的初级阶段,药企参与孤儿药研发以及生产的积极性普遍不高,这直接致使国内孤儿药产量较低、面临风险较大、生产成本高昂。倘若仅仅依靠市场的自我调节机制,药企将难以收回前期投入的成本,投资与回报严重失衡,这会进一步抑制药企研发孤儿药的积极性,导致市场陷入一种恶性循环的状态,最终使得孤儿药适应症患者面临无药可用的困境。当下,市场信息处于高度不对称的状态,并且我国尚未搭建起完善的罕见病与孤儿药大数据平台。特别是在一些偏远地区,由于通讯设施落后以及医疗条件受限,疾病的确诊工作困难重重,这使得药企难以精准地确定孤儿药的供应方向,进而增加了生产成本。与此同时,医疗机构以及科研机构同样面临着信息匮乏的问题,对于治疗成本和治疗时间难以进行有效的掌控。

2.3 价格高昂

近年来,我国稀有疾病相关政策制度逐步完善,2018 年首个稀有疾病目录公布,部分稀有疾病药物得到更多保护。然而,由于稀有疾病发病率低,患者群体规模小,市场需求有限,且药物研发成本高昂,导致稀有药物稀缺且价格昂贵,这使得制药公司对该领域的投入积极性不高。仍有许多稀有疾病面临无药可治或缺乏特效疗法的困境,部分有药可治的疾病,其药物要么未在国内上市,要么未获批用于相

应疾病的治疗。我国虽拥有数十种稀有疾病药品,但相较于全球 7000 余种稀有疾病,只是极少的一部分。

在医保覆盖方面,现状也不容乐观。许多已有的稀有疾病治疗药物未被纳入医保支付范围,即便部分药品已纳入医保,也存在因“应证用药过量”而无法获得补偿的情况,这无疑加重了患者及其家庭的医疗负担。目前,国内仅有 40 余种稀有病药品被医保覆盖,而未被纳入医保的稀有病数量更多,其中 5 种稀有病的治疗费用每年超过 100 万,且需终生治疗,这成为患者家庭“因病致贫”“因病返贫”的重要原因^[6]。

2.4 审批使用程序繁琐

2.4.1 审批效率低

药品审批由政府部门严格把控,这是保障药品质量的关键环节。然而,相关部门曾经出现过案件积压严重的情况,比如 2014 年年底积压的案件就达 18579 件,这其中不乏孤儿药在排队等待审批。2020 年 6 月起施行的《基本医疗与保健法》强调以患者需求为核心,优化药物研发、生产及审批制度,并设有特别审批、特殊审批、优先审评等优惠政策。因为,药品受理范围不仅涵盖孤儿药和临床急需药品,还包含大量非临床急需药品^[7]。这使得孤儿药与普通药物与一同排队等待审批,对于急需药物治疗的患者而言,等待的时间过长。从药审的报告来看,纳入优先审批的孤儿药,审批所用时间与普通的药品并没有明显差异,未能体现出其优先性。在审批的程序中,对行政许可程序的审批时限未作明确规定,导致审批过程容易出现拖沓现象,还可能出现重复提交审批材料的情况。按照现有流程,孤儿药从申报到上市通常需一年左右,一旦涉及补充材料的情况,孤儿药的审批时长便会大幅延长,达到 16 至 20 个月之久,这无疑严重拖慢了孤儿药进入市场的进程,极大地推迟了其上市时间。

并且,当前孤儿药审批缺乏独立专属的机构。以 2018 年为例,在进入优先审批通道的 313 件新药里,孤儿药仅仅只有 28 件。这些数量本就不多的孤儿药,不得不与大量其他药物一同在审批流程中排队等待,致使审批效率极为低下。

2.4.2 临床试验阻碍

药品的临床试验作为评估药物安全性和有效性的重要环节,孤儿药在临床试验方面面临诸多困难,我国对稀有药物的研究普遍存在申报周期长、样本量小的问题。从申请到

获批,平均需要 145 天,且随着申报用药数量增加,审批时间逐年延长。孤儿药在实际操作中缺乏特殊准入标准,一开始就处于不利地位。孤儿药更多的是针对遗传病,传统把动物作为研究对象的方法适用性有限。并且孤儿药适应症患者的数量少,我国地域广阔,患者的分布分散,研究缺乏大数据支撑,这就导致招募到足够的试验对象困难,临床试验难以推进。然而,现行条例规定,当国家统一标准难以满足孤儿药紧急需求时,申请开展临床试验的新药,在获得审批前必须完成药理学、药理、毒理等多个方面的综合性研究和质量标准评审。这一要求进一步增加了孤儿药临床试验的难度,成为阻碍孤儿药研发进程的重大问题。

3 应对“孤儿药”类精神药品管控问题的对策

3.1 国外孤儿药管控的经验借鉴

美国、欧盟、日本等国家和地区在孤儿药管控方面已建立较为完善的体系。美国 1983 年通过《孤儿药法案》,由美国食品药品监督管理局(FDA)旗下机构负责研究,后续《罕见病法案》的颁布及相关实验室的建立,有力推动了罕见病研究。欧盟 1999 年颁布的第 141/2000 号文件《孤儿用药管理条例》为欧盟各国确定和管理孤儿用药工作打下了法律基础。并且欧洲药品管理局还成立了专门的孤儿用药委员会(COMP),专门负责孤儿用药的鉴别以及其他方面的工作。日本 1993 年修订的《药事法》也规定了孤儿药的认定标准和相关管理政策^[8]。这些国家和地区通过多种方式鼓励企业研发孤儿药。美国为降低企业财务压力,对购买稀有药物给予豁免,还为孤儿药申报临床试验提供快速审批通道,对研发企业颁发“优先评价券”;欧盟对申请上市孤儿药的公司给予中小企业更多减免规费优惠,降低申请费用,孤儿药研发公司还可获得成员国特殊科研经费;日本政府为研发提供资金支持,通过免费咨询顾问和临床计划帮助等方式,助力孤儿药公司发展^[9]。

我国可以在立法上,开展稀有疾病流行病学研究和监控,明确判定准则和识别标准,完善孤儿药相关立法。在研发支持上,政府需加大资金投入,设立专项资金,借鉴国外减免费用、提供补助等方式,降低企业研发成本,提高其积极性。

3.2 结合本国情况提出建议

3.2.1 完善立法保障

尽快开展稀有疾病的流行病学研究,明确其判定准则,

制定符合我国国情的孤儿药识别标准。以此为基础,完善孤儿药相关法律,清晰界定孤儿药范畴,详细规定审批流程、资金扶持政策等内容,确保法律的可操作性,使鼓励政策能真正落地实施,为孤儿药的研发、生产、引进和使用提供坚实的法律保障。

3.2.2 促进研发生产

政府设立孤儿药研发专项资金,参考美国 FDA 为稀有药品研发拨款用于临床试验的模式,重点支持国内药企的研发项目。同时,给予企业税收减免、研发补贴等优惠政策,降低企业前端研发成本。借鉴欧盟经验,鼓励成员国为孤儿药研发公司提供科研经费,吸引更多社会资本投入,缓解企业经济压力,增强其研发动力。

构建全国性的罕见病和孤儿药大数据平台,整合患者信息、疾病数据、药品研发进展等内容。

3.3 优化价格调控

将《罕见病目录》中临床必需且疗效确切的孤儿药全部纳入医保报销范围,实行“以病种支付”的方式,根据不同病种的治疗需求和成本,制定科学合理的付费标准和疾病补偿方案。同时,加强医保部门与药企的谈判,合理控制药价,提高医保资金的使用效率,减轻患者经济负担。设立特殊的稀有疾病基金,通过国家牵头,整合彩票公益金、社会募捐、商业医疗保险等多种渠道筹集资金,专项用于罕见病治疗。

3.4 简化审批程序

设立专门的孤儿药审批机构,负责孤儿药的审批工作,避免普通药物与孤儿药共同排队审批。明确审批各环节的时限,简化审批流程,减少不必要的程序和重复提交材料的情况。对于临床急需的孤儿药,开辟“绿色通道”,实施快速审批,确保患者能及时用上药。针对孤儿药临床试验的特殊性,制定特殊的准入标准和规范。

3.5 强化执法与监管

加强执法人员对“孤儿药”类精神药品相关知识的培训,使其准确区分非法贩运毒品与患者合理获取“孤儿药”的行为,避免误判。建立多部门联合执法与监管机制,加强药品监管部门、公安部门、海关等之间的协作与信息共享,形成监管合力,严厉打击非法走私、贩卖“孤儿药”类精神药品的行为。

3.6 加强社会宣传与患者帮扶

通过公益广告、科普讲座、线上宣传等多种形式,提

高公众对罕见病的认知度和对患者群体的关注度。向公众宣传“孤儿药”的重要性以及获取的合法途径,引导公众正确看待“孤儿药”类精神药品的管控,营造理解、支持罕见病患者和合理管控的社会氛围。

参考文献:

- [1] 李奕昊,唐贵忠.罕见病用药可负担性评价及医保政策研究[J].卫生经济研究,2022,39(04):53-57.
- [2] 吕金峰.新精神活性物质类新型毒品相关问题研究[D].甘肃政法学院,2019.DOI:10.27785/d.cnki.ggszf.2019.000052.
- [3] 潘锋.罕见病需要构建多层次医疗服务与保障体系[J].中国医药导报,2022,19(07):1-6.
- [4] 张奇林,庞昕,马黎黎.全球视域下罕见病用药可及性管理的比较分析与经验借鉴[J].中国新药杂志,2025,34(02):123-129.DOI:10.20251/j.cnki.1003-3734.2025.02.002.
- [5] 赵丽娟,燕娟.我国罕见病医疗保障政策的伦理思考[J].医学与哲学,2022,43(16):12-16.
- [6] 唐凌,张杰,赵伯媛,等.罕见病药物研发现状与思考[J].中国临床药理学杂志,2021,37(23):3295-3299.
- [7] 马正,高嘉敏,赵艺皓,等.罕见病政策国际经验及对我国的启示[J].中国卫生政策研究,2018,11(11):61-67.
- [8] 徐新杰,朱玲,黄辉.《国际孤儿药研发激励政策概述及其对中国的启示》.国际药学研究杂志.2017
- [9] 胡善联.国内外罕见病的保障政策研究[J].卫生经济研究,2018,(05):3-5.DOI:10.14055/j.cnki.33-1056/f.20180502.022.