

益普生参与 2020 罕见病药物创新支付论坛

-----深度关注罕见病患者药物可及

5月30日，由中国罕见病联盟主办，北京罕见病诊疗与保障学会承办的2020罕见病药物创新支付研讨会顺利召开。会议采取线上线下相结合的形式，来自全国各地的200余名罕见病领域医疗、医保和卫生政策专家、患者组织代表以及企业代表参加了本次会议。



李林康理事长

研讨会由主题报告环节和讨论环节组成。主题报告环节由中国罕见病联盟执行理事长李林康同志主持。国家卫生健康委医政医管局张文宝副处长在致辞中表示，国家卫健委围绕提高中国罕见病诊疗管理能力方面开展了一系列相关的工作。他强调了保障罕见病患者看病就医权利的重要意义，希望与会专家就推进罕见病患者医疗保障工作充分发表观点和讨论，让更多的罕见病患者能够从中获得更大的帮助。

广东中山大学药学院医药经济研究所宣建伟所长作“罕见病创新支付方式国际经验分享”线上报告，系统介绍了国际上罕见病创新支付方式的经验。他指出，未来应当采取医保支付、商业保险支付、社会基金支付、企业支付以及个人支付相结合的创新支付方式保障罕见病患者的药物可及性。

中国药科大学国家药物政策与医药产业经济研究中心执行副主任邵蓉教授就“关于加速临床急需境外新药进入中国的政策优化研究”作线上项目报告。她详细介绍了项目的研究背景与目标，并对加速审评审批政策做了分析与建议。浙江省医学会罕见病分会谢俊明教授作“罕见病专项基金的保障模式”线上主题报告。他详细介绍了浙江省罕见病专项基金这一罕见病支付创新模式，并汇报了浙江省近期开展的相关工作。



广东省医学会罕见病分会刘丽教授作“广东省佛山市罕见病医保新政策分享”线上主题报告。她在报告中分享了佛山市的罕见病保障经验，系统介绍了佛山市创新医疗保障方式、医保补充保险——“平安佛”。山西省健康重大特大疾病帮扶中心理事长张煜教授作“多

措并举破解困局——山西破解罕见病患者费用负担过重问题的做法及建议”主题报告。他分享了山西省罕见病“两特一普”政策保障经验。

湖南省遗传学会罕见病专业委员会主任委员冯永教授作“湖南省罕见病运作及患者医疗保障模式”主题报告。他详细介绍了湖南省罕见病医疗保障模式。江苏省医学会罕见病学分会主任张爱华教授作“江苏罕见病药物支付相关医保政策的进展”主题报道。他系统汇报了江苏省开展的罕见病保障相关工作。

与会专家与企业代表围绕“罕见病药物支付所面临的挑战及解决建议”展开了深度的探讨，各自分享了宝贵的经验和看法。益普生中国专科产品事业部副总裁黄慕淇先生表示：“加速罕见病创新药物引进，让更多罕见病患者能及早够获得相关的治疗与药物是益普生一直努力的方向。”

对于已经获批的药品，进入医保是重要的课题，黄慕淇以肢端肥大症为例表示：“该疾病有效药物很少，在医保目录里的产品也仅仅只有一个。在由中国罕见病联盟发起的2019中国肢端肥大症患者综合社会调查中显示目前肢大的治疗药物的可获得性比较差（治疗药物的可获得性的平均得分为1.98分（“非常难”为1分，“很容易”为5分），反映了受访患者普遍认为药物的可获得性是“难”），给患者更多可负担的选择，减少异地就医的困难，药品研发企业不断以患者需求为本，提升药物使用的便捷性等，都可以很有效的提高药物的可及性问题。”



益普生中国专科产品事业部副总裁黄慕淇先生

中国罕见病联盟执行理事长李林康同志作大会总结并对与会嘉宾表示感谢。他表示，本次会议凝聚了各位专家的智慧，为中国的罕见病药物创新支付方式探索提供了宝贵经验。会议现场与会代表纷纷表示，在国家卫生健康委的指导下，在中国罕见病联盟的带领下，在医保专家的群策群力下，一定会探索出适合中国的罕见病药物创新支付方式，提高罕见病患者就医可及性，更好地维护罕见病患者的健康权益。

关于益普生

益普生集团是一家专注在药物创新和专科治疗领域的国际生物制药集团。集团在三个关键治疗领域（即肿瘤病学、神经科学以及罕见病学）研发和商业化创新药物。集团对肿瘤领域的承诺体现在，不断拓展其在前列腺癌、神经内分泌肿瘤、肾细胞癌和胰腺癌领域的关键治疗产品组合。益普生在多元健康业务领域也有卓越的表现。2019年，益普生总销售额超过25亿欧元，销售网络遍布于全球超过115个国家，销售超过20种药品，并直接在其中30多个国家直接开展业务。益普生的研发中心专注于打造创新和差异化技术平台，位于领先的生物技术和生命科学中心（法国巴黎萨克雷，英国牛津，美国剑桥）。集团在全球拥有约5,800名员工。益普生在巴黎（泛欧交易所：IPN）上市并通过赞助的I级美国存托凭证项目（ADR：IPSEY）在美国上市交易。有关益普生的更多信息，请访问www.ipsen.com

益普生 - 有关前瞻性声明的警示说明

本文所含前瞻性声明、目的和目标基于集团的管理战略、当前观点和假设。此类声明涉及已知和未知的风险和不确定性，可能导致实际结果、业绩或事件与本文所预期的大不相同。上述所有风险均可能影响集团在未来实现其财务目标的能力，财务目标是基于现今可用信息在合理的宏观经济条件下设定的。“相信”、“期望”和“期待”等词语和类似表述的使用是为了明确前瞻性声明，包括集团对未来事件的期望，此类事件包括监管文件和决定。此外，本文所述目标的制定未考虑外部增长假设和潜在未来收购，而这两者可能会使指标发生变化。目的的依据是集团认为合理的数据和假设。目标取决于将来可能发生的条件或事实，而不仅取决于历史数据。考虑到某些风险和不确定性的发生，实际结果可能与这些指标有很大出入，明显表现为在早期研发阶段或临床试验中有前景的产品可能最终永远不会投放市场或达到其商业目标，尤其是由于注册或竞争原因。集团必须面对或可能面对来自仿制药的竞争，这可能会转化为市场份额的损失。此外，研发过程涉及多个阶段，每个

阶段都涉及重大风险，即集团可能无法实现其目的并被迫放弃就自身已投入大量资金的产品所做的努力。因此，集团不能确定在临床前试验中获得的有利结果是否会在随后的临床试验中得到确认，也不能确定临床试验的结果是否足以证明相关产品的安全性和有效性。不能保证产品将获得必要的注册批准或该产品将被证明在商业上是成功的。如果基本假设证明不准确或确实出现风险或不确定性，则实际结果可能与前瞻性声明中的结果有很大不同。其他风险和不确定性包括但不限于一般行业条件和竞争；一般经济因素，包括利率和货币汇率波动；制药行业法规和医疗保健立法的影响；全球医疗成本抑制趋势；竞争对手获得技术进步、新产品和专利；新产品研发中固有的挑战，包括获得监管部门的批准；集团准确预测未来市场状况的能力；生产困难或延误；国际经济的金融不稳定和主权风险；对集团专利的有效性和创新产品的其他保护的依赖；以及可能面临的诉讼，包括专利诉讼和/或监管诉讼。此外，集团依赖第三方来研发和销售某些产品，这些产品可能会产生大额特许权使用费用；这些合作伙伴的行为可能会对集团的活动和财务结果造成损害。集团不能确定其合作伙伴将履行各自的义务。集团可能无法从这些协议中获得任何利益。集团任何合作伙伴违约均会产生低于预期的收益。此类情况可能会对集团的业务、财务状况或业绩产生负面影响。集团明确声明，除非适用法律有所要求，否则其不承担更新或修订本新闻稿中所包含的任何前瞻性声明、目标或假设的任何义务，以反映此类声明所依据的事件、条件、假设或情况的任何变化，也不会就此作出任何承诺。集团的业务受制于其在法国金融市场监管机构备案的注册文件中概述的风险因素。该文件中所列风险和不确定性并非详尽无遗，建议读者参阅集团网站（www.ipsen.com）上集团的 2018 年注册文件。