



全球面临高昂创新药支付挑战，中国有何启示



中国本土创新药经过短短几年的蓬勃发展，极大展示了中国制药行业的创新潜力，成功撬动了这个长期依赖进口创新药、生产仿制药、全球原料药供应大国的创新动力。

仅仅在 10 年前，本土创新药研发还几乎处于空白状态，而今天，中国创新药在重大疾病和传染性疾病，包括肿瘤、新冠肺炎、罕见病、艾滋病、丙肝和老年痴呆症等多个领域，已经有能力提供自主研发的一类新药。此外，在多个具有临床优势的创新药领域，本土创新药企已开始耕耘国际市场，与国际跨国公司开展合作，为今后对外开放和参与国际竞争，积累经验和策略。

在十年探索之后，中国创新药如何突破成为关键问题。国家医保药品谈判明确，中国基本医保支付昂贵创新药有困难，有挑战。近期，越来越多的讨论焦点从如何加快药品审评审批速度，转向如何实现创新药价值，即创新药的医保支付问题。

OECD 2019 “Health at a Glance” 报告称，创新药研发是高度资本和技术密集型的领域，其研发强度（R&D intensity）仅次于航天和航空（11.6% vs 14.6%）领域。投资差异化创新，尤其是突破性的原始创新，需要经历高投入和长周期的研发过程并接受高失败风险，创新药如果没有合理的回报分摊研发成功和失败的产品，企业将很难有持续研发和创新动力。

一方面，科创版 2021 版《指引》和国家药品监督管理局（CDE）发

布“以临床价值为导向的抗肿瘤药物临床研发指导指南”等各项政策，积极引导制药行业减少微创新和同质化竞争，鼓励技术升级，加大研发以临床价值为导向、有差异化的创新药。

另一方面，根据国际货币基金组织 2021 World Economic Outlook Database，中国人均 GDP 排名全球第 63 位，不到全球前五个国家人均 GDP 的 15%。因此，提供可负担的医疗卫生服务和药品是基本医保的定位，也与中国为发展中国家定位相匹配。

如何理顺有限医保支付与不断涌现的创新药的昂贵技术定价关系，是中国支付体系和创新药共同面对的重要话题。

目前，中国创新药支付面临两大挑战，即研发端和支付端。研发端的挑战体现在一些热门领域的研发赛道拥挤，同质化竞争严重。同类药品批的越多，临床获益差异化不大，可替代性大，市场竞争格局必定加大，医保谈判空间越小，导致价格降幅越大。支付端的挑战体现在如何支付突破性的创新药，涉及新兴出现的医疗技术，如基因、细胞治疗、罕见病等昂贵创新药品，如何提高患者可及性，基本医疗保险、商业保险和个人如何支付。

笔者认为，今后更大的挑战在支付端，即支付突破性创新药。然而，突破性创新药的支付问题不仅是中国挑战，也是全球挑战。

2000 年中期以来，欧美国家医疗技术(Advanced therapies)快速出

现和有限医疗资源支付的矛盾开始变得明显。

全球医疗卫生支付面临医疗费用快速上涨的趋势。2019 年 OECD 报告预测，未来 15 年，几乎每一个 OECD 国家的医疗卫生开支增长速度将超过 GDP 增速。人均医疗卫生开支将以 2.7% 的速度增长，高于 GDP 增速（新冠肺炎之前 GDP 增速为 2.3% 左右，2020 年降为 -4.67%）。同时，OECD 医疗卫生开支占 GDP 比重从 2019 年的平均 8.8% 上升到 2030 年的平均 10.2%。

美国是创新药强国并拥有全球最先进的医疗技术，同时也是医疗卫生开支占 GDP 比重最大的国家，2018 年为 16.9%，排在第二和第三的是瑞士和法国。OECD 报告预测，到 2030 年美国医疗卫生开支占 GDP 比重将达到 20%。

医疗卫生开支高速上涨已经对各国医疗系统造成巨大支付压力，加上 2020 年以来新冠疫情持续反复，加剧全球经济下滑，医疗资源更为紧张。

全球人口老龄化和人均寿命延长、疾病谱的变化、医疗技术的快速进步和医疗系统的效率问题，被认为是推动医疗卫生费用快速上升的主要因素。

联合国报告预测，到 2050 年全球人口将达 98 亿。其中，65 岁以上的老年人口将超过 15 亿，占总人口的 16%。到 2030 年，中国 65 岁以上人口占比将超过 30%，到 2050 年，中国开始全面步入老龄化社会。老龄化上升加剧疾病负担，尤其是 70 岁老年人死亡或带病生存期和带残疾生

存的医疗负担。在每 10 万人中，70 岁老年人在不同年龄组中是最高的。

随着疾病谱从传染性疾病转向慢病，心脑血管疾病、癌症、糖尿病、慢性呼吸系统疾病，其中心脑血管疾病包含高血压、脑卒中和冠心病，已经占到全球疾病负担的 70%。

值得关注的是，医疗技术进步和升级在很大程度上导致医疗费用的上升。在多数欧美国家医疗卫生开支中，药品费用平均占比大约 20% 左右。2017 年之后，新药在医疗费用中的开支上涨很快。近年来，全球药品支出增长主要来自品牌药和特效药。2019 年中国药品费用占医疗卫生费用比例为 32%，高于欧美国家。

创新医疗技术对维护健康起了关键作用，给制药行业发展带来机会，但对控制费用、患者可及性和医疗卫生体系可持续发展带来挑战。尤其是突破性的创新药，昂贵的支付费用成了全球控费的挑战。

回顾发展历程，创新药物提高了全球患者的生存率和生活质量，还改变了艾滋病毒和某些癌症疾病的自然史，造福人类。例如，抗逆转录病毒疗法已经将艾滋病从绝症转变为可控制的慢性病，而每天一次的单片疗法，简化了患者的日常生活。在过去 15 年中，被称为酪氨酸激酶抑制剂（TKIs 替尼类药，第一个诺华治疗白血病的格列卫）药物的出现，成功地将慢性髓系白血病患者 5 年生存率从不足 20% 提高到 90% 以上。与直接作用抗病毒药物（DAAs）相比，丙型肝炎曾经是主要的肝移植适应症，目前 95% 以上接受治疗的患者完全可治愈，治疗时间仅为 8-12 周。

2017 年 8 月，FDA 宣布批准 Kymriah，治疗患有急性淋巴细胞白血病的儿童和年轻人，成功在美国市场推出了第一种基因疗法，美国 7 岁小女孩 Emily Whitehead 在 2012 年成为第一个进入临床试验（CTL019）被完全治愈的白血病患者。

由于第一个基因疗法成功，新型诊断和药物治疗方法正在迅速演变，聚焦个性化医疗的最新技术日益兴起。由于基因和生物禀赋的不同，相同诊断的患者对相同治疗疗效反应不同。个性化医学和先进治疗方法更多地用于遗传性和代谢性疾病，如癌症或罕见的遗传病。

目前传统小分子药物疗效有限。例如，忧郁症治疗效果只有 38%，哮喘为 40%，心率不正为 40%，糖尿病为 43%，偏头痛为 48%，关节炎为 50%，骨质疏松症为 52%，老年痴呆症为 70%，肿瘤为 75%。

细胞和基因疗法的出现，大大提高传统小分子药品无法达到的治疗效果，有可能为各种严重疾病带来革命性的治愈，但价格昂贵。细胞和基因疗法通常可以做到只需一次给药，实现永久性治愈的治疗效果。这些疗法通常被称为再生药物（Regenerative medicines）。如基因检测（genetic test）可以根据患者情况提供疾病风险预测，疾病转移风险和预测某种药物可能治疗的效果。可以一定程度减少无效治疗，真正做到精准治疗（如罕见病和肿瘤领域）。

传统药物治疗临床获益关注更多的是癌症患者延长生命几个月和几年时间。随着新技术出现，细胞和基因疗法有可能为各种严重疾病的治疗带

来革命性的治愈和巨大的临床获益。从长远评估，这些疗法可以为医疗系统节省大量成本，提高人均寿命，但一次性支付这些转化疗法的高额预付费用，会对现有的医疗保险报销制度造成重大负担。

OECD 官网上这样评估创新药：最新治疗带来的革命性变化是全社会的共识，创新药物提供物有所值的治疗，但创新药变得更为昂贵，对全球医疗支付系统带来巨大挑战。然而，在某些治疗类别中，新药上市价格一直在上涨的趋势，是否带来相应的健康收益，需要引起关注。同时，OECD 指出并非所有需要新药的患者都能负担得起新药，这给各国医疗预算带来了巨大压力。

例如，2014 年以来，美国市场普通仿制药的价格下降了 37%，而品牌药的价格上涨了 60%以上。昂贵的新型特殊药物是最近医疗支出激增的主要驱动因素，药品中的特效药占 1/3 药物开支。特效药主要指癌症、类风湿性关节炎、血友病、艾滋病毒、丙肝药、牛皮癣、炎症性肠病和多发性硬化症疾病治疗药物。特效药的特点是个性化、精准治疗，但成本高、价格昂贵，根据 IQVIA 的定义，人均年治疗费用超过 6000 美元为特效药。例如，血友病 B 是一种罕见的严重疾病，每 20000 名男性中就有 1 人感染，其标准治疗费用相当于每年 20 万到 30 万美元，总费用为 400 万-600 万美元（终身治疗），而活体基因治疗费用仅略高于 100 万美元，需要一次性治疗，成本较低，但一次性支付费用极高。

此外，高昂价格背后是企业研发费用的不断上涨和新药研发失败的风

险，是新药管线不足，技术进步和监管等复杂因素导致。第三方数据显示，对比 2007 年新药研发平均费用，2017 年上涨 2 倍，同时，新药研发的效率大大降低。例如，每 10 亿美元研发投入产出的新药数量逐年减少，尤其在 2000 年以后，新药研发费用控制在 10 亿美元以内的基本不存在，有的高达 20 亿美元。

美国是全球创新药研发的强国，每年 57% 的获批新药都来自美国。但是，近几年美国政府也为高昂处方药费用困扰，改革呼声不断。20 世纪 80 年代以来，美国经历了生物科技发展最为快速的时期。美国商业保险为处方药最大的支付方，相对自主的药品定价和强大的专利保护制度等良好的创新生态要素培育了美国创新的实力，80 年代后期，美国创新地位逐步取代欧洲，成为世界创新药大国。

一项计算机模拟分析调研结果表明：假如美国在 1980-2001 年期间，采取和欧洲一样的控费价格政策，如以 8 亿美元为研发一个新药的标准，将导致约 350 个新药放弃研发机会。可能放弃的药品中包括今天知名的救命药和重磅药品，如阿瓦斯丁（Avastin）、格列卫（Gleevec）、促红细胞

预览已结束，完整报告链接和二维码如下：

https://www.yunbaogao.cn/report/index/report?reportId=1_35335

