

医保情景下利司扑兰治疗儿童脊髓性肌萎缩症的经济学评价

韩丹, 于飞, 朱昕桐, 武玥, 邵尉, 李睿旻

Economic evaluation of risdiplam in the treatment of pediatric spinal muscular atrophy under health insurance scenarios

HAN Dan, YU Fei, ZHU Xintong, WU Yue, SHAO Wei, LI Ruimin

在线阅读 View online: <http://yxsj.smmu.edu.cn/cn/article/doi/10.12206/j.issn.2097-2024.202601017>

您可能感兴趣的其他文章

Articles you may be interested in

帕博利珠单抗与铂类化疗方案在晚期非小细胞肺癌一线治疗中的药物经济学评价

Pharmacoeconomic evaluation of pembrolizumab versus platinum chemotherapy as first-line treatment in advanced non-small cell lung cancer

药学实践与服务. 2024, 42(8): 334-340 DOI: [10.12206/j.issn.2097-2024.202303023](https://doi.org/10.12206/j.issn.2097-2024.202303023)

泊沙康唑对比伏立康唑经验治疗或诊断驱动治疗免疫功能低下患者侵袭性霉菌病的成本-效果分析

Cost-effectiveness analysis of posaconazole versus voriconazole in the empiric or diagnostic-driven treatment of invasive mould diseases in immunocompromised patients

药学实践与服务. 2024, 42(12): 512-519 DOI: [10.12206/j.issn.2097-2024.202401050](https://doi.org/10.12206/j.issn.2097-2024.202401050)

纳武利尤单抗治疗非小细胞肺癌有效性及安全性的Meta分析

Efficacy and safety of nivolumab in the treatment of non-small cell lung cancer: a meta-analysis

药学实践与服务. 2024, 42(10): 451-456 DOI: [10.12206/j.issn.2097-2024.202310044](https://doi.org/10.12206/j.issn.2097-2024.202310044)

上海某二级医院革兰阴性菌流行特征的回顾性分析

Retrospective analysis of the epidemic characteristics of Gram-negative bacteria in a second-class hospital in Shanghai

药学实践与服务. 2024, 42(12): 528-532 DOI: [10.12206/j.issn.2097-2024.202305005](https://doi.org/10.12206/j.issn.2097-2024.202305005)

平喘方联合孟鲁司特钠治疗儿童支气管哮喘的临床疗效观察

Clinical curative effect of Pingchuan prescription combined with montelukast sodium on patients with bronchial asthma

药学实践与服务. 2024, 42(12): 524-527, 532 DOI: [10.12206/j.issn.2097-2024.202405035](https://doi.org/10.12206/j.issn.2097-2024.202405035)



关注微信公众号, 获得更多资讯信息

· 药事管理 ·

医保情景下利司扑兰治疗儿童脊髓性肌萎缩症的经济学评价

韩 丹¹, 于 飞^{2,3}, 朱昕桐^{2,3}, 武 玥⁴, 邵 尉^{2,3}, 李睿旻¹ (1. 海军军医大学药理学系, 上海 200433; 2. 辽宁省基础医学研究所, 辽宁 沈阳 110101; 3. 辽宁医药职业学院药学院, 辽宁 沈阳 110101; 4. 沈阳市第四人民医院眼科, 辽宁 沈阳 110031)

【摘要】 目的 评估利司扑兰治疗儿童脊髓性肌萎缩症的成本-效用性, 并分析医保情景下患者个人经济负担的变化。**方法** 构建马尔可夫模型, 从医疗卫生体系视角比较利司扑兰治疗方案与常规治疗方案的长期成本与质量调整生命年, 计算增量成本-效用比, 并开展单因素敏感性分析和概率敏感性分析。在此基础上, 模拟医保情景, 评估患者个人经济负担。**结果** 基线分析显示, 使用利司扑兰治疗可获得额外健康效用, 但医疗成本显著增加, 其增量成本-效用比在当前支付意愿阈值下尚不具备成本-效用优势。单因素及概率敏感性分析结果表明, 模型结论具有较好的稳健性, 药品费用和关键效用参数是主要影响因素。医保情景分析显示, 提高医保报销水平、降低患者自付比例可显著减轻患者的经济负担。**结论** 利司扑兰治疗儿童脊髓性肌萎缩症在我国现行医保支付框架下面临一定经济性挑战, 但通过优化医保支付政策和多层次医疗保障机制, 有望改善其可及性。

【关键词】 医保; 多层次保障; 利司扑兰; 脊髓性肌萎缩症; 成本-效用分析; 罕见病; 药物经济学

【文章编号】 2097-2024(2026)08-0431-06

【DOI】 [10.12206/j.issn.2097-2024.202601017](https://doi.org/10.12206/j.issn.2097-2024.202601017)

Economic evaluation of risdiplam in the treatment of pediatric spinal muscular atrophy under health insurance scenarios

HAN Dan¹, YU Fei^{2,3}, ZHU Xintong^{2,3}, WU Yue⁴, SHAO Wei^{2,3}, LI Ruimin¹ (1. School of Pharmacy, Naval Medical University, Shanghai 200433, China; 2. Liaoning Institute of Basic Medical Sciences, Shenyang 110101, China; 3. School of Pharmacy, Liaoning Vocational College of Medicine, Shenyang 110101, China; 4. Department of Ophthalmology, The Fourth People's Hospital of Shenyang, Shenyang 110031, China)

【Abstract】 Objective To evaluate the cost-utility of risdiplam in the treatment of pediatric spinal muscular atrophy (SMA) and analyze changes in patients' out-of-pocket economic burden under the medical insurance scenarios. **Methods** A Markov model was developed from the healthcare system perspective to compare the long-term costs and quality-adjusted life years (QALYs) of risdiplam treatment versus conventional therapy. The incremental cost-utility ratio (ICUR) was calculated. One-way sensitivity analysis and probabilistic sensitivity analysis were conducted to assess the robustness of the model. On this basis, health insurance scenarios were simulated to evaluate patients' individual economic burden. **Results** Base-case analysis showed that risdiplam treatment generated additional health benefits but substantially increased medical costs. The resulting ICUR did not demonstrate a clear cost-utility advantage under the current willingness-to-pay threshold. Sensitivity analyses indicated that the model results were relatively robust, with drug costs and key utility parameters being the main drivers of economic outcomes. Health insurance scenario analysis demonstrated that increasing reimbursement levels and reducing patient copayment rates could significantly alleviate patients' financial burden. **Conclusion** Risdiplam for pediatric SMA faces economic challenges under the current health insurance payment framework in China. However, optimizing health insurance reimbursement policies and developing multi-tiered healthcare security mechanisms may improve its affordability and accessibility.

【Key words】 health insurance; multi-tiered healthcare security; risdiplam; spinal muscular atrophy; cost-utility analysis; rare disease; pharmacoeconomics

【基金项目】 辽宁省教育厅高校基本科研项目(LJ112414289003, LJ212414289008, LJ212514289010); 2025年度沈阳市经济社会发展研究课题(SYSK2025-01-053); 2025年度中国成人教育协会成人继续教育科研规划课题(2025-0498Y)

【作者简介】 韩 丹, 博士, 讲师, 研究方向: 药物经济学, Email: handanxuan@163.com

【通信作者】 邵 尉, 博士, 副教授, 研究方向: 药物经济学, Email: shaowei@lnvcm.edu.cn; 李睿旻, 硕士, 高级实验师, 研究方向: 药事管理, Email: daynes77@163.com

脊髓性肌萎缩症(spinal muscular atrophy, SMA)是一种由 *SMN1* 基因缺失或突变引起的常染色体隐性遗传性神经肌肉疾病,2 岁以内婴幼儿致死率极高^[1]。近年来,针对 SMA 发病机制的靶向治疗药物相继上市,显著改变了该病的治疗格局^[2-3]。作为代表药物,2021 年 6 月,利司扑兰(risdiplam)在我国上市^[4],并于 2022 年进入《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录》^[5]。临床试验及真实世界研究结果显示,利司扑兰具有明确的临床获益^[6],但其长期用药费用较高^[7],对医疗保障体系和患儿家庭经济负担提出了新的挑战。在我国现行医疗保障体系下,居民基本医疗保险在罕见病保障中的作用不断增强,但对于高价创新药物,其报销水平及长期可负担性仍存在一定的不确定性^[8-11]。因此,在开展成本-效用分析的同时,引入医保情景下的个人经济负担分析,有助于从更贴近实际的角度评估创新药物的可及性^[12-13]。基于此,本研究构建马尔可夫(Markov)模型,评估利司扑兰治疗儿童 SMA 的成本-效用性,并进一步分析医保情景下患儿家庭的长期经济负担,为相关支付决策提供参考依据。

1 资料与方法

1.1 研究设计与研究视角

本研究采用成本-效用(cost-utility analysis, CUA)方法,构建 Markov 模型,对利司扑兰治疗 SMA 的长期经济性进行评价。研究从医疗系统视角出发,纳入直接医疗费用和健康效用值,计算增量成本-效用比(incremental cost-utility ratio, ICUR)。在此基础上,进一步引入医保支付情景,评估患者的长期经济负担变化。

1.2 模型结构与时间范围

根据 SMA 的自然病程特点及既往研究证据^[7],本研究构建 Markov 模型,包含了丧失坐位能力、具备坐位能力、具备独立行走能力和死亡等的 4 个疾病状态^[14]。模型周期为 4 个月^[7],共 54 个周期(0~18 岁)。假设在任一周期内,患者最多发生一次健康状态转移(图 1),可维持当前运动功能状态、向相邻更高运动功能水平改善,或转移至死亡状态^[7,14]。由于短期内跨功能等级下降证据有限,本研究未设置向更差功能状态的转移^[7]。疾病进展通过长期效用累积及死亡风险间接体现,该处理方式在既往相关研究中较为常见^[14-15]。模型基本参数见表 1。

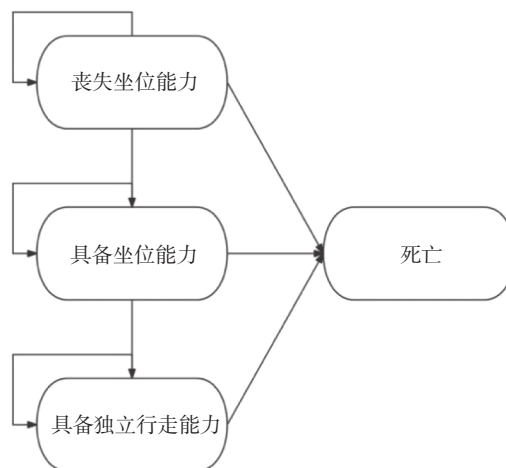


图 1 Markov 模型结构

1.3 研究对象

本研究对象为接受利司扑兰治疗的儿童 SMA 患者。模型基线人群特征及初始健康状态参考文献^[16]的实证研究,并结合相关临床研究结果进行合理假设。

1.4 治疗方案与转移概率

模型的对照组为常规支持(standard of care, SOC)治疗,干预组为利司扑兰联合常规(利司扑兰+SOC)治疗。干预组和对照组的状态转移概率均来自已发表的文献^[7,14],模型假设具备独立行走能力近似普通人群平均状态^[7],两组由此状态到死亡的转移概率相同。

1.5 成本分析

成本分析仅纳入直接医疗费用,包括药品费用及 SOC 相关的门诊随访、检查和护理等费用。药品价格来自医药魔方网(<https://www.pharmcube.com>)公布的全国招标价格的中位数, SOC 相关费用来既往团队发表的文献^[7]。患儿平均体重根据《中国居民营养与慢性病状态报告》^[17]和《中国卫生健康统计年鉴》^[18]进行估算,以满足利司扑兰给药方案随患儿体重变化动态调整的需要。所有费用统一以人民币计价,并根据《中国药物经济学评价指南》按年折现率 4.5% 对成本进行贴现^[19]。根据文献^[16],本研究假设每个周期(4 个月)对 SMA 患儿随访一次,每次随访包含门诊费用、检查费用、护理费用、诊断费用和化验费用。

1.6 健康效用值

健康效用值用于计算质量调整生命年(quality-adjusted life years, QALY),不同健康状态对应的效用值主要来源于已发表的文献^[7],并结合 SMA 患者的功能状态进行匹配。由于缺乏证据支持,本研究不纳入药物不良反应的相关效用值^[7]。

表 1 Markov 模型参数

参数	基准值	下限	上限	分布类型
模型基本参数				
起始年龄(岁)	0	—	—	—
年折现率(%)	4.5	0	5	—
模型周期	54	—	—	—
模型时间范围(月)	216	—	—	—
丧失坐位能力患儿占比	0.5	—	—	—
具备坐位能力患儿占比	0.357	—	—	—
具备独立行走能力患儿占比	0.143	—	—	—
对照组周期转移概率				
丧失坐位能力→死亡	0.244 8	0.220 4	0.269 3	Beta
具备坐位能力→死亡	0.024 1	0.021 7	0.026 5	Beta
具备独立行走能力→死亡	0.007 9	0.007 1	0.008 7	Beta
干预组周期转移概率				
丧失坐位能力→具备坐位能力	0.098 0	0.088 2	0.107 8	Beta
丧失坐位能力→死亡	0.023 6	0.021 24	0.025 96	Beta
具备坐位能力→具备独立行走能力	0.053 1	0.047 79	0.058 41	Beta
具备坐位能力→死亡	0.010 1	0.009 09	0.011 11	Beta
具备独立行走能力→死亡	0.007 9	0.007 11	0.008 69	Beta
效用值				
丧失坐位能力	0.830	0.664	0.996	Beta
具备坐位能力	0.795	0.636	0.954	Beta
具备独立行走能力	0.610	0.488	0.732	Beta
成本(元)				
利司扑兰/60 mg	3 780	3 402	4 158	Gamma
门诊费用/次	12	10.8	13.2	Gamma
检查费用/次	1 555	1 399.5	1 710.5	Gamma
护理费用/次	80	72	88	Gamma
诊断费用/次	120	108	132	Gamma
化验费用/次	232.5	209.25	255.75	Gamma

注：“—”表示此项无内容。

未来获得的 QALY 同样按照年折现率 4.5% 进行贴现^[19]。

1.7 敏感性分析

为检验模型结果的稳健性,开展单因素敏感性分析和概率敏感性分析(probabilistic sensitivity analysis, PSA)。单因素敏感性分析通过在合理范围内变动关键参数,观察其对 ICUR 的影响,参数变动范围来源于文献^[7,14],若无相关信息,则取基础值的±10%^[7]。PSA 采用蒙特卡洛模拟方法,对模型参数赋予相应分布形式,重复模拟 1 000 次,并绘制旋风图、散点图和成本-效用可接受性曲线(cost-utility acceptability curve, CEAC)。本研究以 2024 年度人均国内生产总值(gross domestic product, GDP)的 3 倍作为支付意愿阈值(willingness-to-pay threshold, WTP)^[19]。

1.8 医保情景下的个人经济负担分析

在基线 CUA 的基础上,进一步构建医保支付情景,以上海市 2026 年城乡居民医保政策为背

景^[20-22],假定医保报销比例仅影响费用分担结构,不改变患者的健康结局和 QALY。个人经济负担以累计个人自付费用表示,用于评估医保支付水平变化对利司扑兰可负担性的影响。

2 结果

2.1 基础分析

如表 2 所示,与对照组相比,干预组的增量成本为 904 729.82 元,增量效用为 3.10 QALY。据此计算,利司扑兰治疗方案相对于常规治疗方案的增量 ICUR 为 291 379.45 元/QALY。上述结果表明,在基线假设条件下,使用利司扑兰治疗可显著提高 SMA 患儿的健康效用水平,但同时增加的医疗费用也较高。

2.2 单因素敏感性分析

单因素敏感性分析结果显示,效用参数和药物成本是影响 ICUR 的主要因素(图 2)。其中,具备独立行走能力状态效用值对 ICUR 的影响最大,当

表 2 基础分析结果

组别	总成本(元)	总产出(QALY)	增量成本(元)	增量产出(QALY)	ICUR(元/QALY)
对照组	36 271.16	4.78	—	—	—
干预组	941 000.98	7.89	904 729.82	3.11	291 379.45

注: “—”表示此项无内容。

该参数在设定范围内变动时, ICUR 波动幅度最大; 其次为利司扑兰药品成本以及具备坐位能力状态效用值。上述参数的变化可导致 ICUR 出现较为明显的升高或降低。此外, 贴现率及部分转移概率参数(如不同功能状态下向死亡转移的概率)对 ICUR

亦产生一定影响, 但其影响程度明显低于效用值和药物成本参数。相比之下, SOC 费用参数(门诊费用、检查费用、化验费用及护理费用等)在其变化范围内对 ICUR 的影响较小, 对结果的稳定性影响有限。

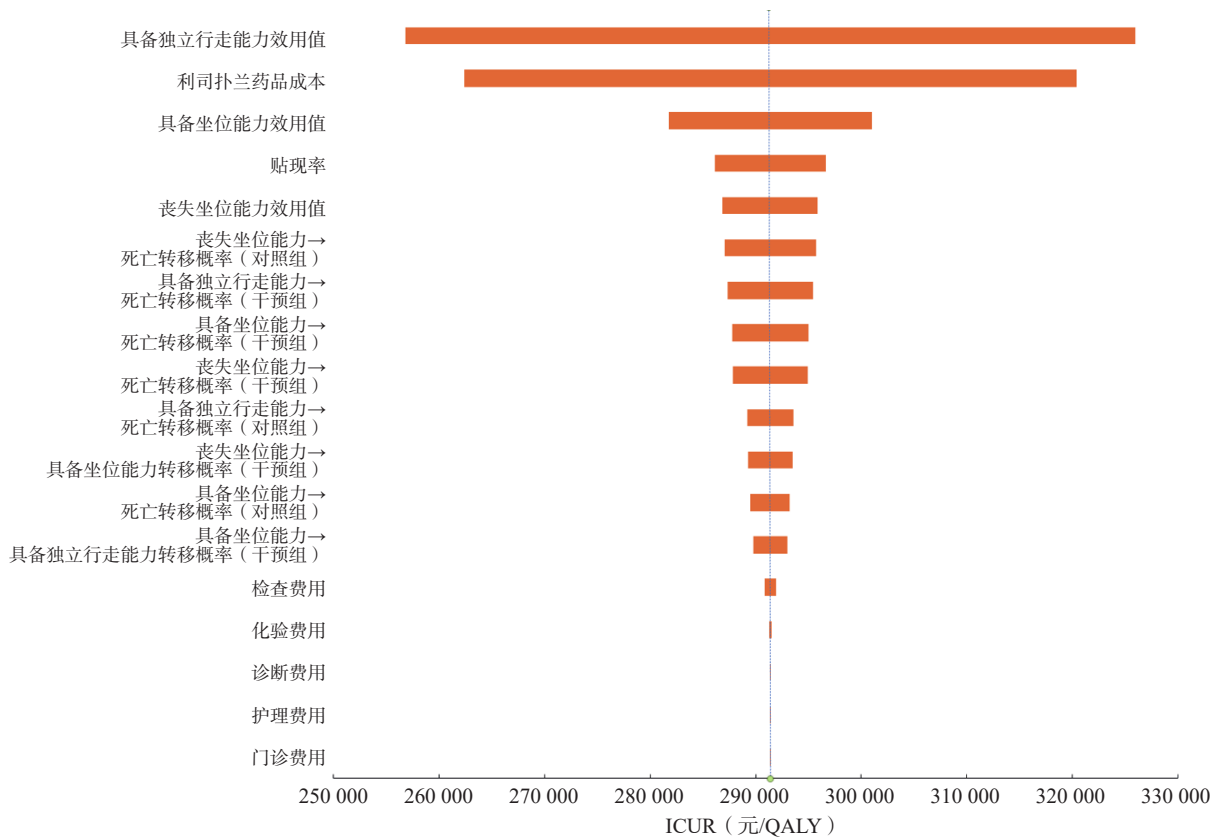


图 2 单因素敏感性分析旋风图

2.3 概率敏感性分析

概率敏感性分析结果的成本-效用平面散点图见图 3。结果显示, 大多数模拟点位于成本-效用平面的第一象限, 即干预组相较对照组表现为成本增加且效果提高。在全部模拟中, 增量效用主要集中于 2.5 ~ 3.5 QALY 区间, 而增量成本主要分布于 700 000 ~ 1 100 000 元区间, 整体分布相对集中, 未出现明显的极端值, 提示模型结果具有一定的稳定性。在设定的支付意愿阈值(WTP=287 247 元/QALY)下, 散点位于阈值线之上, 表明在当前阈值水平下, 干预方案无经济性。

基于 PSA 结果进一步绘制 CEAC, 见图 4。结

果显示, 随着支付意愿阈值的提高, 干预方案被认为具有成本-效用优势的比率逐步上升。当 WTP 低于 200 000 元/QALY 时, 干预方案具有优势的比率为 0; 当 WTP 接近 300 000 元/QALY 时, 干预方

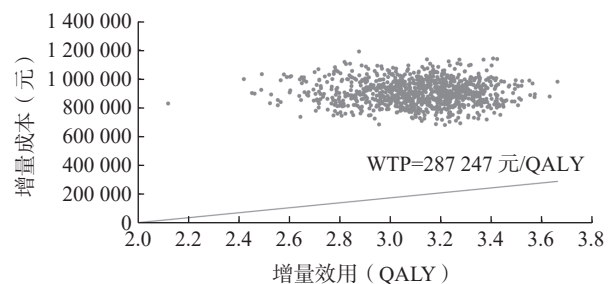


图 3 增量-成本效用散点图

案被认为具有优势的概率约为 50%; 当支付意愿阈值进一步提高至 400 000 元/QALY 以上时, 该概率逐渐上升并接近 90% ~ 100%。

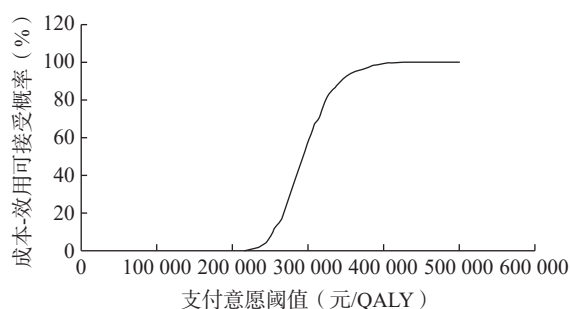


图 4 成本-效用可接受曲线

2.4 医保情景分析

结果如表 3 所示, 在参保城乡居民医保的情景下, 干预组患者在整个模拟周期内的个人自付总费用由 941 001 元降至 516 126 元, 相较未参保情景, 个人自付比例下降至 55%, 经济负担显著降低。

表 3 不同保障情况下患者的经济负担情况

保障情况	总医疗费用 (元)	年保费 (元)	个人自付总费用 (元)	自付比例 (%)
未参保上海市 城乡居民医保	941 001	0	941 001	100
参保上海市 城乡居民医保	941 001	400	516 126	55

3 讨论

3.1 基础分析结果的经济意义

基线分析结果显示, 与对照组相比, 干预组可获得额外的健康效用收益, 但同时显著增加医疗费用, 在当前我国常用支付意愿阈值水平下, 该治疗方案尚不具备明确的成本-效用优势^[19]。这一结果提示, 尽管该药物在改善患者生存状态和生活质量方面具有一定临床价值, 但其较高的治疗费用仍是制约其广泛应用的主要因素。这一结论与既往关于高价创新药物在罕见病中经济性不足的研究结果基本一致^[23], 反映了当前我国医保支付体系在面对高成本创新治疗时普遍存在的可及性挑战。

3.2 敏感性分析与关键影响因素

单因素敏感性结果表明, 模型结果对部分参数变化较为敏感, 旋风图(图 2)显示, 在给定参数变动范围内, 上述关键参数的变化均未导致 ICUR 结果发生方向性改变, 提示模型整体具有较好的稳健性。同时, 诊疗检查费用、护理费用及门诊费用等常规医疗服务成本对结果影响较小, 说明干预组成本差异主要来源于药品费用本身, 而非辅助医疗资源

消耗。

在 PSA 分析中, 蒙特卡洛模拟结果(图 3)显示: 大多数模拟点分布于第一象限, 表明干预方案在绝大多数情形下均表现为“增效-增费”。CEAC(图 4)显示, 当 WTP 接近我国 GDP 的 3 倍水平时, 干预方案成为成本-效用方案的概率仍处于中等偏低水平, 提示单纯依赖基本医保支付难以充分覆盖该治疗方案的经济负担。

3.3 医保情景分析与患者可及性启示

医保情景分析结果显示, 在不改变治疗路径和健康结局的前提下, 医疗保障水平对患者个人经济负担具有显著影响。在未参保城乡居民医保的情景下, 患者需承担全部医疗费用, 个人自付负担较重; 参保城乡居民医保后, 即使在较高个人自付比例的情景下, 患者经济负担仍可明显降低。这一结果提示, 在当前药品价格水平下, 通过优化医保支付政策、降低患者自付比例, 可能比单纯调整治疗策略更有助于提升高价药物的实际可及性。从政策层面看, 该研究支持在罕见病领域探索更加灵活的支付机制, 如提高报销比例、引入多层次医疗保障或设定差异化支付政策, 以缓解患者长期治疗过程中的经济压力^[24]。

3.4 局限性

本研究仍存在一定局限性。①转移概率和效用参数来源于既往文献, 可能与我国真实世界患者特征存在差异; ②模型假设各周期内状态转移方向单一, 未充分考虑疾病进展的异质性; ③本研究立足于医疗卫生费用、患者个人支付负担, 未纳入间接成本及家庭照护负担, 可能低估了患者的总体经济压力。未来研究可结合真实世界数据进一步优化模型设计和参数, 并在更广泛的社会视角下评估不同支付政策组合对罕见病药物可及性的长期影响。

【参考文献】

- [1] 中华医学会儿科学分会临床流行病学组, 中华预防医学会出生缺陷预防与控制专业委员会新生儿遗传代谢病筛查学组, 中国研究型医院学会神经科学专业委员会, 等. 儿童脊髓性肌萎缩症症状前治疗专家共识(2025 版)[J]. 临床儿科杂志, 2025, 43(9): 643-651.
- [2] 张丁, 于博, 王旭, 等. 脊髓性肌萎缩症治疗药物研究进展 [J]. 沈阳药科大学学报, 2024, 41(5): 632-642.
- [3] 蔺森, 费永和, 崔俐俊, 等. 中国创新药械政策进展与思考 [J]. 药学实践与服务, 2025, 43(11): 577-582.
- [4] 陈霞, 刘丽华, 王涛. 从利司扑兰浅谈我国罕见病药物的审评审批 [J]. 中国临床药理学杂志, 2022, 38(8): 883-888.
- [5] 安徽省医疗保障局, 安徽省人力资源和社会保障厅. 安徽省医疗保障局 安徽省人力资源和社会保障厅关于执行《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录(2021 年)》的通

- 知[J]. 安徽省人民政府公报, 2022(1): 35-36.
- [6] 韦石凤, 孙忠实, 赵志刚. 罕见病脊髓性肌萎缩症治疗新药利司扑兰的临床药理与应用[J]. *中国临床药理学杂志*, 2022, 38(2): 171-174.
- [7] HUANG Y Y, YUAN H M, HUANG Z. Cost-effectiveness analysis of Risdiplam and Nusinersen for the treatment of Chinese patients with spinal muscular atrophy[J]. *Expert Rev Pharmacoeconomics Outcomes Res*, 2025, 25(6): 943-953.
- [8] 于华燕, 周良荣. 我国罕见病患者药品保障政策现状及改进思考[J]. *中国医院用药评价与分析*, 2023, 23(5): 632-636.
- [9] 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(7): 1-6.
- [10] 曹颖, 王森, 邹锐, 等. 罕见病用药医保现状分析及思考[J]. *赣南医学院学报*, 2023, 43(6): 620-625.
- [11] 李保鑫, 常翰玉, 张燕玲, 等. 美国罕见病自然史研究资助计划介绍及启示[J]. *中国新药与临床杂志*, 2023, 42(2): 91-95.
- [12] 宣建伟, 孙巧. 中国罕见病药物经济学评估适用模型与支付阈值参考标准探讨[J]. *国际药学研究杂志*, 2019, 46(9): 659-665.
- [13] 中国罕见病联盟. 罕见病药物卫生技术评估专家共识: 2019 版[M]. 北京: 人民卫生出版社, 2020.
- [14] WANG T J, SCUFFHAM P, BYRNES J, et al. Cost-effectiveness analysis of gene-based therapies for patients with spinal muscular atrophy type I in Australia[J]. *J Neurol*, 2022, 269(12): 6544-6554.
- [15] WEIDLICH D, SERVAIS L, KAUSAR I, et al. Cost-effectiveness of newborn screening for spinal muscular atrophy in England[J]. *Neurol Ther*, 2023, 12(4): 1205-1220.
- [16] 刘芳芳, 王杰, 郭晓华, 等. 利司扑兰单药治疗儿童脊髓性肌萎缩症随访 1 年的病例系列报告[J]. *中国循证儿科杂志*, 2024, 19(2): 93-97.
- [17] 国家卫生健康委. 中国居民营养与慢性病状况报告-2020 年[M]. 北京: 人民卫生出版社, 2021.
- [18] 国家卫生健康委员会. 中国卫生健康统计年鉴-2024[M]. 北京: 中国协和医科大学出版社, 2025.
- [19] 吴晶, 刘国恩. 中国药物经济学指南(2025)[M]. 北京: 中国计划出版社, 2025.
- [20] 上海市医疗保障局. 关于执行《国家基本医疗保险、生育保险和工伤保险药品目录》以及《商业健康保险 创新药品目录》(2025 年)的通知[EB/OL]. (2025-12-31)[2026-01-13]. <https://ybj.sh.gov.cn/qtwtj/20260104/3d5b634c0163425aad9dabd9d3efae52.html>.
- [21] 上海市医疗保障局. 关于 2026 年上海市城乡居民基本医疗保险有关事项的通知[EB/OL]. (2025-11-07)[2025-12-05]. <https://www.shanghai.gov.cn/202605bmgfxwj/20260311/b60579a7ade14caa8e5673b1d8c26c37.html>.
- [22] 上海市医疗保障局. 2026 年度本市城乡居民医保相关政策问答[EB/OL]. (2025-11-07)[2025-12-05]. <https://ybj.sh.gov.cn/zcjd/20251114/c812d0c8f1d64997945c2f86c40c446d.html>.
- [23] 杨盟雨, 王琳宁, 王钾鑫, 等. 基于社会角度的罕见病用药经济学评价的系统评价[J]. *中国新药杂志*, 2025, 34(18): 2002-2010.
- [24] 陈昊. 罕见病患者救助筹资与医保支付机制研究[M]. 武汉: 湖北科学技术出版社, 2021.
- [收稿日期] 2026-01-14 [修回日期] 2026-02-06
[本文编辑] 崔俐俊

·消息·

2026 版《国家基本药物目录》发布

新版《基本药物目录(2026 版)》已于 2026 年 7 月 9 日由国家卫生健康委、国家中医药局、国家疾控局三部门联合发布, 自 2026 年 9 月 1 日起施行。这是该目录自 2018 版发布后, 时隔 8 年的重大更新。

一是品种数量扩容: 新版目录共收载药品 794 种, 其中, 化学药品和生物制品 476 种, 中成药 318 种, 较 2018 版的 685 种增加 109 种。

二是向慢常病聚焦: 重点聚焦发病率较高和基层医疗卫生机构慢性病和常见病种, 新增糖尿病用药 5 种, 高血压用药 4 种, 慢性阻塞性肺疾病用药 7 种等。

三是更多创新药纳入: 首次将 4 种国产 I 类新药纳入目录, 涵盖肿瘤、神经系统等疾病领域, 标志着创新药进入基药目录的通道正式开启。

四是体现中西医并重: 新增中成药聚焦心系、肺系、脑系等优势病种, 并首次纳入藏药、蒙药、维药等少数民族药品。

五是儿童用药保障: 新增 31 种儿童适宜药品, 有效破解了儿童用药剂型规格供给不足的结构性难题。

六是基层用药优化: 通过调增剂型和规格, 提升基层医疗机构用药的可及性与规范性, 助力分级诊疗。

此次调整旨在更好地满足人口老龄化及疾病谱变化下的基本医疗需求, 强化基本药物制度与医保制度的协同, 确保群众能够公平获得安全、有效、价格合理的药物。

供稿: 刘照元, 李睿旻, 费永和