·药事管理·

可获得性视角下韩国孤儿药供应保障体系研究及启示Δ

杨伊凡*，谢金平，翁婷婷，闫丽羽，邵　蓉#（中国药科大学国家药物政策与医药产业经济研究中心，南京 211198）

中图分类号　R95　　**文献标志码**　A　　**文章编号**　1001-0408（2023）09-1025-06
DOI　10.6039/j.issn.1001-0408.2023.09.01

摘　要　目的　系统介绍韩国孤儿药的供应保障体系，为提高我国孤儿药可获得性提供参考。**方法**　通过研究韩国孤儿药上市激励机制、储备供应机制和紧急使用机制，总结韩国孤儿药供应保障体系的基本特点和实践经验。并基于对我国孤儿药供应保障现状及现存问题的研究，提出提升我国孤儿药可获得性的具体建议。**结果与结论**　韩国通过孤儿药认定渠道和配套激励政策，依托储备供应机制和紧急使用的进口途径，有效提高了孤儿药的可获得性。因此，建议我国从完善孤儿药认定和激励政策、增设孤儿药专职管理部门、优化临时进口途径3个方面，保障孤儿药的正常供应。

关键词　孤儿药；罕见病；可获得性；供应保障；韩国

Research on the supply guarantee system of orphan drugs in South Korea from the perspective of accessibility and its enlightenment

YANG Yifan, XIE Jinping, WENG Tingting, YAN Liyu, SHAO Rong (Research Center of National Drug Policy & Ecosystem, China Pharmaceutical University, Nanjing 211198, China)

ABSTRACT　OBJECTIVE To systematically introduce the supply guarantee system of orphan drugs in South Korea, and to provide reference for improving the accessibility of orphan drugs in China. **METHODS** The basic characteristics and practical experience of supply guarantee system of orphan drugs in South Korea were summarized by studying the marketing incentive mechanism, reserve supply mechanism and emergency use mechanism. Then, based on the research on the current situation and existing problems of orphan drug supply in China, specific suggestions were put forward to improve the accessibility of orphan drugs in China. **RESULTS & CONCLUSIONS** South Korea has effectively improved the accessibility of orphan drugs through orphan drug identification channels and supporting incentive policies, relying on the reserve supply mechanism and the import route for emergency use. Therefore, it is suggested that China should guarantee the normal supply of orphan drugs from three aspects: improving the recognition and incentive policy of orphan drugs, building a full-time management department of orphan drugs, and optimizing the temporary import path.

KEYWORDS　orphan drugs; rare diseases; accessibility; supply guarantee; South Korea

罕见病是指发病率较低、较为罕见的疾病，也称为“孤儿病”[1]。罕见病用药指用于诊断、治疗罕见病的药物，也被称为“罕用药”或“孤儿药”。正是由于罕见病的特殊性，孤儿药的可获得性、可支付性和合理用药问题等多种因素影响着罕见病患者的用药可获得性。目前，孤儿药可获得性仍然面临诸多挑战：（1）孤儿药研发、仿制的动力不足。由于孤儿药研发的投资回报率难以估计，且临床受试者招募困难，医药企业的研发和仿制积极性不高，部分境外新药存在上市迟滞问题[2]。（2）孤儿药企业供应意愿不足。孤儿药市场容量小、需求不稳定，企业难以收回生产利润，易出现供应中断的状况。（3）罕见病患者个性化的用药需求难以满足。罕见病种类繁多，患者的用药需求也呈现出多样化、个性化的特点，常需要通过紧急进口途径作为补充来满足特殊情况下的用药需求。可见，用药可获得性已成为制约孤儿药发展的一大因素。

随着社会各界对罕见病的关注，保障孤儿药可获得性已成为我国部署罕见病防治工作的重要方向。其中，可获得性与药品供应系统的效率息息相关，直接关乎患者的基本用药需求[3]。韩国作为较早关注孤儿药供应保障问题的国家，通过宽松的上市激励政策和完善的储备

Δ**基金项目**　国家社会科学基金重大项目（No.15ZDB167）

＊**第一作者**　博士研究生。研究方向：医药政策与法规。E-mail：m18052039521@163.com

＃**通信作者**　教授，博士生导师，博士。研究方向：医药政策与法规。E-mail：shaorong118@163.com

供应体系，在保障罕见病患者用药可获得性方面积累了一定的经验。本文将从可获得性视角出发，系统介绍韩国孤儿药供应保障体系的基本情况，分析并总结有益经验，以期为提高我国孤儿药可获得性提供参考。

1　可获得性视角下孤儿药供应保障体系的基本框架

本文以提高可获得性为核心，将孤儿药供应保障体系的支持机制划分为上市激励机制、储备供应机制、紧急使用机制3个方面，整体运作主要依托于孤儿药供需信息监测平台（图1）。上市激励机制作为前端保障机制，通过提升医药企业的研发、上市意愿，促进患者“有药可用”；储备供应机制用于解决供应链中段的保障问题，加强易短缺品种的储备，恢复孤儿药供应；紧急使用机制主要发挥补充作用，对于特定、临床急需的孤儿药，通过特殊进口途径保障其使用。

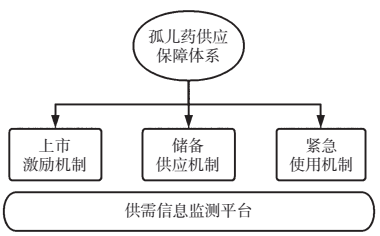


图1　孤儿药供应保障体系的基本框架

2　韩国孤儿药上市激励机制及实施现状

2.1　韩国孤儿药认定标准

在韩国，通过孤儿药认定的药品是享受孤儿药激励政策的前提条件。目前，韩国孤儿药的认定标准为：(1)发病人数少于20 000人，目前无合适方法治疗的疾病；(2)药物用于治疗尚未开发出适当疗法的疾病，或与现有替代疗法相比安全性/有效性明显提高[4]。韩国食品药品管理局（Ministry of Food and Drug Safety，MFDS）会依据制药企业提交的申请，对符合条件的孤儿药予以认定，并发布孤儿药清单。

2.2　韩国孤儿药上市激励政策

韩国围绕“支持研发和鼓励引进并重”的基本指导思想，制定了系列孤儿药上市激励政策[5]。对于全球无药的孤儿药，韩国将通过财政拨款资助研发项目并提供临床试验支持。韩国为卫生福利部（Ministry of Health and Welfare，MHW）指定的公司、大学或其他研究机构提供创新孤儿药2～3年的研发资助，资助范围主要是临床前研究和Ⅰ、Ⅱ期临床研究。此外，MFDS将为创新孤儿药企业提供一定的临床试验帮助，包括制定临床试验计划、招募临床试验所需的受试者、实施全球临床试验合作等，以加速孤儿药的研发工作。对于“境外有药，境内无药”的孤儿药，韩国鼓励孤儿药进口。韩国明确表示对于已在美国或欧盟上市的药品，制药公司无须提交人种间差异的桥接临床试验数据；对于临床急需的孤儿药，Ⅱ期临床试验结果还可以直接代替Ⅲ期临床试验结果，从而缩短药品的上市迟滞（drug lag）。

在上市注册环节，所有孤儿药均可以享受优先审批和费用减免政策。常规新药审评费用最高可达682.8万韩元，而孤儿药审评费用最高仅为375.6万韩元，与常规新药评审费用相比大约减免了50%[6]。上市后，孤儿药可以享受增值税减免，普通企业可以减免20%的所得税，中小企业可以减免30%的所得税[7]。同时，孤儿药拥有10年的市场独占期，若期间开发了儿童适应证，则可以再延长1年；与普通药品相比，孤儿药的市场独占期总体上可延长4～7年[8]。

2.3　韩国孤儿药的认定和上市批准情况

MFDS在2003年实施了《罕见病用药指导原则》，2006年韩国正式构建了罕见病信息系统，开始进行孤儿药的认定和上市批准数据统计。从认定情况来看，2007－2020年韩国共认定孤儿药209种，年均认定15种[9]。随着认定条件的放宽和激励政策的完善，韩国孤儿药认定数量总体呈上升趋势（图2），其中2015年认定数量最多（33种）。从批准上市情况来看，2007－2020年韩国共批准上市了359种孤儿药[10]，平均每年批准约26种，其中67.9%为进口孤儿药；且总体的批准趋势较为平缓，无明显上升（图3）。

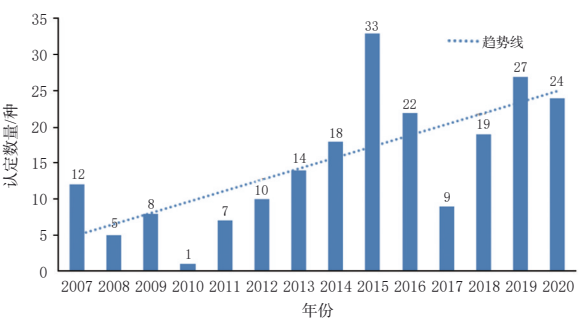


图2　2007－2020年韩国孤儿药认定情况

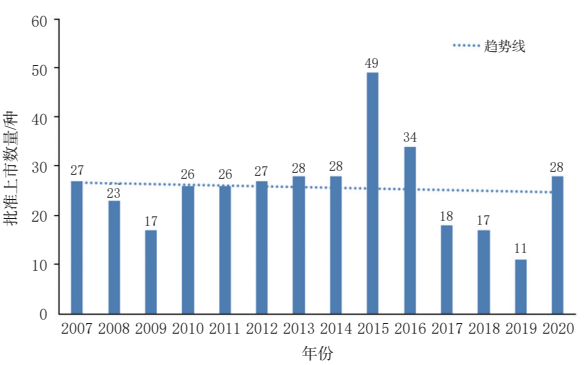


图3　2007－2020年韩国孤儿药批准上市情况

此外，韩国的上市激励政策对境外孤儿药的引进释放了多重红利，取得了一定的实践成效。据统计，2016年前，韩国孤儿药的平均上市时滞为40.0～108.0个月，而2016年以后，孤儿药的平均上市时滞为10.7～27.0个月，延迟时间明显缩短[11]。

3 韩国孤儿药储备供应机制及实施现状

3.1 韩国孤儿药供应保障部门及协作方式

韩国孤儿药和基本药物中心（the Korea Orphan and Essential Drug Center，KOEDC）是负责监测孤儿药和基本药物供应信息、提供药品供应保障支持的主要部门，其与韩国医生协会、韩国药师会等7个专业协会建立了紧密的合作关系。从运作机制上来看，KOEDC依托7个专业协会的上报和自己发起的调查来监测市场短缺孤儿药的供应情况，并上传至KOEDC的官方信息系统。在出现供应中断后，KOEDC将开展中断品种的基础调查和专家咨询（表1），研究供应短缺对患者治疗的主要影响及中断品种的国内外供应情况和替代药品的基本情况，并根据调查结果形成供应管理方案。

表1 韩国孤儿药供应中断的调查内容

类别	调查对象	调查内容
基础调查	国内市场	生产进口情况、仿制药供给现状、保险申请现状等
	国外市场	上市情况、供应现状、供应地区、供应价格、可供应数量等
	生产、进口公司	中断原因、供应情况、今后的供应计划、恢复供应所必需的政府支援等
专家咨询	各领域专业协会、医院药师会	对患者治疗的影响、是否提供替代药品、是否有替代药品、是否可以代替外国产品、特殊进口的必要性、公开信息时是否会产生过度需求、是否会扰乱流通秩序等

而后，MFDS将综合判断供应方案、专家咨询回信等，对供应中断品种作出响应，对需要供应管理的孤儿药进行行政支援，或者与KOEDC一起采取紧急使用批准、外包生产等措施（运作机制见图4），并根据影响大小决定是否公开供应中断信息。

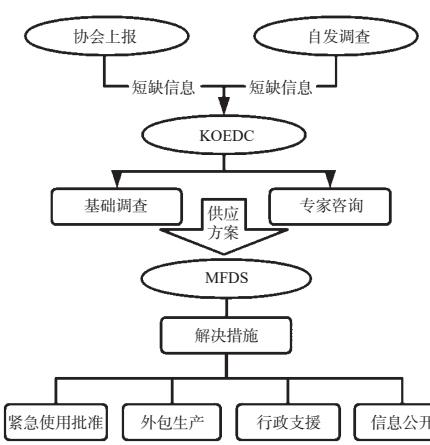


图4 韩国孤儿药供应保障的运作机制

3.2 韩国孤儿药储备供应措施

孤儿药供应链的中段包含生产环节、流通环节、采购环节，造成供应中断的原因也各有不同。如前文所述，KOEDC会依据调查中获得的基本信息和专家意见，采取对应的保障措施和供应管理策略，按照短缺原因主要分为生产性短缺处理措施和价格性短缺处理措施。

3.2.1 生产性短缺处理措施 对于生产性因素造成的供应中断，KOEDC将会考虑组织外包生产。例如低值孤儿药，生产企业所获利润过低、市场容量有限，致使企业生产意愿不足，主动断供；还有部分孤儿药由于某些技术瓶颈或原料药短缺，无法继续生产，企业只能被迫停产。在具体程序上，外包生产包括专家研讨、招募意向企业、企业能力评估、合同签订、制造供应等程序。其中专家研讨主要考虑4个要素：（1）必需性——是否属于临床必需药品；（2）制造可能性——国内是否拥有生产技术、制造基础；（3）经济性——与特例进口相比，外包生产是否具有经济性优势（短期、中长期）；（4）预算情况——所需预算及委托公司成本等的适当性研讨。

若符合外包条件，KOEDC将在全国范围内招募有参与意向的企业，同时优先确认拥有产品许可企业的参与意向；而后审核参与企业的制造工艺、制造基础、推进计划、实现可能性、签约金额等，并组织韩国国家基本药物外包生产咨询委员会进行评选；再与中选企业签订外包合同，生产完成后由政府统一采购并供应市场。

3.2.2 价格性短缺处理措施 对于定价过低或价格谈判失败致使企业暂停供应孤儿药的，KOEDC将建议MHW进行价格再谈判来提高产品定价。例如治疗慢性粒细胞白血病的药物Gleevec（格列卫），2002年，在第一次价格谈判中，诺华要求每片25 000韩元，而MHW建议每片17 862韩元，远低于其他国家的定价水平，最终谈判没有成功，诺华决定不在韩国供应该药。2003年，韩国政府和诺华进行了二次协商谈判，达成了23 045韩元的谈判价格，从而恢复了格列卫在韩国的市场供应[12]。

此外，一些已在韩国境内上市的海外孤儿药，进口商可能因为价格过低等因素主动停止进口，导致药品供应中断。针对此类情况，KOEDC将建议豁免企业的关税来弥补其供应成本。例如2009年，治疗罕见病黏多糖贮积症Ⅱ型的药物Elaprase（艾杜硫酸酯重组注射剂），由于利润空间压缩，企业停止了该药品的进口。MFDS与企业协商后，决定采取行政支援手段，豁免其全部进口关税，随后又重新恢复了该药的市场供应[13]。

3.3 韩国孤儿药储备供应措施的效果

自KOEDC成立以来，有多个孤儿药品种在供应中断后有序恢复供应[13]（表2）。其主要采取的保障措施有价格谈判、直接采购、外包生产等，这在很大程度上保障了罕见病患者的用药需求。

在KOEDC调查短缺原因时，对于利润不足而停止

表2　韩国孤儿药供应保障（部分）案例

年份	药品名	治疗疾病	恢复供应措施
2001	Gleevec	慢性粒细胞白血病	价格重新谈判
2004	Fuzeon	人类免疫缺陷病毒/获得性免疫缺陷综合征	通过KOEDC免费供应
2007	Sprycel	慢性髓细胞性白血病	通过资金补偿保障供应
2008	Prezista	人类免疫缺陷病毒/获得性免疫缺陷综合征	通过KOEDC免费供应
2009	Elaprase	黏多糖贮积症Ⅱ型	关税豁免后重新供应
2009	Naglazyme	黏多糖贮积症Ⅳ型	通过资金补偿保障供应
2009	Myozyme	糖原贮积症Ⅱ型	通过资金补偿保障供应
2009	NovoSeven	血友病	价格重新谈判
2018	Lipiodol	经导管动脉化疗栓塞	价格重新谈判
2021	Dactinomycin	肾母细胞瘤	外包生产

供应的孤儿药，政府还会为这部分生产企业或进口商提供资金补偿来弥补难以收回的生产成本或流通成本。2009年，Naglazyme（加硫酶）和Myozyme（美而赞）2种孤儿药均在政府的补偿支持下重新恢复了市场供应，这在一定程度上也起到了孤儿药研发激励的作用[13]。

4　韩国孤儿药紧急使用机制及实施现状

由于罕见病复杂多样，患者面临着个性化和多样化的用药需求，在特殊情况下的临床急需药品需要依赖临时进口。对此，KOEDC开通了“特例进口”的特殊申请路径，包括紧急进口药品申请和自我治疗用药品申请2条路径。

4.1　紧急进口药品申请路径

紧急进口药品需要经过MFDS的认定和批准，且只能由医疗机构、药房发起申请。药品批发企业、医院、药店等单位在申请时，需要提供1份营业执照和2份订货书，供MFDS查阅。MFDS批准药品进口后，KOEDC将与申请单位进行协商并签订合同，并在与海外供应商签约后再进口该药品，而后直接供应给申请单位。患者若需要使用该药品，需向医院或药店提交处方，并按照单位的规定签订知情同意书。

4.2　自我治疗用药品申请路径

自我治疗用药品可以由患者直接发起申请，具体程序如下：患者依据处方通过传真或网页申请窗口向KOEDC发起申请。KOEDC审查处方、诊断书等申请文件，并决定是否提供该药品。如果有库存，KOEDC将立即提供该药品；如果无库存，KOEDC将根据《药事法》的相关规定，直接进口该药品并提供给患者。在获得渠道上，由于KOEDC设立在首尔市，所以对于在首尔市的患者，KOEDC将提供快递服务，直接送货上门；对于在其他城市的患者，KOEDC将会把药品运送到当地的药房。患者通过这种途径获得药品仅需要支付药品成本、关税、附加税和海外运输费，不再加收其他费用。根据药品实际供应情况的不同，申请后患者可能需要4周左右才能获得药品。

在申请自我治疗用药品前，患者若想进一步确认预计药价、供应商信息等情况，可以填写《海外药品调查委托书》，委托KOEDC进行调查。KOEDC收到委托书后，将确认药品是否在国内供应；若确实无供应，则会通过邮件与海外企业取得联系，确认药品名称、制造商、是否专利药、价格、配送时间等信息，并调查能否获得供应。最后，KOEDC会将所有信息反馈给患者。

4.3　韩国孤儿药特例进口使用情况

紧急使用机制下，KOEDC主要为患者集中提供临床急需的特例孤儿药进口，一般为韩国制药公司或进口商不经营的品种。KOEDC在2021年全年通过“自我治疗用药品”渠道为患者提供了50余种孤儿药；截至2022年10月，KOEDC正在集中供应的117种药品中，有22种均是紧急进口孤儿药（表3）[14]。此外，患者还可以申请购买少量的境内未上市孤儿药自用。这补充了集中供应系统药品和境内孤儿药的缺口，有效提高了孤儿药的可获得性。

表3　KOEDC集中供应的（部分）孤儿药

药品名	治疗疾病	药品类型
Sativex	多发性硬化症	自我治疗用药品
Ruzurgi	兰伯特-伊顿肌无力综合征	自我治疗用药品
Retrovir	人类免疫缺陷病毒/获得性免疫缺陷综合征	自我治疗用药品
Nuedexta	肌萎缩侧索硬化	紧急进口药品
Delsym	药物难治性癫痫症	紧急进口药品
Cannabidiol	婴儿严重肌阵挛性癫痫	紧急进口药品
Idebenone	儿童莱伯遗传性视神经病变	紧急进口保险外药品
Lomustine	霍奇金淋巴瘤	紧急进口保险外药品
Oxsoralen	儿童银屑病	紧急进口保险外药品
Streptozocine	神经内分泌肿瘤	紧急进口保险外药品
Pulmozyme	囊性纤维化	紧急进口保险外药品
Lutetium（177Lu）oxodotreotide	胃肠道胰腺神经内分泌肿瘤	紧急进口临床急需药品
Phenoxybenzamine HCl	嗜铬细胞瘤	紧急进口临床急需药品
Stiripentol	婴儿严重肌阵挛性癫痫	紧急进口临床急需药品
Protein C Concentrate	先天性转铁蛋白缺乏症	紧急进口临床急需药品
Betaine anhydrous	胱氨酸尿症	紧急进口临床急需药品
Nitisinone	酪氨酸血症	紧急进口临床急需药品

5　我国孤儿药供应保障现状

5.1　我国孤儿药供应保障的主要措施

近年来，我国重视对孤儿药的上市激励，针对孤儿药基础研发、税收优惠、优先审评审批等方面出台了相应的政策，如《关于罕见病药品增值税政策的通知》《关于临床急需境外新药审评审批相关事宜的公告》等。同时，聚焦罕见病“境外有药，境内无药”的用药困境，国家已发布3批《临床急需境外新药名单》，涉及的73个品种中包含了40个孤儿药品种，超过遴选药物总量的50%；再配套认可境外临床试验数据、优先审评审批等举措，急需境外孤儿药的上市速度得到了有效提升。

在储备供应方面，我国明确要求紧抓药品供应保障制度建设，对于易短缺孤儿药建立了供求监测预警制

度，完善了短缺药品清单管理，发布了《关于改革完善短缺药品供应保障机制的实施意见》《关于组织开展小品种药（短缺药）集中生产基地建设的通知》等政策文件，采取生产扩能改造、临时进口等举措来保障供应。例如，我国在2020年12月发布了《临床必需易短缺药品重点监测清单》，其中包含Pyridostigmine Bromide Tablets（溴吡斯的明片）等6种孤儿药，促进了部分孤儿药短缺问题的解决。此外，为了满足患者对Clobazam（氯巴占）这类“国外已上市、国内无供应”的少量特定临床急需药品的需求，国家卫生健康委、国家药品监督管理局联合制定发布了《临床急需药品临时进口工作方案》和《氯巴占临时进口工作方案》[15]，以期解决患者少量特定医疗需求问题。再如，2022年9月，氯巴占在北京协和医院开出全国第一张处方，标志着我国临时进口政策正式落地，为解决其他孤儿药的可获得性问题提供了参考。

5.2 我国孤儿药供应保障的现存挑战

5.2.1 孤儿药上市迟滞问题明显 在孤儿药的可获得性问题上，我国仍然面临“境外有药，境内无药”的需求困境，而造成此现象的原因之一是孤儿药的上市迟滞。以《第一批罕见病目录》涉及的孤儿药为例，截至2022年11月底，我国已上市的孤儿药共有89种，仅占全球上市孤儿药的53%[16]，且许多临床急需境外新药在我国仍处于“待申报”“无计划”“未上市”的状态。

5.2.2 孤儿药短缺响应效率较低 短缺孤儿药的供应保障问题，涉及工业和信息化主管部门、药品监督管理部门、卫生健康主管部门、财政部门等多个部门的协调合作。但由于缺乏统一的信息系统和专职的管理部门，出现孤儿药短缺时，部门之间的协作面临信息沟通不畅的障碍，响应效率降低。一些无法持续经营、保障供应的孤儿药品种，从市场反馈短缺信息到恢复供应周期较长，容易出现延误治疗的情况。

5.2.3 孤儿药紧急使用机制不健全 氯巴占临时进口的实现，为我国开辟了解决药品可获得性问题的新思路。但由于该路径在我国刚刚起步，紧急使用机制仍然有进一步完善的空间。当前临时进口途径，仅可由定点医疗机构发起申请，且集中于部分临床急需的品种，尚不能完全满足罕见病患者的用药需求。由于罕见病的类型复杂，孤儿药的需求也呈现出多样化和个性化的特点，很多“救命药”并未出现在临床急需境外新药名单中，部分患者的特定需求缺乏合规的进口途径。

6 韩国孤儿药供应保障的有关经验及启示

6.1 完善认定和激励政策，缩短孤儿药上市迟滞

我国有关孤儿药的激励政策涉及研发、审批、税收、供应、支付等多个环节，但由于缺乏明确享受支持政策的前置条件和标准，各个政策之间的衔接性较差。要想这些激励政策释放相应的红利，还需要明确遴选标准，建立孤儿药认定渠道。由于我国发布的《第一批罕见病目录》覆盖范围有限，建议在确定孤儿药遴选标准的时候，从流行病学角度出发，设定发病率或患病率要求、疾病严重程度、比较临床优势等标准，拓宽孤儿药的认定范围。

同时，建议我国完善孤儿药研发、上市相关的激励政策，在激励本土研发企业创新的同时鼓励引进。一方面，可以加大对研发企业的资助力度，并出台专项政策扶持本土孤儿药研发企业。另一方面，我国可以细化减免临床试验的相关规定。对已在欧盟、美国上市的孤儿药，适当放宽对孤儿药人种桥接试验数据量的要求，并协助企业进行前期孤儿药的临床试验设计和上市后的数据收集。在有效控制风险的同时，给予更大限度的临床支持，加速境外产品在国内的上市进程。

6.2 增设专职管理部门，提高信息系统监测效率

韩国成立了KOEDC作为负责孤儿药供应保障的专职部门，并通过各部门之间的协调运作机制，将事前监测、事中调查和事后解决措施的落实衔接在一起，提高了整体的供应保障效率。基于此，建议在我国国家卫生健康主管部门下设立负责孤儿药供应保障的专职管理部门，发挥信息收集与提供、供应链构建的功能，在调查短缺原因的基础上形成孤儿药供应保障措施，并协调相关部门来落实相应的保障工作。例如，负责孤儿药供应保障的部门可以收集和调查海内外的孤儿药信息，形成数据库，提供给患者、患者家属、研究人员、研究机构、制药公司和药品进口商，以确保孤儿药的市场信息透明。对于难以在国内市场持续供应的孤儿药，应与制药公司或进口商保持联系，建立畅通的信息链和供应链，监测供求信息。当发现供应中断时，负责孤儿药供应保障的部门应秉持“分类处理”的基本原则，调查短缺的原因和海内外的药品信息，从经济性、短缺频率、临床必需性和厂商需求多个角度综合形成解决措施并反馈给对应主管部门以恢复供应。例如，涉及定点复产的，应向工业和信息化主管部门提交现有厂商的调查意愿和招标方案；涉及价格重新谈判的，应向医疗保障部门提供市场价格调查信息；涉及需要临时进口的临床急需药品，应提供海外供应商的基本信息和预算，并协调卫生健康主管部门和药品监督管理部门形成临时进口方案。

6.3 优化临时进口途径，保障临床急需药品的供应

韩国针对罕见病患者个性化的用药需求，开通了个人自用孤儿药的特殊进口途径，对提升孤儿药的可获得性具有重要意义。单靠患者有限的信息来源寻找进口

途径、联系境外购药厂商，容易滋生额外的渠道风险，也会过度消耗患者的时间和精力，耽误治疗。而通过官方渠道进口药品能够在实现药物可获得的同时，保证药品来源可靠。利用官方平台进行“海外药品信息征集”也能够加快找到海外的供应厂商并安排进口，提高患者获得药品的效率。

临时进口作为供应保障管理的有益补充，短期内将在解决罕见病患者“境外有药、境内无药”的用药困境上发挥作用。因此，建议我国在当前临时进口途径的基础上，增加“个人自用药品”的申请渠道，接受罕见病患者发起的进口申请，满足其特定用药需求。在路径设计上，负责组织进口的部门，应要求患者阅读责任风险分担和免责的相关规定后提交处方、诊断书和书面的知情同意书，而后审查患者资料的真实性，并组织专家调查国内供应现状、替代药品的基本情况和海外的供应信息、供应价格。若确需进口，则应在确认用量的基础上，对患者自用药品进行一次性采购和供应。为保障临时进口药品的合理使用，可以由药品监管部门将药品邮寄到患者附近的定点医疗机构或药房，由具有资质的医师、药师指导患者用药，告知患者用药详情、可能的不良反应及其他注意事项。

7 结语

本文从上市激励机制、储备供应机制和紧急使用机制3个方面出发，提出了构建我国孤儿药供应保障体系的基本建议：明确我国孤儿药的认定标准，适当降低对海外已上市孤儿药的数据要求，缩短上市迟滞；设立孤儿药供应保障的专职管理部门，通过完善信息系统，提高供应保障的协调性和运作效率；优化临时进口途径，关注患者对海外药品的合理需求，减少派生风险。只有在政府各部门及药品供应各利益相关方的协调和配合之下，紧抓孤儿药研发上市、生产流通、采购使用等重点环节，才能有效优化我国孤儿药的供应保障工作。

参考文献

[1] 陈敏，郎炳辰，张伶俐，等. 我国进口孤儿药可及性的调查研究[J]. 中国药学杂志，2017，52(8)：702-705.

[2] 谷景亮，鲁艳芹，张睿，等. 实现我国罕见病药物可及策略研究[J]. 卫生软科学，2013，27(6)：325-327.

[3] 吴佳，王高峰. 孤儿药可及性问题的伦理审视[J]. 锦州医科大学学报(社会科学版)，2020，18(2)：11-14，18.

[4] Ministry of Food and Drug Safety. Orphan drug designation regulations (No. 2018-41) [EB/OL]. (2018-06-01) [2022-03-05]. https://impfood.mfds.go.kr/CFBDD02F02?active=00035&cntntsSn=285720&cntntsMngId1=00035.

[5] Ministry of Health and Welfare. Rare disease management law[EB/OL]. (2020-09-12)[2022-03-22]. https://www.law.go.kr/LSW//lsLinkProc.do?lsNm=%ED%9D%AC%EA%B7%80%EC%A7%88%ED%99%98%EA%B4%80%EB%A6%AC%EB%B2%95&chrClsCd=010202&mode=20&ancYnChk=0#.

[6] HYEONG G L, EILEEN J S. Distribution and marketing of drugs in South Korea: overview[EB/OL]. (2019-10-01) [2022-03-22]. https://uk.practicallaw.thomsonreuters.com/6-618-5565? contextData= (sc. Default) &transitionType=Default&firstPage=true.

[7] Organisation for Economic Co-operation and Development. R&D tax incentives: Korea[EB/OL]. (2020-12-15) [2022-10-22]. https://www.oecd.org/sti/rd-tax-stats-korea.pdf.

[8] SON K B. Market exclusivity of the originator drugs in South Korea: a retrospective cohort study[J]. Front Public Health, 2021, 9: 654952.

[9] Ministry of Food and Drug Safety. 2021 drug approval report[EB/OL]. (2022-06-30)[2022-10-22]. https://www.mfds.go.kr/eng/brd/m_19/view.do?seq=70437.

[10] Ministry of Food and Drug Safety. Ministry of Food and Drug Safety White Paper[EB/OL]. (2021-08-20)[2022-10-22]. https://www.mfds.go.kr/docviewer/skin/doc.html?fn=20210820051540953.pdf&rs=/docviewer/result/data0013/33414/2/202203.

[11] CHO I, HAN E. Drug lag and associated factors for approved drugs in Korea compared with the United States [J]. Int J Environ Res Public Health, 2022, 19(5): 2857.

[12] Knowledge Ecology International. Request for Unity Korea: gleevec price reduction[EB/OL]. (2009-10-10) [2022-10-22]. https://www.keionline.org/21061#:~:text=Korean%20civil%20society%20has%20asked%20KEI%20to%20disseminate,for%20trying%20to%20reduce%20the%20price%20a%2014%25.

[13] UAEM Korea. Access to orphan drugs in South Korea : blind spot of the Korean health system[EB/OL]. (2021-06-30) [2022-10-22]. https://docslib.org/doc/2118490/access-to-orphan-drugs-in-south-korea-blind-spot-of-the-korean-health-system.

[14] The Korea Orphan and Essential Drug Center. Center supply drugs[EB/OL]. [2022-10-22]. https://www.kodc.or.kr/drugInfo?medcinCtgryCode=E.

[15] 赵苑旨，侯佳欣. 50家医院将能用氯巴占[N]. 健康时报，2022-07-08(14).

[16] 李禾. 让罕见病患者有医、有药、有保障[N]. 科技日报，2023-01-11(8).

（收稿日期：2022-11-09 修回日期：2023-03-23）

（编辑：林 静）