



RED CROSS REPORT
人道公益系列报告

打通重大疾病救治保障 最后一公里研究

——以ITP救治保障制度为例

*Open up the last mile research to ensure the treatment of
major diseases*

创造人道和有尊严的生活 To Build A Life With Humanity And Dignity



20

摘 要

重大疾病仍然是我国城乡居民因病致贫、因病返贫的重要原因，完善重大疾病救治保障机制仍然是我国民生领域亟需解决的重要问题。我国政府在一直致力于解决重大疾病患者的救治保障问题，在诊疗服务、药品供应保障和医疗保障制度方面出台了众多政策，重大疾病患者的就医负担得到有效缓解，但部分地区在落实重大疾病救治保障政策方面仍然有提升空间，部分地区重大疾病救治保障的最后一公里仍有待打通。

为了更好地打通重大疾病救治保障的最后一公里，更好地完善重大疾病救治保障制度，使公共政策能够及时惠及重大疾病患者，中国红十字基金会以免疫性血小板减少症（ITP）为切入点，力图真实反映我国重大疾病救治保障过程中的最后一公里难题，并提出打通重大疾病救助保障最后一公里的政策建议，为完善我国重大疾病救治保障制度提供决策依据。

免疫性血小板减少症（ITP）是一种获得性自身免疫性出血性疾病，约占出血性疾病总数的 1/3。由于疾病病程长，治疗负担重，ITP 患者及其家庭因病致贫、因病返贫现象仍然时有发生。为此，2019 年 8 月，中央纪委国家监委机关牵头，会同 15 个中央国家机关制定了《在“不忘初心、牢记使命”主题教育中专

项整治漠视侵害群众利益问题的实施方案》，其中，“推动解决群众看病就医经济负担较重问题，重点解决 10 种发病率高的儿童血液病和儿童恶性肿瘤救治问题”作为一项专项工作被单独列出，ITP 也是 10 种疾病之一。

国家卫生健康委、国家医保局等部门先后针对 ITP 保障出台了相关政策，致力于解决 ITP 患者的救治保障问题，但相关政策出台后，部分患者并没有及时从政策中获益。为此，中国红十字基金会卫生智库项目聚拢国内医疗卫生医保政策专家和血液病领域的医学专家，并联合患者组织，开展 ITP 患者调查，了解 ITP 患者救治、保障现状及其家庭的经济负担，通过细致深入地调查和多角度地探索研究，发现政策落地的最后一公里难题，希望打通 ITP 保障的最后一公里，为进一步完善重大疾病保障政策提供依据，为缓解我国重大疾病患者因病致贫和因病返贫、巩固健康脱贫攻坚成果奠定基础。

研究发现：ITP 患者确诊时间较短，近 2/3 的患者在一个月

内得到确诊，92%的患者在 1 年内得到确诊；ITP 患者确诊机构主要为地市级以上综合医院和血液病专科医院，在县级综合医院确诊的比例不到 5%；50%以上的患者在医保统筹地区得到确诊。70%左右的 ITP 患者接受过激素治疗，近 60%的患者使用激素时间不超过 6 个月；有 80%以上的 ITP 患者接受过中药治疗；有 55%左右的患者有过输注血小板的经历。有 60%以上的

ITP 患者（应答者）使用过二线治疗方案，二线治疗方案中，近 70% 的患者使用了血小板生产刺激因子（TPO）。有 30% 的患者有过中断治疗的经历，其中有 1/6 的患者因为经济原因中断治疗。ITP 患者管理滞后，60% 以上的患者反映没有专人或者专门的机构对其进行定期随访与管理。

本次调查的 ITP 患者中，85% 以上的患者参加了城镇职工或城乡居民基本医疗保险。分别有 68.1% 和 26.5% 的 ITP 患者发生的住院费用和门诊费用纳入了当地医保的报销范围，仅有 7.2% 的患者去零售药店购药的费用纳入了当地医保的报销范围。医疗救助仅惠及不到 5% 的 ITP 患者，有 10% 左右的患者曾经从慈善捐赠中获益。从就医负担看，ITP 患者医药费用的个人自付比例平均为 35.10%，介于职工医保和居民医保参保患者的住院费用个人自付比例之间；其中药品费用的自付比例高达 82.22%，个人自付的药品费用占个人自付费用的比例超过 50%。有 48.44% 的 ITP 患者其 2020 年的个人自付医药费用超过其家庭收入的 40%（世界卫生组织认定的灾难性支出标准）。

本研究发现，我国重大疾病患者的保障进展仍不平衡。部分重大疾病，如大部分罕见病，目前仍然存在诊断难、缺乏有效的治疗手段和药物，现有的保障制度也难以为其提供足够的帮助；部分重大疾病如 ITP 的保障已经取得重要进展，诊疗服务能力不断提升，对症的药品不断升级换代，保障制度也逐步

健全。对于前者，目前仍需要全方位加强诊疗、药品和就医费用保障制度建设；对于后者，则主要关注如何使现有的制度和政策能够及时惠及重大疾病患者，即本次研究讨论的重大疾病保障的最后一公里问题。

针对 ITP 保障的最后一公里问题，本次研究发现主要存在五个方面的最后一公里：一是县级医院的血液专科服务能力不足，是影响 ITP 保障最后一公里的重要因素；二是医保目录内药品能否进医院，对 ITP 保障的最后一公里具有重要影响；三是目录内药品能否纳入门诊特殊疾病保障范围或特殊药品管理，是 ITP 保障能否打通最后一公里的决定性因素；四是能否制订信息共享规则，使医保部门、医疗机构、患者和慈善组织之间及时共享信息，对打通 ITP 多层次保障的最后一公里具有重要意义；五是能否对患者进行规范管理，对打通 ITP 保障最后一公里的效果具有重要影响。

研究建议：打通 ITP 保障的最后一公里涉及到多部门、多层次和多个利益相关主体。需要各方共同努力，才能真正打通最后一公里，提升 ITP 患者的保障水平。

一是提升县级医院的血液专科诊疗服务能力，打通诊疗服务的最后一公里。建议进一步加强县医院血液专科能力建设，可以借助“互联网+”强化专科医联体建设，缩小县级医院与上级医院之间的血液专科诊疗服务差距，逐步实现 ITP 患者就诊

不出县。

二是强化医院 ITP 药品配备，打通药品保障的最后一公里。建议卫生健康部门调整对公立医院的绩效考核指标，将创新药或高值药谨慎纳入药占比或次均费用的考核范围，同时提升医院药品配置的品规要求，更好地满足患者的诊疗需求；建议医保部门将通过谈判纳入目录的药品、以及纳入门诊特殊疾病保障或特殊药品管理的药品，其费用不纳入医院的医保支付总额，鼓励医院及时根据临床需要配备药品，更好地满足患者的用药需求。

三是根据诊疗需求，及时将 ITP 及其药物纳入门诊特殊疾病保障或特殊药品管理范围，打通 ITP 医疗保障的最后一公里。建议统筹地区的医保部门，及时将 ITP 相关药物纳入门诊特殊疾病或门诊特殊药品的保障范围，满足 ITP 患者的诊疗需求，提升 ITP 患者的医保待遇，打通 ITP 医疗保障的最后一公里。

四是制订信息共享规则，推动患者需求与慈善组织供给的有效衔接。建议医保部门、医疗机构、慈善组织、药品生产企业、商业健康保险机构和患者组织之间建立针对重大疾病多层次保障的信息共享规则，利用信息技术，加强患者与慈善组织之间的衔接，缓解供需脱节，为更好地满足患者的多层次保障需求奠定基础。

五是规范 ITP 患者管理，提升患者诊疗服务的连续性和依

从性。建议卫生健康部门牵头，规范 ITP 等慢性病患者的健康管理，提升患者诊疗服务的连续性和依从性；建立患者组织的管理规范，确保患者管理的规范与连续，提升患者的诊疗服务质量。

关键词：医疗保障；药物可及性；就医管理；慈善救助

目 录

1	背景	1
2	数据来源与方法	3
3	研究结果	3
3.1	ITP 患者的基本情况	3
3.1.1	性别、年龄与地域分布	3
3.1.2	教育程度	5
3.1.3	户籍分布与居住状况	6
3.1.4	医保制度覆盖情况	7
3.1.5	就业状况	7
3.1.6	患者主要经济来源	8
3.2	ITP 患者就医情况	9
3.2.1	确诊时间	9
3.2.2	确诊机构	10
3.2.3	接受治疗情况	11
3.2.4	患者管理情况	15
3.3	健康状况与生活状况	16
3.4	患者医疗保障情况	20
3.4.1	诊疗服务覆盖情况	20
3.4.2	医疗救助与慈善捐赠覆盖情况	21

3.4.3	就医负担与灾难性支出发生情况.....	21
3.5	利益相关方反映 ITP 保障的主要问题.....	25
3.5.1	医疗服务供给方面.....	25
3.5.2	医疗保障方面.....	30
3.5.3	ITP 患者方面.....	32
4	讨论分析.....	33
4.1	我国重大疾病患者的保障进展仍不平衡.....	33
4.2	ITP 保障的主要进展.....	34
4.2.1	诊疗服务能力有所提升，患者诊疗服务的可及性有所改善....	34
4.2.2	药物供应保障能力明显提升，药物的选择范围更加广泛.....	34
4.2.3	费用分担机制初步建立，患者就医负担有所缓解.....	35
4.2.4	患者管理已经起步，但管理的规范性和连续性亟需改进.....	35
4.3	ITP 保障最后一公里面临的主要挑战.....	35
4.3.1	诊疗服务能力特别是县医院的专科诊疗服务能力不足，仍是影响 ITP 保障最后一公里的重要因素.....	35
4.3.2	目录内药品能否进医院，对 ITP 保障的最后一公里具有重要影响.....	36
4.3.3	能否纳入门诊特殊疾病保障范围或特殊药品管理，是能否打通 ITP 保障最后一公里的决定性因素.....	36
4.3.4	能否制订信息共享规则，对打通 ITP 多层次保障的最后一公里具有重要意义.....	36
4.3.5	能否对患者进行规范管理，对打通 ITP 保障最后一公里的效果具有重要影响.....	37

5 打通 ITP 保障最后一公里的建议	37
5.1 提升县级医院的血液专科诊疗服务能力，打通诊疗服务的最后一公里.....	37
5.2 强化医院 ITP 药品配备，打通药品保障的最后一公里.....	38
5.3 根据诊疗需求，及时将 ITP 药物纳入门诊特殊疾病保障或特殊药品管理范围，打通 ITP 医疗保障的最后一公里.....	38
5.4 制订信息共享规则，推动患者需求与慈善组织供给的有效衔接...	38
5.5 规范 ITP 患者管理，提升患者诊疗服务的连续性和依从性.....	39
参考文献	39
报告编写组成员	40
致 谢	41

1 背景

重特大疾病是导致我国城乡居民因病致贫、因病返贫的重要原因，完善重大疾病保障是我国健康保障制度建设的重要内容，也是推进健康中国建设和加快建立全民健康覆盖的重要举措。为破解因病致贫、因病返贫，缓解重大疾病带来的灾难性支出，我国政府多措并举，不断完善重特大疾病的救治和保障机制。

2019年8月，中央纪委国家监委机关牵头，会同15个中央国家机关制定了《在“不忘初心、牢记使命”主题教育中专项整治漠视侵害群众利益问题的实施方案》，其中，“推动解决群众看病就医经济负担较重问题，重点解决10种发病率高的儿童血液病和儿童恶性肿瘤救治问题”作为一项专项工作被单独列出。国家卫生健康委医政医管局也于2020年1月下发《国家卫生健康委办公厅关于进一步做好儿童重大疾病救治管理工作的通知》，要求各级卫生健康行政部门要推动政策有效落实、落地、落细，结合地方实际，加大工作力度，切实落实各项工作要求，提高人民群众获得感。

免疫性血小板减少症 (Immune thrombocytopenia, ITP)属于上述10种高发病率的重大疾病之一，是一种获得性自身免疫性出血性疾病，约占出血性疾病总数的1/3。其临床表现以皮肤黏膜出血为主，严重者可发生内脏出血，甚至致命性颅内出血，出血风险随年龄增长而增加。根据近些年来的统计调研表明，ITP成年人发病率也很高，育龄期女性发病率高于男性，男性60岁以上高发；成人发病率为5-10/10万，儿童发病率约为4-5/10万；慢性型ITP很少自愈，易反复发作，病程可长达数十年，有些需要终身治疗和服药。

治疗和用药的经济负担是阻碍和中止患者规范化治疗的重要原因。大

部分患者从儿童时期患病，使整个家庭数十年陷于囹圄。据一些研究表明，临床上 ITP 有明确的临床诊疗规范，患者病程长，需要连续规范化的治疗和用药，约 90%ITP 患者可经门诊治疗获得良好的疾病控制而无需住院治疗。目前，ITP 的治疗手段明确，临床路径清晰，对于新诊断的 ITP 患者，首先使用一线治疗药物，这些药物价格便宜，短期治疗有效，但长期应用可能出现骨质疏松、股骨头坏死等不良反应；临床中大多数 ITP 患者会接受二线治疗，大多数二线治疗药物已经纳入国家医保目录。基于 ITP 疾病特点，患者需要长期在门诊治疗，年治疗费用在 6-12 万，但是我国大部分地市未将 ITP 纳入门诊报销范畴或报销额度低，无法保障患者的规范治疗，因此造成患者“小”病“大”治和不必要的住院，或者由于无法足量足疗程的规范用药造成“小”病拖成“大”病等危险情况发生，都会给患者和医保基金造成不必要的支出与浪费。

虽然已经有了疗效确切的药品，并且药品已经列入国家医保药物目录，但患者仍然用不起药，ITP 患者及其家庭因病致贫、因病返贫现象仍然时有发生，患者常常因经济原因中止治疗而导致病情恶化，患者在印度等国代购价格便宜的仿制药的现象层出不穷。医保政策福利待遇如何真正落实到患者救治，如何避免患者为报销药费而住院造成不必要医疗资源和医保基金的浪费？这样的情况不仅存在于 ITP 的救治，其他许多重特大疾病救治保障也存在这样的难题。

为探寻上述难题之解，中国红十字基金会卫生智库项目，聚拢国内医疗卫生医保政策专家和血液病领域的医学专家，并联合患者组织，在部分地区开展了 ITP 患者调查，了解 ITP 患者救治、保障现状及其家庭的经济负担，通过细致深入地调查和多角度地探索研究，对落实儿童重大疾病救治综合保障措施提出政策建议并进行政策倡导，避免罹患重大疾病的儿童及其家庭因病致贫和因病返贫，打赢健康脱贫攻坚的最后一战。

2 数据来源与方法

文献资料：主要来自 CNKI、维普、万方数据库和世界卫生组织官网。

定量资料：患者就医情况、诊疗服务利用及就医负担情况主要通过 ITP 家园合作开展的在线调查获得，本次调查共邀请了 230 名患者（或家属）参与。

定性资料：主要通过 ITP 患者、部分地区的医保主管领导、医院的临床专家和药学专家访谈获得，共访谈了临床专家、药学专家、医保管理人员、患者组织和慈善组织负责人 52 位。

数据分析：采用了描述性统计分析的方法，对于灾难性支出，本研究采用了世界卫生组织（WHO）通用的测量方法，即个人年度就医支出超过家庭可支配收入的 40%。

3 研究结果

3.1 ITP 患者的基本情况

3.1.1 性别、年龄与地域分布

本次调查的 ITP 患者中，男性和女性分别为 93 人和 137 人，所占比例分别为 40.4%和 59.6%。

本次调查的患者中，儿童（14 周岁及以下）ITP 患者为 114 人，占有调查者的比例达 49.57%；其中 20 岁以下患者（含儿童）所占比例最高，达 54.67%；随着年龄的增加，参与本次调查的人数逐渐下降，20-29 岁、30-39 岁、40-49 岁、50-59 岁和 60 岁及以上患者占调查人数的比例分别为 13.33%、12.44%、9.33%、6.67%和 3.56%（表 1-1）。

表 1-1 参与调查的患者年龄分布

年龄分组（岁）	应答人数（人）	所占比例（%）
20 岁以下	123	54.67
其中儿童（≤14）	114	49.57
20-	30	13.33
30-	28	12.44
40-	21	9.33
50-	15	6.67
60 岁及以上	8	3.56
合计	225	100

参与本次调查的患者覆盖了 27 个省份，其中新疆参与调查的患者最多，达 32 人，占调查人数的比例为 13.91%；超过 10 人参与调查的省份还有湖南、广西、黑龙江、江苏、云南和辽宁省；其余省份参与调查的患者不足 10 人（表 1-2）。

表 1-2 参与调查的患者地域分布

地区	参与调查人数（人）	占比（%）
新疆	32	13.91
湖南	22	9.57
广西	18	7.83
黑龙江	16	6.96
江苏	12	5.22
云南	12	5.22
辽宁	11	4.78
湖北	9	3.91

地区	参与调查人数（人）	占比（%）
四川	9	3.91
浙江	9	3.91
广东	7	3.04
安徽	6	2.61
河南	6	2.61
山东	6	2.61
上海	5	2.17
北京	4	1.74
江西	4	1.74
重庆	4	1.74
陕西	3	1.30
甘肃	2	0.87
贵州	2	0.87
吉林	2	0.87
山西	2	0.87
福建	1	0.43
河北	1	0.43
宁夏	1	0.43
天津	1	0.43
未注明省份	23	10.00
合计	230	100

3.1.2 教育程度

参与调查的患者中，47%的或者为小学或未到入学年龄，11.7%的患者

具有初中文化程度，8.7%的患者具有高中或中专文化程度，31.70%的患者接受过高等教育，其中 14.30%的患者具有大专学历，17.40%的患者具有本科及以上学历（表 2）。

表 2 参与调查的患者受教育程度分布

文化程度	应答人数（人）	所占比例（%）
小学或未到入学年龄	108	47.00
初中	27	11.70
高中或中专	20	8.70
大专	33	14.30
本科及以上学历	40	17.40
未上学	2	0.90
合计	230	100.00

3.1.3 户籍分布与居住状况

本次调查的患者以城镇户籍为主，城镇户籍和农村户籍患者占调查人数的比例分别为 54.81%和 45.19%（图 1）。

参与调查的 ITP 患者，大多数与家人住一起，占调查人数的 89.4%，有 4.3%的患者独自居住，另有 6.3%的患者与朋友住一起（表 3）。

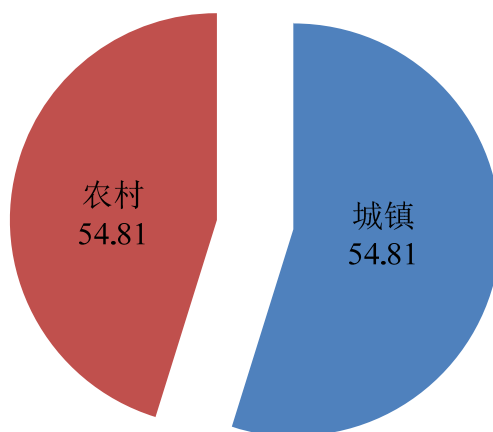


图 1 参与调查患者户籍分布

表3 参与调查的患者居住状况

居住状况	应答人数 (人)	所占比例 (%)
与家人住一起	186	89.4
独自居住	13	4.3
与朋友住一起	9	6.3
合计	208	100.0

3.1.4 医保制度覆盖情况

参与本次调查的患者，大多被城乡居民基本医疗保险制度覆盖，占调查人数的 51.30%；有 34.35% 的患者被城镇职工基本医疗保险制度覆盖，9.57% 的患者拥有商业健康保险，3.04% 的患者有其他医疗保险，仍有 2.6% 的患者没有被任何医疗保险制度覆盖（表 4）。参与本次调查的患者，有 3.8% 的患者被当地列为低保户或贫困户。

表4 参与调查的患者医疗保险制度覆盖情况

保险制度类别	应答人数 (人)	所占比例 (%)
职工医保	79	34.35
居民医保	118	51.30
商业健康保险	22	9.57
其他	7	3.04
未参加医保	6	2.61
合计	230	100.00

3.1.5 就业状况

参与调查的 ITP 患者，大多未到就业年龄，占调查人数的 44.23%，正

式就业人员占 22.60%，未就业人员占 15.38%，非正式就业人员占 12.02%，离退休人员占 5.77%。对 30-60 岁之间（主要就业年龄）的患者进行分析，发现正式就业者占 57.41%，未就业者占 22.22%，非正式就业占 20.37%（表 5-1，5-2）。

表 5-1 参与调查的患者就业状况

就业类别	应答人数（人）	所占比例（%）
未到就业年龄	92	44.23
正式就业	47	22.60
未就业	32	15.38
非正式就业	25	12.02
离退休	12	5.77
合计	208	100

表 5-2 参与调查的 30-60 岁患者就业状况

就业类别	应答人数（人）	所占比例（%）
正式就业	31	57.41
未就业	12	22.22
非正式就业	11	20.37
合计	54	100

3.1.6 患者主要经济来源

参与调查的 ITP 患者，其主要经济来源为个人或配偶收入，占调查人数的 43.67%；37.12%的患者经济来源为父母收入，来自子女收入的占 3.06%，来自社会救助的比例为 1.31%，来自亲属捐赠的比例为 0.44%（表 6）。

表 6 参与调查的 ITP 患者主要经济来源情况

经济来源	应答人数 (人)	所占比例 (%)
个人或配偶收入	100	43.67
父母收入	85	37.12
子女收入	7	3.06
亲属捐赠	1	0.44
社会救助	3	1.31
其他来源	33	14.41
合计	229	100.0

3.2 ITP 患者就医情况

3.2.1 确诊时间

不同的 ITP 患者从发病到确诊花费的时间存在明显差别。总体上看, 由于临床诊疗技术的提升, ITP 在血液科大多很快就可以确诊。参与本次调查的患者, 大多在发病后的 1 月内可以确诊, 占应答人员的比例为 64%; 超过 1 个月但在 6 个月之内得到确诊的患者占应答人数的 17.4%, 在半年以上一年以内得到确诊的占 7.11%, 有 9.78% 的患者从发病到确诊时间超过 1 年 (表 7)。

表 7 参与调查的 ITP 患者确诊花费时间

确诊花费时间 (月)	应答人数 (人)	所占比例 (%)
≤1	144	64.00
1-6	43	19.11
7-12	16	7.11
>12	22	9.78
合计	225	100.0

3.2.2 确诊机构

参与调查的 ITP 患者，大多在国家级或省级综合医院得到确诊的，占调查人数的比例为 47.47%，有 29.29% 的患者在地市级综合医院得以确诊，有 2.02% 的患者在县级医院得到确诊，20.71% 的患者在血液病专科医院得以确诊，还有 0.51% 的患者在其他医疗机构得到确诊（表 8-1）。从确诊机构与患者居住地之间的关系看，大多数患者均可以在本省（直辖市、自治区）的地级市范围内（一般为医保统筹地区）得到确诊，占调查人数的 52.88%，另有 26.18% 的患者在省内统筹地区外的医疗机构得到确诊，有 20.94% 的患者通过跨省就医得到确诊（表 8-2）。

表 8-1 参与调查的患者确诊机构分布情况

确诊医疗机构类别	应答人数（人）	所占比例（%）
国家级或省级综合医院	94	47.47
地市级综合医院	58	29.29
县级综合医院	4	2.02
血液病专科医院	41	20.71
其他医疗机构	1	0.51
合计	198	100.0

表 8-2 确诊机构与患者居住地之间的关系

确诊机构与居住地的关系	应答人数（人）	所占比例（%）
同一省份（直辖市、自治区）同一地市	101	52.88
同一省份不同地市	50	26.18
不同省份	40	20.94
合计	191	100.0

患者在确诊前因为该病就诊的医疗机构平均为 4.04 个,中位数为 2 个,有 23 名患者在确诊前曾经就诊超过 5 家医疗机构,占调查人数的 12.04%。

3.2.3 接受治疗情况

参与调查的 ITP 患者, 51.3%的患者目前正在接受治疗。有 86%的患者曾经接受过门诊治疗, 有 61.9%的患者曾接受过住院治疗, 有 15.5%的患者有过自行购药治疗的经历(表 9)。

表 9 参与调查的患者接受过的诊疗服务情况

诊疗类别	治疗人数(人)	所占比例(%)
门诊治疗	138	60.00
住院治疗	151	65.65
自行购药治疗	94	40.87

(1) 一线治疗情况

接受一线治疗的 ITP 患者, 有 23.48%的患者使用足量激素效果好, 减量血小板也能保持稳定; 有 33.48%的患者对激素敏感, 但减量后血小板也下降; 有 28.26%的患者对丙球蛋白敏感, 有 5.22%的患者使用丙球蛋白效果也不明显; 有 14.78%的患者使用激素或丙球蛋白效果都不明显(表 10)。

表 10 ITP 患者的一线治疗及效果

一线治疗类别	治疗人数(人)	所占比例(%)
足量激素效果好, 减量也保持稳定	54	23.48
足量激素敏感, 但是减量就下跌	77	33.48
丙球敏感	65	28.26
丙球效果不明显	12	5.22
激素丙球都效果不明显	34	14.78

230 名 ITP 患者中, 有 184 名患者使用过激素, 其中有 56.52% 的患者使用激素时间不超过半年, 有 23.37% 的患者使用激素的时间在半年到一年之间, 有 8.70% 的患者使用激素的时间在一年到两年之间, 有 2.72% 的患者使用激素的时间在 2 年-3 年之间, 有 8.70% 的患者使用激素的时间超过 3 年 (表 11)。

表 11 ITP 患者使用激素治疗的时间分布

使用激素治疗时间 (月)	治疗人数 (人)	所占比例 (%)
0-	104	56.52
7-	43	23.37
13-	16	8.70
25-	5	2.72
37-	16	8.70

184 名应答者中, 有 18.48% 的 ITP 患者没有接受过中药治疗, 有 45.65% 的患者口服中药的时间不超过 1 年, 有 19.02% 的患者使用中药治疗的时间在 1 年-2 年之间, 有 6.52% 的患者使用中药治疗的时间在 2 年-3 年之间, 有 10.33% 的患者使用中药治疗的时间超过 3 年 (表 12)。

表 12 ITP 患者口服中药的治疗时间分布

口服中药治疗时间 (年)	治疗人数 (人)	所占比例 (%)
没有使用	34	18.48
0-	84	45.65
1-	35	19.02
2-	12	6.52
3-	19	10.33

针对是否输注血小板，有 181 名 ITP 患者给予了回应，其中有 45.30% 的患者没有输注过血小板，有 19.89% 的患者输注过 1 次血小板，有 13.26% 的患者输注过 2-3 次血小板，有 21.55% 的患者输注过 3 次以上的血小板(表 13)。

表 13 ITP 患者输注血小板情况

输注血小板次数（次）	治疗人数（人）	所占比例（%）
0	82	45.30
1	36	19.89
2-3	24	13.26
>3	39	21.55

（2）二线治疗情况

针对二线治疗，有 181 名给予了回应，其中有 7.18% 的患者接受过脾切除，有 14.92% 的患者使用过利妥昔单抗或其他 CD20 单抗，有 39.23% 的患者使用过药品艾曲泊帕或其他血小板生成刺激因子(TPO)（表 14-1）。71 名使用过艾曲泊帕或其他血小板生成刺激因子(TPO)的患者，其中 59.09% 的患者使用了艾曲泊帕原研药，13.64% 的患者使用了艾曲泊帕仿制药（印度/孟加拉等国生产），27.27% 的患者使用了重组人血小板生成素针剂（表 14-2）。

表 14-1 接受二线治疗 ITP 患者人数及比例

二线治疗类型	治疗人数（人）	所占比例（%）
脾切除	13	7.18
利妥昔单抗或其他 CD20 单抗	27	14.92
艾曲泊帕或其他血小板生成刺激因子(TPO)	71	39.23

表 14-2 ITP 患者使用的 TPO 类型分布

TPO 类型	治疗人数 (人)	所占比例 (%)
艾曲泊帕原研药	39	59.09
艾曲泊帕仿制药	9	13.64
重组人血小板生成素针剂	18	27.27

ITP 患者自确诊后, 大多有中断治疗的经历。本次调查的患者中, 有 69.66% 的患者能够保持治疗的持续性, 有 30.34% 的患者有过中断治疗的经历(表 15-1)。其中有 16.67% 的患者因为经济困难而中断治疗, 有 29.63% 的患者因为疗程结束暂时不需要治疗, 有 31.48% 的患者因为治疗无效而中断治疗, 还有 22.22% 的患者因为其他原因中断治疗 (表 15-2)。

表 15-1 ITP 患者确诊后接受治疗的连续性情况

中断治疗的经历	应答人数 (人)	所占比例 (%)
有	54	30.34
无	124	69.66
合计	178	100.00

表 15-2 ITP 患者中断治疗的主要原因

中断治疗主要原因	应答人数 (人)	所占比例 (%)
经济困难	9	16.67
疗程结束暂时不需要治疗	16	29.63
治疗无效	17	31.48
其他原因	12	22.22
合计	54	100

(3) 疫情对 ITP 患者诊疗的影响

2020 年疫情期间，大部分 ITP 患者的诊疗没有受到影响，有 27.27% 的患者表示他们的诊疗受到了影响，主要表现为去医院就医受到限制、挂专科号比以前困难、购买药物较以前困难，占应答人数的比例分别为 23.86%、10.80%和 11.93%（表 16）。

表 16 疫情对 ITP 患者诊疗的影响

疫情对 ITP 患者诊疗的影响	应答人数（人）	所占比例（%）
无影响	128	72.73
有影响	48	27.27
去医院就医受到限制	42	23.86
挂专科号比以前困难	19	10.80
购买药物较以前困难	21	11.93

3.2.4 患者管理情况

ITP 患者管理滞后。本次调查的患者中，62.36%的患者反映没有专人或者专门的机构对其进行定期随访与管理（表 17-1）。尽管 ITP 家园——中国最大的 ITP 患者组织也参与了本次调查的组织协调，但在应答的患者中，仍有高达 59.09%的患者不知道中国有专门的 ITP 患者组织（表 17-2）。

表 17-1 ITP 患者管理情况

定期随访经历	应答人数（人）	所占比例（%）
有	67	37.64
无	111	62.36
合计	178	100

表 17-2 ITP 患者对患者组织的知晓情况

是否知道 ITP 的病友组织	应答人数 (人)	所占比例 (%)
是	72	40.91
否	104	59.09
合计	176	100

3.3 健康状况与生活状况

本次调查的 ITP 患者，其中有 20% 的患者完全治愈，有 9.41% 的患者为新诊断的 ITP 患者¹，有 14.71% 的患者为持续性 ITP 患者，有 42.94% 的患者为慢性 ITP 患者，有 8.24% 的患者为难治性 ITP 患者，有 4.71% 的患者为重症 ITP 患者（表 18）。

表 18 ITP 患者的健康状况

ITP 患者的健康状况	应答人数 (人)	所占比例 (%)
完全治愈	34	20.00
新诊断的 ITP	16	9.41
持续性 ITP	25	14.71
慢性 ITP	73	42.94
难治性 ITP	14	8.24
重症 ITP	8	4.71
合计	170	100

1 新诊断的 ITP 患者是指确诊后 3 个月以内的 ITP 患者；持续性 ITP 患者是指确诊后 3~12 个月血小板持续减少的 ITP 患者；慢性 ITP 患者是指血小板减少持续超过 12 个月的 ITP 患者；重症 ITP 患者是指血小板 $<10 \times 10^9/L$ ，且就诊时存在需要治疗的出血症状或常规治疗中发生了新的出血症状，且需要用其他升高血小板药物治疗或增加现有治疗药物的剂量；难治性 ITP 患者是指同时满足以下三个条件的患者①脾切除后无效或者复发；②仍需要治疗以降低出血的危险；③排除了其他引起血小板减少症的原因确诊为 ITP。

本次调查的 ITP 患者，其中有 26.47% 的患者（45 名）有出血症状，其中有 3 人有头部皮肤出血，有 18 人有其他部位皮肤出血，有 13 人有黏膜出血偶发、可自止，有 2 人黏膜出血，多发、持续不止，有 3 人黏膜出血且伴有贫血，有 1 人内脏出血不伴贫血，有 2 人内脏出血伴有贫血；有 2 人内脏出血危及生命，有 1 人有中枢系统出血（表 19）。

表 19 ITP 患者出血情况

ITP 患者出血部位	应答人数（人）
头部皮肤出血	3
其他部位皮肤出血	18
黏膜（鼻衄/牙龈/口腔血疱 / 结膜）出血偶发，可自止	13
黏膜（鼻衄/牙龈/口腔血疱 / 结膜）出血，多发、持续不止	2
黏膜（鼻衄/牙龈/口腔血疱 / 结膜）出血且伴有贫血	3
内脏出血（肺、胃肠道、泌尿生殖系统）不伴贫血	1
内脏出血（肺、胃肠道、泌尿生殖系统）伴有贫血	2
内脏出血（肺、胃肠道、泌尿生殖系统）危及生命	2
中枢系统出血	1
合计	45

本次调查的 230 名 ITP 患者，其中有 183 名有不同形式的并发症，占调查者的比例高达 79.56%，其中 5.56% 的患者有脂肪肝，3.91% 的患者有骨质疏松引起的骨折，有 0.87% 的患者出现股骨头坏死，有 4.35% 的患者出现严重感染，还有 64.78% 的患者有其他形式的并发症（表 20）。

表 20 ITP 患者并发症情况

ITP 患者并发症形式	应答人数 (人)	所占比例 (%)
脂肪肝	13	5.65
骨质疏松引起骨折	9	3.91
股骨头坏死	2	0.87
严重感染	10	4.35
其他并发症	149	64.78
合计	183	79.57

ITP 患者的血小板大多低于正常值，本次调查的患者中，有 45.3% 的患者最近 1 年血小板低于正常值的时间不到 1 个月，有 20% 的患者，血小板低于正常值的时间在 1-3 个月之间，有 10% 的患者血小板低于正常值的时间在 4-6 个月之间，有 24.7% 的患者血小板低于正常值的时间超过 6 个月（表 21）。

表 21 近 1 年内血小板低于正常值的 ITP 患者分布

ITP 患者低于正常值时间 (月)	应答人数 (人)	所占比例 (%)
<1	77	45.3
1-	34	20.0
4-	17	10.0
7-	42	24.7
合计	170	100.0

本次调查的 ITP 患者，从第一次发病起，血小板什么时候恢复正常（大于 $100 \times 10^9/L$ 并持续四月以上）经历的时间各不相同。有高达 58.9% 的患者血小板一直没有恢复至正常值，有 33.9% 的患者在一年内恢复至正常，

有 3.6%的患者在 2 年内恢复至正常，有 0.6%的患者在 3 年内恢复正常，有 3.0%的患者血小板超过 3 年才恢复正常（表 22）。

表 22 ITP 患者血小板恢复至正常值经历的时间

时间（年）	应答人数（人）	所占比例（%）
<1	57	33.9
1-	6	3.6
2-	1	0.6
3-	5	3.0
一直未恢复至正常	99	58.9
合计	168	100

ITP 对患者正常生活（工作和学习）的影响各不相同。20.8%的患者认为 ITP 没有影响其正常生活；54.8%的患者认为对其正常生活有一些影响，但自己可以克服；14.9%的患者认为 ITP 对其正常生活有影响，需要他人帮助才能克服；9.5%的患者认为对其正常生活有严重影响，需要有人长期照顾（表 23）。有 53.6%的 ITP 患者有过休学或病假的经历，其中 28%的患者休学或病假时间不足半年，有 10.7%的患者休学或病假时间在半年至 1 年之间，有 14.9%的患者休学或病假时间超过 1 年（表 24）。

表 23 ITP 对患者正常生活的影响

对正常生活的影响程度	应答人数（人）	所占比例（%）
没有影响	35	20.8
有一些影响，但自己可以克服	92	54.8
有影响，需要他人帮助才能克服	25	14.9
有严重影响，需要有人长期照顾	16	9.5
合计	168	100.0

表 24 ITP 对患者休学或休假的影响

休学或休假时间	应答人数（人）	所占比例（%）
无	78	46.4
休学或者病假小于半年	47	28.0
休学或者病假小于 1 年	18	10.7
休学或者病假大于 1 年	25	14.9
合计	168	100.0

ITP 对患者及其家人的情绪产生一定影响。其中 13.92% 的患者表示影响不大, 有 81.01% 的患者表示有过一过性、阵发性的焦虑和担忧, 有 3.16% 的患者表示因为 ITP 出现了抑郁症, 还有 1.9% 的患者表示有其他影响 (表 25)。

表 25 ITP 对患者及其家人情绪的影响

对患者及家人情绪的影响	应答人数（人）	所占比例（%）
影响不大	22	13.92
一过性、阵发性的焦虑和担忧	128	81.01
被诊断抑郁症	5	3.16
其他	3	1.90
合计	158	100.0

3.4 患者医疗保障情况

3.4.1 诊疗服务覆盖情况

大多数地区将 ITP 发生的住院费用纳入了当地医保制度的保障范围, 但患者的门诊费用和去药店购药发生的费用仅有少数地区纳入了医保的

报销范围。本次调查结果显示：68.1%的 ITP 患者发生的住院费用纳入了当地医保制度的保障范围，26.5%的患者发生的门诊费用纳入了当地医保制度的保障范围，仅有 7.2%的患者自行去药店购药的费用纳入了当地医保制度的保障范围（表 26）。

表 26 医疗保障制度对 ITP 患者的诊疗服务覆盖情况

医保报销范围	应答人数（人）	占应答者比例（%）
门诊服务	44	26.5
住院服务	113	68.1
药店自行购药服务	12	7.2

3.4.2 医疗救助与慈善捐赠覆盖情况

除了基本医疗保险制度报销外，少部分 ITP 患者还从医疗救助和慈善捐赠中受益。本次调查结果显示：4.52%的 ITP 患者曾经得到医疗救助的支持，10.32%的患者曾经接受过慈善机构或者基金会的捐赠（表 27）。

表 27 ITP 患者接受其他保障情况

保障类别	应答人数（人）	所占比例（%）
医疗救助	7	4.52
慈善捐赠	16	10.32

3.4.3 就医负担与灾难性支出发生情况

2020 年，参与调查的 ITP 患者发生的医药费用平均为 126874.50 元，中位数为 30000 元；其中个人自付费用平均为 44535.88 元，中位数为 22500 元；ITP 患者医药费用的个人自付比例为 35.10%。ITP 患者发生的药品费用平均为 27832.65 元，中位数为 10000 元；其中个人自付药品费用平均为

22884.42 元，中位数为 10000 元；ITP 患者药品费用的个人自付比例高达 82.22%，个人自付的药品费用占个人自付费用的比例超过 50%（表 28）。

表 28 参与调查的 ITP 患者 2020 年就医费用情况

项目	应答人数（人）	均值	中位数
总医药费用（元）	128	126874.50	30000
其中个人自付费用（万元）	128	44535.88	22500
医药费用个人自付占比（%）	--	35.10	--
总费用中药品费用（万元）	128	27832.65	10000
其中个人自付药品费用（万元）	128	22884.42	10000
药费个人自付占比（%）	--	82.22	--

不同保险制度覆盖的 ITP 患者，其个人自付费用及自付比例有所不同。参加职工医保的 ITP 患者，其 2020 年的医药费用平均为 11.86 万元，个人自付平均为 5.20 万元，个人自付比例为 43.84%，药品费用平均为 2.95 万元，个人自付药品费用平均为 2.35 万元，药品费用个人自付比例达 79.66%；参与居民医保的 ITP 患者，其 2020 年的医药费用平均为 12.07 万元，个人自付费用平均为 4.04 万元，个人自付比例为 33.47%，药品费用平均为 2.57 万元，个人自付药品费用平均为 2.09 万元，药品费用个人自付比例高达 81.32%（表 29）。

2020 年，230 名参与调查的 ITP 患者中，有 166 名患者有过院外购买丙球蛋白的经历，其中花费在 2 万元以下者居多，占应答者的 68.67%，花费在 2 万-5 万元之间的占 21.69%，5 万-10 万元之间的占 7.23%，还有 2.41% 的患者花费超过 10 万元（表 30-1）。除了购买丙球蛋白外，这些 ITP 患者也均有院外购买 ITP 治疗药物的经历，其中花费在 2 万元以内的占

53.61%，花费在 2 万-5 万元之间的占 25.30%，花费在 5 万-10 万元之间的占 12.65%，花费在 10 万元以上的占 8.43%（表 30-2）。

表 29 不同保险制度覆盖的 ITP 患者 2020 年就医费用情况

项目	职工医保			居民医保		
	应答人数	均值	中位数	应答人数	均值	中位数
总医药费用（万元）	57	11.86	5	88	12.07	2.25
其中个人自付费用（万元）	57	5.20	3	88	4.04	1.55
医药费用个人自付占比（%）	--	43.84	--	--	33.47	--
总费用中药品费用（万元）	57	2.95	1	88	2.57	0.90
其中个人自付药品费用（万元）	57	2.35	1	88	2.09	0.90
药费个人自付占比（%）	--	79.66	--	--	81.32	--

表 30-1 2020 年 ITP 患者院外购买丙球蛋白的费用

院外购买丙球蛋白费用（万元）	应答人数（人）	占比（%）
<2	114	68.67
2-	36	21.69
5-	12	7.23
10-	4	2.41
合计	166	100.00

表 30-2 2020 年 ITP 患者院外购买除丙球蛋白外的药品费用

院外购买除丙球蛋白外的费用（万元）	应答人数（人）	占比（%）
<2	89	53.61
2-	42	25.30
5-	21	12.65
10-	14	8.43
合计	166	100.00

参与调查的 ITP 患者，其 2020 年的家庭收入差别较大，有 6.15% 的患者其家庭年收入不足 1 万元，14.62% 的患者家庭收入在 1 万元以上 3 万元以下，21.54% 的患者其家庭收入在 3 万元以上 5 万元以下，37.69% 的患者其家庭收入在 5 万元以上 10 万元以下，有 20% 的患者其家庭收入超过 10 万元（表 31）。

表 31 2020 年参与调查的 ITP 患者家庭收入情况

收入分组（万元）	应答人数（人）	所占比例（%）
<1	8	6.15
1-	19	14.62
3-	28	21.54
5-	49	37.69
10-	26	20.00
合计	130	100.0

2020 年，ITP 患者个人自付费用占家庭收入的比例大多低于 40%，但仍有 48.44% 的患者出现灾难性支出（个人自付费用占家庭收入的比例超过 40%）（表 32）。

表 32 2020 年 ITP 患者个人自付占家庭收入比例分布情况

个人自付占家庭收入的比例（%）	应答人数（人）	占比（%）
<10	32	25.00
10-	20	15.63
20-	8	6.25
30-	6	4.69
40-	62	48.44
合计	128	100

3.5 利益相关方反映 ITP 保障的主要问题

3.5.1 医疗服务供给方面

针对 ITP 保障，临床医生认为，ITP 是血液科的常见病，无论国内国际专家共识，当前治疗的目标应不断优化，要以降低出血事件、血小板达标、最小化治疗毒性和提升生活质量为目标。虽然将糖皮质激素作为一线治疗，但如果病情出现反复，应尽早停止糖皮质激素治疗，及时启动二线治疗。2020 年版的中国成人 ITP 治疗指南，将促进血小板生成作为二线药的推荐药物，并将艾曲泊帕作为 A 级推荐。但国内无论是一线治疗还是二线治疗，目前最后一公里的保障均未到位，部分符合一线治疗的患者依从性较差，导致治疗效果不佳；这些患者的保障最后一公里应该是加强患者管理，提升诊疗服务的依从性。一线治疗效果不佳的患者，需要及时转向二线治疗，但目前二线治疗的最后一公里是存在药品供应保障和患者就医负担过重等问题。前者主要受医保支付方式改革和公立医院考核的限制，如对医院的医保总额控制、医院药占比考核等，导致医院配备二线药物不及时或不积极，药品零差率导致医院药房从利润中心变成成本中心，医院也不愿意配备更多的高价药品；后者的原因主要是医保保障范围与诊疗服务的错位，ITP 患者大多只需要门诊治疗，而 ITP 治疗的二线药品，医保大多规定住院才能报销，这导致患者在门诊治疗时大多只能自付药品费用，增加了患者的就医负担，影响了患者使用二线治疗方案。

(1) 县级医院的诊疗服务能力难以满足患者需求，药品供应保障存在地区差别

尽管 ITP 在血液科的门诊比较常见，但大多数县级医院的血液专科诊疗服务能力欠缺，导致多数患者要到地市级甚至省级以上医院才能确诊。部分血液专科医生在访谈中也提及这点：“ITP 的诊断标准和诊疗方案非常明确，只要医院开设血液科的，基本可以提供规范化的诊疗服务，但目

前地市级以上医院，大多开设了血液专科，而县级医院的血液专科建设差强人意，大多数医院没有单设血液专科，有些放在肿瘤科，有些还放在大内科里面，影响了县医院对 ITP 的诊疗。”对 ITP 的治疗药物特别是二线药物的配备，存在明显的地区差别。部分临床专家和药学专家提及：“ITP 部分治疗药物已纳入国家医保目录，如丙球、艾曲泊帕，但由于药品特殊、价格高、地区差异等原因，医疗保障政策还是未能落实到位。2019 年将 ITP 纳入门诊报销的地区非常少，西部只有新疆、四川等，但全国大部分地区的报销没有落实，患者难以在门诊购药并实现医保报销。”本次调研，课题组通过电话询问的方式了解了东、中、西部共 32 家三级医疗机构中，其中仅有 10 家配备了二线治疗药物——艾曲泊帕，其中东部、中部和西部三级医院配备艾曲泊帕分别为 3/8、3/7、1/9（表 33）。

表 33 东中西部部分三级医院艾曲泊帕配备情况

地区	医院	艾曲泊帕 配备情况	采购方式	
			纳入正式采 购目录	临时采购
东部	上海长海医院	没有		√
	河北医科大学第二医院	没有		
	山东大学齐鲁医院	没有		
	青岛大学附属医院	没有		
	北京大学第三医院	没有		√
	苏州大学附属第一医院	没有		√
	上海交通大学医学院瑞金医院	没有		√
	广州医科大学第一医院	没有		
	山东省立医院	没有		√
	中国医科大学附属盛京医院	没有		√
首都医科大学宣武医院	有	√		

地区	医院	艾曲泊帕 配备情况	采购方式	
			纳入正式采 购目录	临时采购
	北京大学国际医院	有		
	南方医科大学南方医院	有	√	
	中山大学附属第一医院	有		
	中山大学肿瘤防治中心	有	√	
	中国医学科学院血液学研究所	有		要求医生开 处方
	合计		6/16	
	中 部	吉林大学第一医院	没有	
吉林大学中日联谊医院		没有		
河南省人民医院		没有		√
湖南湘雅医院		没有		
哈尔滨血液肿瘤研究所		有	√	
河南省肿瘤医院		有		
华中科技大学同济医学院附属协和 和医院		有	√	
合计			3/7	
西 部	广西医科大学第一附属医院	没有		√
	重庆医科大学附属儿童医院	没有		√
	重庆医科大学附属第一医院	没有		
	重庆医科大学附属第二医院	没有		√
	陆军军医大学附属第二医院	没有		
	昆明医科大学第二附属医院	没有		
	兰州大学第二附属医院	没有		
	新疆医科大学第一附属医院	没有		√
	贵州医科大学附属医院	有		
	合计		1/9	

(2) 临时采购管理成本高，药品可及性有待提升

以 ITP 创新二线治疗药物艾曲泊帕为例，艾曲泊帕未纳入全国大多数医院的常备药品目录中；医院采购未在常备药目录中的药品时，一般使用临时采购，而临时采购，无论是流程还是管理，医院均没有积极性去采购二线治疗药品。医院药事管理人员说：“临时采购对象主要是危急重症抢救用药，主要为注射类药物，尤其住院方面，危急重症治疗口服途径的选择较少，艾曲泊帕作为血液科的一种专科口服制剂，虽在 ITP 治疗方面存在一定优势，但在医院临时采购流程中存在明显的劣势。”“……一般而言，采购流程是：临床患者有用药需求，临床医生认为这是一线治疗药物，会第一次提出临时采购申请，由药剂科进行简要的卫生技术评估，包括诊疗指南与治疗过程中，药物的有效性、安全性、经济性等方面，然后医务处再进行审核，审核完以后药剂科开始进行采购。从流程看，艾曲泊帕的临时采购是一对一进行，科室记录、医保信息核对、药品货位增加、药房人员管理等等，无形中增加了医院的人力、仓储、场地、设备等等成本。而从医疗机构自身的经营性来看，为了降低药品比重或控制药费，医院可能会减少艾曲泊帕等一些药物的使用。”“……大部分医院里的药品采购品种已接近饱和，若临床上没有极特殊的强烈需求，一般引进新药时比较谨慎，导致很多医院未采购艾曲泊帕。”上述这些因素共同造成了艾曲泊帕等 ITP 治疗药物可及性差，药物供给不能满足临床需求。

(3) ITP 二线药物在国内的适应症范围影响了其在临床上的使用

艾曲泊帕说明书中限定其作为二线用药，只有在一线治疗无效的情况下才选用，在人群适应症上存在一定的限制。部分临床专家提及：“目前国家批准艾曲泊帕的适应症是 12 岁以上儿童及成人，而根据国外的诊疗指南推荐，1 岁以上的儿童可以使用这一类药物，在适应症方面对儿童是不利的。”艾曲泊帕等二线药物在国内外的临床适应症范围的差异，限

制了国内儿童患者的使用。

(4) 双通道机制不健全，影响了患者的受益

目前，对于 ITP 的部分二线药物，部分地区采取双通道的管理方式，即通过医疗机构和零售药店两种通道供药，可享受相同的特药结算条件、结算流程，打破原有的医疗机构特有的报销通道，使院内院外相同，极大的方便患者用药；但政策的初衷在执行层面打了折扣。部分临床专家和医保专家提及：“当前 ITP 治疗药物的双通道机制不健全，患者直接到药店买药难以享受到医保报销，只能自己承担费用。”“当前的医保双通道模式与现有的临床诊疗规范存在冲突”，“……即使医院能够收治 ITP 患者入院，但开一盒艾曲泊帕，出院时医保审查不通过，欠缺各方面流程程序沟通完善，患者仍然很难在医保报销的前提下拿到艾曲泊帕住院用药。”

(5) 绩效考核指标不合理，医院药占比等限制影响了 ITP 二线药物的保障力度

相较于激素治疗而言，二线治疗药物如艾曲泊帕等无论是疗效、安全性均有优势，ITP 患者对二线药物的依从性也更高。但目前公立医院的绩效考核指标对于艾曲泊帕等药物的使用是具有负向激励效应。部分临床专家提及：“艾曲泊帕价格高，基本上开一盒药就可能超过其他科室药占比的构成，增加了医院的药品次均费用，不利于公立医院的绩效考核，这增加了医院正式采购艾曲泊帕药物的顾虑。”“……药品品规数也是目前医院进新药时会考虑到的一个比较现实的问题。因此，不管艾曲泊帕药物是否进入医保，结果都是患者承担了大部分的治疗费用。即便进了医保，医院里还有绩效考核、药占比的限制，从而影响了 ITP 患者的保障力度。”

3.5.2 医疗保障方面

(1) 保障范围与诊疗方式错位，ITP 病人难以入院，医保政策难以惠及患者

2019 年艾曲泊帕等药物被纳入国家医保药品目录，但部分地区规定 ITP 的药品只能住院报销，而 ITP 患者大多可以在门诊治疗，不符合入院条件，而且医院血液科病床十分有限，也难以满足 ITP 患者的住院需求，导致现有的医保政策难以惠及参保患者。部分医生在访谈时反映：“现在的医保报销与实际诊疗需求不匹配，当前 ITP 患者住院治疗 and 门诊的比例大约为 1: 9，仅有 10% 左右的患者需要住院治疗，但大部分 ITP 治疗药物只有住院时才能报销，门诊无法报销，这为 ITP 患者治疗造成了极大的困难。”“有些地区规定 ITP 患者只有在住院用药时才能享受医保报销，而均未将其纳入门慢、门特报销范畴，但实际中，多数 ITP 患者均在门诊治疗，这意味着门诊治疗以及直接在药店购买，则无法享受报销。或者有些地区虽有门诊政策覆盖，但报销额度无法满足患者常规治疗需求。”“部分地区未将艾曲泊帕纳入门诊慢特病保障范畴，而仅仅支持住院用药报销。ITP 患者为了能享受到医保报销，只能尽可能办理住院。然而医院血液科病床数十分有限，难以满足 ITP 患者的住院需求，再加上药品管控、床位利用率管控、其他恶性疾病发病率偏高等因素，占据了有限的医疗资源，导致这些 ITP 患者住院困难，只能去门诊开药或者药店购买。”“有的地区要求必须是特发性血小板减少才可以纳入门诊慢病和特病管理，但无论是原发性、特发性和免疫性都是一种病。”“医保报销政策与 ITP 患者的诊疗需求不相匹配，再加上报销比例不高、报销额度低等条件，医保补偿效果不明显，患者难以真正受益，这给 ITP 患者造成了极大的经济负担，使得很多患者选择购买仿制药，但仿制药与原研药在药物生产工艺上存在差别，又会造成很多安全隐患。”

(2) 偏重药品可及性与诊疗水平，保障力度不够

当前的医疗保障政策主要是提升 ITP 药品可及性和诊疗服务可及性，但对患者的支付能力关注不够，存在重过程、轻结果的导向。部分临床专家提及：“当前医保政策重点是提升 ITP 患者的药物可及性，其次为提升诊疗水平，但较少以提升 ITP 患者保障水平为政策目标。部分 ITP 患者治疗费用高昂，疾病负担较重，但医疗费用报销比例低，保障力度不够。而我国基本医疗保险筹资水平和负担能力有限，医保部门如何在兼顾公平的情况下，尽可能多地满足 ITP 患者的医保需求，需要深入探讨。”

(3) 多层次保障体系衔接不足，影响了 ITP 患者的受益

一是基本医保基金运行的可持续性面临严峻挑战。某地区医保部门负责人表示：“从医保基金的收与支来看，收入的增速低于支出的增速，这样不同步首先可以看到筹资的可持续性已经有风险了。职工医保和居民医保筹资水平存在较大差距，但待遇保障方面的差距不大，怎么能给 ITP 等重大疾病患者在基本医保第一层次里就提供比较好的保障？首先就是资金来源的压力。国家集采药品买 100 盒才 180 块钱，这个药买 10 盒就 6 万块钱，药品的可及性如果价格都这么高的话，还是有一定的障碍的。”

二是救助申请限制多，边缘性家庭难以覆盖。很多 ITP 患者家属申请过医疗救助或民政救助，但救助机构仅考虑家庭收入情况，大多针对特困家庭，而事实上 ITP 患者治疗费用已远远超出普通家庭的承担范围，属于家庭“灾难性支出”，此时，收入略高于贫困家庭标准的边缘性家庭，既不能享受贫困户的医疗补助，也难以申请到及时的救助。

三是信息共享渠道不畅，影响了慈善基金对 ITP 患者的补助。部分 ITP 患者需要社会慈善基金的支持，社会慈善机构也有能力为部分患者提供帮助，但 ITP 患者缺乏寻求慈善组织帮助的渠道，慈善机构（基金）也缺乏识别 ITP 患者的渠道，导致慈善救助的供需双方脱节，影响了 ITP 患者的

受益。

3.5.3 ITP 患者方面

(1) 疾病经济负担较重，难以持续治疗

国内不同地区经济发展程度不同，各地艾曲泊帕纳入医保情况及医保报销情况的差异性大，加之医院采购的基本为原研药，导致县级及以下地区艾曲泊帕可及性较低，医保报销比例低，患者经济负担仍较大。一方面，ITP 患者的医保报销受限，治疗药品价格高昂，会给自己及家庭带来极大的经济负担。即便有较稳定的收入、有相当积蓄的家庭，也将因支付巨额的医疗费用而陷入困境，甚至因病致贫、因病返贫。另一方面，ITP 患者由于健康状况欠佳影响了其正常的就业，进而影响了其收入，使其家庭更易陷入因病致贫因病返贫的困境；第三，ITP 患者存在常年带病的可能性，对病人的心理压力甚至高过癌症的心理压力。如有些地方会歧视 ITP 患者，可能会因为面试者患 ITP 而拒绝其入职，导致 ITP 患者在工作 and 就医中存在较大阻碍，生活质量无法得到保证。部分临床医生反映：“ITP 是血液科最常见的一个出血性疾病，对于成人 ITP 来说，一半以上的患者会逐渐迁延成一个慢性的状态。因此，长期而言，虽然 ITP 有报销，但是报销比例不大，患者的负担还是比较重。一旦病情有所稳定，受制于经济条件，患者很可能就中断治疗，无法长期服用，进而导致疾病再次复发，最终形成一个恶性循环。”某患者反映：“因为患病，影响了我们正常的工作，收入受到一定影响，关键是这个病对我们的情绪影响很大，家人也受影响，这个病现在我也知道，不是不治之症，但长期带病，长期治疗，无论是我自己还是家里人，经济压力和精神压力都很大。”

(2) 患者在艾曲泊帕的使用上存在一定限制

虽然艾曲泊帕等二线药物已经进入医保，但患者使用仍然有限制。某患者代表反映：“虽然说现在艾曲泊帕进入了医保目录，但是它是有一个

门槛的，得在激素治疗无效才可以用艾曲泊帕，许多患者表示若激素无效才可以使用艾曲泊帕的话，那大多数人不可能享受艾曲泊帕进医保的优惠政策，因为激素的话，医生也知道不可能长期使用，正规的使用一轮的话就不会再考虑再用激素。让更多患者用上合适好药，有必要修改一下使用艾曲泊帕的条件。”“ITP 患者血小板不稳定，时高时低，有些患者长期吃激素，抵抗力很差，经常感染，同时激素的副作用，高血压、诱发糖尿病、降低抵抗力等等，尤其是长期使用激素，一旦感染很重，病情发展就很快。”

(3) 患者管理滞后，患者治疗的连续性和依从性不佳

大多数 ITP 患者很难治愈，需要长期连续治疗；但目前针对 ITP 患者的管理缺位，ITP 患者的管理主要由临床医生自发，大多通过微信群管理，缺乏规范的患者管理，导致患者治疗的连续性和依从性较差，影响了一线治疗的有效性。部分临床专家提及：“目前 ITP 患者缺乏系统的管理，患者管理主要是我们自己做的，患者能否及时随访、能否连续治疗存在较大的不确定性；部分 ITP 患者的依从性较差，影响了一线治疗的有效性。”某患者组织代表也提及：“病人管理确实很重要，我们病友组织这里经常会讨论什么时候该去哪里治疗，什么时候该换药了等话题，我们这些病人有的久病成医，在群里也会相互交流，但我们毕竟不是专业的，有些信息我们也把握不准，如果有医生来帮助（病人）就好了。”

4 讨论分析

4.1 我国重大疾病患者的保障进展仍不平衡

从重大疾病患者的保障诉求看，主要集中在三个方面：一是有医可治，能够及时得到诊断和适宜的治疗；二是有药可用，罹患重大疾病后能够及时获得有针对性的药物；三是有钱可付，重大疾病患者能够在现有的保障

制度安排下免于陷入因病致贫因病返贫的困境。从重大疾病保障的进展看，目前不同类型的重大疾病保障进展并不平衡。部分重大疾病，如大部分罕见病，目前仍然存在诊断难、缺乏有效的治疗手段和药物，现有的保障制度也难以为其提供足够的帮助；部分重大疾病如 ITP 的保障已经取得重要进展，诊疗服务能力不断提升，对症的药品不断升级换代，保障制度也逐步健全。对于前者，目前仍需要全方位加强诊疗、药品和就医费用保障制度建设；对于后者，则主要关注如何使现有的制度和政策能够及时惠及重大疾病患者，即本次研究讨论的重大疾病保障的最后一公里问题。

4.2 ITP 保障的主要进展

4.2.1 诊疗服务能力有所提升，患者诊疗服务的可及性有所改善

2015 年，国务院办公厅下发了《关于推进分级诊疗制度建设的指导意见》（国办发〔2015〕70 号），明确县医院诊疗服务功能定位，要求各地加强县医院综合能力建设，全面提升县级公立医院综合能力。国家卫生健康委于 2016 年印发了《县医院医疗服务能力基本标准和推荐标准》（国卫办医发〔2016〕12 号），将县级医院的血液病专科诊疗服务能力建设纳入县医院医疗服务能力基本标准中，其中特发性血小板减少性紫癜等常见出血性疾病的规范化诊疗是县级医院血液内科基本诊疗技术的重要内容。2018 年，国家卫生健康委下发了《全面提升县级医院综合能力工作方案(2018-2020 年)》，进一步强化县级医院的血液科专科能力建设。经过 5 年左右的努力，县级医院的血液科专科服务能力有所提升，血液内科服务能力和水平达到基本标准要求的医院占比大约 43%，部分县级医院具备为 ITP 患者提供规范化的诊疗服务能力；本次调查的患者中也有部分患者在县级医院接受诊治。

4.2.2 药物供应保障能力明显提升，药物的选择范围更加广泛

随着医保筹资水平的提升，ITP 的治疗性药物逐步被纳入《国家基本

医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录》，特别是 2019 年艾曲泊帕等治疗 ITP 的二线药物被纳入，使临床医生有了更多的选择；部分地区为了改善 ITP 患者的药物可及性，还开通了医院和药房的双通道。

4.2.3 费用分担机制初步建立，患者就医负担有所缓解

从本次调查的结果看，大部分 ITP 患者的住院费用可以报销，部分地区的基本医保基金还支付其门诊费用和药店购药费用；也有部分患者接受过医疗救助和慈善捐赠，ITP 患者的多层次费用分担机制初步建立。从就医负担看，ITP 患者医药费用的个人自付比例平均为 35.10%，介于职工医保和居民医保参保患者的住院费用个人自付比例之间。其中职工医保患者个人自付比例为 43.84%，高于同期职工医保患者的住院费用个人自付比例；居民医保患者医药费用的个人自付比例为 33.47%，略低于同期居民医保患者的住院费用个人自付比例。对于 ITP 这类重大疾病，其保障水平能够与全国参保患者的住院保障力度持平，说明目前的费用分担机制对于缓解居民就医负担已经有了积极成效。国内部分地区积极探索惠民保过程中，也将 ITP 纳入惠民保的保障范围，进一步扩大了 ITP 患者的药物选择范围，缓解了 ITP 患者的就医负担。

4.2.4 患者管理已经起步，但管理的规范性和连续性亟需改进

从本次调研结果看，ITP 的患者管理已经起步，既有临床医生自发的患者管理，也有患者组织发起的患者管理。但患者管理的规范性和连续性仍有较大的改进空间。

4.3 ITP 保障最后一公里面临的主要挑战

4.3.1 诊疗服务能力特别是县医院的专科诊疗服务能力不足，仍是影响 ITP 保障最后一公里的重要因素

对于患者来说，其最关注的是能否及时得到诊疗。从我国的现有制度安排来看，ITP 的诊疗主战场应该在县级医院，但从国家卫生健康委的评

估结果看，县级医院的血液专科诊疗服务能力仍差强人意，血液内科服务能力水平相对较低，与 ITP 患者的规范化诊疗服务需求相比仍存在一定的差距。县级医院的血液专科服务能力不足，是影响 ITP 保障最后一公里的重要因素。

4.3.2 目录内药品能否进医院，对 ITP 保障的最后一公里具有重要影响

ITP 治疗的一线 and 二线药品，基本已经纳入《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录》，这些药品能否进入医院，对 ITP 保障的最后一公里具有重要影响。从本次调研的结果看，大多数医院没有及时将 ITP 的二线治疗药品如艾曲泊帕及时纳入医院的常规采购目录，这既有公立医院绩效考核的因素，也有医保对公立医院支付方式改革的限制，还有医保对于双通道支付的衔接是否到位等因素的影响。

4.3.3 能否纳入门诊特殊疾病保障范围或特殊药品管理，是能否打通 ITP 保障最后一公里的决定性因素

尽管国家层面已经将 ITP 的主要治疗药品纳入了《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录》，但由于 ITP 患者大多只需要在门诊接受诊疗服务，患者能否受益，主要取决于医保统筹地区是否将 ITP 纳入门诊特殊疾病保障范围或目录内的药品是否纳入门诊特殊药品管理范围。这是 ITP 保障能否打通最后一公里的决定性因素。

4.3.4 能否制订信息共享规则，对打通 ITP 多层次保障的最后一公里具有重要意义

现有的基本医疗保障制度安排，难以满足 ITP 患者的医疗保障需求，仍有部分患者陷入因病致贫和因病返贫的困境，迫切需要多层次保障制度来帮助缓解分担其就医负担。除了基本医疗保险外，部分地区还推出的普惠性商业保险，部分企业也通过患者慈善援助、创新商业保险等形式通过慈善赠药、药品费用部分报销或减免等方式来降低患者疾病治疗负担。但

目前患者和慈善救助机构缺乏信息共享渠道，医保部门、医疗机构和慈善组织之间能否制订 ITP 等重大疾病患者的信息共享规则，推动患者和慈善机构之间的对接，对于打通 ITP 多层次保障的最后一公里具有重要意义。

4.3.5 能否对患者进行规范管理,对打通 ITP 保障最后一公里的效果具有重要影响

ITP 大多会转为慢性，需要对患者进行持续的规范管理，但目前在讨论 ITP 保障的最后一公里过程中患者管理没有得到足够的重视。患者管理滞后，影响了患者诊疗服务的依从性和连续性，从而对 ITP 保障的效果产生重要影响。

5 打通 ITP 保障最后一公里的建议

对于已经有了制度和政策安排的重大疾病如 ITP 来说，能否打通保障的最后一公里，对重大疾病患者至关重要！但目前以 ITP 为代表的重大疾病保障的最后一公里涉及到多部门、多层级和多个利益相关主体。需要各方共同努力，才能真正打通最后一公里，提升重大疾病患者的保障水平。

5.1 提升县级医院的血液专科诊疗服务能力，打通诊疗服务的最后一公里

医疗机构的诊疗服务能力是 ITP 患者能否得到保障的首要环节。目前我国地市级以上医院的血液专科诊疗服务能力较强，基本能满足 ITP 患者的诊疗服务需求，但仍有相当比例的 ITP 患者，居住在农村和县域范围内，县级医院是其就诊的首选，县级医院的血液专科服务能力直接影响着其能否得到及时的诊疗。从我国现有的分级诊疗制度要求看，血液专科能力建设已经纳入县医院医疗服务能力基本标准，但县医院血液专科能力建设的推进进程滞后，影响了 ITP 患者的诊疗服务可及性。建议进一步加强县医

院血液专科能力建设，可以借助“互联网+”强化专科医联体建设，缩小县级医院与上级医院之间的血液专科诊疗服务差距，逐步实现 ITP 患者就诊不出县。

5.2 强化医院 ITP 药品配备，打通药品保障的最后一公里

建议卫生健康部门调整对公立医院的绩效考核指标，将创新药或高值药谨慎纳入药占比或次均费用的考核范围，同时提升医院药品配置的品规要求，更好地满足患者的诊疗需求；建议医保部门将通过谈判纳入目录的药品以及纳入门诊特殊疾病保障或特殊药品管理的药品，其费用不纳入医院的医保支付总额，鼓励医院及时根据临床需要配备药品，更好地满足患者的用药需求。

5.3 根据诊疗需求，及时将 ITP 药物纳入门诊特殊疾病保障或特殊药品管理范围，打通 ITP 医疗保障的最后一公里

建议统筹地区的医保部门，及时将 ITP 相关药物纳入门诊特殊疾病或门诊特殊药品的保障范围，满足 ITP 患者的诊疗需求，提升 ITP 患者的医保待遇，打通 ITP 医疗保障的最后一公里。建议各地在创新商业健康保险模式时，将保障重点聚焦在基本医保保障范围之外，加强商业健康保险与基本医疗保险的衔接，进一步缓解患者的就医负担。

5.4 制订信息共享规则，推动患者需求与慈善组织供给的有效衔接

建议医保部门、医疗机构、慈善组织、药品生产企业、商业健康保险机构和患者组织之间建立针对重大疾病多层次保障的信息共享规则，利用信息技术，加强患者与慈善组织之间的衔接，缓解供需脱节，为更好地满足患者的多层次保障需求奠定基础。

5.5 规范 ITP 患者管理，提升患者诊疗服务的连续性和依从性

建议卫生健康部门牵头，规范 ITP 等慢性病患者的健康管理，提升患者诊疗服务的连续性和依从性；建立患者组织的管理规范，确保患者管理的规范与连续，提升患者的诊疗服务质量。

参考文献

- [1] 中华医学会血液学分会血栓与止血学组. 2020 版中国 ITP 诊疗指南[R]. 2020.
- [2] 王建祥, 张奉春, 刘晓清, 唐承薇, 陈良安, 韩英. 中国成人血小板减少症诊疗专家共识[J]. 中华内科杂志. 2020, 59(07): 498-510.
- [3] 姚淑仪, 胡晓婧, 赖应昌, 姜义荣, 李章坤. 艾曲波帕联合低剂量利妥昔单抗治疗伴有慢性疾病的老年人原发免疫性血小板减少症一例并文献复习[J]. 白血病·淋巴瘤, 2020, (05): 298-300.
- [4] 国家卫生健康委办公厅关于 2019 年县级医院服务能力评估情况的通报 [EB/OL]. [2020-07-08](2021-04-09) <http://www.nhc.gov.cn/yzygj/s3593g/202007/f124d3fe0ba64b408741f30a38e71dbf.shtml>
- [5] 倪沪平. 完善医保待遇保障机制的思考[J]. 中国社会保障, 2020, (5): 84.
- [6] 徐伟, 崔子丹, 江欣禅, 杜珍珍. 我国高值药品保障原则探讨—基于国内外比较视角[J]. 卫生经济研究, 2017, (7): 48-51.
- [7] 曾国安, 杨佩鸿. 灾难性医疗支出对中国居民家庭之间收入差距的影响—基于 CFPS 调查数据的研究[J]. 江汉论坛, 2018, (5): 25-33.
- [8] 顾雪非, 向国春, 王超群. 我国重特大疾病保障政策: 问题与改革建议[J]. 中国物价, 2016, (8): 83-85.

报告编写组成员

北京康则健管理咨询有限公司

朱 坤 中国财政科学研究院副研究员

姚 宇 中国社会科学院研究员

谈 珍 上海交通大学附属新华医院主任医师

陈阿敏 武汉大学政治与公共管理学院硕士研究生

周智华 广州中医药大学公共卫生与管理学院硕士研究生

致 谢

特别感谢以下单位和个人对本研究项目的支持与帮助（按姓氏首字母排序，无先后之分）。

姓 名	单 位
毕林涛	吉林大学中日联谊医院血液科
卞晓岚	上海交通大学医学院瑞金医院
陈登菊	重庆医科大学附属第一医院医保科
程 鹏	广西医科大学第一附属医院血液科
丁榕芳	福建省社会医疗保险协会
董玉波	中国人民解放军联勤保障部队第九六〇医院
段京莉	北京大学国际医院
冯一梅	重庆市新桥医院血液科
何 群	湖南长沙湘雅医院血液科
侯 明	山东大学齐鲁医院
胡建达	福建协和医院
江 明	新疆医科大学第一附属医院
姜明燕	中国医科大学附属第一医院
李 林	福建省社会医疗保险协会
李荣山	山西省人民医院
刘 芳	天津中医药大学第一附属医院

刘 红 南通大学附属医院
刘 韜 中山大学肿瘤防治中心药学部
刘卓刚 中国医科大学附属盛京医院血液科
娄世锋 重庆医科大学附属第二医院
罗建民 河北医科大学第二医院
马路宁 中山大学附属第一医院医保管理中心
梅 恒 华中科技大学同济医学院附属协和医院血液科
沈承武 山东省立医院药学部
宋燕青 吉林大学第一医院
宋永平 河南省肿瘤医院
苏国宏 沧州市中心医院
孙慧平 上海瑞金医院血液科
孙 竞 南方医科大学南方医院
孙立荣 青岛大学附属医院血液科
覃业语 海南省人民医院
谭卉妍 广州医科大学第一医院医保科
唐晓琼 重庆医科大学附属第一医院
王季石 贵州医科大学附属第一医院血液科
王 卓 上海长海医院药学部
韦亚洁 兰州大学第二医院医疗保险管理处
吴德沛 苏州大学附属第一人民医院
杨凤娥 福建医科大学附属协和医院

杨林花 山西医科大学第二医院
杨秀岭 河北医科大学第二医院药学部
杨毅恒 北京大学第三医院药剂科
姚红霞 海南省肿瘤医院
叶 絮 广州医科大学附属第二医院
于 洁 重庆医科大学附属儿童医院血液科
于鲁海 新疆维吾尔自治区人民医院
曾 云 昆明医科大学第一附属医院
展昭民 哈尔滨血液肿瘤研究所
张 弨 北京同仁医院
张 丹 河南省人民医院运营管理部
张鸿燕 兰州大学第二医院
张 兰 首都医科大学宣武医院
张 磊 中国医学科学院血液学研究所
张连生 兰州大学第二附属医院
张四喜 吉林大学第一医院血液科
赵冠人 中国人民解放军总医院第八医学中心
周本杰 中山大学附属第七医院
周泽平 昆明医科大学第二附属医院血液科

国家卫生健康委体制改革司

安徽蚌埠、广西、河北邯郸、黑龙江、江苏、陕西、四川、云南省医保部门、卫生行政部门。

本项目由  **NOVARTIS** 提供捐赠支持

100%
RECYCLED



中国红十字基金会
地址：北京市东城区东单北大街干面胡同 53 号
邮编：100010
www.crcf.org.cn

