



“中国样本”打破罕见病患者“病无医、医无药、药无保”局面

新闻深1°

罕见病救命药让“医学孤儿”不孤单

● 罕见病药品研发难度大、投入高、周期长，一直难以满足患者临床需求。数据显示，全球已知的罕见病有7000多种，其中95%的罕见病无有效治疗药物

● 2020年新修订的《药品注册管理办法》明确，对于临床急需的境外已上市境内未上市的罕见病药品在70日内审结

● 截至目前，国内共有60余种罕见病用药获批上市，已有40余种被纳入国家医保药品目录，涉及25种疾病

□ 新华社记者 李恒 田晓航

郑宇宁是一名庞贝氏症罕见病患者，常年住在医院的ICU病房里，依靠喉管处的切口进行呼吸机供氧，靠父母按压腹部助力排痰，她的身体也因脊柱侧弯变成了“S”形。

在我国，包括郑宇宁在内的各类罕见病患者约2000万人，临床上病例少、经验少，罕见病往往被称为“医学孤儿”。

部分罕见病药品进医保、罕见病治疗药品在三批遴选发布的81个临床急需境外药物中超一半……这一系列举措，无不体现了“生命至上”理念。近日举行的2021年中国罕见病大会上，专家就这一话题进行了深入交流。

没有药？——激励药物研发，探索同情用药

病无医、医无药、药无保是罕见病患者面临的共同“症结”。罕见病药品研发



图片来源于网络

难度大、投入高、周期长，一直难以满足患者临床需求。数据显示，全球已知的罕见病有7000多种，其中95%的罕见病无有效治疗药物。

“罕见病相较于重大常见疾病来说人数相对较少，但绝对数量并不少。”中国科学院院士陈凯先指出，推进罕见病药物研发十分紧迫，要加强罕见病药物基础研究和临床转化研究，倡导制药企业积极投入罕见病药物研发。

“我们密切关注罕见病患者用药需求。”工业和信息化部党组成员、副部长王江平介绍，通过实施《医药工业发展规划指南》《“十四五”医药工业发展规划》等，引导企业加强研发治疗罕见病特效药物，支持企业在罕见病药物研发中充分发挥主体作用。

王江平说，将罕见病药物纳入小品种药、短缺药管理，开展集中生产基地建设和生产供应监测、供需对接，推动建立短缺药品供应保障联盟，充分发挥国家医药

储备蓄水池作用。

北京协和医院党委书记吴沛新说，针对罕见病“没有药”，今年6月，在国家药监局等的努力下，医院从瑞士获取国际领先的三期临床用药，帮助一位阵发性血红蛋白尿症的罕见病患者重获新生，实现了首例罕见病同情用药。

用药难？——加快审评审批

罕见病“用药难”，是横在全球罕见病患者面前的一大难题。

近年来，我国对罕见病治疗药品实施优先审评审批。2020年新修订的《药品注册管理办法》明确，将具有明显临床价值的防治罕见病的创新药和改良型新药纳入优先审评审批程序，对于临床急需的境外已上市境内未上市的罕见病药品在70日内审结。陈时飞介绍，目前，已有26个罕见病药物通过临床急需境外新药专门通道获批上市。

“在所有药品上市申请中，罕见病药品审评审批时限最短。”陈时飞说，2021年，国家药监局新批准利司扑兰口服溶液用散等10个罕见病药品，用于治疗脊髓性肌萎缩症等罕见病。这些药品填补了国内相关罕见病治疗用药的空白，为更多的罕见病患者延缓病情发展、提高生活质量带来了希望。

“探索临床急需用药的一次性进口特购也是解决罕见病‘用药难’的一个重要方法。”吴沛新说。

用不起药？——发展多层次医疗保障体系

60余种罕见病用药获批上市，40余种罕见病用药被纳入国家医保药品目录……这一桩桩惠民生的事件，都在悄然点亮一个个家庭新的希望。

记者在采访中了解到，罕见病药品贵主要是因患者少，却多是救命药。与会专家认为只有先把价格降下来，才能谈保障问题。

国家医疗保障局副局长李滔说，截至目前，国内共有60余种罕见病用药获批上市，已有40余种被纳入国家医保药品目录，涉及25种疾病。通过对罕见病药品的谈判准入，大幅度降低罕见病用药价格，今年共有7个罕见病药品谈判成功，平均降幅达65%。

李滔表示，下一步将持续推进医保药品目录调整，对符合条件的罕见病药品优先纳入医保药品目录；完善多重医保体系建设，发挥基本医保、大病保险、慈善救助等多重保障作用，进一步提升罕见病的医疗保障水平。

这是让罕见病患者振奋的好消息——罕见病研究杂志创刊，中国红十字基金会罕见病共助基金发布，中央专项彩票公益金支持全国罕见病诊疗水平和实施能力提升项目启动……

“中国正在协力打造出破解罕见病用药的‘中国样本’，不让一个患者掉队是我们共同的心愿。罕见病患者的明天会越来越好。”中国罕见病联盟执行理事长李林康说。

过年回家路怎样做到安全无虞？“外防输入”如何落实？

——来自国务院联防联控机制的提示请收好

□ 新华社记者 顾天成 徐鹏航

元旦春节将至，疫情期间过年回家路怎样做到安全无虞？“外防输入”如何落实？疫苗对老人小孩安不安全、管不管用？国务院联防联控机制20日召开新闻发布会，对焦点问题进行回应。

“岁末年终，两节将至，境外回国人员增多，国内人员流动性增加，同时奥密克戎等新型变异株的出现，使疫情传播风险加大，我国持续面临较大的防控压力。”交通运输部应急办副主任周旻说。

周旻表示，交通运输部将严格落实“外防输入、内防反弹、人物同防”的总体要求，进一步做好两节期间交通运输疫情防控工作，包括进一步加强重点时段部署安排，加强道路客货运末端防控，加强重点民生物资运输保障。同时，周旻呼吁广大旅客错峰出行，减少前往人流密集的地方，在出行过程中戴口罩、勤洗手，做好个人防护。

防范境外输入疫情重中之重是口岸，关键是落实落细各项防控措施。国家移民管理局边检司司长刘海涛介绍，国家移民管理局采取了“推行一个码、设立一通道，严格三

个不”的措施来防范疫情经海上输入。即在全国129个水运口岸推行中国边检登轮健康码、设立海员入境专门通道、严格落实非必要“不登轮、不登陆、不搭靠”措施。

对于人员管理，国家卫生健康委员会疾病预防控制局副局长雷正龙表示，要严格落实入境人员全流程闭环管理。对口岸高风险岗位人员，落实规范防护、闭环管理和高频次核酸检测等防控要求。加大高风险国家入境物品抽检比例，做好物品表面的预防性消毒。

面对“外防输入”压力，国家卫生健康委新闻发言人米锋表示，要履行个人防护责

任，加强自我防护，积极接种新冠病毒疫苗。

中国疾控中心免疫规划首席专家王华庆介绍，前期临床试验结果显示，3至11岁儿童接种新冠疫苗后抗体水平和成人相当，有的还高于成人。同时，监测结果显示不良反应总体平稳，在发生的不良反应中主要是发热和局部反应，绝大多数属于一般反应。

对于老年人，王华庆表示，目前我国使用的新冠病毒疫苗的临床试验结果显示，老年人接种疫苗同样有良好的安全性。他提示，接种疫苗过程中要把自己的基础疾病情况告知接种医生，有利于接种顺利进行。

新华社北京12月20日电（记者高敬）噪声污染防治法草案二次审议稿20日提请全国人大常委会会议审议。根据各方建议，草案二审稿根据各类噪声污染的不同特征，有针对性地完善防治措施，解决突出问题。

针对有些产生噪声的领域没有噪声排放标准，但对他人正常生活造成干扰等情形，草案二审稿对噪声污染的内涵更加明确，即超过噪声排放标准或者未依法采取防控措施产生噪声，并干扰他人正常生活、工作和学习的现象。

对不同种类噪声污染，草案二审稿提出有针对性的防治措施。规定实行排污许可管理的单位不得无排污许可证排放工业噪声。建设单位应当监督施工单位落实噪声污染防治实施方案。文化娱乐、体育、餐饮等场所的经营管理者应当采取有效措施，防止、减轻噪声污染。

草案二审稿还提出，全社会应当增强噪声污染防治意识，自觉减少社会生活噪声排放，积极开展噪声污染防治活动，形成人人有责、人人参与、人人受益的良好噪声污染防治氛围，共同维护生活环境和諧安宁。

噪声污染防治涉及部门较多，草案二审稿增加规定，县级以上地方人民政府根据需要，建立噪声污染防治工作协调联动机制，加强部门协同配合、信息共享，推进本行政区域噪声污染防治工作。

噪声污染与每个人的生活息息相关。草案二审稿进一步强化了信息公开和公众参与，明确单位和个人依法享有获取声环境信息的权利，声环境质量标准适用区域范围和噪声敏感建筑物集中区域范围应当向社会公布，声环境质量改善规划实施方案应当向社会公开等。



women 视角

绍兴上虞：一个社区主任的24小时

上午十点多，宋惠清（前）和同事们一起搬运防疫物资（12月18日摄）。

本轮疫情发生以来，浙江省绍兴市上虞区全面打响疫情防控阻击战。社区工作者和志愿者成为居家隔离居民与外界联系的纽带，高强度工作成为他们的常态。

百官街道大通社区是全社区居民最多的社区，目前约有9000户居民居家隔离。53岁的社区主任宋惠清已从事社区工作21年，这个大嗓门、打电话开免提、总是小跑着的社区主任，已经在办公室打了十多天地铺。12月18日，记者见证了她的头绪纷繁、四处奔忙的一天。

新华社记者 翁飏/摄

天天看点

让节约粮食成为生活常态

□ 孔一涵

“一粥一饭，当思来之不易。”每一粒粮食都是劳动者汗水与自然伟力的凝结，不容浪费。12月17日，为深入实施《中华人民共和国反食品浪费法》，推动完成中共中央办公厅、国务院办公厅《粮食节约行动方案》规定工作任务，国家发展改革委办公厅等四部门联合发布《反食品浪费工作方案》，剑指多个食品浪费环节，展现了国家对于反对食品浪费的决心。

随着我国经济的快速发展，人民生活水平也在不断提高，对于许多人来说，饥饿已是渐渐淡忘的历史记忆，物质的富足让很多人将食物视为取之不尽用之不竭的资源，浪费食物的代价也仅仅是金钱的损失。然而事实上，如今我国粮食消费量的增长仍快于产量的提高，粮食生产和粮食消费长期处于“紧平衡”状态。如今人们的“吃饱吃好”，并不是在粮食问题上盲目乐观安枕无忧，肆意浪费食物仅为博看客一笑的理由。更何况，“大胃王”暴饮暴食的饮食理念有害健康并不应当宣扬。

作为食品消费最重要也是最末的一环，大众的饮食消费观真正关系着国计民生。国家粮食安全的大目标除以14亿人口，落在每个人肩头的，是需要时刻自觉节约粮食的任务。要切实培养节约粮食的习惯，就要进一步加强宣传教育，让身边的食物与其来之不易的过程真正结合，让珍惜食物的理念深入人心。而大众良好饮食消费观的形成，也一定会倒逼市场与网络，推动更节约餐饮模式的生产与真正享受美食的娱乐“吃播”风气，让中华美食文化良性发展。

粮食安全是长远问题，节约粮食重在持之以恒。想要让节约之风吹进千家万户，让节约粮食成为大众生活的常态，还需将反对食品浪费的法律“强约束”与多形式的宣传教育“软引导”相结合，在社会上形成“浪费可耻、节约光荣”的风气。只有凝聚起节约粮食的全民共识，才能将“中国饭碗”端得更稳更牢。

新闻壹段评

莫让“晒娃”变“坑娃” 警惕家长“啃小”

近期，一些短视频、直播平台上出现了越来越多以展示“萌娃”为主要内容的账号，不少家长将孩子打造成“网红”，并通过商务合作实现流量变现。

在一些直播、短视频平台上，类似这样的“网红儿童”账号不少。其中，大多以记录孩子的日常生活为主。但随着同质内容的增多，不少账号开始“另辟蹊径”，出现了吃播、美妆穿搭、演绎剧情段子等模式，稚嫩的孩童做着与年龄不符的动作，部分“晒娃”逐渐畸形成。

遏制炒作“网红儿童”现象，需要综合施策。家长要目光长远，不能急功近利，影响未成年人健康成长；网络平台也要从严把关，对过度消费“网红儿童”的账号采取封禁等措施；相关部门则更要发挥监管作用，常抓不懈。

暴力分拣屡禁不止 快递企业难辞其咎

12月19日，网上热传一则申通快递暴力分拣的视频，事发申通吉林长春经开二区网点，工作人员分拣快递时随意乱扔，这种暴力分拣的情况非常普遍，甚至该网点的一名工作人员居然建议客户，如果东西怕摔，以后可以发顺丰。

对于此事，申通官方表示，申通东北大区将对违规网点进行彻底整顿，专项小组也已于12月16日抵达网点调查核实，约谈承包区负责人，根据相关规定对涉事承包区予以处罚，对个别言辞不当的第三方员工已解除劳动合同。

暴力分拣属于不规范操作，是法规标准所不允许的。而暴露出的问题是快递企业的管理理念、服务理念缺位。对外，企业没有尽到切实保障用户合法权益之责；对内，没有尽到对员工进行法规教育、强化管理制度的责任。

速冻产品名称标注“潜规则”当叫停

近日，有消费者在超市购物时发现，一些速冻产品标称“牛肉大葱水饺”，但配料表显示添加了猪肉；有的产品名称是“荠菜猪肉大馅馄饨”，里面却添加了鸡肉成分，有媒体对线上线下渠道销售的8个品牌约40款名称中含有“猪肉”或“牛肉”的速冻产品进行统计发现，发现有18款产品配料表显示混有鸡肉等其他肉类成分，其中不乏知名品牌。

产品名称只体现一种肉类，实际却包含其他价格便宜的肉类，以次充好，误导消费者，涉嫌虚假广告和误导宣传。这种冷冻行业内名称标注“潜规则”已侵犯了消费者的合法权益。对此，监管部门应斩断虚假宣传的根脉。监督执法等相关举措不仅要与时俱进，更要不断提高虚假宣传的违法成本。相关企业也应诚信经营，靠诚信打动消费者。

莫让食品安全谣言影响行业发展

近日，各大社交网站上有网友发布消息称，“西安的朋友别吃草莓了，大棚内有老鼠跑来跑去将病毒传播在草莓上，导致出血热。”出血热和吃草莓真的有关系吗？对此，西安市长安区农业农村局向媒体透露，吃草莓和出血热二者并没有关系。同时，西安市长安区农业部门已经开展了草莓专项风险监测，未发现农残超标现象。

碳酸饮料含磷酸盐会致肾衰竭、小龙虾吃多了体内会长寄生虫、蒜炆锅产生丙烯酰胺可致癌……近年来，关于食品安全的谣言可谓层出不穷，并在社交平台中频频刷屏，给人们日常生活带来巨大的困扰。带来的不仅仅是经济方面的损失，更严重影响了整个食品行业的声誉，损害了公共利益。

关于食品谣言，总能或多或少地影响行业发展，让真相“跑赢”谣言，既依赖于人们知识的提升，也需要相关部门在科普宣传方面“先行一步”，更要对造谣者加大处罚力度。

刘世康/王德新整理点评