

迫切行动 刻不容缓 终止亚太地区罕见病患者苦难

- **经济学人智库 (EIU) 今天发布的亚太地区罕见病报告显示, 中国只有不到四分之一的罕见病患者接受了最佳循证治疗**
- **14%的受访医护人员在职业生涯中从未遇到过罕见病患者**
- **在亚太地区, 94%的罕见病没有已获准的治疗药物¹, 患者护理极大程度依赖非医疗服务的支持**

上海, 2020年7月16日——经济学人智库 (EIU) 于今日发布《无声的苦难: 亚太地区罕见病的认知与管理评估 (Suffering in Silence: Assessing Rare Disease Awareness and Management in Asia-Pacific) 》报告, 该报告由 CSL Behring 赞助, 探讨了亚太地区五大经济体 (澳大利亚、中国大陆、日本、韩国和台湾地区) 在罕见病的诊断和管理所面临的挑战。报告强调, 改善罕见病管理现状需要优先处理三大核心挑战: 如何让患者获得正确及时的诊断; 如何提供经济援助改善方案; 如何为患者提供更多非医疗需求的支持。

全球目前有 6000~7000 种已知的罕见病。尽管被归为“罕见病”, 但据统计, 亚太地区约有 2.58 亿名罕见病患者^{2,3}, 其中约 50% 为儿童⁴。在中国大陆 (根据报告, 指中华人民共和国 (除香港特别行政区、澳门特别行政区和台湾地区), 以下简称中国), 医学专家普遍将新生儿疾病发病率万分之一、其他疾病患病率 50 万分之一作为定义罕见病的分界线。根据中国疾病预防控制中心的预估, 中国有世界上数量最多的罕见病患者, 2014 年的数据为 1680 万⁵。

受访的专业医护人员表示, 由于缺乏相关的临床指南、批准的治疗药物以及测试或治疗所需的资金, 平均仅有三分之一的罕病患者获得最佳循证治疗, 展示了不容忽视的罕见病患者沉重疾病负担与未被满足的治疗需求。

¹ Based on the EIU estimation that 6% of the Asia-Pacific population of 4.3 billion is affected by a rare disease

² 根据经济学人智库的估计, 亚太地区有 43 亿人正在受到罕见病的影响, 约占地区人口总数的 6%

蔻德罕见病中心 (CORD) 创始人及主任黄如方 (Kevin Huang) 指出: “在中国, 罕见病患者群体庞大, 他们大多数未能获得正确及时的诊断、接受最佳的循证治疗和护理。更遗憾的是, 社会对罕见病患者的困境缺乏基本认知。经济学人智库在这份报告中提出了罕见病管理面临的核心挑战, 我们希望能够与政府、医护人员和其他相关方携手努力, 共同应对, 为罕见病患者的生存现状带来积极改变。”

除了指出罕见病管理面临的三大核心挑战外, 报告还建议政策制定者优先关注可在短期内实现的目标, 包括更好地收集和使用数据、加强医护人员培训、普及现有罕见病知识、与患者组织合作以整合社会资源更好地提供支持等。通过建立更全面、统一的治疗方案, 才有机会改善罕见病患者的生活, 保障罕见病患者生活质量, 缓解经济负担, 并让他们在诊疗决策过程中更为主动, 从而改变其未来。

谈及报告的发现, 主编 Jesse Quigley Jones 先生表示: “根据此次的调研, 亚太地区的医护人员表示他们亟需更多支持以便能更好地管理罕见病。与此同时, 他们也非常希望能够加强彼此交流与患者组织的合作, 共同改善罕见病患者的医疗护理现状。随着公共卫生系统逐渐向一致性及整合性的方向发展, 部分经济体正在考虑制定更完善的医疗政策, 同时将罕见病患者的医疗以及社会需求纳入考虑。”

CSL Behring 亚太区市场部、医疗事务和市场准入执行总监 Peter Chow 表示: “受访的医护人员证实了罕见病患者在寻求正确的疾病诊断和治疗方案时, 面临许多令人沮丧及复杂的挑战。通过支持这项研究, 我们希望能够增加对这些不足和罕见病患者尚未被满足医学需求的认识。”

我们真切地希望报告能够为社会各界开展针对罕见病管理的讨论提供契机, 从而履行我们提高亚太地区及其他地区罕见病患者及其家人的生活质量的承诺。”

罕见病在中国:

- 据中国疾控中心预估, 中国是全球罕见病患者最多的国家 (2014年为1680万人)⁵; 其中90%以上罕见病患者的收入不足以支付生活与治疗费用。⁶

- 临床医生在职业生涯中遇到罕见病患者的机会微乎其微，但他们依然对自己掌握的罕见病知识非常自信。
- 在调查中，中国受访者对医疗系统的响应速度和质量的评分最高；但同时他们也表示，只有 24% 的罕见病患者接受了最佳循证治疗，是在五大经济体中占比最低。
- 37%的受访者表示，专业医生资源是否充足“始终是一项重大挑战”。
- 少部分受访者认为，患者组织应不应参与治疗方案的制定（18%），以及确定临床疗效研究（15%），这些观点并未在其他经济体出现。

亚太地区报告结果显示：

- **医护人员掌握的专业知识是提高罕见病诊断和管理水平的基石。** 在所有市场，医护人员都认为自己没有足够的能力来诊断和管理罕见病患者，因为他们很少遇到此类患者。约 14%的受访者表示，他们在职业生涯中从未遇到过罕见病患者。因此，在合理的时间范围内做出正确诊断是医护人员必须克服的首要挑战。
- **患者是推动罕见病管理变革和采取行动的核心，他们需要被聆听及接纳的机会。** 报告发现，大多数医护人员并不知道在其所在地区是否有病友组织。患者的声音是促进改革重要决定因素，唯有了解病患需求，才能规划最符合患者需求的治疗及护理方案，并促使医疗和政府机构中的关键决策者采取行动。
- **罕见病患者需要全面的、以患者为中心的照顾，并不限于药物治疗。** 罕见病患者除了健康状况不佳外，还面临着许多不同的挑战，包括与疾病相关的药物和护理费用带来的经济负担，以及在活动和就业等社会方面的障碍。由于 94%的罕见病缺乏获得批准的治疗方案⁷，罕见病患者的护理需要非医疗服务的支持，使患者的生活质量在治疗手段缺乏的情况下能够得到保障。

###

经济学人智库负责起草报告内容。调查结果和发表的意见不代表赞助方的观点。

关于 CSL Behring

以拯救生命为己任的 [CSL Behring](#) 是全球生物治疗领域的先驱。我们致力于以创新的科技满足患者需求，开发并生产有助于治疗凝血障碍、免疫缺陷、遗传性血管水肿、遗传性呼吸道疾病以及神经障碍的创新药物。此外，我们的产品亦适用于心脏手术、器官移植、烧伤治疗以及预防新生儿溶血性疾病。我们在中国大陆销售的产品目前只有人血白蛋白。

CSL Behring 拥有全球最大的血浆收集网络之一 CSL Plasma。其母公司 [CSL Limited](#) (的总部位于澳大利亚墨尔本，拥有 26,000 名员工，为全球 70 多个国家提供拯救患者性命及提升生活质量的医疗方式。欲了解更多信息，请参考网站内容 www.cslbehring.com.cn。

¹ Asia-Pacific Economic Cooperation. Action Plan on Rare Diseases. 2018. Available at: www.apec.org/rarediseases/Action-Plan. Accessed May 2020.

² The Economist Intelligence Unit Limited. Suffering in silence: Assessing rare disease awareness and management in Asia-Pacific. 2020.

³ United Nations Population Fund. Asia & the Pacific. Population trends. Available at: asiapacific.unfpa.org/en/node/15207. Accessed May 2020.

⁴ Batshaw ML, et al. Research into rare diseases of childhood. *JAMA* 2014;311:1729-1730.

⁵ Song P, et al. Innovative measures to combat rare diseases in China. *Intractable Rare Dis Res* 2017;6:1-5.

⁶ Dong D, Wang Y. Challenges of rare diseases in China. *Lancet* 2016;387:1906.

⁷ Asia-Pacific Economic Cooperation. Action Plan on Rare Diseases. 2018. Available at: www.apec.org/rarediseases/Action-Plan. Accessed May 2020.

媒体联络：

董美英

CSL Behring 高级传讯经理

电话：+86 130 5215 5021

邮箱：cecil.tung@cslbehring.com