

一支治疗幼儿罕见病的药卖 1466 万元

# 苦等天价药，不如做好遗传筛查

5月24日，美国食品和药品管理局(FDA)批准上市一款新药 Zolgensma，用于治疗一种罕见病——脊髓性肌肉萎缩症(SMA)。该药由诺华公司生产，一剂费用为212.5万美元(约合1466.9万元)。如此高昂的药价，立刻被全球媒体誉为“最贵天价药”。此前，用于治疗载脂蛋白脂肪酶缺乏症的药物格利贝拉，一疗程大约762万元人民币，而这款新药比之要高出近一倍。



## 研发会继续 未来价格会降

基因测序技术刚被开发出来时，价格曾达到上亿美元，但随着技术完善、成熟，现如今价格已降到1000美元左右。这些年被广泛应用于临床的单克隆抗体类药物也是如此。二十多年前，该药售价几万元甚至更高。现在，其价格已经可以被接受，更重要的是，目前该类药品已经超过上百种，可治疗的疾病也越来越多。王月丹说：“任何开创性的先进领域，最初阶段的价格都很昂贵。作为基因治疗和罕见病治疗里程碑式的药物，Zolgensma代表了当前生物医药技术发展巅峰，其价格高昂可以理解，与其争议药价，还不如探讨如何推动其持续研发。”

王月丹表示，基因疗法作为一种全新治疗模式，为很多原本治疗无望的患者和家庭带来希望。随着该药上市，如果更多的药厂加入研发，对生产技术优化整合，其成本将大大降低。“我相信，未来基因治疗药物价格有望降到10万美元，甚至1万美元以内。”

罕见病大多源于基因突变，目前有2000多种罕见病找到了致病基

因，还有五六千种罕见病可能是由多个不同基因突变引起。而且，由基因导致的疾病并不局限于罕见病，研究显示，许多常见病都可能与基因有关，如果基因或细胞治疗局面能被打开，类似血友病、地中海贫血病，甚至1型糖尿病，都可能用基因疗法来治疗。到那时，基因疗法价格会更低，也会惠及更多患者。数据显示，现阶段全球针对100多种严重疾病开发的基因疗法约300种，据FDA预测，到2025年，每年将有10到20种基因或细胞治疗药物上市。

据透露，Zolgensma今年晚些时候将在日本和欧盟获得批准上市，而中国目前还没有上市计划。秦炯表示，与其苦等天价药，不如做好遗传筛查工作，从源头上减少发病率。SMA的预防和筛查分三级：婚前携带者筛查、产前筛查和新生儿筛查。尤其是之前生过患儿的家庭要格外注意，建议母亲再次妊娠后，在怀孕12—14周取胎儿绒毛或羊水进行检查。一旦基因型确诊为SMA，建议尽快选择终止妊娠。

生命时报

## 从不治之症 到有药可医

带着两岁女儿来北京求医的小李夫妇，这几天的的心情可以用坐上过山车来形容。几个月前，女儿被查出患有脊髓性肌肉萎缩症，大夫说，这几乎是一种不治之症。女儿的病情让夫妻俩如坠深渊。女儿身上很快被装上了呼吸机、咳痰机等，高昂的医疗费用让小李夫妇几乎无法承受，但为了保命不得不强撑着。美国新上市的这款药，只打一针即可治疗，这让他们又燃起希望。但当该药最终价格公布时，他们的希望又破灭了。北京大学人民医院儿科主任、儿童神经内科教授秦炯表示，患这个病的幼儿，医院每年能收到十几个，虽是罕见病，但数量也

不少。“目前来看，患上这种病的治疗结局都很不好，即便有药物，绝大多数人也用不起、用不上。”秦炯说。

作为一种致死性神经肌肉疾病，该病由体内一种编码运动神经元存活蛋白的基因突变所引起，主要表现为肌肉无力和消瘦，会导致婴幼儿失去吞咽和呼吸等最基本的行动能力，是2岁以下婴幼儿的头号遗传病杀手。数据显示，这种病的发病率约为万分之一，其中90%的患病婴儿活不过2岁，且年龄越小死亡率越高。2018年5月，脊髓性肌肉萎缩症被列入国家卫健委等部门联合制定的《第一批罕见病目录》。据统计，在中国，目前有3万—5万

名SMA患者，每年新增1500—2500例。北京大学医学部免疫学系教授王月丹介绍，平均每50人中就有一名致病基因携带者，若夫妻双方均为携带者，就有1/4的几率生下患儿。

Zolgensma是一种基因治疗药物，采用静脉注射，为一次性疗法，只需一剂即可完成治疗。其药物机理是将正常基因导入患者体内，使其产生正常的蛋白，从而改善运动神经元等受累细胞的功能。FDA批准该药可用于治疗两岁以下脊髓性肌肉萎缩症患者。试验结果显示，截至2018年9月27日，22名受试者中有21名存活，患者总生存率为95%。除延长生存

期外，患者的运动能力也得到改善。

此前治疗该病的只有一款名为诺西那生的药物(目前国内有药厂生产，但价格尚未公布)。它通过修饰SMN2基因转录产物而产生疗效，但需要持续注射，首年注射6次，每针12.5万美元，一年要75万美元；次年开始，每年注射3次，花费37.5万美元。Zolgensma则直接通过修饰SMN1基因来达到治疗目的，只需注射一次就能维持疗效。诺华公司表示，212.5万美元的药费可在5年内分期付款，即患儿若存活5年，相当于每年平均花费42.5万美元(约合293.3万人民币)。相比而言，新药要便宜不少。

## 救命药卖天价 孰是孰非

今年6月，北京房价均价为6万元/平方米，而一支Zolgensma的药价，相当于在北京买一套244.5平方米的豪宅。那么，这药为什么这么贵？

首先是巨额的新药研发成本。东南大学附属中大医院临床药学部博士牛一民认为，研发新药需投入巨量资源，从前期药物实验，到三期临床研究，平均耗时十几年，耗资几十亿元，且新药上市成功率仅为1/4000。也就是说，药企花出去的巨款很

多都打了水漂。以诺华制药为例，1997—2011年间，总研发费用为836亿美元，最终上市的新药有21种，平均每种的研发费用是40亿美元。

其次，罕见病患者数量相对较少，但药物研发成本和常见病药物一样高昂，为了收回成本，维持新药研发动力，罕见病新药就不得不定高价，尤其是细胞和基因疗法大多都是一次性治疗，定价上就会更高。但每一个罕见病人都是一条生命，用

药意味着生存，没有药就意味着死亡。所以，很多药厂也会花巨资去研究这些孤儿药。2012年，第一个基因治疗药物格利贝拉在欧洲上市，定价100多万欧元(近800万人民币)，该药针对的适应症更罕见，发病率约百万分之一，但是，自2012年上市到2017年退市，仅销售一份。而葛兰素史克公司用于治疗免疫缺陷的药物Strimvelis，目前只卖出十几份。加上Zolgensma新药，至今共6种基因药物获批上

市，这些药物最低费用也要三四十万美元，基本很难到达患者手中。

“对药厂而言，药价高是一把双刃剑。如果太高，患者承受不起，就没人买，企业反而没利润；定价太低，企业会严重亏损。”牛一民说，任何药品定价都是政府、药企和保险公司的博弈。一方面，不能浇灭药企对罕见病药物研发和创新的热情；另一方面，也不能任由药企漫天要价，造成“能治而治不起”的悲剧。

## 江苏时代拍卖有限公司 拍卖公告

受委托，我公司将举行公开拍卖会，现将有关事项公告如下：

- 一、拍卖标的：罚没物资一批。
- 二、拍卖时间、地点：2019年6月19日(星期三)上午10点，本公司拍卖大厅。
- 三、咨询与看样：即日起接受咨询安排看样。
- 四、竞买登记时间：有意者请于拍卖日前携有效身份证件到我公司办理竞买登记手续(双休日除外)，并交付相应参拍保证金(限本票和现金)。
- 五、公司地址：江阴市朝阳路55号民建大厦西单元6楼

联系电话：0510-86835922、18921211993 惠经理

2019年6月11日

## 遗失声明

本人周锋/岳嘉蘋由于保管不善，遗失江苏保利宁成房地产开发有限公司开具的收据2份，收据号00153850，金额50000元，开具日期2017年1月8日；收据号：00172030，金额698765元，开具日期2017年2月10日。现声明作废。