

山东省医疗保障局
山东省财政厅文件
山东省卫生健康委员会

鲁医保发〔2020〕84号

关于将部分罕见病特效药品纳入我省
大病保险保障范围的通知

各市医疗保障局、财政局、卫生健康委，胜利油田医疗保险管理服务中心：

为贯彻落实山东省医疗保障局等6部门《关于进一步完善我省大病保险制度的通知》（鲁医保发〔2020〕73号），现将部分罕见病特殊疗效药品（以下简称特药）纳入我省大病保险保障范围有关事项通知如下：

一、纳入药品

通过谈判，将治疗戈谢病、庞贝氏病、法布雷病的特药纳入

我省居民和职工大病保险特药管理。（药品名单见附件1）

二、保障对象

首次确诊时，已参加山东省基本医疗保险，并取得山东省户籍满5年的戈谢病、庞贝氏病、法布雷病患者；或已参加山东省基本医疗保险，取得山东省户籍、年龄不满5周岁，其生父母一方取得山东省户籍满5年的戈谢病、庞贝氏病、法布雷病患者。

三、待遇保障

（一）大病保险。治疗戈谢病、庞贝氏病和法布雷病的特药纳入大病保险特药管理后，药品费用分段报销，起付标准为2万元，2万元—40万元以下的部分支付80%，40万元（含）以上的部分支付85%，一个医疗年度内每人最高支付90万元。谈判价格作为医保支付标准。

（二）药品生产企业援助。经大病保险报销后剩余的药品费用，由药品生产企业按谈判协议约定对患者实施援助。

（三）医疗救助。经大病保险报销和药品生产企业援助后剩余的药品费用，符合医疗救助条件的患者由户籍地政府按规定给予医疗救助。

（四）慈善帮扶。经大病保险报销、企业援助、医疗救助后仍确有困难的，鼓励慈善组织等社会力量给予帮扶。

四、管理服务

（一）定点诊断。山东省立医院、山东大学齐鲁医院、济南

市儿童医院、青岛大学附属医院、临沂市人民医院、聊城市人民医院等 6 家医院为指定诊断医院，由具有高级职称的临床专家作为责任医师诊断并填写《山东省戈谢病、庞贝氏病、法布雷病参保患者诊断登记表》（附件 2，以下简称《登记表》），《登记表》有效期 1 年。患者应在有效截止日期前，及时办理再次诊断登记。不按时诊断登记或诊断不符合条件的，终止享受相应医疗保障待遇。

（二）定点治疗。各设区市医疗保障部门会同卫生健康部门指定 1 家三级甲等医院作为定点治疗医院（定点诊断医院全部纳入定点治疗医院），患者凭《登记表》在定点治疗医院进行治疗。各定点治疗医院要指定 1-2 名临床专家作为责任医师为患者提供治疗服务。责任医师要合理施治、合理用药，在患者病历详细记录病情、开药时间和剂量等信息。患者凭病历在定点治疗医院配取药品，当场接受药品输注服务，不得转他人使用，并由临床护士在患者病历详细记录输注情况。

定点治疗医院要及时配备药品，保障药品供应使用。所需药品由定点治疗医院通过省药品集中采购平台网上采购，配送企业将药品直接配送到定点治疗医院。上述药品费用不纳入定点治疗医院医保总额管理，不计入药占比及相关指标考核范围。

（三）经办服务。患者（或监护人）需持有效期内《登记表》、户口本、病历、疾病诊断相关检查等证明材料到参保地设区市医保经办机构登记备案，备案后至《登记表》有效截止日期前按规

定享受医保报销等待遇。各市医保经办机构要加快信息系统改造，积极推进“一站式”联网结算，患者在定点治疗医院治疗时，只需要支付个人负担部分，未实现联网结算前，可采取定点治疗医院记账等方式，切实减轻个人垫付资金压力。

五、保障措施

（一）建立部门协调工作机制。各级医疗保障、财政、卫生健康等部门要高度重视罕见病医疗保障工作，建立部门协调工作机制，按照分工做好相关工作。医疗保障部门要会同有关部门做好政策制定、组织协调、药品价格谈判、药品编码、费用结算、监督管理等工作。财政部门要做好医疗救助资金拨付工作，配合医保部门加强医保基金监管。卫生健康部门要及时确定定点诊断医院、治疗医院，加强对定点医院及医疗服务行为的监管，指导做好诊断、药品配备、治疗和信息管理等工作。鼓励慈善组织等社会力量募集资金，开展困难患者救助帮扶活动。

（二）建立省罕见病用药专家委员会。专家委员会由罕见病临床医生、研究学者、医保政策专家等组成。专家委员会负责组织论证拟纳入保障范围的罕见病药品、罕见病临床诊疗规范和用药规范，对全省罕见病用药保障情况开展定期评估等。

本通知自 2021 年 1 月 1 日起施行。医疗保障、财政、卫生健康等有关部门要加强配合，加快定点治疗医院的确定和信息化改造工作，确保患者在 2021 年 1 月底前享受待遇。

国家制定出台罕见病用药保障政策，按国家要求执行。

附件：1. 纳入大病保险特药管理罕见病药品名单

2. 山东省戈谢病、庞贝氏病、法布雷病参保患者诊断
登记表



(此件主动公开)

附件 1

纳入大病保险特药管理罕见病药品名单

通用名	商品名	生产企业	规格	药品适应症	医保支付范围
注射用伊米苷酶	思而赞	赛诺菲（中国）投资有限公司上海分公司	400 单位/瓶	适用于确诊为非神经性病变（I 型）和慢性神经病变（III 型）戈谢病且有显著非神经系统病变临床表现的患者的长期酶替代疗法	同药品适应症
注射用阿糖苷酶 α	美而赞	赛诺菲（中国）投资有限公司上海分公司	50mg/瓶	用于庞贝病（酸性 α 葡萄糖苷酶 [GAA] 缺乏症）患者的治疗	同药品适应症
注射用阿加糖酶 β	法布赞	赛诺菲（中国）投资有限公司上海分公司	5mg/ 瓶 、 35mg/瓶	适用于确诊为法布雷病（Fabry disease, α-半乳糖苷酶 A 缺乏）患者的长期酶替代疗法；适用于成人、8 岁及以上儿童和青少年	同药品适应症
阿加糖酶 α 注射用浓溶液	瑞普佳	武田（中国）国际贸易有限公司	3.5mg （ 3.5ml ） / 瓶	用于被确诊为法布雷病（α-半乳糖苷酶 A 缺乏）患者的长期酶替代疗法；适用于成人、儿童和青少年，尚未确定在 0-6 岁儿童中的安全性和有效性	同药品适应症

附件 2

山东省戈谢病、庞贝氏病、法布雷病 参保患者诊断登记表

姓 名		性别		(一寸照片)
身份证号码		户籍		
家庭住址			联系电话	
定点诊断医院			责任医师	
申请人 (或监护人签字):				
疾病诊断情况	(以下内容由责任医师填写)			
定点诊断 医院意见	责任医生签字 年 月 日		医保办意见 年 月 日	
登记起止时间 (1 年)	年 月 日 — 年 月 日 (医院医保办填写)			

注：1、本表一式五份，参保患者、指定诊断医院、定点治疗医院、统筹地区医保经办机构、大病保险承办商业保险机构各一份；
2、需提供材料：疾病诊断相关检查材料、病历、户口本等复印件。

