



武汉市东西湖区血友之家罕见病助残关爱中心
Wuhan Dongxihu District Hemophilia Home, Rare Diseases and Disabled Care Center



湖北省血友病患者 生存状况及疾病负担调研报告 2021

研究人员：李群 王雪屏 刘锡莹



目录

第一章： 本次调研的相关背景和方法介绍	9
一、 项目背景	9
二、 研究目的	10
三、 研究方法	11
第二章： 血友病的基本情况介绍和相关研究总结	12
一、 血友病的诊疗	12
二、 我国目前主要的血友病报销政策	13
三、 历年主要的血友病患者调研发现	14
四、 相关学术论文的主要总结	15
第三章： 受访患者的整体情况	17
一、 人口学情况	17
二、 疾病分型	19
三、 患者目前采取的治疗类型	20
第四章： 受访患者的因子使用情况与未满足需求	23
一、 凝血因子用量情况	23
二、 处方、取药和输注等环节的情况	27
第五章： 受访患者的健康和生命质量情况	31
一、 患者目前主要的健康指标	31
二、 整体的生命质量评估	37
第六章： 受访患者的医疗费用和医疗负担情况	43
一、 患者目前的直接医疗费用支出情况	43
二、 患者的家庭收入、债务和救助等	46

三、	患者的整体医疗负担	49
四、	报销环节的未满足需求	50
第七章： 受访患者的社会融入情况		51
一、	患者的文化程度	51
二、	患者的社会融入受影响情况	52
第八章： 湖北省血友病患者防治和保障情况总结		56
一、	湖北省血友病诊疗和保障体系建设现状.....	56
二、	调研数据反映的全省患者情况	59
三、	调研数据反映的地区保障差异	61
第九章： 武汉血友病患者的情况与未满足需求.....		64
一、	武汉受访患者整体情况	64
二、	武汉患者因子使用情况与未满足需求.....	65
三、	武汉患者当前健康情况	70
四、	武汉患者医疗费用和负担情况	72
第十章： 政策建议		75
附录.....		78
一、	湖北各市州医保血友病门诊特病报销政策汇总表.....	78
二、	报告局限性	81
研究团队介绍		83
参考文献		84

序言

随着近年来对罕见病问题关注度的提高，社会各界认识到罕见病保障不仅是个医学问题，也更是个民生问题。解决罕见病患者的医疗保障问题，有着重要的社会意义和时代意义。保障罕见病患者是维系社会公平的重要体现，也是达成全面小康社会建设目标、完成脱贫攻坚任务所必须克服的困难。在 7000 多种罕见病中，血友病作为相对高发且会严重危及患者健康和生存的一种血液疾病，在罕见病目录出台之前已经得到了政府的高度关注。2017 年国家医保目录把治疗血友病相关的产品纳入了医保范围，各地医保部门也开展了落地实施，确保血友病患者的用药可及性。因此，可以说血友病领域是一面镜子，其保障政策代表了我国罕见病医疗保障从宏观制度到地方落地的典型过程，其患者待遇则代表了罕见病保障制度落地的实际情况。

湖北省在血友病患者保障方面已相继推出了多项政策和措施，整体而言情况已经实现了较大的改善。2009 年，在中国血友病防治组和协和医院血液病研究所的共同倡导下，湖北血友病诊疗中心成立。时至今日，湖北省已经建立了较为全面的血友病诊疗体系，以协和、同济等大型三甲医院为核心建立了规范化的血友病诊疗中心，并在全省各地指定了血友病定点医疗机构，旨在方便进行患者的本地化管理。在用药保障制度方面，湖北省已全面建立门诊特定病种制度，各市州将血友病纳入门诊特定病种范围，并通过民政救助进一步提升血友病患者的长期用药支付能力。

虽然我省已经取得了显著的工作成绩，但我们还需要从患者的角度出发，依据一手的真实数据，加深对患者生存现状、实际获得感和相关诉求的了解。更重要的是，从血友病在整个罕见病保障制度的定位来看，开展血友病相关保障政策落地和患者情况的研究，对于我国罕见病医疗保障政策的未来发展和落地评估，也有着非常重要的借鉴意义。这次由武汉市慈善总会及武汉市东西湖区血友之家罕见病助残关爱中心和艾社康联合发起的湖北省血友病患者调研报告，非常及时地提供了患者视角的数据调研和深入分析。此次调研全面反映了我省血友病患者的生存现状和疾病负担，并深入分析了地区间的差异，有针对性地发现当地血友病保障的薄弱环节。这是全国也是湖北省第一份正式发布的省域单病种患者调研报告，聚焦到地方的血友病医保政策落地和患者生存现状情况，以中观数据和微观案例反映宏观问题。湖北省在全国范围内属于少数率先开展此类相关调研的地区，体现了湖北政府部门和医疗机构对这个重要问题的关注。该报告填补了湖北省罕见病患者整体现状研究领域的空白，对于湖北省政府相关部门进一步完善血友病以及其他罕见病医疗保障制度、探索未来政策设计的方向，具有重要的参考意义。

习近平总书记指出，进入新发展阶段必须更加注重共同富裕问题和坚持“以人民为中心”的发展思想，促进基本公共服务均等化、完善养老和医疗保障体系以及兜底救助体系等民生保障措施，在高质量发展中促进共同富裕。国务院办公厅于 2021 年 11 月发布了《关于健全重特大疾病医疗保险和救助制度的意见》，提出做好重特大疾病医疗保障，并重点关注罕见病的保障，指出应

“根据经济社会发展水平和各方承受能力，探索建立罕见病用药保障机制，整合医疗保障、社会救助、慈善帮扶等资源，实施综合保障。”我借此机会呼吁，（1）进一步完善湖北省血友病诊疗体系，加强患者综合管理；（2）完善门特和双通道政策，实现全省医保制度政策统一和血友病患者待遇均衡；（3）统筹调动救助力量，为血友病患者打造多层次保障体系；（4）加强患者社群支持，积极协助临床专家和政府的相关工作。我们期待湖北省能够在罕见病综合防治领域取得更大的突破，为我国的罕见病事业做出积极的表率。

冯占春

华中科技大学同济医学院医药卫生管理学院院长

内容概述

血友病是一种遗传性的出血性疾病，可分为甲型血友病、乙型血友病、获得性血友病等。患者因特定凝血因子缺乏引发凝血功能障碍，通常在儿童期发病，出现关节、肌肉、内脏和深部组织轻微外伤后出血不止的情况，重症患者在未见外伤的前提下也可出现自发性出血。因血友病为 X 染色体连锁的隐性遗传，患者主要为男性，在男性人群中血友病 A（甲型血友病）的发病率约为 1/5000，血友病 B（乙型血友病）的发病率约为 1/25000。

在众多的罕见病中，血友病作为发病人数相对较多、治疗路径和治疗收益比较明确的疾病，其相关治疗药物在我国罕见病目录出台之前已经得到了政府的高度关注。2017 年国家医保目录就已把治疗血友病的相关产品纳入了医保范围，各地政府对于血友病患者的保障已经历了多年的探索，可以说该领域代表了我国罕见病医疗保障制度的前期发展历程。而治疗药物列入国家医保只是确保用药可及性的第一步，在各地政策的落地过程中还要打通一系列的环节，包括医院建立疾病诊疗和配套用药体系、制定门特门慢报销政策、确保充足的报销额度、采取针对贫困家庭的配套救助措施等，才能真正使患者享受到实际的医保福利待遇。因此本次调研从省级的研究角度出发，选取了湖北省的血友病患者作为对象，研究省内各市州的血友病相关政策，以及患者的实际生存状况和经济负担。调研旨在反映我国血友病保障政策的实际落地情况，并为我国罕见病医疗保障政策的未来发展和落地提供借鉴参考。

本次调研通过定量与定性相结合的方法对湖北省血友病保障政策和患者生存状况进行了研究。定量方面，通过线上问卷调查的形式向湖北省血友病患者发放问卷 338 份，回收有效问卷 314 份，有效率 92.9%。考虑到 2020 年患者用药情况受疫情影响明显，本调研采用了 2019 年的数据，将在 2019 年已经开展了常规的因子治疗的湖北省户籍或常住的血友病患者纳入了分析。根据以上入组标准，本次调研收集到的有效患者数据包括甲型血友病患者 265 人、乙型血友病患者 45 人和 4 位血管性血友病患者。定性方面，在案头研究基础上，共 6 位患者接受了深度访谈，另有 2 位湖北省血友病临床医学专家以及 2 位湖北省卫生体系和医疗保障专家参与了深度访谈。

从调研结果看，在患者的治疗用药方面，湖北省血友病患者的治疗水平和保障政策仍有所不足。首先，患者的主要药物（凝血因子）整体用量水平与临床推荐用量相比较低。根据患者的自报情况，只有 41% 的患者正在接受作为指南推荐疗法的预防治疗（定期输注凝血因子），59% 的患者仅采用了按需治疗（在出现严重疼痛或出血情况后才进行治疗）。但即便在采用预防治疗的患者中，也有接近一半的患者在因子使用量上低于临床推荐的低剂量预防治疗标准（1040IU/kg）。其次，各市州患者在用药报销和输注环节遇到了不同障碍，包括门诊报销额度过低、DRG 限制住院治疗费用、用药输注存在困难等。例如在门诊报销政策方面，地域间的保障政策差异较大，一些地区的血友病患者在门诊取药时报销额度非常低，所能报销的因子数远不能满足按需治疗的要求，甚至在门诊仅能自费用药。因此患者普遍通过住院挂床的形式开展治疗，调研中

59%的患者汇报住院是常用的治疗渠道。

从患者的健康和生命质量来看，受疾病影响，患者当前的健康状况不容乐观。绝大多数湖北省成年患者出现了关节畸形等并发症，自发性出血、疼痛和关节受损情况在患者中较为普遍。此次调研中，12%的成年患者发生了重要器官出血等危及生命的自发性出血，82%的成年患者出现了明显残疾。未成年患者的健康状况也令人担忧。在心理健康方面，受访患者也受到了不同程度的负面影响，近九成的成年患者表示出现过焦虑/抑郁情绪。整体来看，参与此次调研的湖北省血友病患者的生命质量远低于常人水平。

从患者的医疗费用和负担情况来看，血友病患者的家庭经济负担较重。以占此次调研中的甲型血友病患者为主开展医疗费用和医疗负担分析，患者的年医疗费用支出平均为3.1万元，占其平均家庭年收入的75%，远超世卫组织定义的灾难性医疗支出阈值。53%的受访甲型血友病家庭因病产生负债，平均债务为64246元。此外，患者的社会融入受到影响，就业存在较大困难，成年患者54%为初中及以下文化程度，近六成当前处于失业、待业或无业状态。

根据调研结果，湖北省血友病患者当前存在四点主要诉求：1) 门诊报销政策仍有待提高，较多患者被迫选择住院治疗；2) 地域间保障政策差异较大，希望有能力的地区提高保障水平；3) 在处方和输注环节遇到限制，希望相关政策能考虑到患者实际需求；4) 扶贫项目结束后出现了救助待遇下调，对存在收入困难患者造成了较大经济压力，希望通过精准救助措施改善贫困边缘家庭的待遇。

结合本次调研反馈以及专家意见，我们提出以下相关建议：

一、完善血友病诊疗体系，加强患者综合管理：通过对医护人员开展培训，帮助基层医疗机构的医生正确认识血友病，提高诊断能力、减少输注障碍、协助阻断遗传；

二、完善门特和双通道政策，实现全省医保制度政策统一和待遇均衡：建议以疾病的门诊治疗临床路径为依据，设计相关的门诊特病报销政策，逐步推动血友病门特制度的全省政策统一和待遇均衡；

三、统筹调动力量，为血友病患者打造多层次保障体系：在托底层的医疗救助政策方面，建议在政策调整的过程中考虑待遇衔接，不改变患者的存量待遇，确保救助对象应救尽救，救助待遇稳中有进。同时建议湖北省医保、民政等政府部门牵头，以本地的慈善机构为平台，联合制药公司和其他爱心企业，推动针对血友病以及其他罕见病的社会慈善捐赠，为患者打造可持续发展的多层次保障体系；

四、加强患者社群支持，积极协助临床专家和政府的相关工作：建议以民政为主的各级部门加强扶持血友病患者社群组织，发挥此类组织在协助政府各级部门、配合医院和医生、管理和服务患者等方面的核心作用。

致谢

感谢所有长期以来在本项目研究过程中给予我们帮助和支持的政府部门、医疗机构、医药从业者及社会爱心人士。

感谢武汉市慈善总会、武田（中国）国际贸易有限公司、神州细胞工程有限公司、华兰生物工程股份有限公司对项目顺利完成的支持。

感谢湖北省内各地血友组织的负责人对项目完成的全面支持，感谢湖北省所有血友病病友家庭给予本次调研的配合与支持。

我们还要感谢所有在研究过程中接受访谈的临床与医疗保障专家，他们是武汉同济医院儿童血液病科主任胡群教授、华中科技大学同济医学院附属协和医院血液科王华芳教授、华中科技大学同济医学院医药卫生管理学院冯占春院长、和武汉大学健康经济与管理研究中心执行主任王健教授。感谢接受深度访谈的6位患者和病友家庭。

感谢李群、王雪屏、和刘锡莹三位研究员为报告的撰写付出的时间和精力。

第一章：本次调研的相关背景和方法介绍

在我国罕见病诊疗体系和医疗保障政策不断完善的背景下，相关行业与罕见病患者组织在全国范围内开展了多次罕见病患者的相关调研。在此基础上，我们开展了此次针对特定地区（湖北省）和特定病种（血友病）患者生存质量的调研项目，希望对历次全国性的患者调研在调研角度和颗粒度上增添有益的补充。本次调研聚焦于湖北省的血友病患者生存状况和疾病负担，旨在摸清湖北省血友病患者的真实状况，有针对性地发现当地血友病保障的薄弱环节，并通过收集和分析一线真实数据来协助政府相关政策的制定。项目调研采取案头研究、患者问卷、患者个案访谈以及专家深度访谈等多种方法，以期全面收集相关事实和数据，来综合反映特定地区和特定罕见病种的医疗保障水平和可改进空间。

一、项目背景

罕见病群体近年来受到了社会各界的关注和政府的关怀，政府通过制定罕见病目录推动其临床诊疗的规范，而患者的用药可及性等医疗保障政策也得到了实质性的提升。在 7000 多种罕见病中，血友病作为相对高发并严重危及患者健康和生存的一种血液疾病，在罕见病目录出台之前已经得到了政府的高度关注。2017 年国家医保目录把治疗血友病的相关产品纳入了医保范围，各地医保部门也开展了落地实施的制度设计，确保血友病患者的用药可及性，可以说血友病领域代表了我国罕见病医疗保障制度的前期发展历程。

因此开展血友病相关保障政策落地和患者情况的研究，对于我国罕见病医疗保障政策的未来发展和落地评估，是非常有借鉴和参考意义的。从目前的实际效果来看，各个地方在制度设计和患者用药可及性上还是存在较大的差异。因此本次调研将以省为单位来开展，聚焦地方的血友病医保政策落地和患者生存现状情况，以中观数据和微观案例反映宏观问题。

1. 我国罕见病保障政策不断完善

从过去的发展过程来看，我国罕见病医疗保障政策发展经历了以下几个阶段：

一、早期探索阶段：2017 年国家医保谈判首次纳入数个罕见病相关药品，包括治疗血友病的重组人凝血因子 VIIa、治疗多发性硬化的重组人干扰素 β -1b 和治疗结节性硬化症的依维莫司。在此之前，包括青岛、浙江在内的很多省市地区，最早从 2005 年就开始对罕见病用药的保障体系建设进行了多方面的探索，将多个罕见病用药纳入了省市级的医保目录之中。

二、国家层面的系统性突破：2018 年五部委制定了《第一批罕见病目录》，同年药品审评中心发布 40 种境外已上市临床急需新药名单和相关快速审评审批机制。2018 年恰逢国家医保局正式挂牌，在接下来几年的历次国谈中，医保局

系统性地纳入了多个罕见病用药（包括肺动脉高压、肢端肥大症、多发性硬化症、特发性肺纤维化、亨廷顿舞蹈症、肌萎缩侧索硬化等罕见病的药物），标志着我国建立了常态化、动态化的罕见病用药医保准入机制。

三、各地的落地与探索：2018 年国家医保局成立至今，以浙江、山西、成都和佛山等省市为代表，各地开展了多种新型地方罕见病保障模式的探索，包括专项基金、大病谈判、医疗救助和政策性商保等模式。

2. 血友病患者经历反映了罕见病政策落地的实际情况

在众多的罕见病中，血友病作为一个发病人数相对较多、治疗路径和治疗收益比较明确的疾病，其相关的治疗药物较早被纳入了国家医保目录（包括重组人凝血因子 VIII、重组人凝血因子 IX、重组人凝血因子 VIIa、人凝血因子 VIII、人凝血酶原复合物等），尤其是儿童患者的预防治疗也被纳入了医保范围。从这一方面而言，可以说血友病患者是幸运的，其使用的药物较早地在国家医保层面解决了准入问题。

另一方面，治疗药物列入国家医保实际上只是确保用药可及性的第一步。在各地政策落地过程中还要打通一系列的环节，包括保障各级医院进药、制定门特门慢报销政策、提升报销额度、打通院外医保药店双通道、采取针对贫困家庭的配套救助措施等，才能真正使患者享受到实际的医保福利待遇。在这个过程中，由于各地的客观条件和政策制定差异，血友病患者享受到的实际医疗保障效果差别较大。例如，有国内相关研究^[1]选取了五个二线城市，探讨其不同的血友病门诊报销政策导致的成人血友病 A 型（甲型血友病）患者的治疗水平差异。从研究结果来看，这五个城市的患者接受预防治疗的比例为 10.2%到 72.4%不等，差异非常之大。

因此本次调研选取了湖北省的血友病患者作为对象，来研究湖北省以及省内各市州的血友病相关政策，以及患者的实际生存状况和经济负担。研究将从省级的研究角度出发，结合相关的全国性的调研结果，来反映我国血友病保障政策的实际落地情况。

二、研究目的

此次研究主要预期达到以下目标：

（一）全面了解湖北省和各市州血友病防治和保障体系，并与相关地区进行对比，从中观的角度来分析我国血友病政策在省级地区的落地情况；

（二）调研湖北省血友病患者的整体生存状况和经济负担，并调研患者个案及其主要未满足需求；

（三）对比湖北省不同城市之间血友病患者的情况，以反映政策落地和患者保障的地方差异；

（四）发现血友病患者保障的薄弱环节，并提出相关的建议，供政府和相关方决策参考，为其他罕见病保障政策的落地提供模式借鉴。

三、 研究方法

项目调研采取案头研究、患者问卷、患者个案访谈以及专家深度访谈等多种方法，以期全面地收集相关事实和数据。

项目通过定量与定性相结合的方法对湖北省血友病保障政策和患者生存状况进行了研究。定量方面，通过线上问卷调查的形式，对湖北省血友病患者进行了调查。问卷调研于2021年8月开展，共向湖北省血友病患者发放问卷338份，回收有效问卷314份，有效率92.9%。回收数据经由问卷星系统自动录入，并通过SPSS 26软件进行统计分析。定性方面，共6位参与了问卷调查的患者接受了电话访谈，另有2位湖北省血友病临床医学专家以及2位湖北省卫生体系和医疗保障专家参与了深度访谈。所有未成年血友病患者都由其监护人代为接受调查和访谈。

第二章：血友病的基本情况介绍和相关研究总结

随着经济的发展和医疗技术的不断进步，我国的血友病诊疗能力不断提升，对血友病患者的保障政策也在不断发展，血友病患者的健康和生存状况较十年前已有了很大的改善。近年来，在血友病领域也出现了一些社会调研和学术研究成果。本章对血友病的发病情况和当前的治疗方案做简要介绍，并概述我国血友病保障政策的发展，以及总结我国自 2015 年来的血友病患者调研发现和血友病患者生存及预后相关学术研究的主要成果。

一、 血友病的诊疗

血友病是一种遗传性的出血性疾病，患者因特定凝血因子缺乏引发凝血功能障碍，通常在儿童期发病，出现关节、肌肉、内脏和深部组织轻微外伤后出血不止的情况，重症患者在未见外伤的前提下也可出现自发性出血，部分出血情况可危及生命。血友病患者终身具有出血倾向，成年患者中常见因出血所致的累计损伤，如因反复肌肉出血引发的关节病变、残疾或假肿瘤等。

血友病可分为甲型血友病、乙型血友病、获得性血友病等，不同血友病类型对应不同的凝血因子缺乏情况。多数血友病患者为甲型（FVIII 缺乏）或乙型（FIX 缺乏），分别占患者群体的 80~85% 与 15~20%^[2]。因血友病为 X 染色体连锁的隐性遗传，患者主要为男性，女性多为致病基因的携带者。《血友病诊断与治疗中国专家共识（2017 版）》指出，血友病的发病率没有地区或种族差异，在男性人群中，血友病 A（甲型血友病）的发病率约为 1/5000，血友病 B（乙型血友病）的发病率约为 1/25000^[2]。根据 2018 年 9 月中国第 11 届血友病年会资料显示，我国预计有血友病患者 91681 人，其中已注册登记的患者有 14390 人，患者基数较大^[3]。

现阶段，血友病的主要治疗方案为因子替代疗法。当前，血友病的治疗药物为含有凝血因子的血液制品，包含凝血因子浓缩剂，人凝血酶原复合物、冷沉淀、血浆等。凝血因子浓缩剂是治疗血友病的首选，可由人体血液制造（称为血源性产品），或由携带人类凝血因子基因的基因工程细胞制造（称为重组产品），如治疗甲型血友病的 VIII 因子，治疗乙型血友病的 VIX 因子^[4]。与血源产品相比，重组因子具有纯度高、血源性感染风险低、抑制物发生率低等优点。

根据干预时间，因子治疗可分为急性出血时的治疗（按需治疗）与出血发生前的规律性替代治疗（预防治疗）。对于儿童患者，《儿童血友病诊疗规范（2019 年版）》推荐将预防治疗作为标准治疗疗法^[5]。基于对儿童患者应设定年关节出血次数（annual joint bleeding rate, AJBR）小于 3 次的目标，以尽量避免关节损伤的发生以及由于关节出血造成的不可逆性关节残疾，诊疗规范提出预防治疗是儿童血友病治疗的首选治疗方法。世界血友病联盟和世界卫生组织也已将预防出血和关节损伤从而达到保留正常肌肉骨骼功能确定为重型血友病患儿的最终治疗目标，因此预防治疗也被确定为最理想的标准治疗方法^[5]。预防

治疗可分为标准剂量、中剂量和小剂量方案。标准剂量需要血友病患者每次注射 25~40 IU/kg，甲型患儿每周给药 3 次或隔日 1 次，乙型患儿每周 2 次。而《血友病治疗中国指南》建议在经济条件允许的血友病儿童中开始实施的中剂量方案需要每次注射 15~30 IU/kg，甲型患儿每周给药 3 次，乙型患儿每周 2 次。小剂量方案，综合考虑了我国国情、医疗与经济条件，需要甲型患儿每次注射 10IU/kg，每周给药 2 次或每 3 天 1 次；乙型患儿每次 20 IU/kg，每周一次。成人血友病患者的治疗方案和剂量与儿童相同，但由于经济条件的限制，目前多数成人血友病患者接受的是按需治疗^[6]。

随着血友病诊疗能力的不断提升，近年来我国也在不断推进血友病诊疗体系的建设。在血友病领域多个领衔专家的带领下，罕见病联盟血友病专委会根据欧洲血友病中心标准与亚太血友病防治原则，结合我国实际情况制定了我国三级血友病中心标准，对血友病中心的诊疗能力做出了规范和要求。截至 2021 年 7 月，全国范围内已建成 2 家综合管理中心、7 家治疗中心，10 家诊疗中心，另有 31 家医院通过了数据审核^[7]。

二、我国目前主要的血友病报销政策

2008 年我国市场上开始出现治疗血友病的药物，在 2008 年后，少数经济条件较好的地区就开始将血友病列入门诊特殊病种，为血友病患者提供相关的医疗保障。2017 年，血友病的各种治疗药物首次进入国家医保目录，儿童血友病患者的预防治疗也被纳入了保障范围。在 2017 年版《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录》中，将血友病、特发性肺纤维化、肌萎缩侧索硬化症等罕见病的治疗用药纳入保障范围，并通过谈判准入的方式将治疗多发性硬化症的重组人干扰素 β -1b、治疗血友病的重组人凝血因子 VIIa 纳入，同时对药品价格进行了大幅调整。

因血友病需要长期治疗，在病情稳定的情况下治疗可以在门诊进行。医疗费用较高的疾病，各地的血友病门诊保障基本都已通过门诊特殊疾病或门诊特殊慢性病等专项政策落地。整体上各地保障水平与地方经济发展有一定关联，但具体来看，各地血友病保障政策参差不齐。例如，一些经济较发达的城市保障条件并不优于经济上相对落后的地区，甚至远低于平均标准。

超一线城市中，北京、广州和深圳的保障较为完善，北京的职工医保可报销药费的 85~95% 左右，上限为 50 万元；而居民医保报销比例为 75%，上限为 25 万元^{[8][9][10][11]}。广州的血友病门诊中，居民医保报销 70%，职工报销 80%，上限同基本医保年度统筹基金最高支付限额（2020 年居民医保限额为 26 万元，职工医保限额为 37 万元）^{[12][13][14]}。深圳的血友病患者在门诊可报销 60~90%，年度报销上限为 160 万元^[15]。而保障相对一般的上海当前尚未将血友病列入门诊特殊疾病管理。

不少二线城市当前对血友病的保障也已趋于完善。天津的职工医保门诊可报 80~85%，上限 45 万元；居民医保报销 55%，上限 18 万元^{[16][17][18]}。宁波的

保障水平也在全国范围内领先，职工医保可报销药费的 90%左右，且不设上限；而居民医保报销比例在 75%-80%之间，上限 25 万元；此外还有慈善总会兜底药费总额的 20%^{[19][20][21]}。长沙的门诊血友病保障政策虽额度不算高，也有十分人性化的设计，血友病作为门诊特殊病种，职工医保非急性期可报 80%，急性出血期间可报 90%，在急性出血期间可按规定范围的实际发生额报销；而居民医保除比例和限额略低外（报销 70%，年度上限 15 万），关于急性出血的待遇设计同职工医保^[22]。

而在我国其他三线城市及以下的大部分地区，血友病的医疗保障仍然不足，患者难以负担足量治疗所需的费用，明显影响了患者的预后和生存状态。除此之外，乙型血友病患者（使用重组人凝血因子 IX）的保障水平总体差于甲型患者，在不同地区间的报销差异也较大，其医保待遇也亟待参照甲型患者的待遇水平进行相应提升。

表一：我国部分血友病保障较好城市血友病门诊特病报销政策

城市	门诊特病类型	报销比例	最高支付限额（元/年）
北京市	门诊特殊疾病	职工：85%~95% 居民：75%	职工：500,000 居民：250,000
广州市	门诊特定病种	职工：80% 居民：70%	职工：基本医保支付限额（370,000） 居民：基本医保支付限额（260,000）
深圳市	门诊特定病种	60~90%	基本医保+地方补充医保支付限额，具体标准根据参保时间划定，最高为 1600,000
天津市	门诊特殊病种	职工：80%~85% 居民：55%	职工：450,000 居民：180,000
宁波市	门诊特殊病种	职工：90% 居民：75~80%	职工：无上限 居民：250,000
长沙市	特殊病种门诊	职工：非急性期 80%， 急性出血期间 90% 居民：70%	260/月，急性出血期间按规定范围的实际发生额报销

备注：报销政策来源见参考文献（正文标注）。

三、 历年主要的血友病患者调研发现

在血友病领域，我国已有三次全国范围的大型患者调研，分别为 2015 年北京血友之家罕见病关爱中心委托北京大学社会学系和北京大学中国社会与发展研究中心进行的《血友病人生存状况调查报告：成人和儿童》、2019 年中国罕见病联盟发起的《血友病患者综合社会调查》和 2020 年的《中国乙型血友病患者生存状况及医疗保障需求调研》。其中，2015 年的调研重点对血友病患者的诊治过程和社会融入情况进行了数据收集和分析，并基于此提出了血友病社会干预的政策方向；2019 罕见病联盟发起的调研除了了解患者的疾病相关情况和药物

相关情况，还进一步调研了患者的自理能力和辅具使用情况、经济负担、社会支持与生活质量；而 2020 年的调研对乙型血友病患者作了针对性的研究，分析了乙型血友病患者的医疗保障现状、治疗现状及与甲型血友病患者的保障差距。

2019 年中国罕见病联盟发起的《血友病患者综合社会调查报告》^[23]，通过病友组织向全国血友病患者发放患者自填的网络调查问卷，共收集了 1974 位血友病患者的相关信息。调研结果显示，相对于常规疾病，血友病的确诊时间较长，误诊比例也更高（41%的血友病患者经历过误诊），且超过半数的血友病患者认为自身疾病非常严重，78%的患者在日常生活中不能完全自理。根据调研数据，血友病患者主要通过凝血因子进行治疗，医疗负担较大。2018 年，受访血友病患者在药物上的花费平均为 119933 元，其中 29756 元为自费。而结合患者汇报的收入数据，近四成的成年患者汇报目前没有收入，超过半数的成年患者因血友病处于未就业的状态。有收入的患者的平均个人年收入也仅为 3 万元，与他们的平均年凝血因子治疗费用支出相当，即便加上其他家庭成员的收入，治疗费用年医疗支出也超过家庭年收入的六成^[23]。

而关于乙型血友病，2020 年的《中国乙型血友病患者生存状况及医疗保障需求调研》^[24]结果显示，乙型血友病患者的生存状况不容乐观。74%的成年患者已因病致残，多数患者存在社会融入的困难，约 70%的患者或家属向他人隐瞒过病情，并有约 1/3 的患者因隐瞒病情而使自己陷入危险。同时，与甲型血友病患者相比，乙型血友病患者在治疗报销上的障碍更多，56%的患者认为报销限额不足以满足预防、按需治疗中的足量要求，成年患者在治疗上的年均费用为 2.5 万，儿童为 4.5 万，24%的患者家庭在治疗上的年均支出超过家庭年收入的六成^[24]。

四、 相关学术论文的主要总结

在血友病领域，我国已有了较多学术成果，多数与血友病患者的治疗方案相关。而在患者治疗方案选择与预后情况的影响因素上，目前在学术界也有了一些相关结论，地方医疗保障政策的差异是对我国血友病患者治疗及预后影响较大的因素之一。

地方的医疗保障待遇与血友病患者的治疗方案选择息息相关，从而影响到患者的疾病进展速度，生活工作能力与生命质量。在 2020 年发表的一篇《我国基本医疗保险报销政策对成人血友病 A 患者治疗水平与费用的影响》^[25]论文中，研究者分析了国内五个二线城市的门诊报销政策以及血友病患者的基本特征、凝血因子处方用量和医疗费用数据。研究发现，各地甲型血友病患者因子治疗的规范性受医保报销水平的影响较大，报销待遇的提升能够显著提升患者的治疗水平。在医保待遇较好的城市，超过 70%的患者接受了预防治疗，而另一些地区的患者因无法承担治疗费用无法规律接受治疗，全部选择按需治疗^[25]。

同时，国内外多项研究^[26]表明，预防治疗的临床效果更好，即便是低剂量的预防治疗也能够显著降低患者的年均出血次数，从而提升患者的自我照顾及

日常活动能力，更好地投入生产生活。一项关于甲型血友病儿童患者的回顾性研究^[27]显示，接受预防治疗的患儿总出血次数与按需治疗的患儿相比减少了48%，关节出血次数减少了50%，并因此减缓了患儿关节疾病和残疾的进程。推广并普及预防治疗，对提升患者的治疗水平和生命质量有着至关重要的意义和价值。虽预防治疗在短期内显著增加了患者的年均治疗费用，但从长期来看，预防治疗使患者的出血次数减少，从而降低了血友病患者的致残率，患者未来对出血及关节残疾的治疗需求减少，也将避免相应的医疗费用支出。此外，接受预防治疗的患者可能可以回归社会从事全职工作，降低了患者家庭与社会所承受的劳动力损失，从而获得长期经济收益。

第三章：受访患者的整体情况

本章将介绍本次调研受访患者的基本人口学情况和患病情况，并简单分析受访患者目前采取的治疗类型。整体而言，湖北省血友病患者主要为男性，除高龄外，各个年龄层均有分布，以重型患者为主。多数患者，尤其成年患者的治疗方式仍以按需治疗为主。

本次报告的调研对象为湖北省户籍或常住的血友病患者，并要求患者在2019年已经开展了常规的因子治疗（因2020年患者用药情况受疫情影响明显，因此本调研要求采用2019年数据）。根据以上标准，本次调研收集到的有效患者数据包括甲型血友病患者265人和乙型血友病患者45人，另有4位血管性血友病患者。

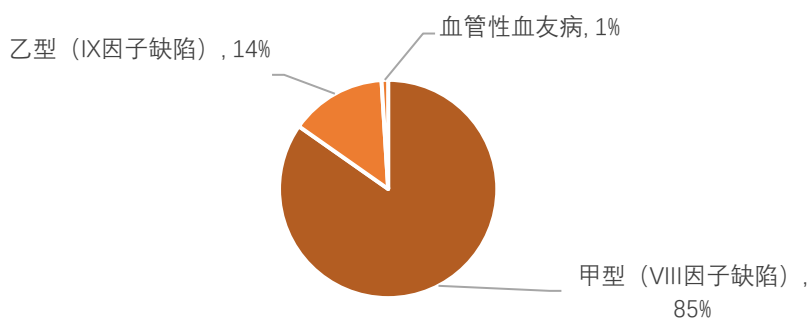


图 3.1 受访患者血友病分型

因不同分型血友病患者的整体情况与生存状况基本一致，本报告中我们将全体血友病患者（包括甲型、乙型与血管性血友病患者）作为一个整体进行分析，仅在不同分型患者情况出现明显统计学差异的情况下进行拆分报告。在患者的医疗费用与医疗负担部分，因甲型血友病患者与乙型血友病及其他血友病患者的药物使用有明显差异，报销政策、患者诉求等也不完全一致，本报告聚焦甲型血友病患者进行了医疗费用与医疗负担分析（详见第六章）。

一、人口学情况

1. 性别分布

本次受访的血友病患者中，男性占比约99%，女性占比约1%。因血友病是由X染色体上的致病基因引起的遗传病，因而患者以男性为主，患者家族中的女性多为致病基因的携带者。

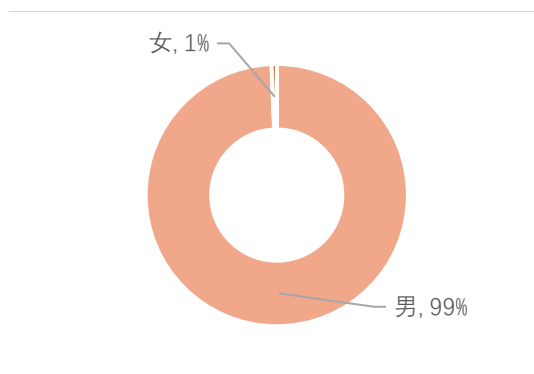


图 3.2 受访患者性别分布

2. 年龄

本次调查的受访患者年龄分布在 1 - 60 岁之间，以青少年居多。其中患者最多的年龄区间为 1 - 29 岁的三个区间段，整体数量占全部患者的 66%。其次是 30 - 39 岁的患者，占全部患者 17%。40 - 49 岁的患者占 9%，50 岁及以上的患者数量最少，仅占全体患者的 7%。（备注：请注意这是参与调研患者的年龄占比，不完全代表真实情况中的患者年龄分布，下同。）

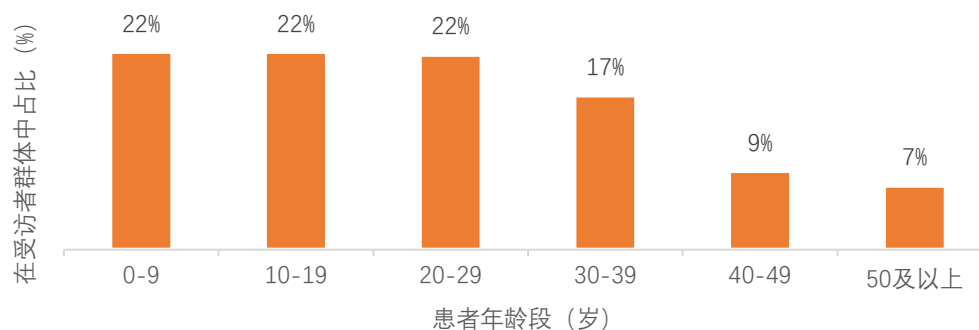


图 3.3 受访患者年龄分布

3. 地理

从地理分布来看，所有受访患者基本都常住湖北省，且医保所在地也在湖北省的各市州。受访患者在湖北省的各地都有分布，除鄂州市、潜江市及神农架林区，因人口基数相对较小的缘故，血友病患者较少，受访患者在 3 人及以下，其他各市州的受访患者均在 5 人以上，可以相对准确地体现出本地患者的诊疗、经济负担情况的共性与患者就医、治疗、报销环节存在的问题。



图 3.4 受访患者医保所在市州分布

二、 疾病分型

从患者的凝血因子活性水平看，受访患者多数为重型血友病患者（凝血因子活性水平 $<1\%$ ），占全体受访患者的 65%，另有 31% 的受访患者为中型，轻型的患者占比较小。相比甲型血友病患者，乙型血友病患者中重型患者相对较少，本次受访乙型血友病多数为中型血友病患者。

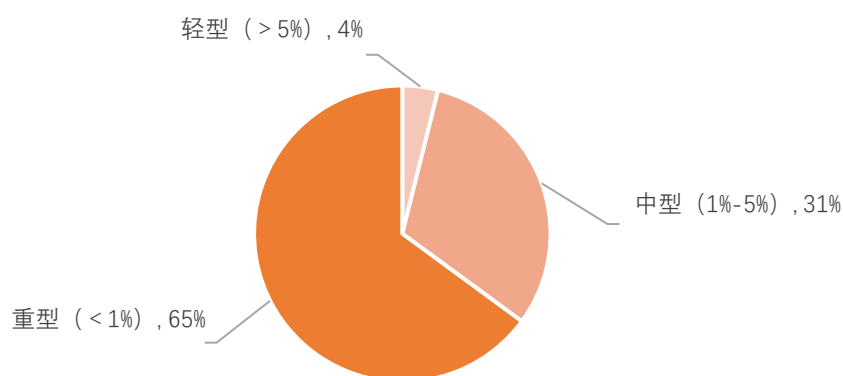


图 3.5 受访患者凝血因子活性水平

受访患者中大部分正在接受因子治疗。有 1% 的受访患者当前因疾病分型为血管性血友病或疾病程度较轻等原因，尚不需要凝血因子治疗。有 6% 的受访患者当前出现了抗体（抑制物），且因抗体影响目前不能正常接受凝血因子治疗。

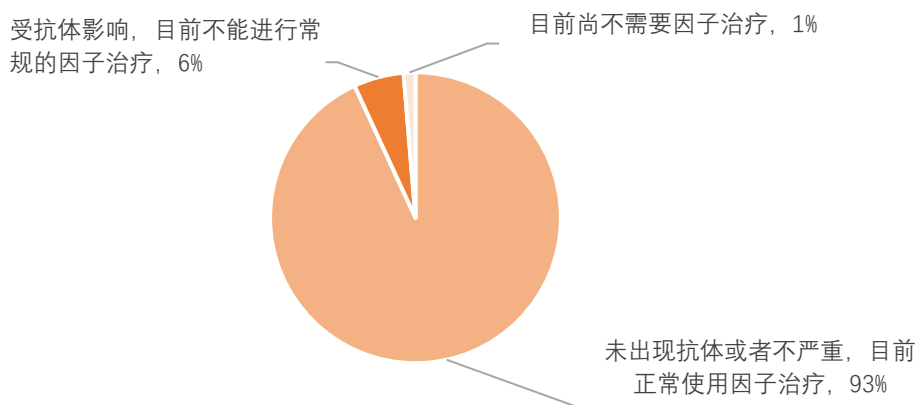


图 3.6 受访患者凝血因子治疗情况

三、 患者目前采取的治疗类型

根据受访患者报告的治疗情况，当前 18 岁及以上成年患者和 18 岁以下未成年患者的治疗类型有明显差异。69% 的成年患者选择只在严重出血时接受治疗进行止血（按需治疗），仅有三成成年患者定期注射凝血因子进行预防治疗。而未成年患者采取定期预防治疗的比例相对成年患者较高，有半数的未成年患者接受了预防治疗。但此处的预防治疗比例仅为患者自我报告，根据患者汇报的实际凝血因子使用剂量，部分自报预防治疗的患者远达不到预防治疗标准（详见第四章第二节）。

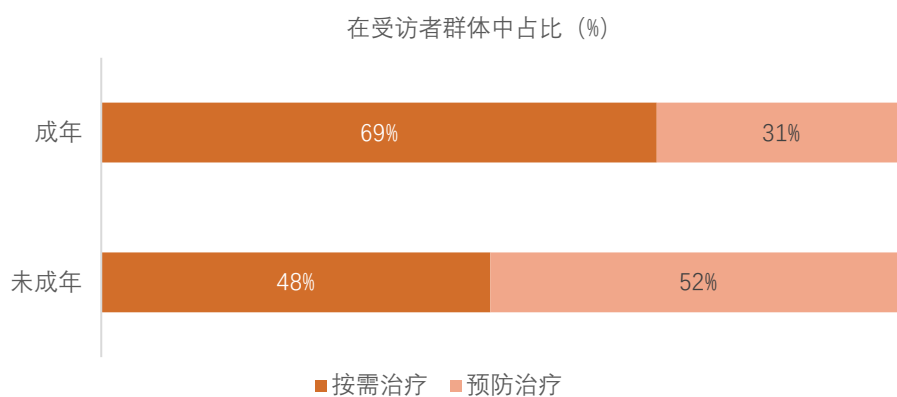


图 3.7 受访患者自报的治疗类型

“成年人患者当中预防治疗的比例大概只有 19%，20% 不到，剩下的病人都是按需治疗的。未成年的情况稍微好一点，预防治疗的比例是 32.7%，其他都是按需治疗。不管是成年还是未成年，这个预防治疗比例相对来说都比较低。”

——王华芳主任（华中科技大学同济医学院附属协和医院血液科）

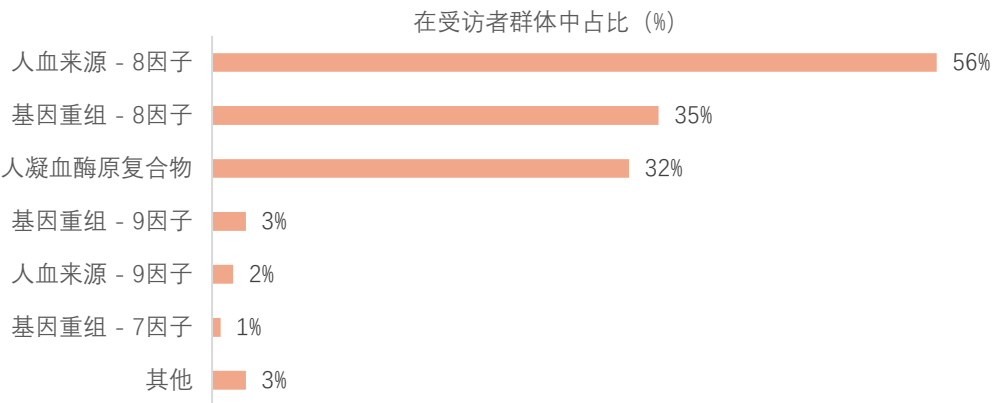
这样的差异源于患者的凝血因子用量与体重相关，未成年患者相对成年患者体重较轻，定期用药对家庭的经济负担小于成年患者，父母也更愿意倾其所有减轻患儿的病痛；另一方面，未成年患者目前尚未因长期出血引发关节损耗或残疾，定期的预防治疗未来收益更高，可以减少出血次数，并推迟甚至避免未来出现关节功能受损和残疾。

患者案例一：幸运的龙龙

不到 4 岁的龙龙来自仙桃，是一名重型甲型血友病患者。自从确诊以来，龙龙一直在接受标准预防治疗，每周注射 2 到 3 次基因重组 8 因子，单次用量为 500IU。现在龙龙的日常因子输注主要由家长完成，偶尔也到定点诊所接受注射。因为严格按照预防治疗的标准进行治疗，龙龙近期都没有出现出血、疼痛等情况，行动能力、心理状态都与同龄儿童无异。

此外，当地已经建立了比较完善的医疗保障体系，居民医保甲类报销 70%，而重组因子所在的乙类目录药品可报 65%，目前不设上限。另外，因为龙龙办理了低保，还可以在医保基础上再报 60%。龙龙家庭每年自负的花费在 3 万元左右，因为处方可以完全在门诊进行，不影响家人工作，治疗的费用也基本没有给家庭造成过大的负担。谈及今后的生活，龙龙一家人都对未来充满信心。

本次调研中，多数甲型血友病患者选择了人血来源的 VIII 因子进行治疗（56%），35%的患者选择了安全性更高的基因重组因子。而乙型血友病患者多使用人凝血酶原复合物进行治疗，仅有5%使用VIX因子进行治疗，这可能源于本次调研的乙型血友病患者样本疾病程度较轻。



备注：本题为多选，患者存在同时使用不同药物的情况。

图 3.8 受访患者主要使用的治疗药物

第四章：受访患者的因子使用情况与未满足需求

本章聚焦受访患者的凝血因子治疗情况，从成年患者和未成年患者的不同角度，具体分析了其治疗方式、因子用量、地区差异等情况，并总结了患者报告的当前在处方、取药及输注环节遇到的障碍。从调研情况看，湖北省血友病患者的整体凝血因子用量水平与临床推荐用量相比较低，省内各地患者的实际治疗情况差异较大，多地患者在处方用药环节存在多种障碍。

一、凝血因子用量情况

参照《血友病诊断与治疗中国专家共识》，在不考虑患者因出血所需要的紧急按需治疗的前提下，即便患者采用最低剂量的预防治疗方案（甲型每次 10 IU/kg，每周 2 次；乙型每次 20 IU/kg，每周 1 次），以一年 52 周进行估算，仅预防治疗的年均凝血因子 VIII 或 IX 用量可达 1040 IU/kg^[28]。从本次收集的数据看，使用凝血因子进行治疗的 258 位患者，平均年因子用量为 1071 IU/kg，考虑到其中还包含按需使用止血的因子量，患者的凝血因子用量整体相对较低，尚未达到预防标准。而受访临床专家也均表示，按需治疗的患者（出血后来医院治疗）通常治疗剂量能够按指南进行，保证止血；但一方面，由于各方面原因，预防治疗尚未达到标准的预防治疗剂量。

“达不到标准剂量的原因有很多，经济原因是最主要的，注射便捷性也是比较大的一个问题，还有一些病人担心会产生抑制物。例如一个儿童患者按标准一周需要注射三次，每两天一次，但是很多家庭一周只打两次，甚至五天或者一周一次。”

——胡群主任（华中科技大学同济医学院附属同济医院儿科血液病专科）

1. 不同年龄组患者的因子用量

根据调研数据，成年和未成年患者的注射剂量有明显差异，未成年患者的治疗情况相对较好，平均年因子用量为 1410 IU/kg，超过了最低剂量的预防治疗方案，而成年患者的平均年因子用量仅为 855 IU/kg。进一步分组来看，在预防治疗比例更高、平均年因子用量达到了标准的未成年患者中，也仅有 50% 的未成年患者实际的注射量达到或超过了最低的预防治疗标准；而在成年患者中，这个比例更低，仅为 25%。

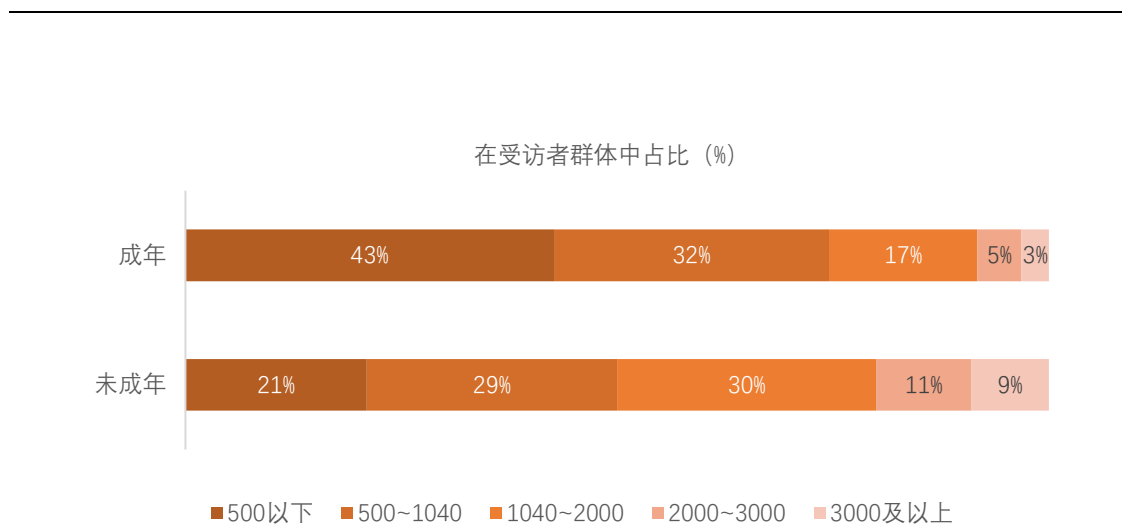


图 4.1 成年和未成年患者的年均因子用量 (IU/kg)

2. 不同治疗类型患者的因子用量

根据患者的自报情况，41%的患者正在接受预防治疗，59%的患者当前采取了按需治疗的形式。接受预防治疗的患者（平均年因子用量为 1535IU/kg），整体因子用量明显高于按需治疗的患者（平均年因子用量为 751 IU/kg）。

但即便是平均因子用量较好的预防治疗患者，也有接近一半在实际因子使用量上低于足量的低剂量预防治疗标准（1040IU/kg）。在自我报告为预防治疗的患者中，48%实际用量低于低剂量的预防治疗标准，这一部分患者并未定期进行注射，只是在出现疲倦等身体不适、需要长时间活动或预感到即将出现出血等情况时先行注射因子。成年患者预防治疗的情况更不容乐观，在汇报自己为预防治疗的成年患者中，仅有 38%的患者达到了低剂量预防治疗的标准。

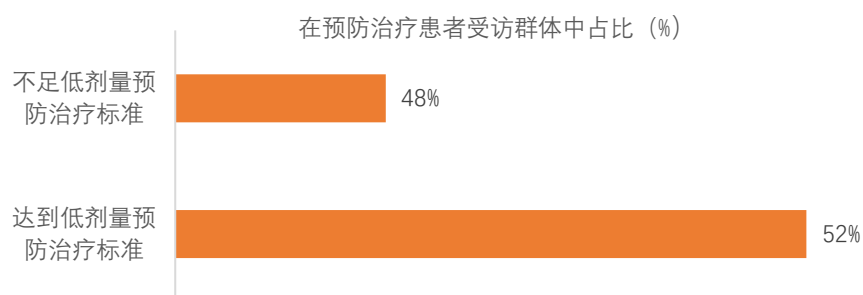


图 4.2 预防治疗患者的实际年均因子用量达标情况

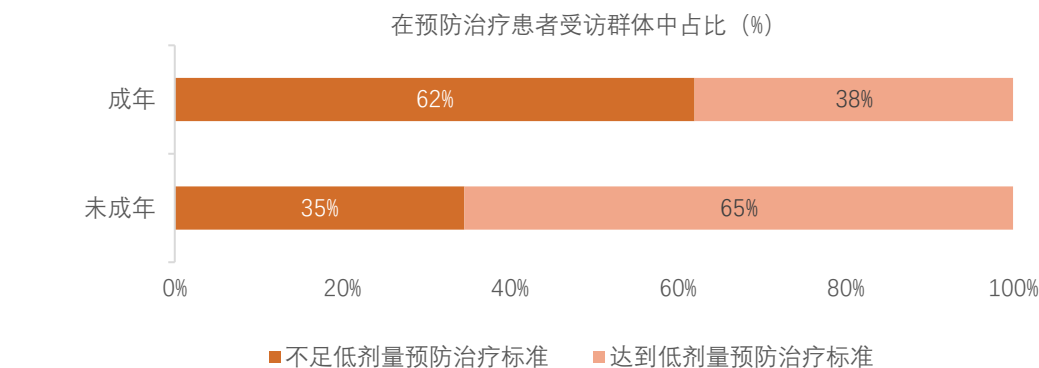


图 4.3 未成年和成年预防治疗患者的实际年均因子用量达标情况

3. 不同疾病严重程度患者的因子用量

患者本身的疾病严重程度对患者的因子使用量影响较大，重型血友病患者的凝血因子需求量（年均因子用量 1240 IU/kg）远高于轻型与中型患者（年均因子用量 736IU/kg）。从实际使用量看，接近三成的重型患者凝血因子使用量在最低剂量的预防治疗方案指导用量之上。但结合患者的治疗类型和出血及疼痛情况分析，虽然重型患者的因子用量较高，但这部分患者的凝血因子使用基本都是按需使用，与真正的预防治疗水平相差甚远。比如发生残疾的患者为了接受膝关节置换手术，必须先行补充大量凝血因子；或有患者因年轻时治疗不佳，疾病表现非常严重，血肿溃烂伤口长期流血，每天都需要治疗，导致使用的因子总量较高。

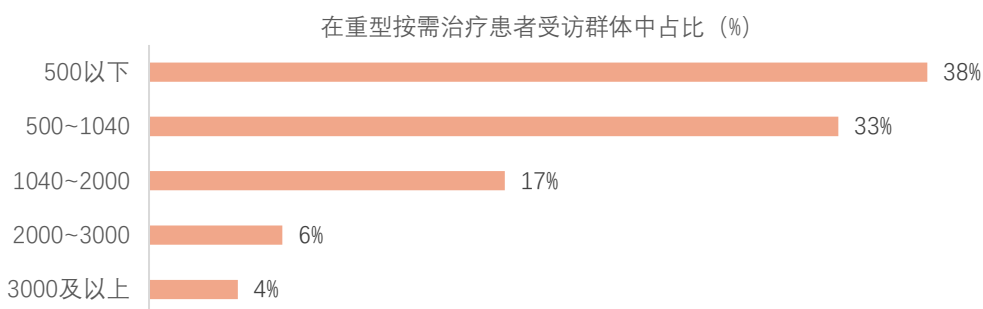


图 4.4 重型按需治疗患者的年均因子用量 (IU/kg)

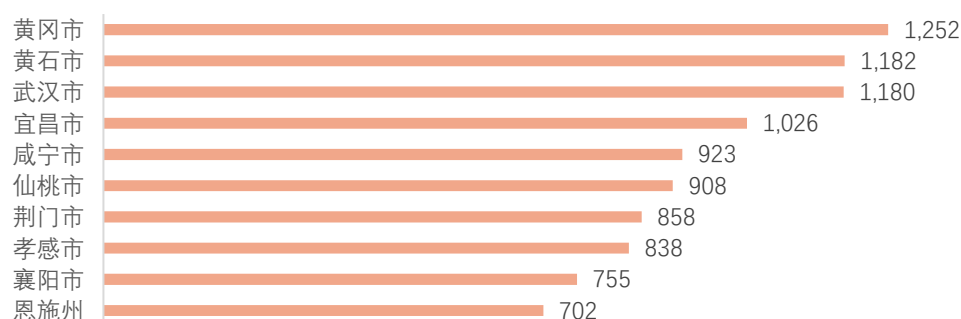
4. 不同医保类型参保患者的因子用量

从不同医保类型的政策条款来看，城镇职工医疗保险待遇一般优于城乡居民医疗保险的保障水平，但在实际情况中可能差异并不明显。此次调研中，湖北城乡居民医疗保险保障的参保患者年均凝血因子使用量为 1111 IU/kg，反而略高于城镇职工医疗保险的参保患者（年均凝血因子使用量为 911 IU/kg）。这可能是因为未成年患者以城乡居民保险为主，未成年患者的治疗积极性和家庭支付意愿都比较高，采取预防治疗的未成年患者比例高于参与职工医保的成年患者。

此外，与拥有城乡居民医疗保险或城镇职工医疗保险的患者相比，没有参加医保的患者因子使用量极小（平均为 10 IU/kg），但由于本次受访患者中，没有公立医疗保险的患者人数极少，该数据可能不具有代表性。

5. 不同地区患者的因子用量

在参与此次调研收集有效问卷达到 10 人及以上的市州中，仅黄冈、黄石、武汉 3 个城市的患者，人均的年凝血因子用量在低剂量预防治疗的指导标准（1040 IU/kg）之上。从目前的研究数据分析，不同地区患者的凝血因子用量除受当地的医保政策影响外，还受当地患者经济水平等因素的综合影响。



备注：为提高准确性，此处仅将使用因子的受访患者数达到及超过 10 人的地级市纳入分析。此处凝血因子使用量包含所有药物来源（包括医院以及其他途径购买）的因子使用。

图 4.5 不同城市患者的年均因子用量（IU/kg）

二、 处方、取药和输注等环节的情况

1. 处方和取药情况及未满足需求

87%的患者在本市的医院进行处方，仅有部分患者在本省外市医院及外省开药，可能源于患者当前的常住地并不为其医保所在地。

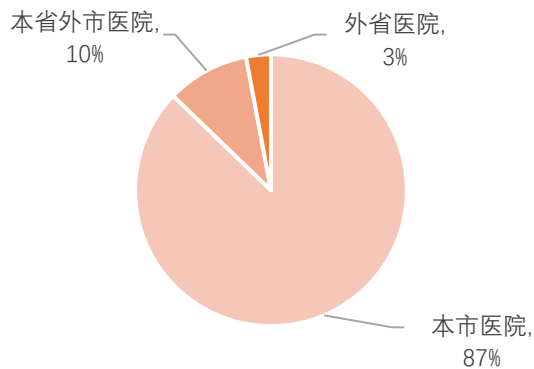


图 4.6 患者获得处方的医院

患者的用药来源主要为门诊与住院。住院仍是多数血友病患者治疗的重要途径。59%的患者汇报住院是常用的治疗渠道；56%的患者通常的用药来源包含门诊取药，其中 30%的患者以门诊取药为主，26%的患者除在门诊取药外还在其他途径进行购药。同时，因部分地区的医院供应不稳定或者无法足量处方，仍有少数患者（7%）通过其他途径取药。

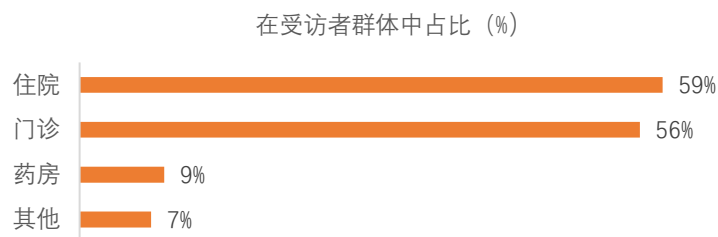


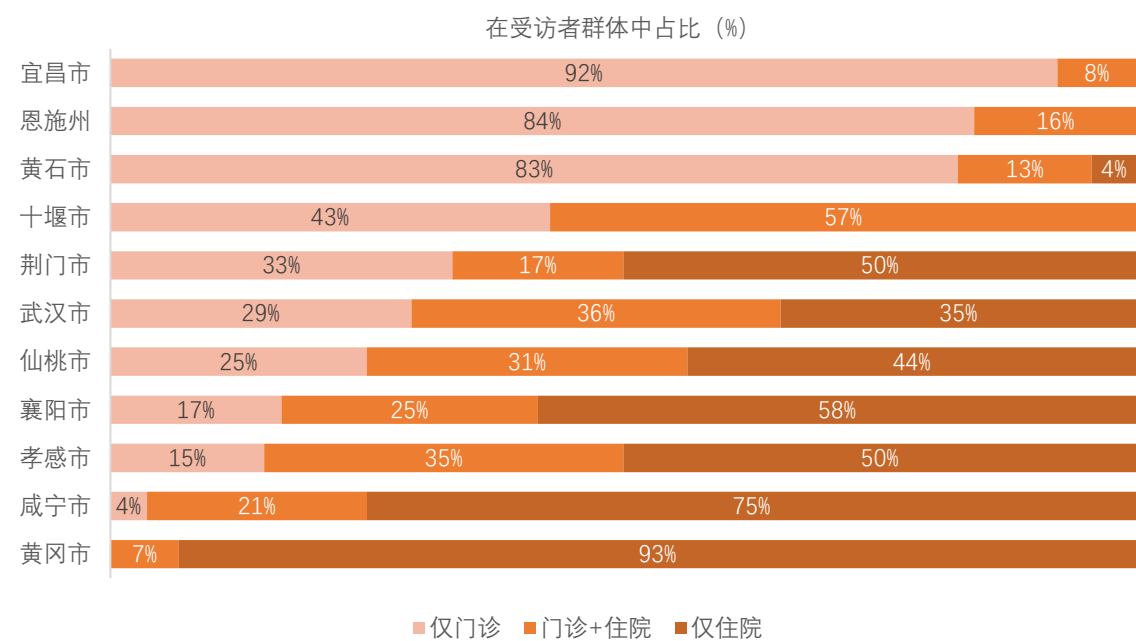
图 4.7 患者获得处方的途径

部分地区的门诊报销政策仍有待提高，当地的血友病患者在门诊取药时报销额度非常低，所能报销的因子数远不能满足按需治疗的要求，甚至在门诊仅能自费用药。因此很多患者会通过住院的方式进行因子治疗和费用报销，这些地区患者在无需住院的情况下不得通过住院的形式进行治疗的情况较为普遍。

而在 DRG 开展的一些地区，因为门槛设置，很多病人也无法住院，仅能够在门诊进行自费用药。

除对患者的每年总体额度报销限制外，受单次处方额度限制，患者每次能带回家的因子量有限（据部分患者报告，一次门诊/住院最多仅能带出两次的治疗用药）。而受医保“住院患者不能带注射剂出院”的规定，患者在一些执行较严格的医疗机构住院治疗时甚至不能够带药出院。因此很多患者每周都需要前往医院就诊甚至住院，极大地影响了患者的正常生活和工作。

具体到各市州的情况（图 4.8），可以看出各地门诊报销政策的差异，以及当地患者在门诊、住院以及药店等不同渠道的用药可及性情况。例如宜昌患者基本以门诊处方为主，恩施和黄石市的门诊处方比例也非常高，而其他各地住院用药的比例较高。反映出血友病门诊保障的显著差异，以及当地血友病患者在用药可及性上面临的挑战。

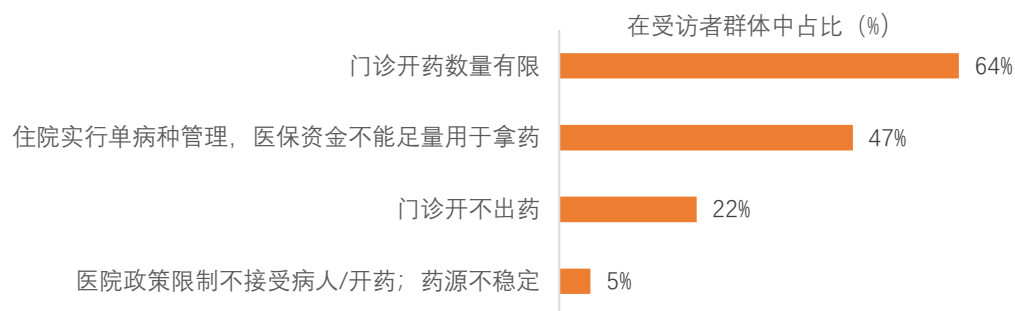


备注：因药房购买和其他途径购买的患者比例较低，此处仅考虑门诊和住院开药的情况比例。

图 4.8 各地患者用药渠道

从患者在处方环节的主要诉求来看（图 4.9），除了以上提到的门诊处方和报销额度问题（64%的患者提出“门诊开药数量有限”，22%的患者提出“门诊开不出药”），患者还比较关注住院用药的限制（47%的患者提出这个问题）。随着 DRG 支付（按疾病诊断相关分组付费）在多个城市展开试点和推广，血友病患者住院用药的额度将受到很大限制，凝血因子的处方量也受到了限制。

另外，很多医疗机构也规定住院处方的凝血因子不允许带出医院，必须在院内接受注射，致使患者无法进行居家的自我治疗。少数医院还存在受院内控费限制导致医生不能开药，及地方医院未进药、凝血因子药源不稳定的问题。



备注：本题为多选。

图 4.9 患者处方环节存在的问题

2. 输注情况及未满足需求

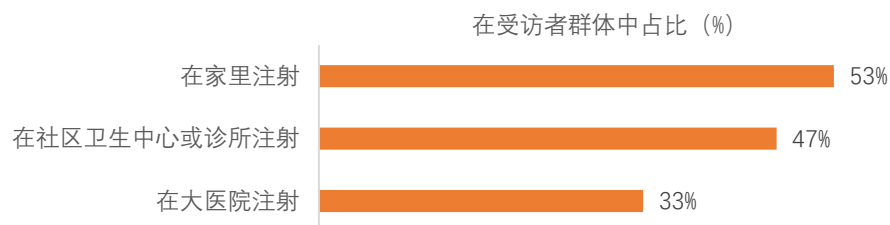
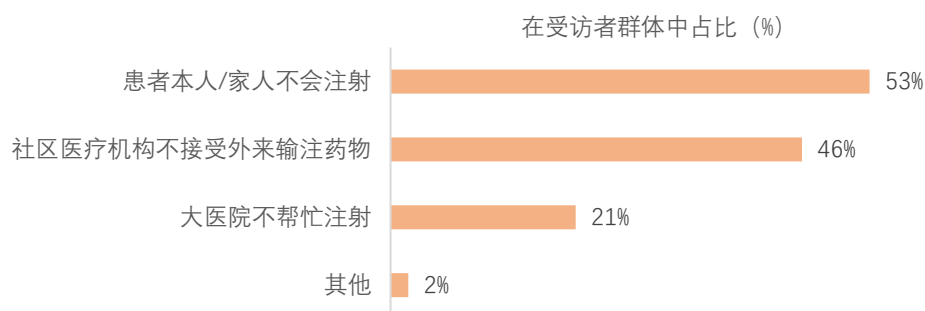


图 4.10 患者输注地点

从患者的输注场所来看，53%的患者选择自行注射。掌握自我注射（包括为家人注射）技能也是较为推荐的，可以帮助患者在出现紧急状况时及时用药。当前，湖北本地的医疗机构和血友病患者组织也联合定期组织患教活动，提供注射教学培训。但仍有 47%的患者，其中多为未成年患者，因未学会注射或家长不敢为孩子进行注射等原因，在社区卫生中心或诊所进行注射。



备注：本题为多选，调查在输注环节患者遇到的问题。

图 4.11 患者输注环节存在的问题

目前仍有超过一半的患者本人及家属未掌握自我注射技能，加之大医院不帮忙注射、社区医疗机构不接受外来输注药物的情况较为普遍，患者在注射环节存在一定的用药障碍。不少患者都提出了希望社区医疗机构在患者自带药品、承诺自担风险的前提下，可为患者提供输注。除此之外，一些患者也提出了注射用医疗器械不方便购买、学校医务室不帮助注射等问题。在调研过程中，我们发现对于婴幼儿血友病患者，家属为患儿进行自我注射的确存在难度，对专业医护人员提供输注服务有刚性需求，且部分医院负责开药的血液病科室也不具备儿科注射能力，需要医疗机构进行协调配合，解决婴幼儿患者的输注问题。

第五章：受访患者的健康和生命质量情况

本章呈现了受访患者当前的健康表现，并使用 EQ-5D 生命质量量表对血友病患者的生命质量数据作了分析。湖北省血友病患者的预后情况并不乐观，绝大多数成年患者都出现了关节畸形等并发症，自发性出血、疼痛和关节受损情况在患者中较为普遍；未成年患者的健康状况也令人担忧；血友病患者的生命质量远低于常人水平。

一、患者目前主要的健康指标

1. 并发症情况

从当前的并发症情况来看，成年血友病患者群体和未成年患者群体都在不同程度上受到了并发症的影响。根据对血友病患者的调研，94%的成年受访患者出现了各种并发症。其中，绝大多数成年受访患者（84%）已经出现了关节畸形的问题，这一比例在成年重型患者中甚至达到了 90%。半数的成年患者（49%）经历了滑膜炎或骨折。此外，还有部分患者正在遭受血友病性假肿瘤、其他出血性疾病或其他并发症的困扰。

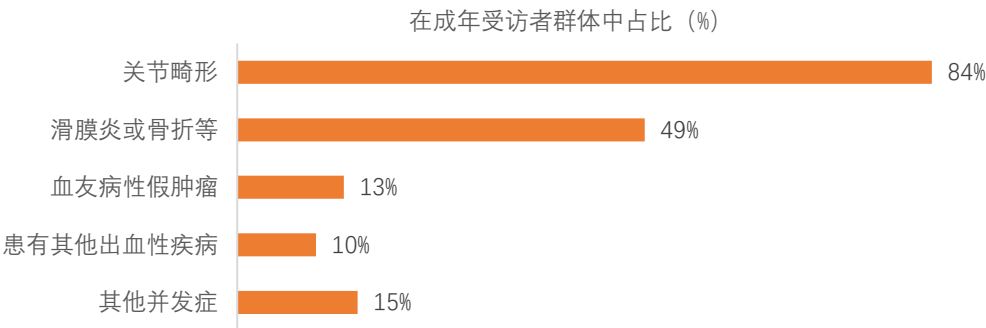


图 5.1 成年受访患者当前的并发症情况

另一方面，未成年患者当前的状况也不容忽视。尽管未成年患者发病时间较短，但 43%的受访患者已经出现了并发症。其中，较多的患者出现了关节畸形和滑膜炎或骨折，占全部未成年受访患者的 21%和 20%；部分患者也患有血友病性假肿瘤、其他出血性疾病或其他并发症。

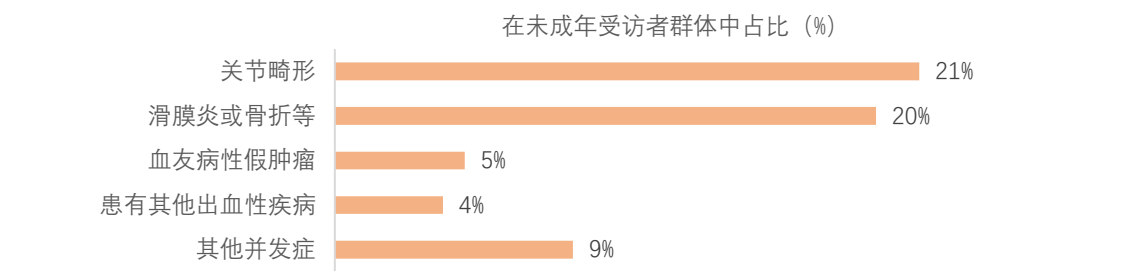


图 5.2 未成年受访患者当前的并发症情况

根据调查结果来看，由于多数患者无法进行足量的预防治疗，成年和未成年血友病患者群体目前都出现了不同类型的并发症。并发症不仅会降低患者的生存质量，造成患者本人或家属误工、缺课等，严重的并发症还会导致住院，给患者家庭带来更大的经济负担和精神压力。因此，应进一步推动患者用药保障和预防治疗的水平，尤其是在儿童时期尽早进行足量预防治疗，对预防血友病引起的并发症、保障患者及家庭的正常生活有非常重要的意义。

2. 出血情况

在足量凝血因子治疗的前提下，患者不会出现自发性出血情况，但如果不提前进行预防，出血则是血友病患者发病时最典型的症状。从调研数据来看，在近期的出血情况方面，成年受访患者和未成年受访患者面临的问题都比较严峻，只有 4% 的成年患者近期没有出现自发性出血。调研数据显示，68% 的成年患者经常出现肌肉或关节自发性出血；22% 的患者表示偶尔出现自发性出血，小手术或外伤会严重出血。除自发性出血频率较高的问题外，12% 的患者甚至发生了重要器官出血或其他危及性命的自发性出血，对患者的健康造成了极大的威胁。

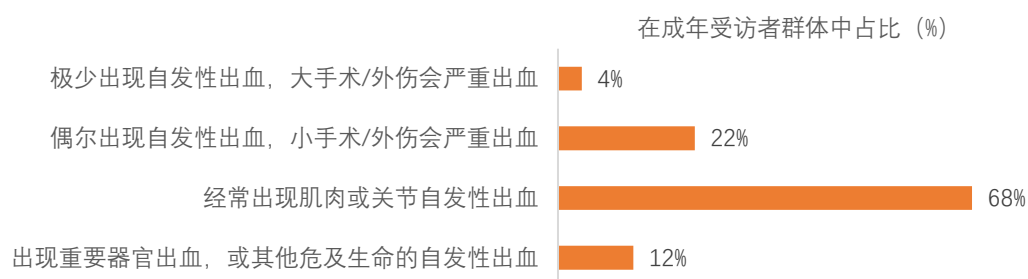


图 5.3 成年受访患者近期的出血情况

未成年患者的出血情况也非常严重，超过八成患者近期发生了自发性出血。43%的受访患者经常出现肌肉或关节自发性出血；28%偶尔出现自发性出血，小手术或外伤会严重出血。另外，4%的未成年患者也出现了重要器官出血或其他危及生命的自发性出血，严重危害患者的身体健康和生活质量。不难看出，频繁的自发性出血是湖北省血友病患者普遍面临的健康问题，而且由于长期不能接受足量的预防治疗，随着年龄的增长，患者的出血频次和严重程度都有所上升。若长期不能满足预防治疗的因子需求量，患者的出血情况可能不断加重，直接威胁生命。足量的凝血因子治疗能够有效帮助患者预防自发性出血，避免危险性较大的出血情况出现（见案例三）。

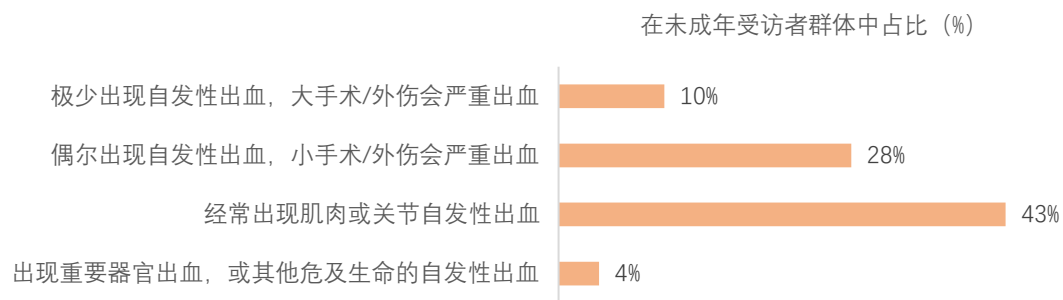


图 5.4 未成年受访患者近期的出血情况

3. 疼痛情况

与出血情况类似，疼痛在血友病患者中较为普遍。成年患者患病时间更长，因而疼痛频次更高，疼痛程度更严重。近一个月，37%的成年受访患者经常感到疼痛，49%偶尔有过疼痛。在近期出现过疼痛情况的患者中，60%患者的疼痛程度为中等疼痛，25%的患者甚至感受到了剧烈疼痛。

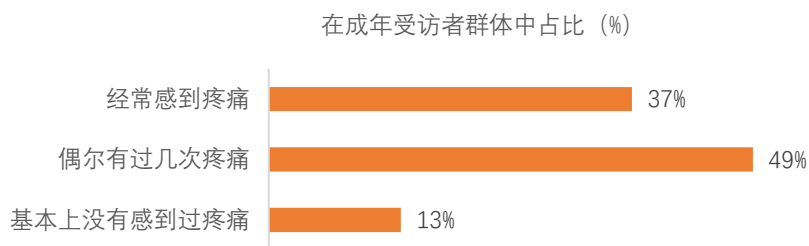


图 5.5 成年受访患者近一个月的疼痛频率

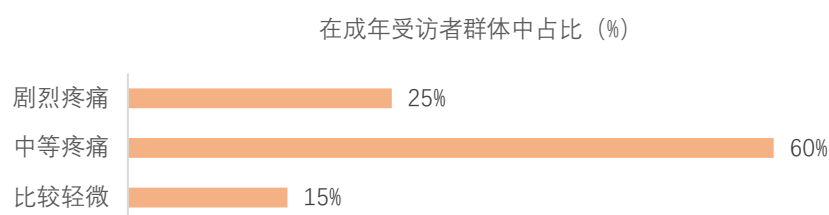


图 5.6 成年受访患者的疼痛程度

对比成年患者的疼痛状况，未成年患者的疼痛情况更值得重视。从疼痛频率来看，在一个月內，近八成未成年受访患者都经历过疼痛，其中 18% 的未成年患者经常感到疼痛。从疼痛程度来看，近期有疼痛经历的未成年患者中，大部分人痛感为中等疼痛，比例为 61%，与成年患者数据几乎一致，另有 10% 的未成年患者感受到剧烈疼痛。基于患者的疼痛情况多为肌肉出血导致，可通过凝血因子的注射明显缓解甚至避免，可见此次调研的未成年患者凝血因子治疗用量尚未很好地控制出血和疼痛情况。在一直不能进行足量预防治疗的情况下，随着病情的进展，患者的疼痛情况也会不断加重，影响患者的受教育情况等，尽早接受预防治疗将有效改善患者的疼痛频次和频率。

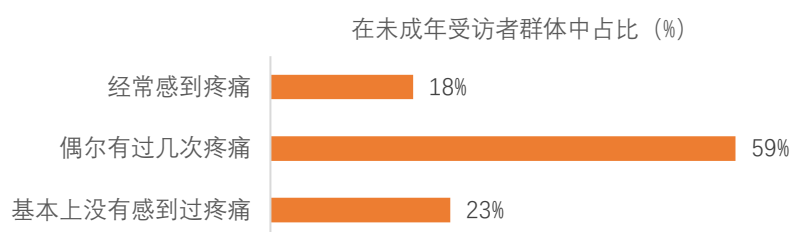


图 5.7 未成年受访患者近一个月的疼痛频率

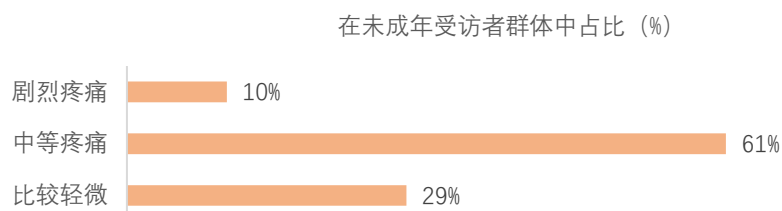


图 5.8 未成年受访患者的疼痛程度

4. 关节功能情况

关节受损也是许多血友病患者面临的主要健康问题。成年受访患者关节功能障碍情况非常严重，平均每位成年患者有 4.4 个关节部位出现损伤，44% 的成年患者有 5 个以上的关节部位出现问题。考虑一般膝、肘等关节损伤情况都是双膝或双肘同时出现问题，实际损伤的关节数更多，对患者的影响极为严重。

其中，受损最为普遍的部位为膝关节，近九成患者出现了膝关节的功能受损情况。较多患者的肘关节、踝关节和髌关节也出现了损伤，分别占总体成年受访患者的 75%、69% 和 57%。此外，部分患者的肩关节、腕关节、手指关节、脚趾关节、颈关节、脊柱和腰部肌肉也出现了不同程度的功能受损。

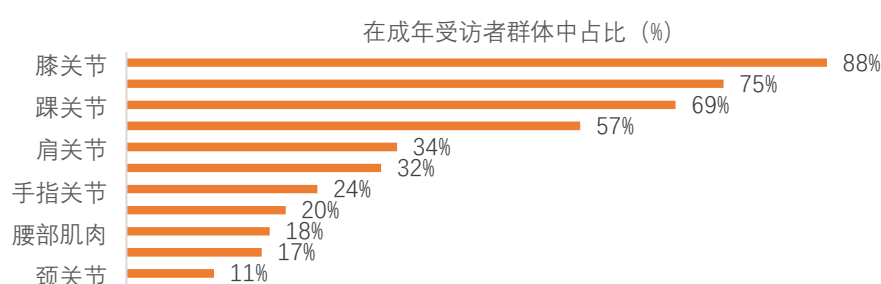


图 5.9 成年受访患者的关节受损情况

不少青少年血友病患者也出现了关节受损的情况，大致趋势与成年患者类似。因关节功能受损情况与患病年限存在相关性，年龄较小的幼儿患者基本不会发生因累积出血关节受损的情况，因而此处青少年血友病患者仅考虑 8~17 岁的受访患者。青少年血友病患者受损最普遍的是踝关节和膝关节，比例均达到了 40%；有 35% 的青少年患者存在肘关节受损的情况。

整体而言，湖北省内血友病患者的关节健康普遍存在问题。血友病患者长期不能足量用药，导致关节内反复出血，最终导致了关节功能受损，严重影响患者的行动能力和生活质量。患病初期即采取足量的因子治疗有助于患者维持关节正常功能，提高生存质量。

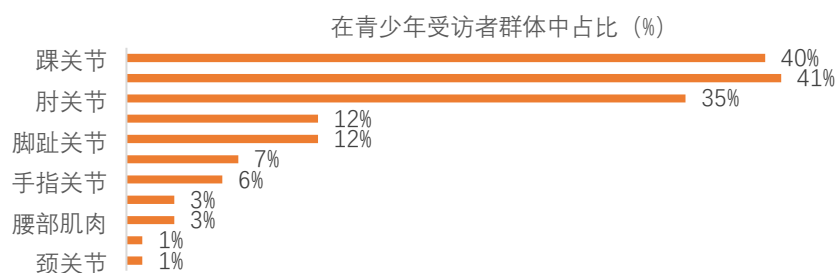


图 5.10 青少年受访患者的关节受损情况

患者案例二：逐渐光明的未来

来自湖北宜昌的杨先生，是中型甲型血友病患者。由于治疗药物未普及与治疗经济负担较重的缘故，自 2 岁确诊以来，杨先生一直在接受按需治疗。然而按需治疗仅能止血，并不足以让患者恢复正常生活。因此，虽然杨先生只是中型患者，但由于严重的关节畸形他 14 岁时就坐上了轮椅，生活自理都出现困难。

现在，杨先生作为灵活就业人员，参加了宜昌的城镇职工医疗保险。自从当地的特殊慢性病医保政策落地以来，血友病患者进行治疗的医疗负担得到了极大的改善，杨先生也终于有机会开始进行足量的预防治疗。在当前的报销政策下，通过门诊和大病保险，加上部分患者援助计划的支持，杨先生只需要自行承担 5% 的日常因子治疗费用，年均自付费用基本可以控制在六千元以下，基本不会给家庭造成较重的负担。而在政策实施前，若想完全达到预防治疗的要求，一名成年患者的治疗花费每年可以达到 40 万元，普通家庭完全无力负担。

通过预防治疗，杨先生的病情得到了非常好的控制，没有再出现其他并发症，也基本没有发生自发性出血和疼痛。但由于儿童时期没有得到良好的治疗，他的 7 个关节已经出现了坏死。2019 年，杨先生接受了双膝关节置换手术，成功地摆脱了辅具，恢复正常行走能力，只是在执行下蹲等动作时还有一定困难。得益于当地的医保政策，90% 的手术花费也得到了报销。

如今，37 岁的杨先生拥有了美满的家庭生活，平日也能够陪伴孩子玩耍。上个月，他还接受了髌关节置换手术，希望未来自己的行动能力能够进一步恢复。

根据对受访患者的数据分析，湖北省血友病患者的健康状况不佳，绝大多数患者的健康都受到了不同程度的影响。成年患者群体长期未能接受足量的标准治疗，健康损伤情况整体较未成年患者群体更为严重，特别是并发症和关节受损的情况，成年患者受损率远高于青少年患者。进行标准化预防治疗，对成年患者延缓健康状况进一步恶化速度、儿童和青少年患者维持正常生活状态将有明显的积极作用。

二、整体的生命质量评估

1. EQ-5D

本次调研采用了目前国际通用的 EQ-5D 量表，对患者的整体生命质量进行了评估。EQ-5D 量表由一个五维度自评量表组成，是在全球范围内应用最为广泛的生命质量研究工具。EQ-5D-5L 量表包含以下五个维度：行动能力、自理能力、日常活动、疼痛/不舒服、焦虑/抑郁。每个维度都包含五个水平：没有困难、有一点困难、有中度困难、有严重困难和无法完成/非常严重。根据 EQ-5D 量表的年龄适配情况，本报告对 8 岁及以上的患者的生命质量进行了分析，因成人和青少年情况存在一定差异，以下分析将分别呈现 18 岁及以上成年患者的情况，与 8~17 岁青少年患者的情况：

1. 从整体数据来看，受血友病影响最严重的是患者的疼痛/不舒服程度，96%的成年受访患者和 79%的青少年受访患者均感受到明显的疼痛/不舒服，甚至 30%的成年患者和 7%的青少年患者正在经受严重和非常严重的疼痛和不舒适感；
2. 病情也影响了患者的部分生理功能，超八成成年患者和四成青少年受访患者四处走动和从事日常活动都存在不同程度的困难；
3. 即使是患者普遍受影响最小的自理能力方面，也有 2%的成年患者出现了不能独立洗脸、刷牙、洗澡或穿衣的情况，患者正常生活严重受限；
4. 在心理健康方面，受访患者也受到了不同程度的负面影响，近九成的成年患者表示出现过焦虑/抑郁情绪。

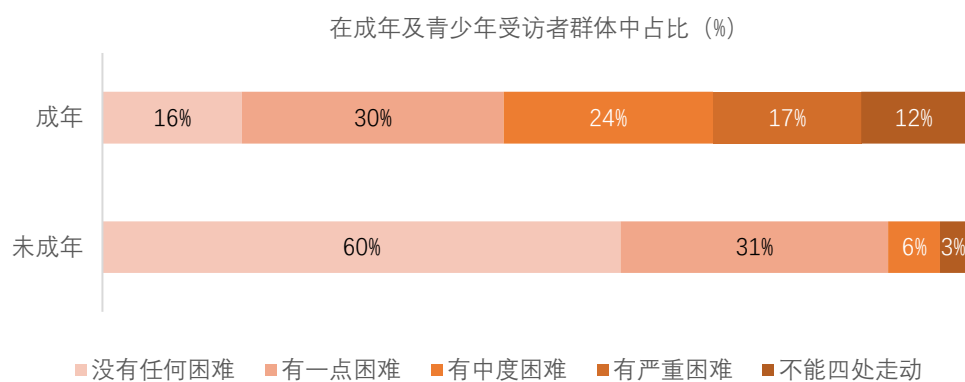


图 5.11 成年及青少年受访患者四处走动的能力

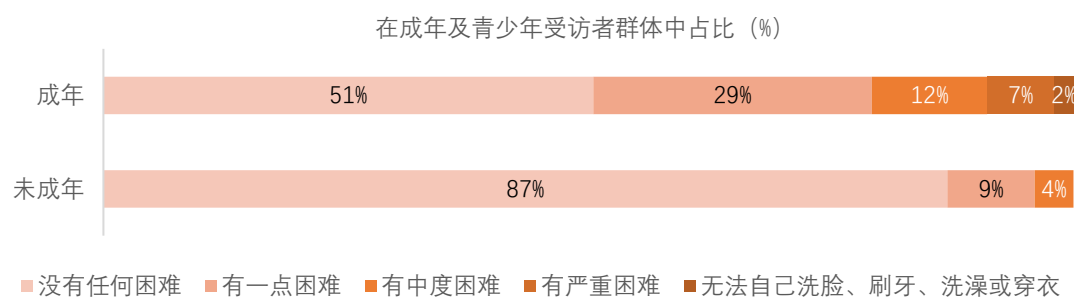


图 5.12 成年及青少年受访患者自己洗脸、刷牙、洗澡或穿衣的能力

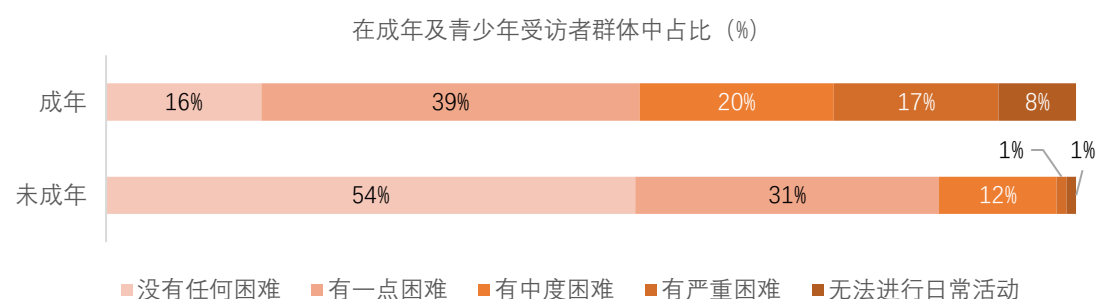


图 5.13 成年及青少年受访患者从事日常活动
(进行工作, 学习, 家务事, 家庭或休闲活动) 的能力

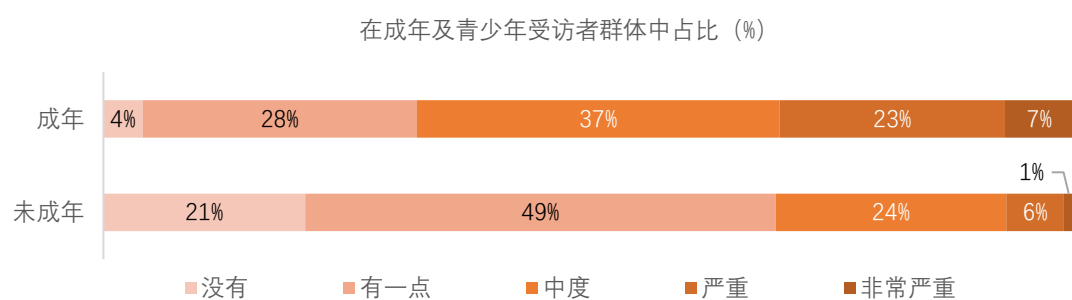


图 5.14 成年及青少年受访患者的疼痛/不舒服程度

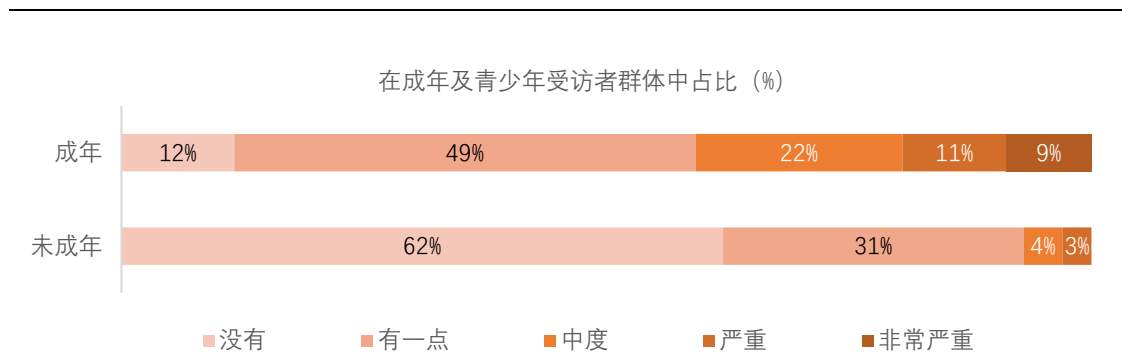


图 5.15 成年及青少年受访患者的焦虑/抑郁程度

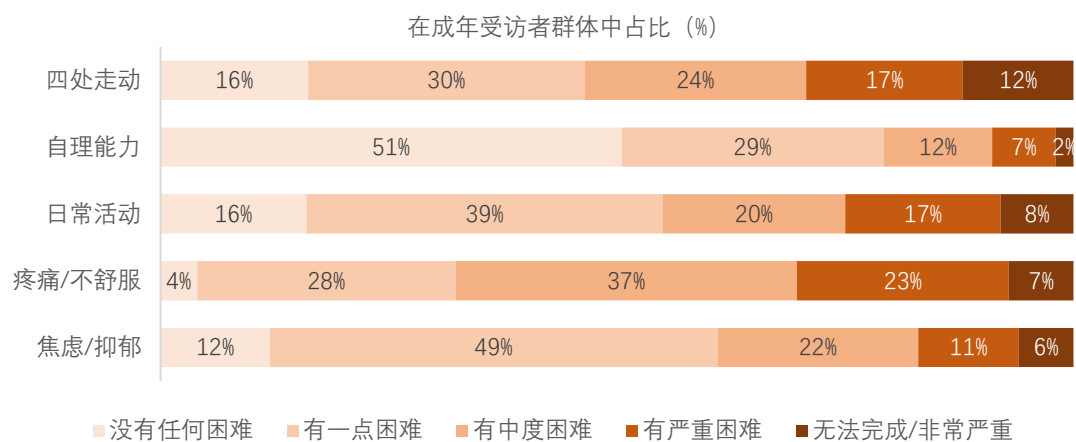


图 5.16 成年受访患者的生命质量状况

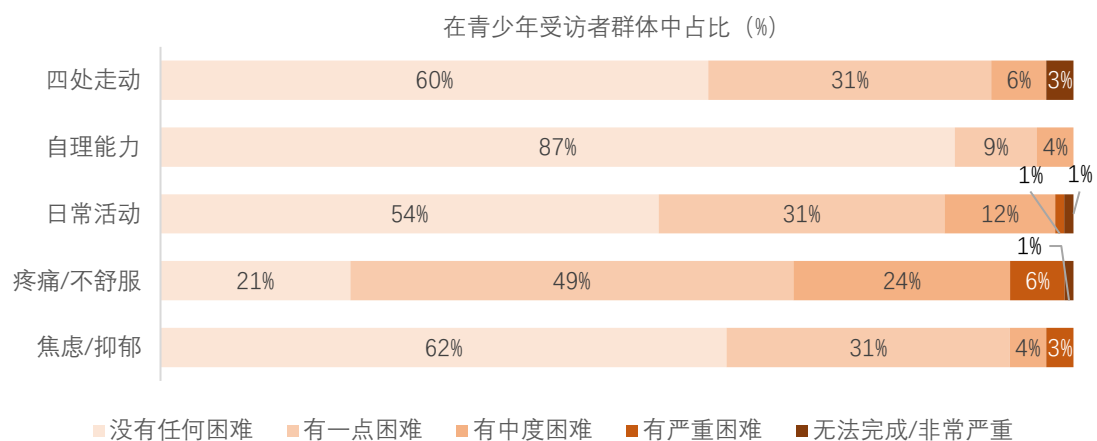


图 5.17 青少年受访患者的生命质量状况

从健康效用分析，血友病患者的健康状况也远低于普通人群水平以及绝大多数慢性病患者的健康情况。根据中国积分效用体系^[29]计算，本次受访患者的健康效用值为 0.63，远低于普通人群的健康效用值（0.95）^[30]，接近乙肝、类风湿性关节炎等严重影响生活质量和长期预后差的疾病类型^[31]。而成年受访患者的健康效用值仅为 0.48，青少年受访患者的健康效用值为 0.81，急需通过治疗和干预提升患者的生命质量。

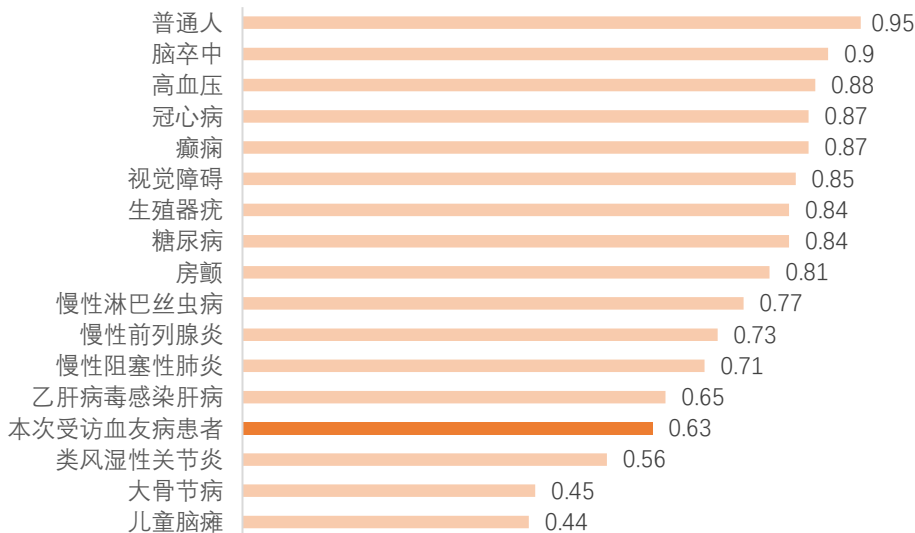


图 5.18 受访患者与其他不同病种患者健康效用值情况

2. 其他功能受限

为进一步评估患病对患者正常生活造成的影响，参考 2015 年北京大学社会学系和北京大学中国社会与发展研究中心的《血友病人生存状况调查报告：成人和儿童》^[32]，问卷考察了患者下蹲动作、快步走、跳跃动作及上下楼梯四类动作的执行能力。每个动作的执行能力评估都包含五个水平：一点都不困难、会有一点困难、比较困难、非常困难和和根本无法完成。

由于出血、疼痛、关节受损等血友病伴随症状的出现，患者执行动作的能力远远低于正常人水平。对各年龄段患者群体来说，执行难度最大的动作为跳跃动作，高达 58%的成年受访患者根本无法完成。甚至在患病时间更短的青少年受访群体中，60%的患者执行跳跃动作都存在不同程度的困难。成年患者在执行各个动作时都存在较大困难，57%的受访患者无法下蹲，35%的患者无法快步走，16%无法上下楼梯，日常行动受到了非常大的限制。在更为年轻的青少年患者群体中，四成及以上患者在执行下蹲、快步走、上下楼梯动作时存在不同程度的问题，甚至一定比例患者（9%、6%、3%）完全无法完成上述动作。

对四类动作执行能力的评估，充分反映了湖北省血友病患者身体功能损伤对日常行动的巨大影响。与 2015 年全国调研收集到的数据相比，湖北省成年血友病患者的动作执行能力总体低于全国水平。简单日常动作执行能力受限，会对患者正常接受教育、就业、参与社会活动等造成极大的限制，在大大降低患者生命质量的同时，也会影响患者的社会融入。

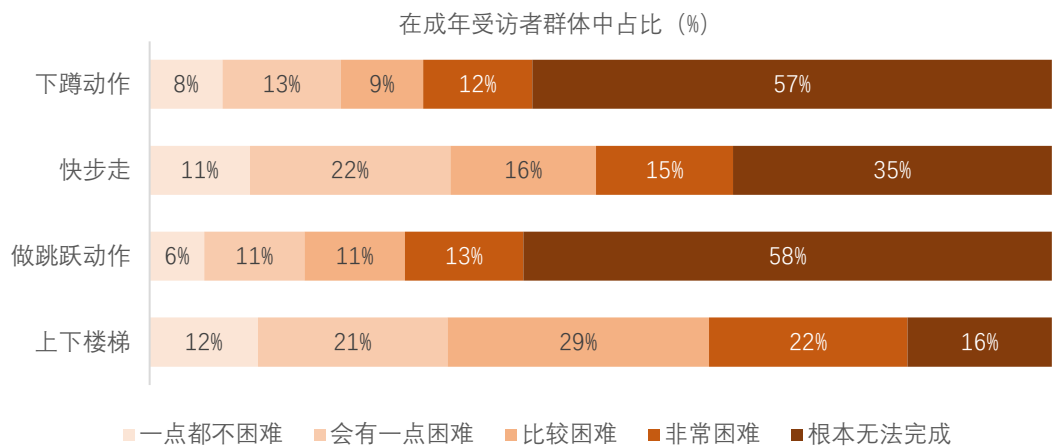


图 5.19 成年受访患者执行部分动作的能力

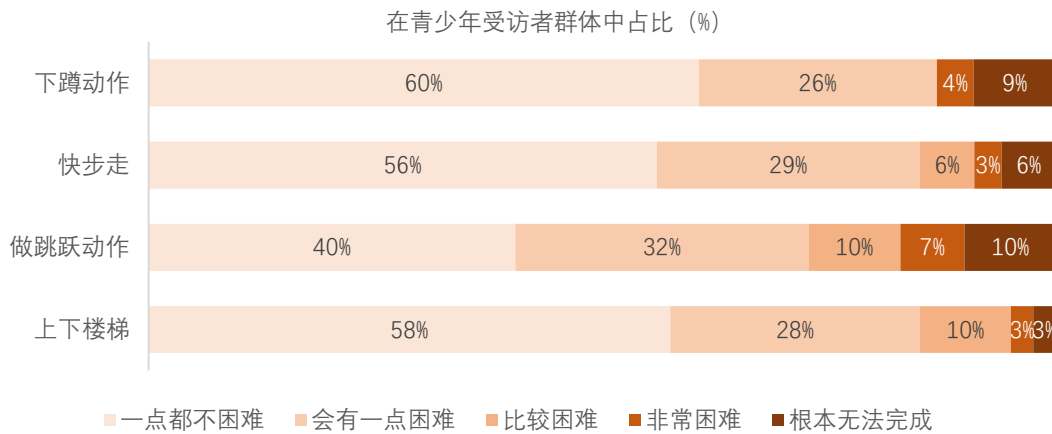


图 5.20 青少年受访患者执行部分动作的能力

此外，患病还导致了相当数量的患者出现残疾。多达 82% 的成年受访患者已经出现了明显残疾，甚至青少年患者致残率已经达到半数，湖北省血友病患者的残疾状况不容乐观。

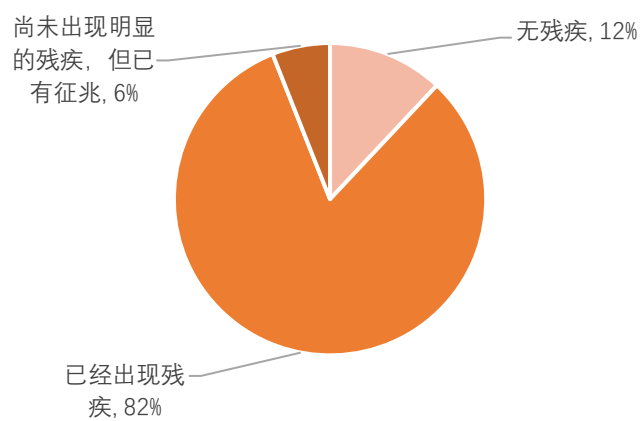


图 5.21 成年受访患者的残疾情况

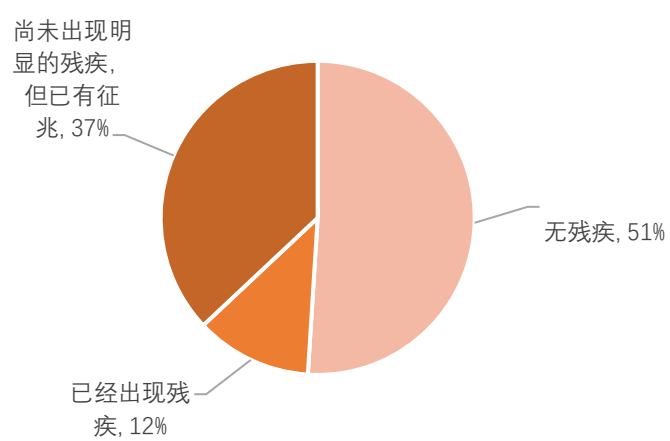


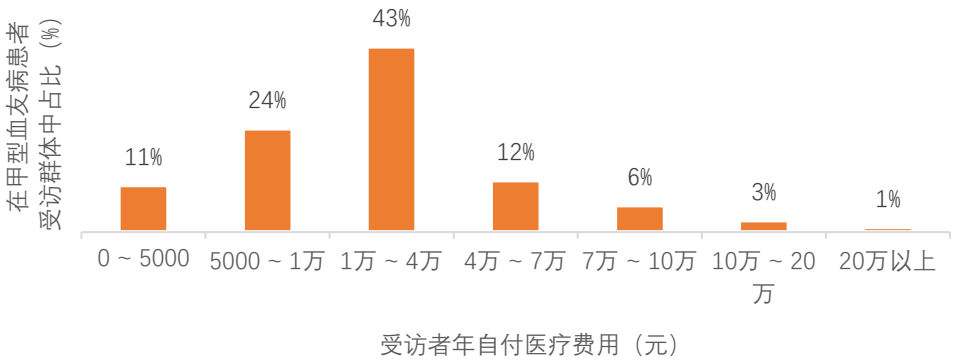
图 5.22 青少年受访患者的残疾情况

第六章：受访患者的医疗费用和医疗负担情况

本章节分析了患者的整体医疗费用和因子治疗费用支出情况，并综合患者的家庭年收入以及其他资金获取情况，得出了患者的医疗负担，同时也对患者报销环节普遍遇到的问题进行了呈现。因不同分型的血友病患者用药治疗情况有一定差异，报销政策落实在各地时差异也较大，致使不同分型患者的医疗费用支出和经济负担表现不完全一致。本章节选取占本次受访患者多数、数据分析具备统计学意义的甲型血友病患者作医疗费用和医疗负担分析。从分析结果看，湖北省甲型血友病的患者当前因疾病导致的年医疗费用支出已超过年家庭收入六成，造成了较大经济负担。超过半数的患者家庭已因病负债。

一、患者目前的直接医疗费用支出情况

参与此次调研的湖北省甲型血友病患者在整体疾病治疗上的支出被分成七个组别进行分类统计，患者年均医疗费用分布见图 6.1。若按照各组平均值按组中值进行计算（20 万元以上以 22 万计，备注：问卷以多个分组对患者情况进行了数据收集，若最高分组有数据且具备统计学意义，则以组起始值加 2 万作组平均值；若最高分组无数据或数据不具备统计学意义，则以次高分组作为最高组，以次高分组中值作组平均值，下同），湖北省甲型血友病患者的整体年自付医疗费用均值约为 31337 元。其中部分产生抗体的患者因还需要接受抗体治疗，医疗费用更为高昂，年自付医疗费用均值约为 55441 元。未成年患者家庭的医疗支出相对更高，12% 的家庭年医疗支出费用在 7 万元及以上。



备注：此处的医疗费用包含因子等药物治疗费用以及因血友病所引发的关节置换等手术治疗费用。

图 6.1 甲型血友病患者的年医疗费用情况

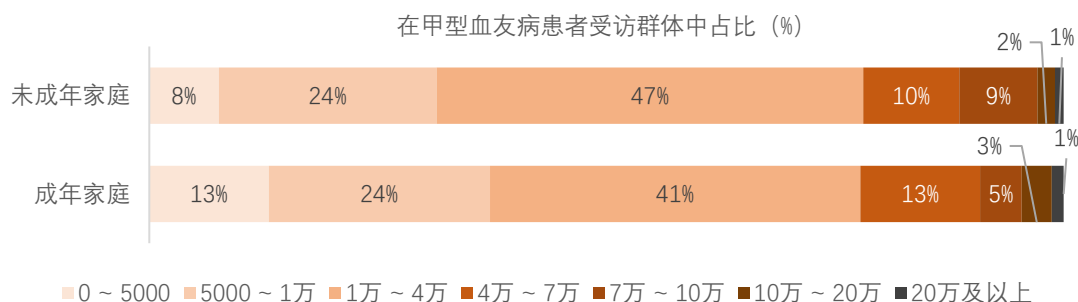


图 6.2 成年/未成年甲型患者家庭的整体年医疗费用情况

本次调研中，甲型血友病患者在因子治疗上的支出按六个组别进行分类统计，患者年均医疗费用分布见图 6.3。若按照各组平均值按组中值进行计算（根据填报情况，10 万元以上以 15 万计），湖北省甲型血友病患者在凝血因子上的年自付医疗费用均值约为 25542 元。其中，未成年患者家庭的因子自付费用整体更高，年自付医疗费用均值约为 29928 元，有 10% 的患者家庭年因子自付费用在 7 万元以上。

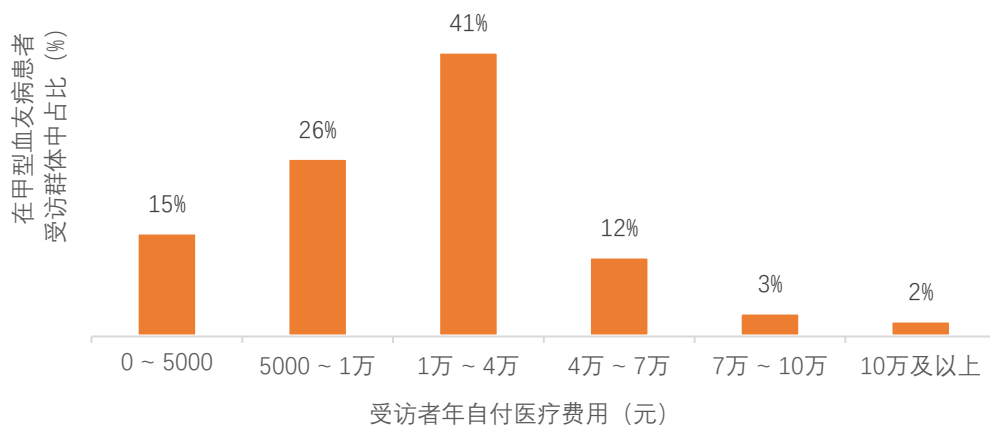


图 6.3 甲型血友病患者的因子年自付费情况

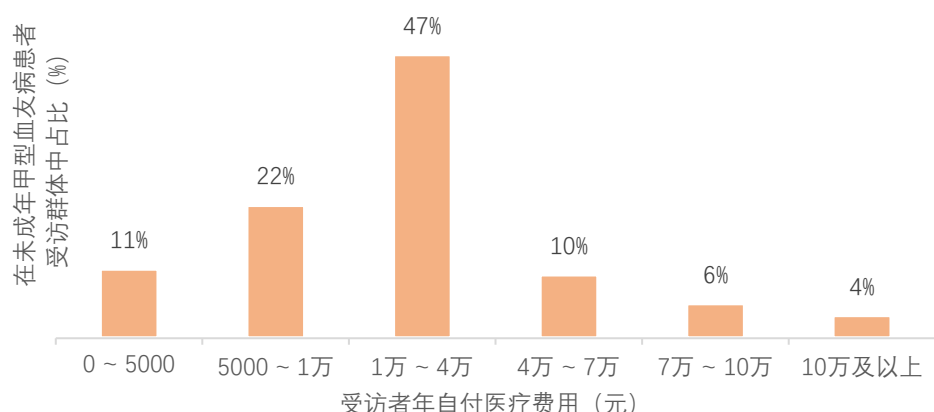


图 6.4 未成年甲型血友病患者的因子年自付费用情况

患者案例三：长大的代价

小宝今年3岁，是襄阳的一名儿童血友病患者。确诊以来，小宝在当地的治療过程中遇到了许多问题。因为当地政策限制，医院不允许患者将药物带出医院，小宝只好定期到医院门诊注射，每次都要花三到四个小时。而且，门诊的报销额度每次只有1600元，勉强能满足小宝当前预防治疗的用量，但随着小宝长大，体重也会不断增加，需要的药品剂量会成倍增长，门诊额度显然无法满足治疗需求，到时候就只能通过住院的方式结算，更加大了治疗的时间成本和金钱成本。

面对重重限制，全家人都在积极想办法。小宝妈妈找到护士朋友学习了如何输注，现在在家就可以给小宝进行日常注射。通过与其他病友交流，小宝的家长也了解了一些院外获得药物的途径。

小宝家庭现在每年自费购买因子的费用就已经接近两万元，随着孩子的成长，这部分花销还会继续增大。考虑到未来的家庭负担，小宝的家长产生了搬家到随州，甚至其他政策好的省份的想法。然而，搬家也会使家庭生活和孩子教育受到影响，小宝的家人还是更希望当地政策能够得到改善，降低取药门槛，提高报销额度，让患者能够更方便地进行治疗。

二、 患者的家庭收入、债务和救助等

1. 患者的家庭收入

甲型血友病患者的整体家庭收入较低，半数以上的患者家庭年收入在 3 万元以下。若按照各组组中值作为组平均值进行计算（根据填报情况，20 万元以上以 25 万计），则湖北省血友病患者家庭的平均家庭年收入为 41899 元。

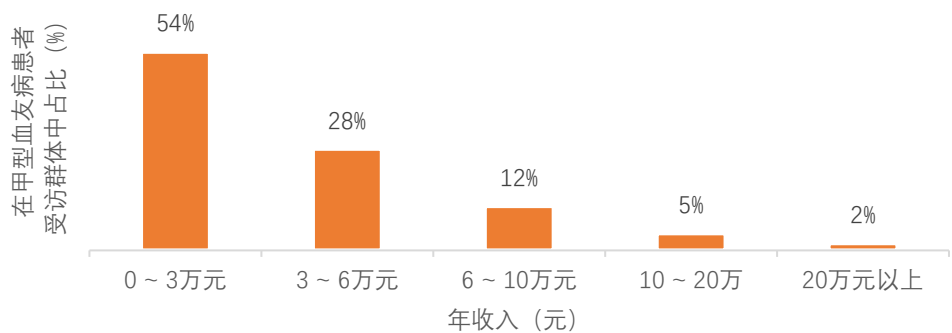


图 6.5 甲型血友病患者的家庭年收入情况

成年患者多存在因自身患病情况影响就业的现象，因而成年甲型血友病患者的家庭收入普遍较低。61%的成年血友病患者全年家庭收入在 3 万元以下，家庭年收入在 6 万元以上的不足 15%。未成年甲型血友病患者的家庭整体收入相对成年患者较高，但也有 44%的患者家庭年收入在 3 万元以下。

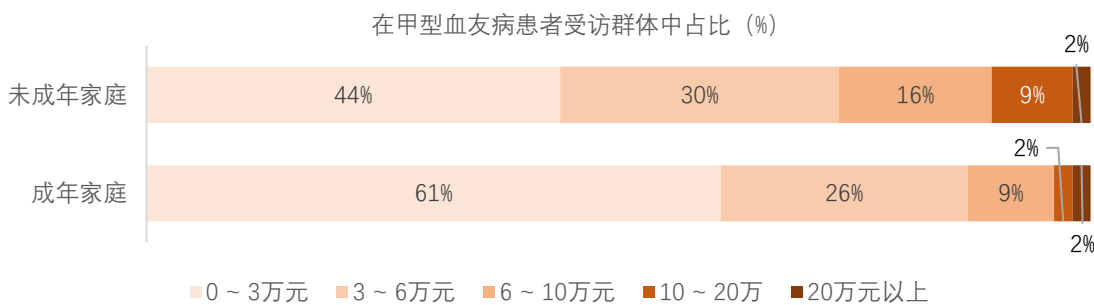


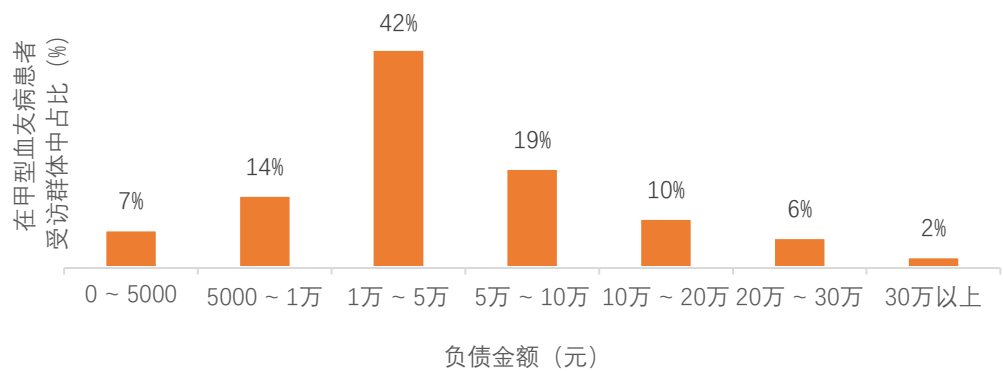
图 6.6 未成年和成年甲型血友病患者的家庭年收入情况

除常规收入外，部分家庭（7%）也通过变卖家产的方式，获得了一些收入，

多数患者的收入在十万以内；2个家庭为支付治疗费用甚至出售了地基、房产等大额资产。

2. 患者的债务情况

53%的受访甲型血友病家庭已因病产生负债。在已产生负债的患者家庭中，若以组中值作组平均值计算（根据填报情况，30 万元以上以 32 万计），患者家庭的平均债务为 64246 元。近四成的患者家庭负债在 5 万元以上，其中 18%负债在 10 万之上。



备注：此处仅对已产生负债的患者作了债务情况分析。

图 6.7 甲型血友病患者的债务情况

因病产生负债的成年甲型血友病患者家庭负债情况较未成年患者家庭更为严重，成年患者家庭平均产生 66013 元的债务，而未成年患者家庭平均产生 61798 元的债务。这可能源于成年患者患病年限较长，有持续的医疗费用，患者累计支出较高，高额负债现象较为明显，有 22%的成年患者家庭负债在 10 万元以上。

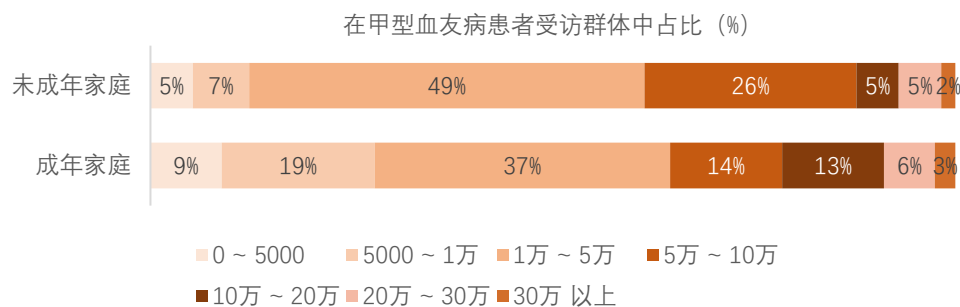


图 6.8 已产生负债的未成年和成年甲型血友病患者家庭债务情况

3. 患者接受救助情况

42%的甲型血友病患者当前未接受社会救助，有 48%的患者目前有获得低保收入，16%的患者接受了扶贫等特困人员供养，另有 3%的患者接受了残疾补贴、互联网救助、单位救助等其他救助。在接受社会救助的患者中，多数患者接受的社会救助金额在一万元以下，只有 3%的患者在 2019 年获得了 5 万元以上的社会救助。

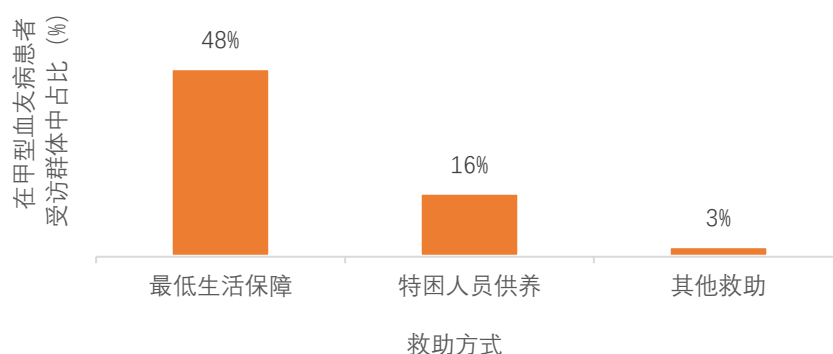
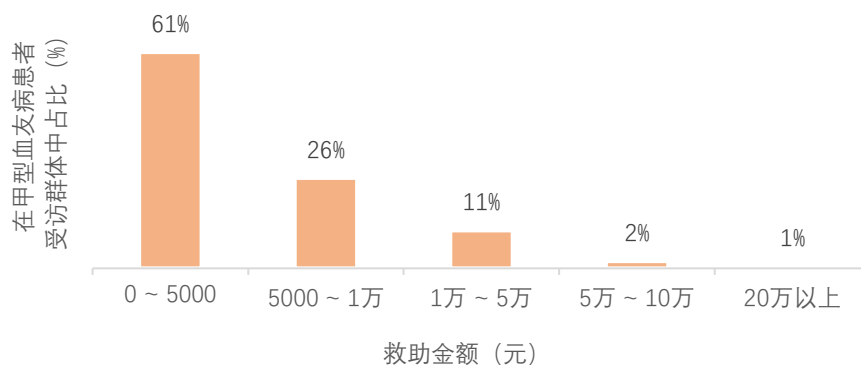


图 6.9 甲型血友病患者接受社会救助情况



备注：此处仅对已接受社会救助的患者作了救助金额分析。

图 6.10 甲型血友病患者接受社会救助金额情况

三、 患者的整体医疗负担

与癌症等重疾相比，从每年的净值上来看，血友病患者年均 25542 元的凝血因子治疗支出显得并不突出。但血友病患者需要终身接受治疗，加上随着患者的年龄增长，关节等部位因长期出血会造成关节受损残疾，需要额外的治疗甚至需要接受关节置换等手术，整体医疗负担会每年持续增加。

患者案例四：疲于奔命的小浩一家

6岁的小浩来自武汉，是一名重型甲型血友病患者。因为活泼好动，日常运动量大，为避免疾病影响正常生活活动，自从确诊以来小浩一直在接受中剂量的预防治疗。现在他每两天需要接受一次 500 IU 的凝血因子输注，保证输注后凝血因子活性水平达到 50%。考虑到血源性因子可能带来的感染风险，小浩的父母为他选择了重组因子治疗。在当前的治疗下，发生日常磕碰后，小浩会出现皮下出血，形成小的瘀斑但不会形成血肿，也没有疼痛。由于一直足量接受因子治疗，小浩的成长并没有受到影响，身高、体重甚至都超过了同龄儿童。

然而，长期接受足量因子治疗给患者家庭带来的经济负担和精神压力也是巨大的。当地医保政策对患者的支持和保障不足，患者在治疗上存在诸多不便。在处方环节，虽然凝血因子已经被纳入国家医保药品目录，血友病在武汉也已被列为重症慢性病，但门诊待遇依然十分有限，城乡居民医保只能报销 55%，而且额度有限，只有 16000 元/年。以小浩目前的因子用量，不到一个月门诊报销额度就已耗尽，只能通过住院的方式继续享受医保待遇。但小浩和家人通过住院获得药品也遭遇了重重困难，当地医院对于住院处方管制严格，治疗血友病的凝血因子仅能在院内使用，不能带出医院。这也意味着，如果小浩想要在尽可能不影响正常生活的前提下享受医保报销待遇，就必须在星期五开到住院单，星期六入院，星期天出院，周二周四两次家庭注射完成后，周五又要入院，对患者和家人的精力是极大的消耗。同时，小浩今年就要进入小学就读，如此频繁的住院显然也会影响正常的学业，造成每周缺课。考虑到住院繁琐步骤带来的巨大时间成本，和因此导致的收入损失，经济还算宽裕的小浩家庭最终决定放弃住院报销这条路，日常用药在门诊自费支付，回家进行输注。如此一来，小浩父母的经济负担陡增，目前一年要自付 30 万来维持小浩的正常因子治疗。这显然不是长久之道。由于患病，小浩家庭的积蓄即将被消耗殆尽。

由于受疾病影响患者家庭收入普遍较低，其年医疗费用支出均值已经超出了家庭年收入均值的六成，显著高于世界卫生组织定义的关于灾难性医疗支出的阈值（一个家庭自付的医疗费用超过家庭可支付能力的 40%），因此患者家庭产生负债或接受社会救助的现象也较为普遍。血友病患者及其家庭需要更多的政府医疗保障和社会力量的关注与重视，减轻患者的医疗费用和长期负担。

四、 报销环节的未满足需求

在报销环节的相关问题上，仅有 4 位甲型血友病患者表示未在报销环节遇到问题。60%的患者认为当地的门诊报销政策有待改进，门诊报销额度较低甚至在门诊只能自费购药；56%的患者表示基本医保和大病医保的整体报销额度不够，不足以让患者足量用药；56%的患者反映零售药店没药或者药房购买不能报销的情况（省外一些区域例如湖南长沙已开通凝血因子药房购买的通道，药房购买凝血因子可用医保报销，对于正在上学、工作的患者购药提供了极大的便利性）。此外，还有 29%的患者表示自己先行垫付的金额太高，对个人和家庭造成了经济压力。

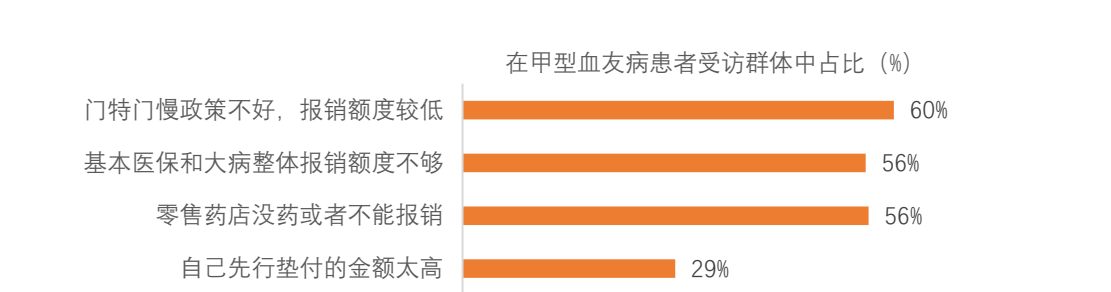


图 6.11 甲型血友病患者在报销环节中存在的主要问题

第七章：受访患者的社会融入情况

本章重点呈现了疾病对湖北省血友病患者受教育、工作与婚恋的影响。因疾病对患者的就学产生了影响，患者的整体文化程度偏低，未成年患者在学校普遍遭受了歧视；成年患者失业比例高，在就业和婚恋上都存在困难。

一、 患者的文化程度

参与调研的患者四成为未成年人，因此从患者的总体文化程度来看，大多数患者为小学或初中文化水平，占总数的 54%，还有 15% 的患者未就学。受病情影响，在成年患者中，大部分患者为初中文化程度（29%），30% 接受了高等教育，但仍有四分之一成年受访患者未完成义务教育。

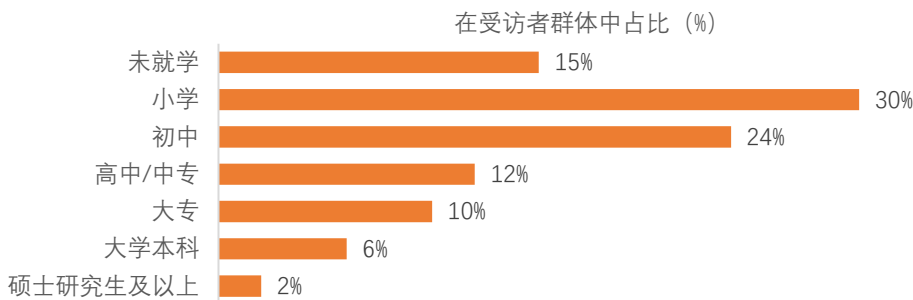


图 7.1 所有受访患者的文化程度

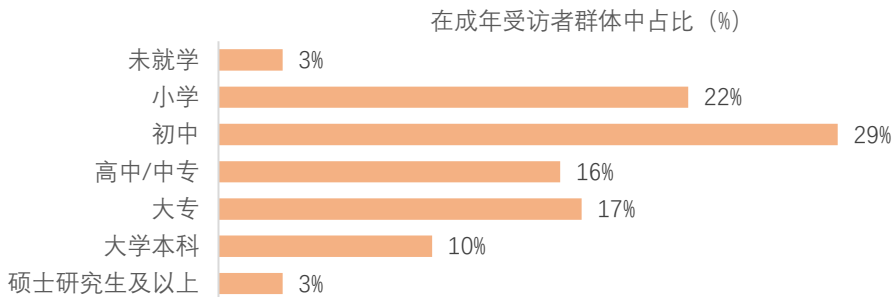


图 7.2 成年受访患者的文化程度

二、 患者的社会融入受影响情况

1. 教育

根据对青少年血友病患者的学业调查，患病在一定程度上对患者就学产生了影响。在已开始接受义务教育的 8 岁及以上青少年患者中，5% 目前未在校就读。尽管绝大多数青少年患者都能够正常入学，有 39% 的受访患者表示在学校遭遇了歧视或不公正待遇，甚至有 9% 的患者因病退学或休学。平等接受教育，是患者正常融入社会的重要前提。不能够正常接受教育，会影响到患者未来的人际交往和求职就业等一系列社会融入的进程。

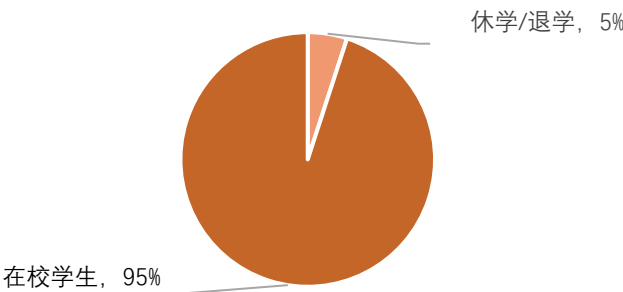


图 7.3 青少年患者的学业情况

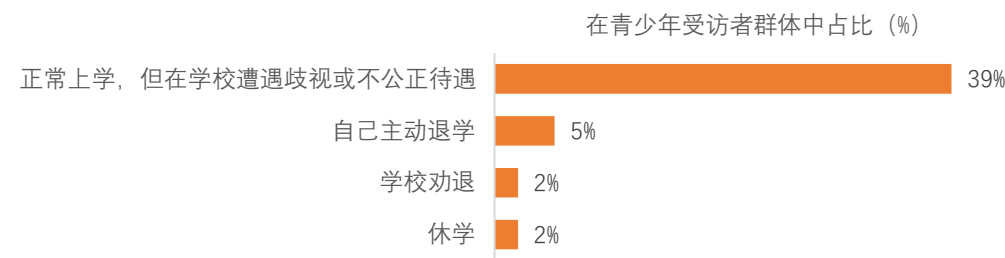


图 7.4 患病对青少年患者上学的影响

2. 工作

成年患者的就业情况非常不乐观，有 58% 的患者目前处于失业/待业/无业的状态，远超我国的正常失业率 5.3%（截至 2021.04 的全国统计数据）^[33]。调查结果显示，血友病给成年受访患者的工作造成了很多困难。其中，患者遇到的最普遍的问题是工作类型受限和影响求职，占总受访人数的 75% 和 70%；还有

成年患者反映了因病误工、被单位辞退或主动辞职等问题。由于身体残疾和受教育水平不高的限制，血友病患者只能从事一些低强度、低技能的工作，甚至无法工作。不能正常参与就业，大大影响了的患者未来收入和社会发展，造成了因病致贫的恶性循环。

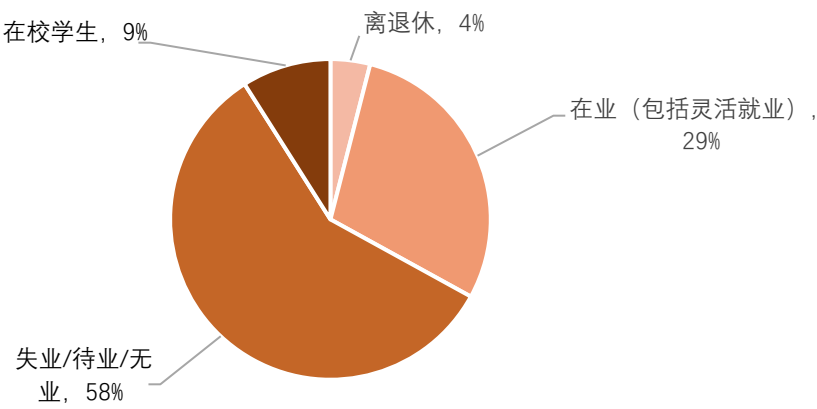
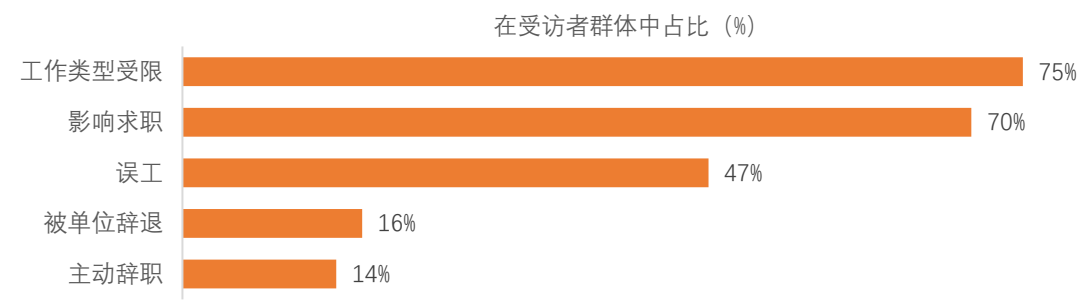


图 7.5 成年患者的就业情况



备注：本题为多选，调查在工作方面受到各种影响的患者比例。

图 7.6 患病对患者工作的影响

患者案例五：求职不得的年轻人

孟先生来自十堰，2岁时就确诊了甲型血友病。受经济条件和治疗水平限制，他一直没有接受治疗，膝关节、踝关节受损严重，腿无法完全伸直或弯曲，身体也出现了残疾，上下楼梯等动作都出现了困难。最近十年，基于医疗条件改善和医保待遇提高，孟先生终于开始了治疗。孟先生的症状在接受预防治疗后得到了有效控制，没有出现新的并发症，出血、疼痛也大大改善。

但是疾病仍然对他的就业造成了极大的影响。由于身体状况和治疗需求，孟先生每三到五天就要请一次假。且即便正在接受治疗，他也难以长时间走路、站立，还需要谨防外伤出血，因此用人单位都拒绝了孟先生的求职。不得已，孟先生只能从事个体经营，而实际上个体经营也是其他很多血友病患者的无奈选择。外界的歧视给孟先生造成了很大的精神压力，治疗费用也给他的家庭带来了不小的经济负担。现在，孟先生期待着当地的医保待遇在比例、额度上都能够进一步提升，使自己的生活状况得到改善。

3. 婚恋

在婚姻状况方面，处于适婚年龄的受访血友病患者（男性 22 岁及以上，女性 20 岁及以上）有 63% 目前未婚，26% 已婚。大部分患者（68%）表示在恋爱方面受到患病影响，因而近三分之二的受访患者表示没有婚姻经历；此外，对于有婚姻经历的受访患者来说，患病还可能影响夫妻感情，甚至导致离婚。

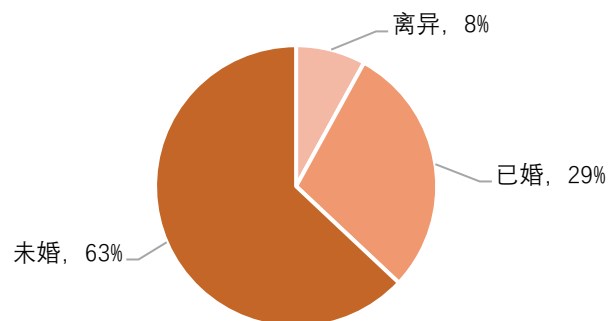
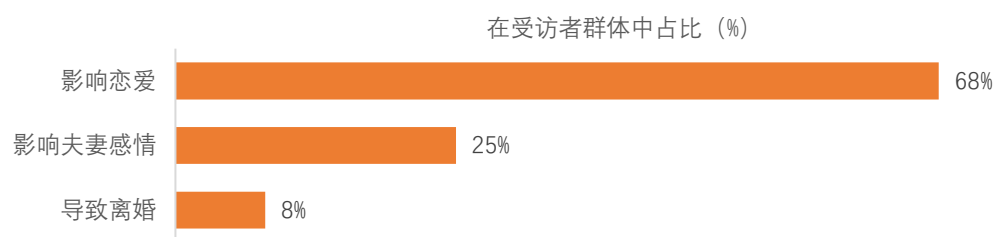


图 7.7 适婚年龄患者的婚姻情况



备注：本题为多选，调查在婚恋方面受到各种影响的患者比例。

图 7.8 患病对患者婚恋情况的影响

第八章：湖北省血友病患者防治和保障情况总结

本章将总结对湖北省血友病诊疗体系和医保政策的案头研究成果，并对前面几个章节的患者调研结果进行重点回顾和解读。从本次调研来看，湖北省已经建立了较为全面的血友病诊疗和保障体系。在诊疗体系方面，以协和、同济等大型三甲医院为核心建立了规范化的血友病诊疗中心，并在全省各地指定了血友病定点医疗机构，服务于患者的本地化管理^[34]。在保障政策方面，全省各地均把血友病列入了门诊报销范围，但门诊报销额度和待遇有着显著的差异，部分地区甚至出现了因近两年政策变动导致的患者就医待遇下降的问题。从患者调研数据结果来看，湖北省患者的预防治疗开展水平、重组因子的使用率、临床预后和健康状况、经济负担等方面还存在较多问题。另一方面，从不同市州的患者数据对比来看，不同地区保障政策的不足较为显著地影响了患者的用药可及性以及健康状况。

一、湖北省血友病诊疗和保障体系建设现状

1. 诊疗体系建设

第一、本省血友病诊疗中心的建立：早在 2009 年，在中国血友病协作组和华中科技大学协和医院血液病研究所的共同倡导下，武汉血友病诊疗中心成立^[35]。作为国家级重点学科，协和医院血液科于 2012 年成立血友病 MDT 团队，深入开展了多学科诊治、综合关爱、患者教育等服务，定期举办专家会诊、健康讲座，旨在为血友病患者提供更为规范的治疗及护理指导。同济医院作为已验收通过的雪友病国家级诊疗中心，就雪友病的治疗进展、抑制物处理及相关危险因素干预、家庭治疗等内容持续对医生和护士进行线上线下培训，长期开展患教活动，并在近年来积极探索综合管理方面的内容。从此次调研数据来看，绝大多数的湖北雪友病患者在省内进行治疗，只有 3% 的复杂病例患者前往外省市求医治疗。

第二、全省各地诊疗网络的建立：早在 2013 年，省卫生厅就将包括协和、同济、省人民等 20 余家部省属及二级以上市、县级综合医院确定为雪友病定点医疗机构^[34]，为湖北省雪友病诊疗网络的建设打下良好基础。从此次调研数据来看，87% 的患者在本市的医院就近治疗，基本满足患者的本地化管理和医疗服务需求。

第三、患教工作提升家庭护理能力：同济、协和等雪友病诊疗中心积极开展患教工作，包括设立专职医务社工与患者社群进行深入交流并协助解决问题；以及开设儿童家庭治疗护理讲座和注射技能培训班^[36]，提升家长的照护能力和凝血因子注射能力。但从全省情况来看，不同地区的患教工作的开展情况和效果还有一定差距，调研中有 47% 的患者和患者家属反映不会注射，而附近的社区医疗机构也不愿意协助进行因子注射，可能导致出血后的治疗延误。

2. 医疗保障制度

在保障政策方面，湖北省已全面建立门诊特定病种制度，各市州已经将血友病纳入门诊特定病种范围。针对血友病的门诊政策，目前各地的分类和叫法有所差异，包括门诊重症慢性病、门诊特殊慢性病、重大疾病门诊、慢性病门诊等不同叫法，在门诊报销额度和待遇上也有着显著的差异。我们根据各市州医保部门公开发布的相关政策文件，总结了部分地区的血友病门诊报销政策，具体见下表。

表二：湖北各市州城镇职工医保（在职）血友病门诊特病报销政策汇总（截至 2022.04）

城市	门诊特病类型	报销比例	最高支付限额（元/年）
武汉市	门诊重症（慢性）	60%	20,000
襄阳市	慢性病门诊	80%	1,600/次
宜昌市	门诊特殊慢性病	75%	基本医保支付限额（120,000）
黄冈市	门诊特殊慢性病	70%	3,000
孝感市	门诊重症疾病	70%	50,000
荆州市	特殊门诊慢性病	90%	基本医保支付限额（180,000）*
荆门市	门诊特殊慢性病	90%	9,600
十堰市	门诊特殊慢性病	75%*	100,000*
黄石市	门诊特殊慢性病	90%	24,000
咸宁市	门诊慢特病	75%	按病情和用药剂量核定配额
随州市	重大疾病门诊	80%	基本医疗保险支付限额（150,000）
恩施州	门诊重症	80%	基本医疗保险和大额医疗保险支付限额以内（500,000-700,000）
鄂州市	门诊重症慢性病	50%	**
仙桃市	重大疾病门诊	90%	基本医保支付限额（120,000）*
潜江市	门诊特殊慢性病	70%	基本医保支付限额（300,000）以内
天门市	门诊特殊慢性病	80%	基本医疗保险和大额医疗保险支付限额以内（630,000）
神农架林区	门诊特殊慢性病	70%	4,800

注：因大额医疗保险起付等条件差异较大，多地政策中也未对门诊是否可采用进行准确描述，除政策中对限额进行整体描述的地区及通过访谈确认情况的地区外，本表中最高支付限额未纳入大额医疗保险。

*经患者访谈形式进行补充确认。

**根据政策内容，只提供了报销百分比，未提供起付标准或最高支付限额的信息。

备注：以上政策汇总信息来源于各市州医保部门的公开政策文件，具体请见附录一。部分未获得的地区政策文件案头研究，经当地患者访谈等方式进行了补充，可能存在不完全准确反映实际政策的情况。

表三：湖北各市州城乡居民医保血友病门诊特病报销政策汇总（截至 2022.04）

城市	门诊特病类型	报销比例	最高支付限额（元/年）
武汉市	门诊重症（慢性）	50%*	16,000
襄阳市	慢性病门诊	60%	1,600/次
宜昌市	门诊特殊慢性病	50%	基本医保支付限额（120,000）
黄冈市	门诊特殊慢性病	60%	2,000
孝感市	门诊重症疾病	50%	30,000
荆州市	特殊门诊慢性病	70%	基本医保支付限额（120,000）*
荆门市	门诊特殊慢性病	65%	9,600
十堰市	门诊特殊慢性病	65%	100,000
黄石市	门诊特殊慢性病	70%	基本医保支付限额
咸宁市	门诊慢性病	**	根据医生处方配额
随州市	重大疾病门诊	70%	基本医保支付限额（120,000）
恩施州	门诊重症	70%	基本医保支付限额（120,000）+大额 医疗保险支付限额（500,000）*
鄂州市	门诊重症慢性病	40%	**
仙桃市	重大疾病门诊	65%-70%*	基本医保支付限额（120,000）+大额 医疗保险支付限额（不限额）*
潜江市	门诊特殊慢性病	70%	基本医保支付限额（200,000）以内
天门市	门诊特殊慢性病	70%	基本医保支付限额（100,000）
神农架林区	门诊特殊慢性病	60%	4,800

注：因大额医疗保险起付等条件差异较大，多地政策中也未对门诊是否可采用进行准确描述，除政策中对限额进行整体描述的地区及通过患者访谈确认当地保障情况的地区外，本表中最高支付限额未纳入大额医疗保险。

*经患者访谈形式进行补充确认。

**根据政策内容，只提供了报销百分比，未提供起付标准或最高支付限额的信息。

备注：以上政策汇总信息来源于各市州医保部门的公开政策文件，具体请见附录一。部分未获得的地区政策文件案头研究，经当地患者访谈等方式进行了补充，可能存在不完全准确反映实际政策的情况。

需要指出的是，以上的门诊报销额度并不完全代表当地患者因子治疗的实际水平，还需要结合其基本医保和大病保险的住院报销政策来综合分析。在门诊报销额度较低的地区，很多患者会通过住院治疗的形式来补充门诊报销额度的不足。因此如果当地的门诊报销额度不够，患者也有可能通过“门诊+住院”的报销形式，提升因子治疗的总量。受访临床专家也表示，在荆州、仙桃等门诊报销政策较完善或药房可报销的地区，患者的用药基本能够在门诊解决，而其他地区的患者多数都需要通过住院的形式进行因子输注。

3. 医疗救助制度

湖北省各地市的民政救助已为血友病患者提供了不错的待遇，显著提升了

血友病患者的长期用药支付能力。但在调研开展的过程中也发现了一些新的问题，由于扶贫攻坚工程阶段性的结束，各地救助政策有了相应的调整，部分地区的血友病患者出现救助待遇下降的情况。

以恩施为例，在我国扶贫攻坚工程开展期间，恩施血友病患者均可享受每年 8 万元的民政门诊救助额度。在此次调研期间，根据当地患者的反映，2022 年以来救助政策出现了一定调整，将受助人细分为特困、低保和监测户三类，并给予不同救助待遇。特困户可继续享受原先每年 8 万元的救助额度。低保户取消了政府兜底政策，在达到起付标准后（约 6 千元），整体报销 95%，自付 5%。而监测户在减去基本医保报销后的自付费用若超过一定阈值，将启动倾斜救助政策（阈值指城镇户口监测户自付达到约 1.6 万元，即农村人口平均收入，农村户口监测户自付达到约 8 千元、即 50% 的农村人口平均收入；监测户倾斜政策目前还未公开执行方案）。不在指定人群范围内的其他病友，则不享受任何救助。从恩施当地病友的实际情况来看，当前存在经济困难的血友病患者多数为低保成年患者。根据最新的救助政策，低保患者的实际自付支出将从之前的 5 千元升至 7 千到 8 千元之间，支出比例在原有基础上提高了约 50%，对收入微薄的低保患者家庭造成了显著的负担。

二、 调研数据反映的全省患者情况

1. 调研结果反映的重点指标

总结前几章的患者调研结果来看，湖北省血友病患者的治疗现状、健康状况和经济负担的重点指标总结如下：

（一）标准治疗的比例：从调研数反映的情况来看，患者整体的标准治疗水平得到了一定的确保和提升。例如参加调研的未成年患者中有一半（50%）按照临床指南开展了预防治疗，降低了出血风险，推迟甚至避免未来出现关节功能受损和残疾。但另一方面，从整体患者人群的治疗水平来看，离临床指南推荐的治疗标准还有一定差距，例如还有 50% 的未成年患者以及 75% 的成年患者没有开展指南推荐的预防治疗；

（二）重组因子使用比例：与血源产品相比，重组因子具有纯度高、血源性感染风险低、抑制物发生率低等优点，但由于定价和报销问题，目前湖北省患者的使用率还相对较低。从调研数据来看，只有约 30% 的患者以重组因子产品为主要治疗手段；

（三）因子总体用量：足量的因子规范化治疗可以有效地控制患者出血频次和关节损伤。根据相关研究，在我国，中重度血友病患者如果得不到充分治疗，3~6 岁患者关节疾患的发生概率将增加 45%，6 岁后将迅速发展为关节病变^[37]。从调研数据来看，仅有 50% 的未成年患者实际的注射量达到或超过了最低的预防治疗标准，而在成年患者中这个比例更低，仅为 25%；

（四）患者健康状况：绝大多数成年受访患者（84%）已经出现了关节畸形的问题，这一比例在成年重型患者中甚至达到了 90%；半数左右的成年患者（49%）经历了滑膜炎或骨折。未成年患者当前的状况也不容乐观，43%的受访患者已经出现了并发症，其中较多的患者出现了关节畸形（21%）和滑膜炎或骨折（20%）。患病导致了相当数量的患者出现残疾，多达 82%的成年受访患者已经出现了明显残疾，甚至青少年患者（8-17 岁）致残率也已经达到 51%；

（五）家庭经济负担：按照各组平均值按组中值进行计算，湖北省甲型血友病患者在血友病治疗上的医疗费用均值约为 31337（其中凝血因子上的自付费用约为 25542 元），平均家庭年收入为 41899 元，家庭的平均债务为 64246 元。从年医疗费用占家庭收入比来看，湖北省患者每年的凝血因子医疗费用超出了自身家庭年收入均值的 60%，已经远超过世界卫生组织定义的灾难性医疗支出阈值（40%）。

2. 调研结果反映的患者主要诉求

此次调研中也收集了患者提出的诊疗和保障方面的未满足需求，问题主要集中在因子治疗的处方和报销环节：

（一）在处方环节，大部分患者的诉求是“门诊开药数量有限”（64%的患者反馈）和“住院治疗试行单病种管理，不能足量用药”（47%），甚至有 22%的患者反映“门诊开不出药”。这与之前分析的各地门诊报销政策限制以及住院治疗控费政策的实施相关，反映出很多地区的血友病政策还未达到血友病门诊慢病管理的实际需求，以及患者在住院治疗过程中遇到的政策限制；

（二）在医保报销环节，患者反映的主要问题集中在三个方面：首先是“门诊特门慢政策有待改进，报销额度低”（60%的患者反馈），其次是“基本医保和大病医保整体报销额度不够”（56%），以及“零售药店没药或者不能报销”（56%）。此外，还有 29%的患者反映“自己先行垫付的金额较高”，会进一步加剧家庭的经济负担。可以看出，患者在报销政策上反映的问题与他们在处方环节遇到的问题是环环相扣的，由于门诊政策以及整体报销额度的问题，导致了患者门诊处方、住院用药以及报销额度上的限制。很多患者也提出了“零售药店没药或者不能报销”，反映出了国家医保局推行院外医保药店双通道制度的必要性，这将有助于改善患者用药可及性，以及医院门诊和床位等医疗资源无效占用的问题；

（三）在救助环节，个别地区患者反映扶贫工程结束后出现了明显的救助待遇下调。血友病患者由于长期治疗和就业能力受限，很多患者及其家庭属于低保等经济困难群体，救助待遇的下调会显著影响其长期治疗，这与中央政府提出的共同富裕目标和健全医疗救助制度的整体要求是不一致的。《国务院办公厅关于健全重特大疾病医疗保险和救助制度的意见》提出了要聚焦减轻困难群众重特大疾病医疗费用负担，建立健全防范和化解因病致贫返贫长效机制。

三、 调研数据反映的地区保障差异

以上的数据总结是从全省的平均值来看的，而实际的诊疗和保障情况在各市州不尽相同。各地区经济发展水平、医疗条件以及医保政策的不同，会导致患者用药可及性存在较大差异。本小节将简要分析湖北省各地血友病门诊报销政策的差异问题，及其对患者治疗和健康状况的显著影响。

1. 门诊政策的差异

从各地门诊政策的汇总来看，报销额度差异较为悬殊，以城乡居民医保为例，从每年几千元到十几万不等。而门诊报销额度的高低，也并非完全与当地的经济水平相匹配。从全省城市 GDP 总量排名来看，排在前列的部分城市门诊报销额度反而不如排名靠后的。从表四的湖北省部分重要城市对比来看，其门诊报销和患者因子注射量也存在显著的保障水平差异。究其原因，可能是因为早期制定门诊特病政策的思路不同，导致了现在的地方差异。

表四：湖北省部分城市的血友病门诊报销政策（城乡居民/三级医疗机构）

城市	2019 GDP (亿元)	门诊特病类型	最高支付限额 (元/年)
武汉市	16223	门诊重症（慢性）	16,000
襄阳市	4813	慢性病门诊	1,600/次
宜昌市	4461	门诊特殊慢性病	基本医保支付限额（120,000）
黄冈市	2323	门诊特殊慢性病	2,000
孝感市	2301	门诊重症疾病	30,000
荆州市	2034	特殊门诊慢性病	基本医保支付限额（120,000）*
荆门市	2034	门诊特殊慢性病	9,600

*经患者访谈形式进行补充确认。

在门诊报销额度较低的地区，由于在门诊就医获取的因子治疗用量不足，部分患者必须通过住院治疗的形式来补充，这一点在儿童患者的预防治疗需求上尤其突出。这个模式虽然总体上改善了患者用药可及性，但同时也存在很多问题，包括住院流程给患者常规治疗带来较多的不便、住院过程中产生部分不必要的检查费用、住院治疗费用受 DRG 政策（按疾病诊断相关分组付费政策的简称）影响等。

其中影响最大的可能是最后一条，随着 DRG 在多个城市开展试点和推广，血友病患者住院用药的额度将受到很大限制。例如在武汉的部分医院中，受访专家反映目前的血友病住院治疗 DRG 分组权重较低，治疗费用额度将显著下调。而根据国家医保局的安排，DRG 付费试点城市已全部进入模拟运行，2021 年内将开展实际付费，因此血友病门诊特病政策的相关调整也应尽快提上日程。医

保专家也表示，相应的 DRG 分组和权重应进一步完善，要针对血友病患者的实际治疗需求进行调整，保障患者的正常就医用药。另外，武汉市以及整个湖北省正在探索日间病房和日间手术，未来将血友病纳入日间病房管理也是解决该问题的途径之一。

专题：DRG 支付对血友病诊疗报销的影响

武汉是按病组付费（DRG）的试点城市。当前 DRG 对血友病住院报销的限制明显，对于伴有严重合并症的血友病以及没有合并症的血友病，总体的权重和报销系数都偏低。

武汉市 CHS-DRG 凝血功能障碍报销标准

	系数	权重	总额
不伴有并发症与合并症	12700	0.55	6985
伴有一般并发症与合并症	12700	0.9	11430
伴有严重并发症与合并症	12700	1.1	13970

以三级医院处理“伴严重并发症血友病”为例，一次住院的 DRG 报销额度为 13970 元。而从实际临床治疗经验来看，假设一名 50 公斤重的患者存在严重的部位出血，一天的凝血因子用量至少需要 4000 单位左右，相当于一天要注射 20 支 200 单位的凝血因子，有的时候根据患者情况还需要一天给予两次或者两次以上的注射。不同品种的因子价格不同，以最便宜的计算（200IU，396 元/支）：

1. 最少的情况（最便宜的药，50kg 患者）： $4000 \text{ IU} = 200 \text{ IU} * 20 = 396 \text{ 元} * 20 = 7920 \text{ 元/天}$ ，DRG 额度只能承担不足 2 天的费用
2. 可能的常规情况（最便宜的药，50kg 患者）： $8000 \text{ IU} = 200 \text{ IU} * 40 = 396 \text{ 元} * 40 = 15840 \text{ 元/天}$ ，仅一天的住院因子治疗费用就超过了一次住院的 DRG 规定额度上限

相关科室临床医生也表示，DRG 目前的权重与临床实践脱钩，医院按 DRG 标准收治血友病患者要么会亏损、要么不能按照标准治疗。DRG 全面实施后，如何保障血友病患者的正常治疗是一个很大的挑战，目前医疗机构和医保部门亟需就血友病治疗的 DRG 权重和系数开展相应探讨。

2. 地方保障水平的差异对患者的影响

地方医疗保障政策的差异势必影响患者的用药可及性和生存质量，我们以 GDP 总量和人均 GDP 均为湖北前几名的某城市 X 为例进行对比研究。此次调研全省共收集 314 份有效患者数据，其中 X 市为 16 份，其样本量较为充足。

从当地政策案头研究和患者访谈来看，X 市 2019 年的门诊报销额度较低（2019 年门特额度为 1000 元/次，2021 年已调整至 1600 元/次），患者通过住院治疗也不甚方便。反映在此次调研的患者治疗数据结果上，当地患者的因子用量只有全省水平的 70%，这与当地的经济实力和财政水平较为不匹配。对比 X 市患者的预后和生存质量指标，也较为明显地呈现出治疗不充分导致的结果。X 患者的残疾率显著高于全省水平，而在 EQ-5D 的多个指标上，除了抑郁情况，其他指标都显著差于全省水平。

表五：此次调研中城市 X 患者的主要指标与全省平均指标对比

主要指标	城市 X 数据	全省平均数据
2019 患者因子平均用量 (IU/KG)	755	1071
患者出现残疾的比例	70%	62%
患者走动有困难的比例	85%	72%
患者自理有困难的比例	46%	39%
患者日常活动有困难的比例	92%	73%
患者有疼痛/不适的比例	100%	91%
患者有抑郁表现的比例	69%	74%

而血友病的临床专家也表示，如果同时考虑患者的药品可及与可支付性，除个别市的保障能够保障患者在门诊、甚至在药房用药，多数地方的患者需要住院才能得到治疗。因而部分患者在考虑了工作、就学或其他便利性相关原因后减少了治疗次数，影响了患者的健康状况和长期预后。

总结本章内容来看，湖北省在血友病诊疗体系建设和保障制度落地上已经拥有了良好的基础，为患者打造了因子规范治疗和门诊/住院治疗的保障网。从患者临床治疗、生存质量和经济负担来看，湖北省患者平均的因子用量还未达到推荐水平，患者的整体生存质量水平有待提高，家庭经济负担也非常沉重。追溯到诊疗和报销等根源上来看，患者在处方和报销环节上的诉求较为集中，而从不同市州的横向对比来看，也证明了保障政策的差异将会直接影响患者的治疗水平和健康状况。

第九章：武汉血友病患者的情况与未满足需求

武汉作为湖北省省会城市，经济实力雄厚，总人口较多，相应的本地血友病患者数量也较多。同时，武汉作为省会城市，诊治能力也强于其他地级市。因而我们聚焦武汉情况，进一步对患者在诊治过程中遇到的问题和负担进行了分析。在本次受访患者中，有 91 位（30%）患者常住武汉，其中 83 人医保所在地也为武汉市。本章节将对这 83 位常住且医保也在武汉市的患者展开分析并聚焦其目前的诊疗情况与未满足需求。

一、 武汉受访患者整体情况

1. 人口学情况

本次受访武汉患者以男性患者为主（99%），仅一位为女性患者，平均年龄为 24 岁（年龄分布见图 9.1）。

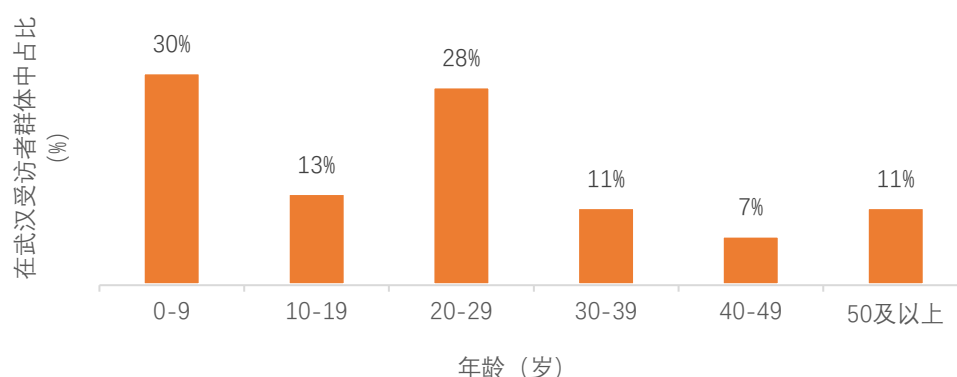


图 9.1 受访武汉患者年龄分布

2. 疾病分型

在武汉的 72 位甲型血友病患者和 11 位乙型血友病患者中，从患者的凝血因子活性水平看，受访患者多数为重型血友病患者（凝血因子活性水平 $<1\%$ ），占全体受访患者的 75%，另有 22% 的受访患者为中型，轻型的患者占比较小。87%（71 位）的患者都在接受因子治疗（使用凝血因子作为主要治疗药物）。

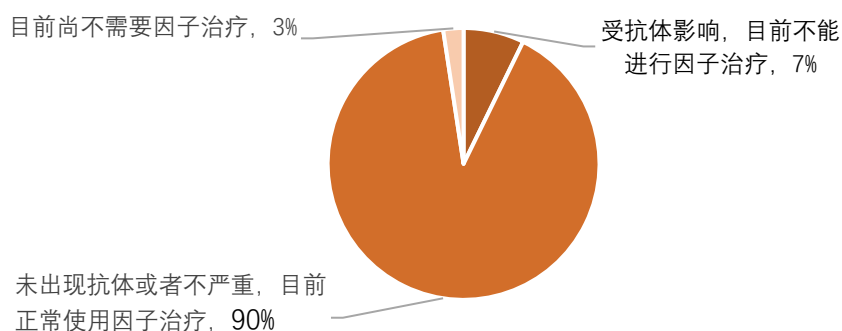


图 9.2 受访武汉患者因子治疗情况

二、 武汉患者因子使用情况与未满足需求

1. 患者因子使用情况

根据本次调研反馈情况，使用凝血因子进行治疗的 71 位武汉血友病患者的平均年因子用量为 1180 IU/kg。考虑到其中很多患者已出现自发或外伤出血时，需要多次按需使用因子进行止血，患者的凝血因子用量整体相对较低，尚未达到预防标准（预防用量=1040 IU/kg/年，具体见第四章）。

成年和未成年患者的注射剂量有明显差异，未成年患者的治疗情况相对较好，平均年因子用量为 1571 IU/kg，超过了最低剂量的预防治疗方案，而成年患者的平均年因子用量仅为 910 IU/kg。

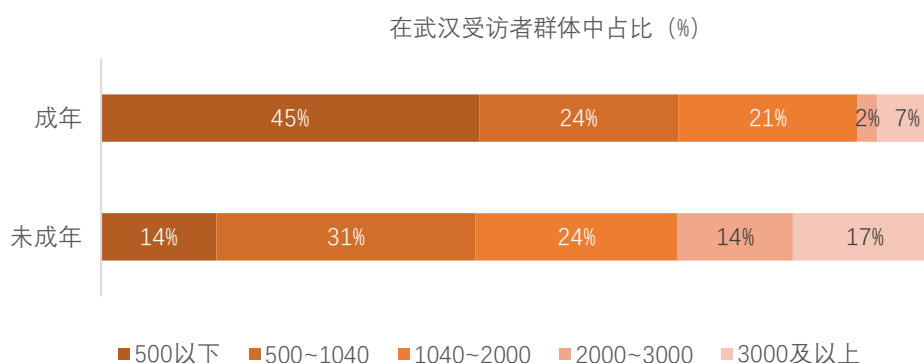


图 9.3 武汉成年和未成年患者的年均因子用量（IU/kg）

根据患者的自报情况，当前使用凝血因子的武汉患者中有 42%正在接受预防治疗，这一比例仅略高于全省平均水平（41%）。但即便是平均因子用量较好的预防治疗患者，也有 47% 在实际因子使用量上低于足量的低剂量预防治疗标准（1040 IU/kg），仅有 53% 接受预防治疗的患者达到了低剂量预防治疗的标准。

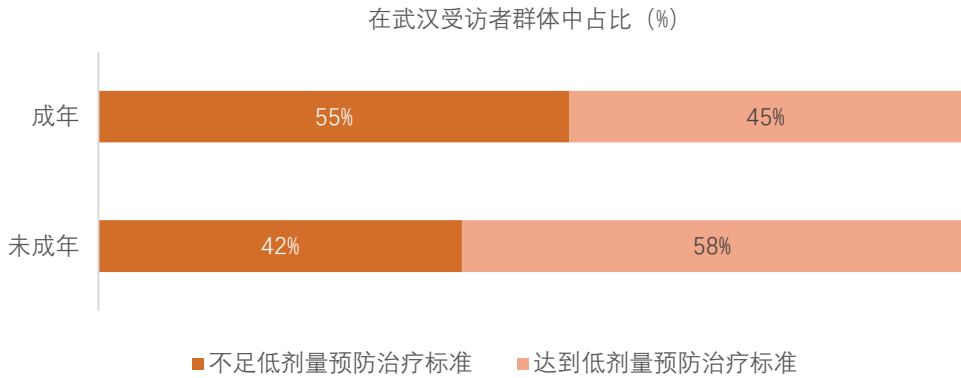
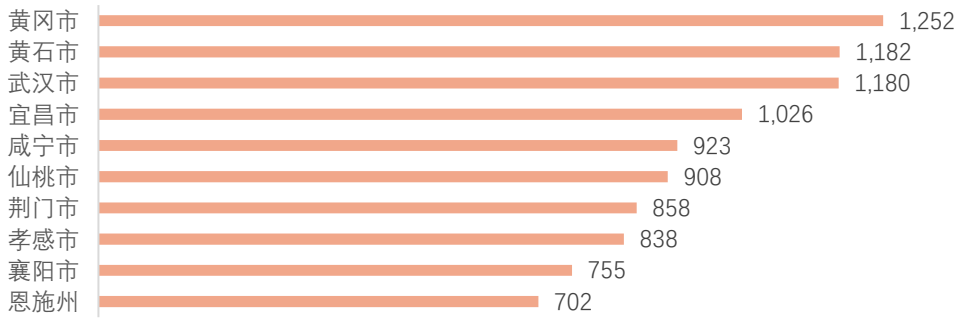


图 9.4 武汉未成年和成年预防治疗患者的实际年均因子用量达标情况

从全省范围看，本次调研中武汉血友病患者的年凝血因子用量排在第三，少于黄冈与黄石的患者。

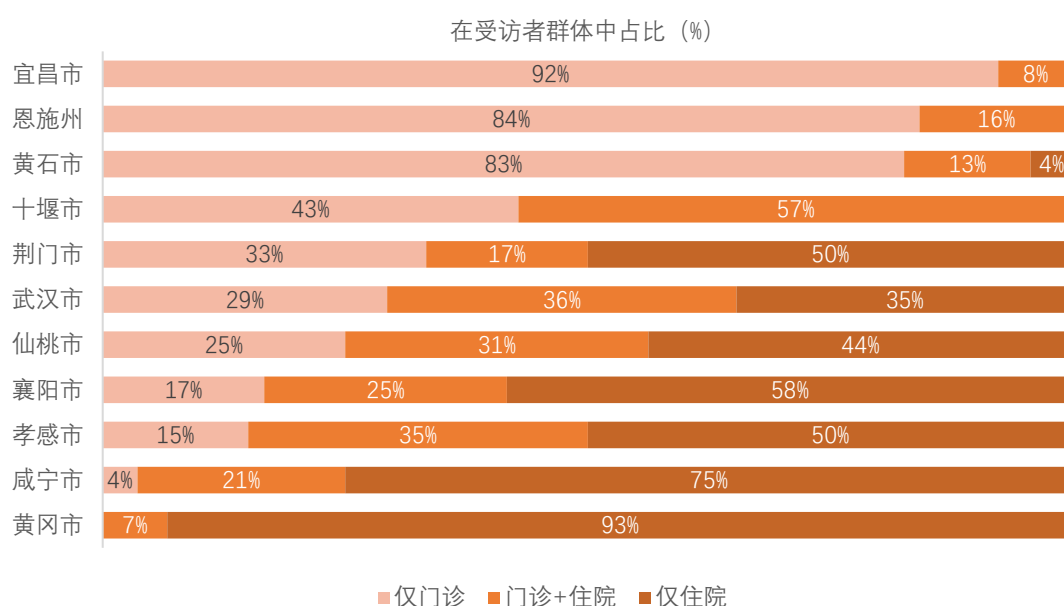


备注：为提高准确性，此处仅将使用因子的受访患者数达到及超过 10 人的地级市纳入分析。此处凝血因子使用量包含所有药物来源（包括医院以及其他途径购买）的因子使用。

图 9.5 不同城市患者的年均因子用量（IU/kg）

2. 未满足需求

武汉血友病患者在门诊取药时报销额度较低，居民医保上限为每年 1.6 万，职工医保上限为每年 2 万。单靠门诊报销远远不能满足患者的因子用量，因此很多患者选择挂床住院来进行因子治疗和费用报销。从此次调研关注的 2020 年度来看，有超过 70% 的武汉患者通过“门诊+住院”，或“仅住院”的方式来满足全年的因子输注治疗需求。而随着 2021 年 DRG 的逐步开展，部分患者将面临无法住院输注的问题，只能在门诊进行自费用药。



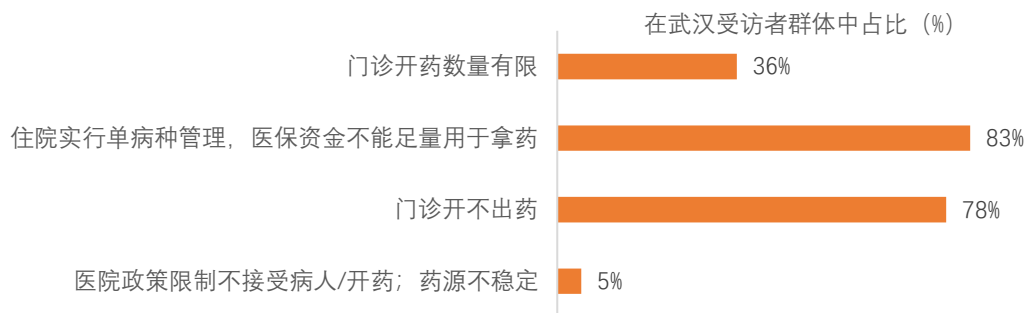
备注：因药房购买和其他途径购买的患者比例较低，此处仅考虑门诊和住院开药的情况。

图 9.6 各地患者用药渠道

血友病临床途径明确，常规治疗中仅需定期输注凝血因子，无需过多的检查和其他临床手段干预，因此非常适合门诊随访和治疗。提升凝血因子的门诊报销额度，一方面有利于提高患者用药的便利性，保障患者的正常用药和就业就学不受影响；另一方面也有利于医院对患者进行门诊管理，避免占用宝贵的住院资源；同时能够减少住院带来的床位费、治疗费、检查费等不必要的医保资金浪费。

从患者在处方环节主要的诉求来看（见图 9.7），除了以上提到的门诊处方和报销额度问题（36% 的患者提出“门诊开药数量有限”，78% 的患者提出“门诊开不出药”），武汉患者还比较关注住院用药的限制（83% 的患者提出这个问题）。随着 DRG 支付（按疾病诊断相关分组付费）在武汉展开试点和推广，

血友病患者将面临住院用药额度的限制，凝血因子的未来用量可能会有显著下降。另外，很多医疗机构也规定住院处方的凝血因子不允许带出医院，必须在院内接受注射，致使患者无法进行居家的自我治疗。很多患者每周都需要前往医院就诊甚至住院，极大地影响了患者的正常生活和工作。



备注：本题为多选。

图 9.7 武汉患者处方环节存在的问题

患者案例六：受困的年轻人

小吴今年 27 岁，家住武汉，是一名重型甲型血友病患者。自从 2 岁确诊以来，小吴一直没有得到很好的治疗。儿童时期，病情带来的身体损伤尚未显现，由于家庭经济条件的限制，发生出血、疼痛时小吴只能忍耐。而成年后，小吴疼痛、出血情况的频率和程度都更为严重，出现并发症和身体残疾，行动能力受限，正常生活也受到影响。意识到预防治疗的重要性，小吴开始进行预防治疗，但考虑到家庭的经济负担，他的因子用量远低于需求，出血、疼痛仍时有发生。

现在小吴每年进行治疗要花费两万多元，而全家唯一的稳定经济来源是父亲每月 2000 多元的退休金。为了满足小吴治疗和家庭花销（目前一家三口常年租房生活），除了微薄的退休金，小吴的父母还要在外打工。而小吴由于身体原因，无法正常工作，一直待业在家。小吴一家的最低保障待遇申请一直没有获批，他仅在 9 岁那年获得过几万元的慈善捐助，但与此后每年高昂的治疗费用相比，当年得到的捐款杯水车薪。

（后续请见下页）

在因子治疗方面，武汉门诊医保待遇处于中等水平，能报销60%但额度有限（居民医保上限每年1.6万），大部分患者都要通过住院获得凝血因子。同时，医院方面仅允许患者现场输注，患者不得将药品带出医院。这不仅使治疗影响了患者的日常工作生活，也使患者在出现危急情况时，可能因身边无药而难以得到及时救治。

2021年5月以来，DRG付费开始在武汉实施，血友病患者每次住院能得到的报销限额根据并发症和合并症情况只有6985~13970元不等。在门诊待遇不变的情况下，血友病患者的住院待遇反而下降了。小吴现在关节损伤严重，需要手术治疗。但完成这样一台手术，仅仅凝血因子的花费就有十多万元，整台手术费用更是高达二三十万元。因此，今年前往武汉市某三甲医院问诊时，医生拒绝了小吴的手术请求，小吴的母亲为此向医保局反映了情况。虽然医保局表示DRG付费的实施对小吴将要进行的手术并不会产生影响，但医院坚持不接收小吴，导致他至今没有得到手术治疗。

现在，小吴一家最大的愿望首先是当地门诊待遇能够提升，打通“门诊+药房”双通道，实现家庭输注、社区输注，让血友病治疗成为像高血压一样的常规慢性病治疗；其次是目前的DRG政策在住院费用上可以根据患者的实际情况合理调整，患者可以被医院接纳，接受手术治疗。

从患者的输注场所来看，六成的患者或患者家属掌握自我注射，但仍有近四成的患者（多为未成年患者），因未学会注射或家长不敢为孩子进行注射等原因，在医院及社区卫生中心或诊所进行注射。

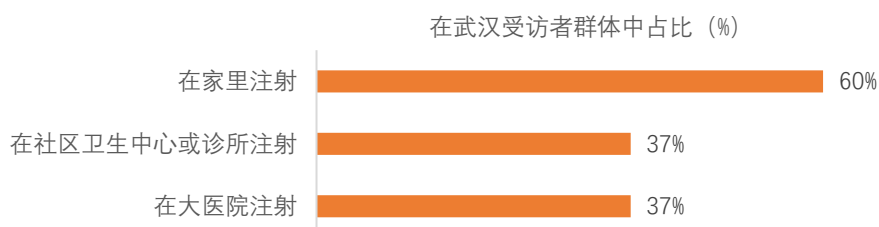
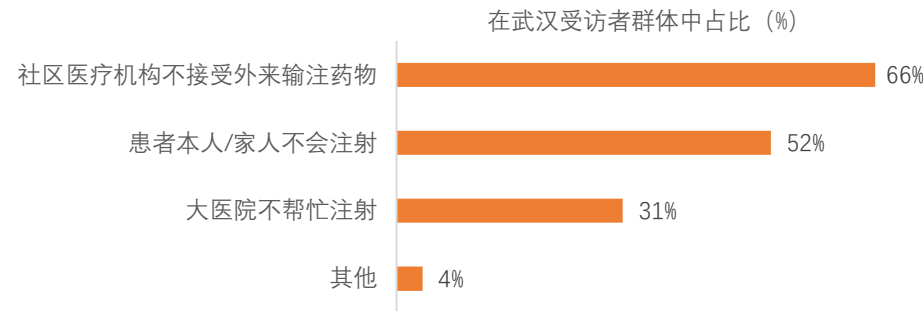


图 9.8 武汉患者输注地点

虽患者组织和医疗机构都已提供一定的培训，但目前仍有超过六成的武汉患者及家属未掌握自我注射技能，加之有些大医院不帮忙注射、社区医疗机构不接受外来输注药物的情况较为普遍，患者在注射环节存在一定的用药障碍。不少患者都提出了希望社区医疗机构在患者自带药品、承诺自担风险的前提下可为患者提供输注。在调研过程中，我们发现婴幼儿血友病患者家属为患儿进行自我注射的确存在难度，因此这部分患者对专业医护人员提供输注服务有刚性需求，而部分医院负责开药的血液病科室不具备儿科注射能力，需要医疗机构进行协调配合，解决婴幼儿患者的输注问题。



备注：本题为多选，调查在输注环节患者遇到的问题。

图 9.9 武汉患者输注环节存在的问题

三、 武汉患者当前健康情况

1. 并发症情况

因未能接受足量的预防治疗，武汉血友病患者都在不同程度上受到并发症的影响，92%的成年受访患者出现了各种并发症。其中，绝大多数成年受访患者（85%）已经出现了关节畸形的问题，这一比例甚至高于全省患者的关节畸形比例。

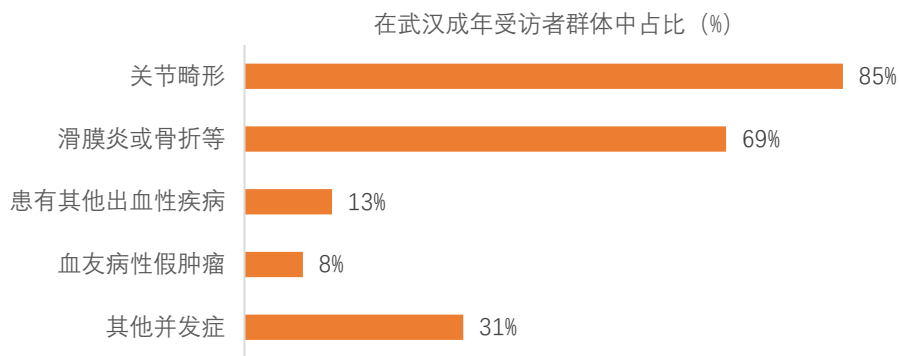


图 9.10 武汉成年受访患者当前的并发症情况

2. 出血情况

虽然在足量凝血因子治疗的前提下，患者不会出现自发性出血情况，但从调研数据来看，在近期的出血情况方面，武汉成年受访患者和未成年受访患者面临的情况都比较严峻，仅有 4% 的患者近期末发生自发性出血；15% 的患者甚至出现了重要器官出血，严重威胁患者生命安全。

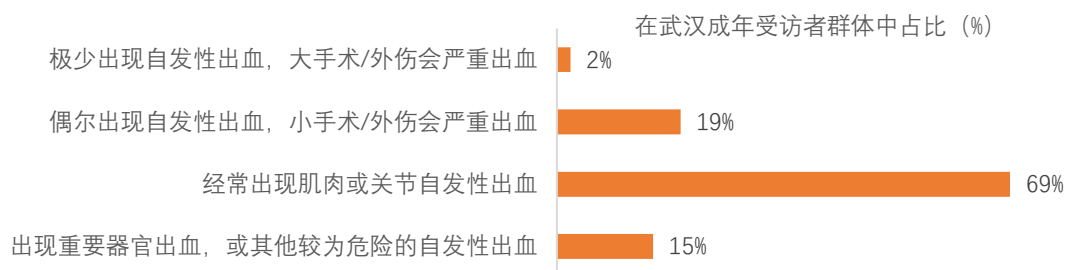


图 9.11 武汉成年受访患者近期的出血情况

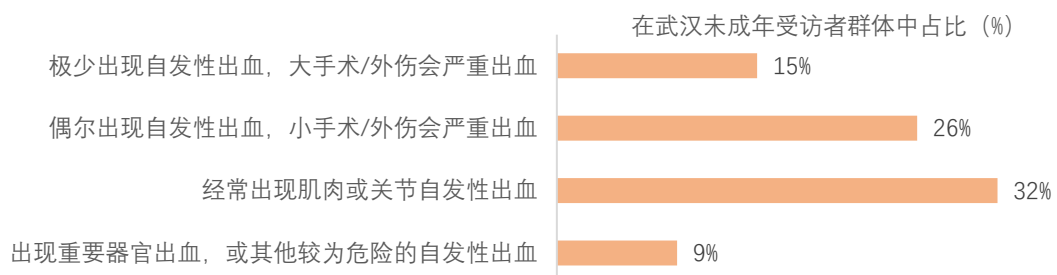


图 9.12 武汉未成年受访患者近期的出血情况

3. 关节功能障碍情况

武汉成年受访患者关节功能障碍情况非常严重，平均每位成年患者有 4.5 个关节部位出现损伤。考虑一般膝、肘等关节损伤情况都是双膝或双肘同时出现问题，实际损伤的关节数更多，对患者的影响极为严重。

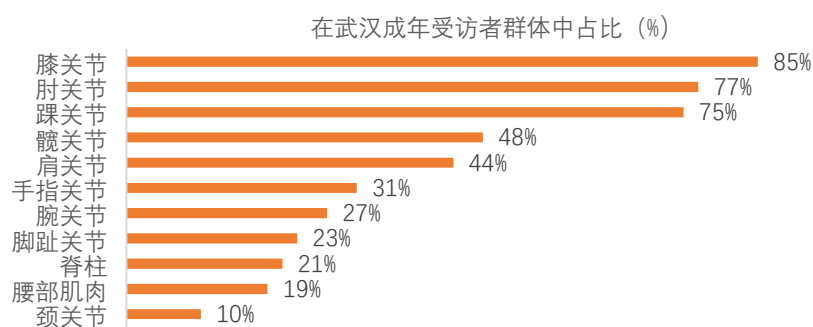
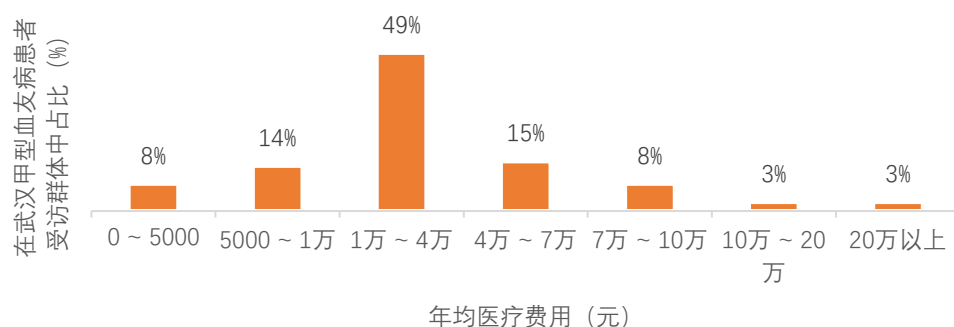


图 9.13 武汉成年受访患者的关节受损情况

四、 武汉患者医疗费用和负担情况

1. 医疗费用支出情况

整体而言，武汉甲型血友病患者的年自付医疗费用均值约为 39167 元（根据组中值计算，20 万以上以 22 万计，具体计算方式见 p.41，明显高于全省患者平均年自付医疗支出（31337 元）。未成年患者家庭的医疗支出相对更高，甚至有 23% 的家庭年医疗支出费用在 7 万元及以上。



备注：此处的医疗费用包含因子等药物治疗费用以及因血友病所引发的关节置换等手术治疗费用。

图 9.14 武汉甲型血友病患者的年医疗费用情况

其中，武汉甲型血友病患者在凝血因子上的年自付医疗费用均值约为 32708 元（组中值计算，根据填报情况，10 万元以上以 15 万计）。未成年患者家庭的因子自付费用整体更高，年自付医疗费用均值约为 42333 元。

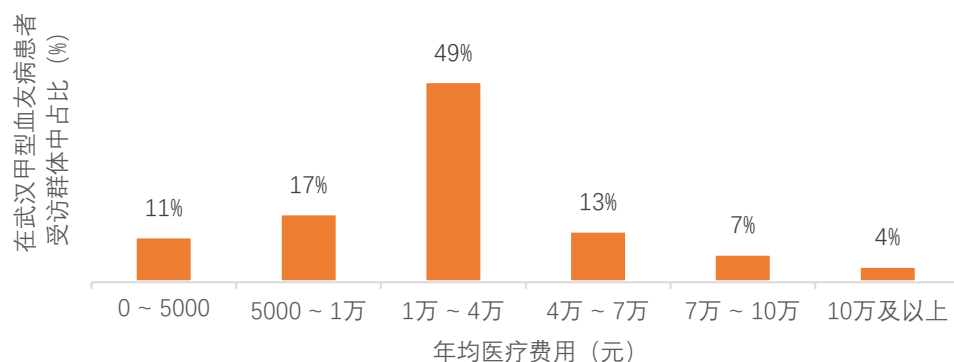


图 9.15 武汉甲型血友病患者的因子年自付费情况

2. 患者家庭收入情况

武汉血友病患者的平均家庭年收入为 64375 元（按照各组组中值作为组平均值进行计算，根据填报情况，20 万元以上以 25 万计）。由于患病影响就业，较武汉平均家庭年收入 13.7 万元（根据统计局数据，2021 年全市城镇居民人均可支配收入 55297 元，平均每个家庭户的人口为 2.47 人）而言，血友病患者的家庭收入普遍较低。

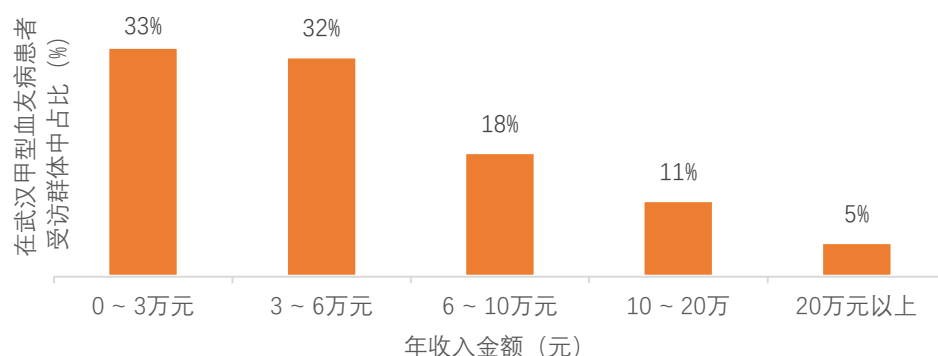


图 9.16 武汉甲型血友病患者的家庭年收入情况

血友病患者需要终身接受治疗，且随着患者年龄增长，关节等部位会因长期出血造成关节受损残疾，需要额外的治疗或关节置换等手术，整体医疗负担会每年持续增加。虽武汉患者家庭收入整体高于全省患者情况，但由于受疾病影响收入普遍较低，武汉患者的年医疗费用均值依然占据了家庭年收入均值的六成，高于世界卫生组织定义的灾难性医疗支出阈值（一个家庭自付的医疗费用超过家庭可支付能力的 40%），因此患者家庭产生负债或接受社会救助的现象也较为普遍（具体武汉患者负担情况可参考 p.47 案例四）。血友病患者及其家庭需要更多政府医疗保障和社会力量的关注与重视，以减轻患者的医疗费用及长期负担。武汉作为省会城市，需要进一步提升血友病患者的用药保障。

第十章：政策建议

本次调研数据总结出的血友病患者诊疗、报销、生命质量和经济负担情况，反映了湖北省整体的保障水平以及地区间政策差异，展示了相关的改进空间。提高血友病患者的综合保障水平、尤其是以凝血因子为主的预防治疗水平所具有的重要意义我们认为主要体现在三个方面：

（1）血友病的标准治疗收益明确：血友病的治疗路径和治疗收益非常明确，完善的保障政策能够改善患者的治疗效果和生命质量，并减少未来的出血和残障风险，也将相应避免更高昂的手术费用等医疗开支。接受较好治疗的患者可以回归社会，降低劳动力损失，获得长期经济收益；

（2）医疗保障领域共同富裕的范例：我国政府积极推动共同富裕，促进基本公共服务均等化。医疗保障体系也应更加公平，通过优化保障制度设计，逐步实现城乡、区域基本医保制度政策统一和待遇服务均衡，让全民共享医保制度阳光雨露。其中血友病可以作为完善门诊特病制度的范例，尝试逐步在全省范围内统一门诊特殊病种范围和待遇，提升患者的治疗规范和经济保障；

（3）罕见病保障制度的缩影：罕见病保障近年来得到了多方重视，而患者用药可及性在各地落地过程中还需要打通一系列的环节，包括各级医院进药、制定门特报销政策、提升报销额度、院外医保药店双通道、针对贫困家庭的配套救助措施等。血友病作为一个缩影，其保障制度的不断优化，将为罕见病的整体保障政策落地提供一个很好的借鉴。

因此我们针对调研中发现的薄弱环节提出以下相关政策建议，供湖北省各级政府和相关方作决策参考，并希望对其他罕见病保障政策的落地形成借鉴。

1. 完善血友病诊疗体系，加强患者综合管理

建议湖北省进一步完善血友病诊疗网络和本地化管理，通过对医护人员开展血友病培训，帮助基层医疗机构的医生正确认识血友病。一方面提高诊断能力，能够第一时间诊断出患者；另一方面，正确认识血友病也有助于基层医疗机构接收血友病患者进行治疗，减少当前患者在社区医疗机构进行注射遇到的阻碍，使得患者能够就近治疗。

此外，因血友病是 X 连锁基因遗传的疾病，为阻断遗传，湖北省也需要加强患者的综合管理。在延续当前通过患者宣教的形式进行生育干预的前提下，对血友病患者家族中的女性在产检和孕检中开展血友病筛查。

2. 完善门特和双通道政策，实现全省医保制度政策统一和待遇均衡

建议湖北省和各级医保部门推动全省的血友病门诊特殊病种制度优化，以疾病的门诊治疗临床路径为依据，设计相关的门诊特病报销政策。从此次调研来看，湖北多个市州的血友病门诊报销额度偏低，区域之间差异较大，缺乏统一的制度制定标准。首先，门诊额度偏低不符合疾病的门诊治疗规范，导致患

者通过住院等其他途径间接弥补治疗所需因子数量；其次，对比门诊政策和所在城市的发展水平来看，多个经济较发达的湖北主要城市的报销额度偏低，甚至差于欠发达地区，不符合所在地的经济实力和医保保障能力。未来应在医保公共服务均等化的背景下，逐步推动血友病门诊制度的全省政策统一和待遇均衡。

“血友病如果能够在门诊输注，通过纳入日间病房来解决，是最好的办法。如果不必住院的这些患者能够在门诊治疗，对节省医院床位、提升医保费用使用效率、提高综合保障水平、减轻患者负担是非常重要的一个措施和手段。”

——冯占春院长（华中科技大学同济医学院医药卫生管理学院）

建议湖北省和各级医保部门推动和统一执行血友病用药的双通道制度，使凝血因子能进入各地的定点零售药店，通过规范程序在全省统一执行。自 2021 年 5 月国家医保局和卫健委联合发布《关于建立完善国家医保谈判药品“双通道”管理机制的指导意见》以来，已经有多个省份落实该政策。双通道管理模式以目前的国家医保谈判药品为主，但对其他常用药品例如凝血因子也很适用。事实上已经有多个省市地区将凝血因子纳入到医保定点零售药店，推动实现血友病患者“病重治疗到医院，日常用药在药店，康复理疗进社区”的理想治疗康复模式。

3. 统筹调动救助力量，为血友病患者打造多层次保障体系

随着多层次医疗保障体系的建设，基本医保之外的托底层（医疗救助）和补充层（商业健康险、慈善捐赠等）近年来也得到了长足的发展。

在托底层的医疗救助政策方面，考虑到当前我国巩固扶贫脱贫的目标，建议相关救助政策建立延续性，不能改变患者的存量待遇，影响已取得的脱贫扶贫成绩。救助政策调整过程中需考虑待遇衔接，确保救助对象应救尽救，救助待遇稳中有进，例如可考虑根据一定标准（如社会平均工资增长水平）稳步提升救助总额。

除政府医疗救助，从血友病外省市的保障实践来看，慈善捐赠和政府救助一起发挥了重要的托底作用。以天津市慈善协会的项目为例，针对家庭生活困难、符合相关医学标准的患儿，援助标准是对患者给予预防治疗，除医保支付、民政救助、中华慈善总会援助外，剩余个人负担部分按照 50% 的比例给予资助，使低保患者基本实现零自付，非低保患者自付金额不足总药价的 10%。多层次保障体系的建设有助于织密织牢社会保障体系、避免患者家庭灾难性事件发生。因此建议湖北省医保、民政等政府部门牵头，以本地的慈善机构为平台，联合

制药公司和其他爱心企业，推动针对血友病以及其他罕见病的社会慈善捐赠，为患者打造可持续发展的多层次保障体系。

4. 加强患者社群支持，积极协助临床专家和政府的相关工作

建议以民政为主的各级部门加强扶持血友病患者社群组织，发挥此类组织在协助政府各级部门、配合医院和医生、管理和服务患者等方面的核心作用。患者及患者组织是血友病事业以及罕见病整体发展中一个非常重要的参与方，在患者社群支持、科研和药物研发、医患教育、社会倡导等方面都发挥了不可或缺的作用。湖北省本地的血友病患者组织成立以来进行了大量的患者服务工作，但整体发展还比较薄弱，面临缺乏资金和专业经验支持的困境。因此，我们建议湖北省加大对患者组织的支持，更好地在患者社群关怀救助、心理支持、科普教育、媒体倡导等方面为患者提供服务。在未来湖北省的各项罕见病相关工作中，进一步加强患者及患者组织的参与，真正做到“以患者为中心”。

附录

一、 湖北各市州医保血友病门诊特病报销政策汇总表

表六：湖北各市州城镇职工医保血友病门诊特病报销政策汇总

城市	门诊特病类型	起付标准	报销比例	最高支付限额 (元/年)	相关文件	发布年份
武汉市	门诊重症 (慢性)	**	在职 60% 退休 65%	20,000	武人社发〔2017〕46号 《关于调整基本医疗保险门诊治疗重症(慢性)疾病有关政策的通知》	2017
襄阳市	慢性病门诊	600	80%	1,600/次*	襄医保发〔2019〕9号 《关于调整基本医疗保险慢性病门诊医疗保障待遇的通知》	2019
宜昌市	门诊特殊慢性病	**	75%	基本医保支付 限额 (120,000)	宜医保发〔2019〕9号 关于印发《宜昌市基本医疗保险门诊特殊慢性病管理办法》的通知	2019
黄冈市	门诊特殊慢性病	不设 起付 标准	70%	3,000	黄医保发〔2020〕39号 关于印发《黄冈市职工和居民基本医疗保险特殊慢性病门诊照顾就医管理实施办法》的通知	2020
孝感市	门诊重症 疾病	600	70%	50,000	孝医保发〔2021〕5号 关于印发《孝感市职工基本医疗保险实施细则》的通知	2021
荆州市	特殊门诊 慢性病	**	90%	基本医保支付 限额 (180,000) *	荆医保发〔2021〕18号 《关于进一步加强基本医疗保险门诊慢性病管理有关事项的通知》	2021
荆门市	门诊特殊 慢性病	**	90%	9,600	荆人社〔2017〕20号 《关于规范全市基本医疗保险特殊慢性病门诊医疗管理的通知》	2017
十堰市	门诊特殊 慢性病	**	75%*	100,000*	十人社发〔2013〕73号 关于印发《十堰市城镇基本医疗保险门诊特殊慢性病规范管理实施办法的通知》	2013

黄石市	门诊特殊慢性病	**	90%	24,000	黄石市人民政府【政策通知】《黄石市基本医疗保险门诊特殊慢性病病种申报条件及门诊医疗费补助标准》	2017
咸宁市	门诊慢特病	**	在职 75% 退休 80%	按病情和用药 剂量核定配额	咸医保发〔2021〕24号 关于印发《咸宁市市直职工基本医疗保险门诊慢特病管理办法》的通知	2021
随州市	重大疾病门诊	**	80%	基本医疗保险支付限额 (150,000)	随政发〔2018〕36号 市人民政府关于印发《随州市城镇职工基本医疗保险实施细则》的通知	2018
恩施州	门诊重症	**	80%	基本医疗保险和大额医疗保险支付限额以内 (500,000-700,000)	恩施州人社发〔2017〕28号 关于印发《恩施土家族苗族自治州城乡基本医疗保险门诊特殊慢性疾病医疗费用报销管理办法》的通知	2017
鄂州市	门诊重症慢性病	**	50%	**	鄂州市医疗保障局《鄂州市门诊重症慢性病政策简表》	**
仙桃市	重大疾病门诊	**	90%	基本医保支付限额 (120,000)	仙桃市人民政府令 第77号 《仙桃市职工基本医疗保险和生育保险实施办法》	2019
潜江市	门诊特殊慢性病	**	70%	基本医保支付限额 (300,000)以内	潜医保发〔2020〕56号 《关于进一步做好基本医疗保险门诊特殊慢性病医疗保障工作的通知》	2020
天门市	门诊特殊慢性病	**	80%	基本医疗保险和大额医疗保险支付限额以内 (630,000)	天政规〔2017〕2号 市人民政府关于印发《天门市城镇职工基本医疗保险实施办法》的通知	2017
神农架林区	门诊特殊慢性病	500	70%	4,800	神政办〔2013〕50号 关于印发《神农架林区医疗保险相关政策调整方案》的通知	2013

注：因大额医疗保险起付等条件差异较大，多地政策中也未对门诊是否可采用进行准确描述，除政策中对限额进行整体描述的地区及通过访谈确认情况的地区外，本表中最高支付限额未纳入大额医疗保险。

*经患者、医生访谈形式进行补充确认。

**根据政策内容，只提供了报销百分比，未提供起付标准或最高支付限额的信息。

表七：湖北各市州城乡居民医保血友病门诊特病报销政策汇总

城市	门诊特病类型	起付标准	报销比例	最高支付限额 (元/年)	相关文件	发布年份
武汉市	门诊重症 (慢性)	**	50%*	16,000	武人社发〔2017〕46号 《关于调整基本医疗保险 门诊治疗重症(慢性)疾 病有关政策的通知》	2017
襄阳市	慢性病门 诊	600	60%	1,600/次*	襄医保发〔2019〕9号 《关于调整基本医疗保险 慢性病门诊医疗保障待遇 的通知》	2019
宜昌市	门诊特殊 慢性病	**	50%	基本医保支付 限额 (120,000)	宜医保发〔2019〕9号 关于印发《宜昌市基本医 疗保险门诊特殊慢性病管 理办法》的通知	2019
黄冈市	门诊特殊 慢性病	不设起 付标准	60%	2,000	黄医保发〔2020〕39号 关于印发《黄冈市职工和 居民基本医疗保险特殊慢 性病门诊照顾就医管理实 施办法》的通知	2020
孝感市	门诊重症 疾病	600	50%	30,000	孝人社函〔2018〕21号 《关于规范基本医疗保险 部分门诊疾病待遇及申报 程序通知》	2018
荆州市	特殊门诊 慢性病	**	70%	基本医保支付 限额 (120,000)	荆医保发〔2021〕18号 《关于进一步加强基本医 疗保险门诊慢性病管理有 关事项的通知》	2021
荆门市	门诊特殊 慢性病	**	65%	9,600	荆人社〔2017〕20号 《关于规范全市基本医疗 保险特殊慢性病门诊医疗 管理的通知》	2017
十堰市	门诊特殊 慢性病	不设起 付标准	65%	100,000	十医保发〔2019〕53号 《关于进一步贯彻落实城 乡居民医疗保障待遇相关 政策的通知》	2019
黄石市	门诊特殊 慢性病	**	70%	基本医保支付 限额	黄人社规〔2018〕1号 《城乡居民慢性病管理试 行办法》	2017
咸宁市	门诊慢性 病	**	**	根据医生处方 配额	咸医保发〔2020〕40号 关于印发《咸宁市城乡居 民基本医疗保险门诊慢性 病管理办法》的通知	2020
随州市	重大疾病 门诊	不设起 付标准	70%	基本医保支付 限额 (120,000)	随政发〔2019〕10号 市 人民政府关于印发《随州 市城乡居民基本医疗保险 实施细则》的通知	2019

恩施州	门诊重症	**	70%	基本医保支付限额 (120,000) 和大额医疗保险支付限额以内 (500,000) *	恩施州人社发〔2017〕28号 关于印发《恩施土家族苗族自治州城乡基本医疗保险门诊特殊慢性疾病医疗费用报销管理办法》的通知	2017
鄂州市	门诊重症慢性病	**	40%	**	鄂州市医疗保障局《鄂州市门诊重症慢性病政策简表》	**
仙桃市	重大疾病门诊	200-1200*	65%-70%*	基本医保支付限额 (120,000) 和大额医疗保险支付限额 (不限额) *	仙桃市人民政府令 第75号 《仙桃市城乡居民基本医疗保险实施办法》	2019
潜江市	门诊特殊慢性病	**	70%	基本医保支付限额 (200,000) 以内	潜医保发〔2020〕56号 《关于进一步做好基本医疗保险门诊特殊慢性病医疗保障工作的通知》	2020
天门市	门诊特殊慢性病	**	70%	基本医保支付限额 (100,000)	天政规〔2017〕3号 市人民政府关于印发《天门市城乡居民基本医疗保险实施办法》的通知	2017
神农架林区	门诊特殊慢性病	500	60%	4,800	神政办〔2013〕50号 关于印发《神农架林区医疗保险相关政策调整方案》的通知	2013

注：因大额医疗保险起付等条件差异较大，多地政策中也未对门诊是否可采用进行准确描述，除政策中对限额进行整体描述的地区及通过患者访谈确认当地保障情况的地区外，本表中最高支付限额未纳入大额医疗保险。

*经患者访谈形式进行补充确认。

**根据政策内容，只提供了报销百分比，未提供起付标准或最高支付限额的信息。

二、 报告局限性

在撰写本报告时，我们力求能全面、准确地展现出湖北省血友病患者的治疗情况、保障现状与相关问题。本次调研于2021年8月开展，收集了超过300份湖北省内血友病患者的调研问卷，超过省内已知血友病患者总数的50%，针对部分患者家庭和临床专家以及药经专家进行了深度访谈，并针对血友病的诊治现状、省内各地和省外部分地区的血友病保障政策进行了案头研究。

但由于时间和资源的限制，也存在一定调研和分析上的局限，包括：

(1) 因我们采用二手数据收集的方式对湖北省各地的血友病报销政策进行了整理，由于部分地区政策未公开等原因，可能导致本报告展示的政策不具备最新的时效性，不能准确反映当前的真实情况；

(2) 因 2020 年为疫情的特殊年，多数湖北省血友病患者受疫情影响未能维持常规用药，治疗情况有别于常年，因而在收集治疗情况、医疗费用等具化数据时采用了 2019 年的情况，在患者的因子用量或经济负担方面尚未能反映出 2021 年政策的最新变化，如因近期 DRG 试点或院内处方限制进一步收紧带来的影响；

(3) 患者填写问卷的过程中，可能因对问题的不同理解和主观诉求，影响部分结果的准确性。针对这类情况（包括重复填写、回答出现前后矛盾、与常规情况差异较大等情况），我们进行了相关数据的核查和修正。例如，数据中出现了体重不合理、因子治疗情况与治疗类型不符、报销实情与填写有无医保情况不符、医疗费用支出与治疗及报销情况有出入等情况，调研团队进行了广泛的回访，共回访 74 人（9 人失访，回访有效率为 88%），并根据回访信息修正了数据结果；

(4) 因部分参与调研的患者尚未成年，该类患者的调研问卷由监护人、家人等代为填写，可能导致对一些感知类问题的回答（例如疾病对精神负担、生命质量及社会发展的影响）有一定偏差，但不影响数据的整体质量。

研究团队介绍



武汉市东西湖区血友之家罕见病助残关爱中心
Wuhan Dongxihu District Hemophilia Home, Rare Diseases and Disabled Care Center

武汉市东西湖区血友之家罕见病助残关爱中心是在武汉市民政局注册成立的服务罕见病血友病患者，并致力于解决湖北省血友病患者及其家庭实际困难的社会公益组织。也是目前湖北省唯一注册的血友病组织。中心自成立以来，其宗旨是在党和政府的领导下，弘扬人道主义精神，遵纪守法和国家政策、遵守社会道德风尚。代表湖北全体血友病、罕见病、残疾患者的共同期望，推动血友病、罕见病、残疾、儿童关怀事业的不断进步，提高其生活质量，并对需要帮助的对象进行教育、医疗关怀咨询和心理疏通；参与推动湖北罕见病血友病相关医疗保障的建议讨论，定期组织患教公益活动，实时了解患者困难需求；倡导积极健康的生活方式，鼓励患者自强不息，平等融入社会。



艾社康(上海)健康咨询有限公司(简称艾社康)是一家国际性的智库和咨询机构，致力于卫生体系的政策与产业研究以及创新平台搭建。艾社康希望通过专业研究与创新业务助力我国医改进程、推动产业创新，并且把国内健康领域的最佳政策创新与商业实践，在更多国家和地区进行推广和应用。艾社康在全球推广未来健康(Health Futures)的愿景，旨在推进高质量、可负担的未来健康体系，推动从目前以医院医疗为核心的服务模式转向更以人为本的、以价值为导向、以科技赋能的卫生服务体系。艾社康持续关注罕见病领域，已与患者组织合作产出了部分地区和单病种的罕见病患者调研报告，期待通过真实数据发声，影响政府和社会提高对罕见病患者的关注和保障。

参考文献

1. 王旭,贺小宁 & 吴晶.(2020).我国基本医疗保险报销政策对成人血友病 A 患者治疗水平与费用的影响. 中华医院管理杂志(06),485-489.
2. 杨仁池.(2017).血友病诊断与治疗中国专家共识(2017 年版). 中华血液学杂志(05),364-370.
3. Alain Weill.(2018).WFH 与中国合作的历史. 第十一届全国血友病大会.
4. Oyesiku, L., Haan, E., Turner, C., Cassis, F., Page D., & Mulder, K.(2009).《血友病图解》宣教者指南. 世界血友病联盟.
5. 国家卫生健康委办公厅.(2020).儿童血友病诊疗规范(2019 年版). 全科医学临床与教育(01),4-9.
6. 中华医学会血液学分会血栓与止血学组,中国血友病协作组.(2020).血友病治疗中国指南(2020 年版). 中华血液学杂志(04),265-266-267-268-269-270-271.
7. 李林康.(2020).中国罕见病用药保障体系建设. 2021 罕见病合作交流会.
8. 北京市医疗保障局.(2018).关于调整完善本市基本医疗保险门诊特殊疾病用药报销范围的通知(京人社医发[2018]165 号).
http://ybj.beijing.gov.cn/zwgk/2020_zcwj/202002/t20200222_1666322.html
9. 新京报.(2020). 北京医保出新政: 6 种病纳入门诊特殊病, 按住院标准报销.
<https://www.bjnews.com.cn/detail/160040055015744.html>
10. 北京市医疗保障局.(2020).本市城镇职工医疗保险待遇.
http://ybj.beijing.gov.cn/2020_zwfw/2020_bmcx/202004/t20200409_1798870.html
11. 北京市医疗保障局.(2021).城乡居民医疗保险缴费及报销待遇.
http://www.beijing.gov.cn/fuwu/bmfw/bmzy/202109/t20210910_2490571.html
12. 广州市医疗保障局.(2019).广州市医疗保障局 广州市财政局 广州市卫生健康委员会关于印发广州市社会医疗保险统筹基金支付门诊特定病种费用范围及标准的通知(穗医保规字〔2019〕4 号).
http://www.gz.gov.cn/gzybj/gkmlpt/content/5/5495/post_5495153.html#14461
13. 广州本地宝.(2020). 2021 广州城乡居民医保待遇标准一览.
<http://gz.bendibao.com/life/20201020/278815.shtml>
14. 广州本地宝.(2021). 2021 广州职工医保待遇标准.
<http://wenda.bendibao.com/live/2021223/156022.shtm>
15. 深圳市医疗保障局.(2021).深圳市社会医疗保险办法(2013 版).
http://hsa.sz.gov.cn/ztzl/szsztdjbbcyly/zlzy/content/post_8746657.html

-
16. 天津政务网.(2019).市医疗保障局市卫生健康委关于明确门诊特定疾病待遇资格鉴定管理有关问题的通知（津医保局发〔2019〕27号）.
http://ylbz.tj.gov.cn/xxgk/zcfg/ybjwj/202010/t20201022_3993962.html
 17. 天津政务网.(2019).天津市人民政府关于完善职工大额医疗费救助制度意见的批复.
http://hzjl.tj.gov.cn/ZWGK2985/ZFGZ9053/ZCWJ1564/hezjlbzwcwjnew/202011/t20201112_4067929.html
 18. 天津政务网.(2019).市医疗保障局等十一部门关于印发实施城乡居民基本医疗保险的若干意见的通知（津医保规字〔2019〕4号）.
http://ylbz.tj.gov.cn/xxgk/zcfg/ybjwj/202010/t20201022_3993969.html
 19. 宁波市医疗保障局.(2020).宁波市区职工医疗保险政策问答(2020年度版).
http://ybj.ningbo.gov.cn/art/2020/12/11/art_1229143683_58724452.html
 20. 宁波市医疗保障局.(2020).宁波市区城乡居民基本医疗保险参保人员就医结算问答（适用于2021年度）.
http://ybj.ningbo.gov.cn/art/2020/12/11/art_1229143683_58724453.html
 21. 中国宁波网.(2019).宁波市慈善总会:对血友病患者医药费补助比例将提升到20%. <http://www.cnnb.com.cn/xinwen/system/2019/04/20/030045174.shtml>
 22. 长沙市医疗保障局.(2019).关于完善我市基本医疗保险特殊病种门诊政策的通知（长医保发〔2019〕67号）.
http://ybj.changsha.gov.cn/xxgk/xxgkml/xzsf_1/202001/t20200108_6434992.html
 23. 张抒扬 & 董咚.(2019).血友病患者综合社会调查报告. 中国罕见病联盟.
 24. 艾昆纬中国.(2020).中国乙型血友病患者生存状况及医疗保障需求调研报告.
 25. 王旭,贺小宁 & 吴晶.(2020).我国基本医疗保险报销政策对成人血友病A患者治疗水平与费用的影响. 中华医院管理杂志(06),485-489.
 26. 董朝晖,陈斌斌 & 李中齐.(2018).血友病医疗保障和管理分析——基于深圳市的经验. 中国医疗保险(01),32-35.
 27. Li, C., Zhang, X., Zhao, Y., Wu, R., Hu, Q., Xu, W., ... & Hou, Q. (2017). Long-term efficacy and safety of prophylaxis with recombinant factor VIII in Chinese pediatric patients with hemophilia A: a multi-center, retrospective, non-interventional, phase IV (ReCARE) study. *Current medical research and opinion*, 33(7), 1223-1230.
 28. 杨仁池.(2017).血友病诊断与治疗中国专家共识(2017年版). 中华血液学杂志(05),364-370.
 29. Luo, N., Liu, G., Li, M., Guan, H., Jin, X., & Rand-Hendriksen, K. (2017). Estimating an EQ-5D-5L value set for China. *Value in Health*, 20(4), 662-669.

-
30. 周挺,官海静,刘国恩 & 马爱霞.(2016).中国普通人群生命质量系统综述. 中国卫生事业管理(08),621-623+630.
 31. 周挺,官海静,刘国恩 & 马爱霞.(2016).基于 EQ-5D 量表的中国疾病人群生命质量系统评价. 中国循证医学杂志(02),135-142.
 32. 刘能 & 李如意.(2015).血友病人生存状况调查报告:成人和儿童. 北京血友之家罕见病关爱中心.
 33. 中国政府网.(2021).城镇调查失业率下降,就业形势总体稳定.
http://www.gov.cn/xinwen/2021-04/16/content_5600052.htm
 34. 湖北省人民政府门户网站.(2013).湖北血友病患者医用凝血八因子九因子可报销.
http://www.hubei.gov.cn/zwgk/zdlyxxgk/ylxx/201304/t20130415_443130.shtml
 35. 华中科技大学同济医学院附属协和医院.(2009).中南首家血友病诊疗中心落户协和. <http://www.whuh.com/wap/articles/view/id/431.html>
 36. 华中科技大学同济医学院附属协和医院.(2021). 同济医院举办血友病儿童家庭治疗和护理知识讲座.
https://www.tjh.com.cn/TjhNews/20210325_44853.html
 37. 曲艳吉,殷环,庞元捷,聂晓璐,董鹏 & 詹思延.(2013).中国大陆血友病患者治疗现状和经济负担的系统评价. 中国循证医学杂志(02),182-189.