

**威海市医疗保障局**  
**威海市财政局**  
**威海市卫生健康委员会**  
**关于做好戈谢病等 3 种罕见病医疗保障**  
**工作的通知**

各区市医疗保障局、财政局、卫生健康委员会，国家级开发区科技创新局、财政局、卫生健康事业管理办公室，南海新区党群与人力资源部、财政局、公共服务局：

根据省医保局省财政厅省卫健委《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》（鲁医保发〔2020〕84号）、省医保中心《关于落实我省大病保险罕见病特效药品待遇支付有关问题的通知》和市医保局市财政局市卫健委《关于进一步完善大病保险制度的意见》（威医保发〔2020〕2号）等规定，现就做好我市戈谢病、庞贝氏病、法布雷病 3 种罕见病医疗保障工作的有关问题通知如下：

**一、保障对象和范围**

同时符合下列条件的患者，使用省统一规定的特效药品（详见附件 1）费用纳入保障范围：

（一）所患疾病是由省里统一指定的山东省立医院、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、聊城市人民医院其中 1 所医院确诊，并由责任医师按规定填写《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》）的；

（二）首次确诊时，已参加威海市基本医疗保险并取得山东省户籍满 5 年的（如本人不满 5 周岁，其生父母一方需取得山东省户籍满 5 年）；

（三）确诊后，凭《登记表》在省里统一规定的 6 家定点医院诊断医院和威海市立医院由指定的责任医师进行定点治疗的。其中，威海市立医院责任医师为神经内科孙海荣、儿科张华兰。

## **二、保障待遇**

对患者使用的特效药品费用实行多重保障：

（一）大病保险。实行单独的支付政策，单独列支费用。起付标准 2 万元，2 万元（含）以上、40 万元以下的部分给予 80%补偿，40 万元（含）以上的部分给予 85%补偿，一个医疗年度内每人最高给予 90 万元补偿。其中特效药品的医保支付标准按省医保中心与药品生产企业谈判的价格执行。

（二）药品生产企业援助。对患者经大病保险报销后剩余的药品费用，由药品生产企业按与省医保中心的谈判协议约定实施援助。

（三）医疗救助。患者的药品费用经大病保险报销和药品生产企业援助后剩余的部分，符合医疗救助条件的，由医疗保障部门给予医疗救助。

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

## **三、管理服务**

（一）患者确诊后，本人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材料到市医保经办机构登记备案，备案后方可按规定享受医保报销等待遇。其中，《登记表》有效期1年，患者在《登记表》有效期满后需继续治疗的，应提前办理再次诊断登记。未按时诊断登记或诊断不符合条件的，不再享受相应医疗保障待遇。

参保患者一个医疗年度内须按责任医师处方固定使用药物，不得无故换药，对无故换药的，停止享受援助方案优惠政策。

（二）威海市立医院要及时配备特效药品，保障药品供应使用。所需药品由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医院。医院配备的特效药品费用不纳入年度医保总额指标，不计入药占比及相关指标考核范围。

（三）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。要严格执行参保患者药物固定使用规定，对无故换药的，取消该疾病定点责任医师资格。患者凭病历在医院配取药品，当场接受药品输注服务，不得转他人使用，临床护士要在患者病历详细记录输注情况。

（四）市医疗保险事业中心要抓紧开发信息系统，及时做好患者的费用审核报销，积极推进各项待遇的“一站式”联网结算，切实减轻患者的垫资和事务性负担；要将3种罕见病医疗保障服务纳入与威海市立医院签订的服务协议，明

确双方的权利、责任和义务等，并加强协议履行情况的检查，确保其为患者提供优质高效的服务。

#### 四、保障措施

各区市医保、财政、卫健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。医疗保障部门要做好组织协调、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。

本通知自 2021 年 1 月 1 日起执行。今后遇国家或省出台新的罕见病用药保障政策，按新政策执行。

附件：1. 治疗 3 种罕见病的特效药品名单

2. 山东省戈谢病、庞贝氏病、法布雷病参保患者  
诊断登记表

威海市医疗保障局

威海市财政局

威海市卫生健康委员会

2021 年 3 月 24 日

（此件主动公开）

# 附件 1

## 治疗 3 种罕见病的特效药品名单

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  <div style="text-align: right;">年   月   日</div>		医保办意见  <div style="text-align: right;">年   月   日</div>	
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、威海市立医院、市医保中心、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。