《北京市推动罕见病药品保障先行区建设工作实施方案（试行）（征求意见稿）》

起草说明

一、起草背景

近年来，国家高度重视罕见病患者群体，着力加强罕见病研究和用药保障。为进一步完善药品供应保障能力，满足人民群众特定临床急需用药需求，2022年6月23日国家药监局和国家卫生健康委联合发布了《临床急需药品临时进口工作方案》和《氯巴占临时进口工作方案》。2023年11月18日，国务院下发《国务院关于〈支持北京深化国家服务业扩大开放综合示范区建设工作方案〉的批复》（国函〔2023〕130号），提出“支持在北京天竺综合保税区建立罕见病药品保障先行区，探索进口未在国内注册上市的罕见病药品，由特定医疗机构指导药品使用”。

为认真贯彻落实国务院批复精神，坚持以人民为中心的发展思想，探索建立罕见病临床急需药品临时进口便利化保障通道，更好服务罕见病临床用药需求，进一步推动在北京天竺综合保税区建立罕见病药品保障先行区工作落地见效，北京市药品监督管理（以下简称北京市药监局）牵头起草了《北京市推动罕见病药品保障先行区建设工作实施方案（试行）（征求意见稿）》（以下简称《实施方案》）。

二、起草过程

围绕《实施方案》研究制定，结合专题研讨以及调研工作，北京市药监局、北京市卫生健康管理委员会（以下简称北京市卫生健康委）、北京市医疗保障局（以下简称北京市医保局）、北京海关、北京天竺综合保税区管委会等部门进行了多轮会商和研究。在此基础上，北京市药监局组织起草形成《实施方案》草案，并征求了北京市卫生健康委、北京市医保局、北京海关、北京天竺综合保税区管委会、顺义区政府等意见建议。同时，北京市药监局会同北京市卫生健康委对接国家卫生健康委员会、国家药品监督管理局相关司局，征求国家相关部门意见建议。根据各相关部门反馈意见修改完善后，形成《实施方案》公开征求意见稿。

三、制定思路和主要内容

（一）制定思路

**一是**坚持服务临床，聚焦北京市医疗机构罕见病诊疗需求，持续提升罕见病药品供应的进口效率和可持续性。**二是**坚持闭环管理，积极借助信息化手段，实现全程溯源。**三是**坚持稳步推进，《实施方案》设定2年的试行期限，将根据工作开展情况及时总结完善优化，在试点的基础上有序推进。

拟通过该《实施方案》探索多方联动、高效便捷、闭环管理、全程可溯的罕见病药品保障“北京模式”，为全面深入开展罕见病药品保障先行区建设提供有力支撑。

（二）主要内容

《实施方案》正文共包括总体要求、建设任务和保障措施三个部分。

第一部分：总体要求。明确了工作的指导思想、基本原则和工作目标。

第二部分：建设任务。共提出6个方面主要建设任务。一是建立涵盖罕见病临床急需药品临时进口、流通、使用全过程的“白名单”制度，推动由“人等药”向“药等人”的转变。二是建立提前评估工作机制，市卫生健康委在国家卫生健康委的指导下开展提前评估。三是建立“保税备货”供应保障制度，保障罕见病患者用药的连续性。四是优化“一次通关多次出区使用”进口程序，将一次办理《进口药品通关单》的罕见病临床急需药品多次出区使用。五是建立全流程追溯体系，实现罕见病临床急需药品全过程追溯。六是加强事中事后监管，各单位依职责加强罕见病临床急需药品全流程监督管理，形成闭环管理。

第三部分：保障措施。一是加强组织领导，强化统筹协调，建立联席工作机制，促进部门联动、形成工作合力。二是明确各方责任，严格知情同意，医疗机构、药品进口企业依法对进口药品承担风险责任，在用药前应取得书面知情同意。三是规范诊疗行为，加强使用管理，明确医疗机构、市卫生健康委、市药监局在临床使用环节的管理要求。四是引导社会参与，拓宽保障渠道，探索采取普惠健康险等方式减轻患者用药负担。五是鼓励创新研发，支持产业发展，探索在北京天竺综合保税区打造罕见病医药成果转化示范基地，支持境外罕见病药品在京注册上市。六是强化宣传力度，共筑健康保障，做好罕见病药品保障先行区建设宣传工作。