

这款“救命药”降价进医保

湖南患儿妈妈奔走相告：幸好我们没放弃

今日女报 / 凤凰网记者 欧阳婷

“以前我根本不敢想这么远，可现在，我开始憧憬我的孩子也可以像正常小朋友一样，健健康康地成长。”12月18日，望着躺在窗边晒太阳的女儿甜甜，黄丽告诉记者，自从得知脊髓性肌萎缩症（以下简称SMA）的特效药诺西那生钠注射液被纳入医保并降价后，她就开始幻想着孩子以后的生活。

近日，曾经70万元一针的“天价”罕见病药物——诺西那生钠注射液进入2021年国家医保药品目录的砍价过程上了热搜，在网友感叹国家强大的同时，黄丽却除了感叹，还有惊喜：作为SMA患儿的家长，她曾经一度“望药兴叹”，如今，她终于可以“努努力就能够让孩子接受治疗了”。

和黄丽一样，湖南省内所有的SMA患儿家庭都沸腾了，纷纷把让孩子接受注射治疗提上日程。为此，今日女报/凤凰网记者走近这些患者家庭，听他们讲述孩子患病以来的痛苦和迷惘，也感受他们如今的喜悦和希望。



一一在机械的帮助下，一边练习站立，一边使用咳嗽机。

悲 确诊 SMA 后的迷茫与绝望

妈妈黄丽和女儿甜甜的故事早在2018年7月20日刊出的《今日女报》上就报道过，当时，甜甜已经被确诊为1型SMA，由于药物过于昂贵，治疗对于黄丽和甜甜来说，是一件无法企及却异常渴盼的事情。

黄丽依旧清晰地记得，甜甜四个月大的时候，黄丽带着她回了一趟老家，当时，甜甜还可以自己抬头、翻身，但是等半个月后再回到长沙，甜甜却趴着不抬头，也不会翻身了。担心孩子有问题的黄丽赶紧把甜甜送到了省内某三甲医院。

最开始，甜甜被诊断为“发育迟缓”，几个月的康复训练也让甜甜的情况有好转的迹象；但在一位老教授的建议下，黄丽再次带着甜甜

到医院，进行了基因检查，这一次，甜甜被诊断为脊髓性肌萎缩症，而且是情况最为严重的1型，“很多1型SMA的孩子还没来得及救治就夭折了”。

当甜甜的诊断结果出来后，“医生就说了三句话，这就是脊髓性肌萎缩症，孩子活不过两岁了，带回去好好养着吧。”这三句话深深地刻在黄丽的脑海里。

等意识到医生话里的意思，黄丽直接在诊室里大哭了起来，“整个人是崩溃绝望的”。

为了延长女儿的生命，黄丽开始上网搜集各种相关资料，得知了美国有一种针对SMA的特效药，这个结果让她又喜又悲，喜的是孩子的病终于有药可治，悲的是当时这个

药价格昂贵，一年的价格需要75万美元，且只在欧美国家有售。

和黄丽有着同样感受的还有一一的妈妈。一一是一株洲人，在她九个月大的时候，妈妈曹星发现，一一还不会爬行，就连坐着也需要依靠双手支撑。为此，曹星赶紧把一一送到长沙检查，“一开始，医生还以为是遗传代谢方面的疾病”，经过周密的检查，2016年，1岁多的一一被确诊为2型SMA。

“这是我闻所未闻的一个病。”从医院回来后，“脑中一片空白”的曹星一边上网搜索所有能找到的资料，一边咨询自己相熟的医生朋友，但和黄丽了解到的一样，诺西那生钠只在欧美国家销售，国内没有有效的药物可以治疗一一的疾病。

喜 药品降价让健康成长成为可能

甜甜是省内为数不多的接受了诺西那生钠注射的SMA患儿，从今年7月份开始，甜甜已经打了4针了，但据黄丽观察，甜甜的病情依旧没有改善，“只能说病情没有进一步严重”。

“患儿越早接受治疗，效果越好。”吴丽文表示，但很遗憾的是，由于诺西那生钠实在过于昂贵，不少家长只能“望药兴叹”。

12月18日，今日女报/凤凰网记者来到黄丽位于长沙市雨花区一小区内的出租房，甜甜正躺在沙发上专门购置的椅子上，已经4岁半的她看起来却只有两岁，因为生病的原因，脊柱已经开始侧弯，四肢也已经变形，十分瘦弱无力，牙齿也已经脱落，照顾她的外婆每天都会做甜甜最喜欢的擂茶，“她每次都可以吃一小茶杯”。

因为黄丽把大部分的精力都花在了女儿身上，黄丽的丈夫提出了离婚，并带着健康的大儿子离开了长沙。黄丽没有时间悲伤，为了能够为女儿攒医药费，她在经营一家服装店的同时，又在一家餐厅工作。此前，因为媒体的关注，黄丽筹得了总计80万元的款项，这才让她可以带孩子接受诺西那生钠的治疗。

2021年初，诺西那生钠又一次降价，从70万元一针附带赠药变成了55万元一针附带赠药，而在家长们的翘首以待中，到了12月，国家医保局目录药品谈判的“灵魂”砍价，让诺西那生钠降到了一针3.3万元以下，这个消息一下子让微信群中的家长沸腾起来了！

这个消息传来得太及时，由于没有后续的治疗费用，等用完社会人士捐赠的善款后，黄丽原本将可能无奈地选择让甜甜停止用药。

“以前我从来不想那么远。”药品降价的消息传来，黄丽百感交集，“我现在要努力赚钱，让甜甜能够一直接受治疗，我开始憧憬她会像正常小朋友一样。”

陶焯和微信群里的群友们提前算过一笔账，诺西那生钠扣除医保承担的部分，再扣除省内惠民保报销的一部分，等诺西那生钠落地的时候，估计一针只需要两万元左右。

“国家没有放弃我们。”如今，一一在运动干预的情况下，不仅可以独自坐着，还可以借助机械站起来，曹星开始计划着，等到具体的医保政策出台后，她就要马上带着一一接受注射治疗。

“希望可以趁着药品降价的新闻，让大家更加了解SMA。”曹星告诉记者，等一一身体好转，她希望能够送一一到学校里去，回归正常的社会生活。此前，因为身体原因，一一只能在家里自学。

（文中所有患者及家长姓名皆为化名）

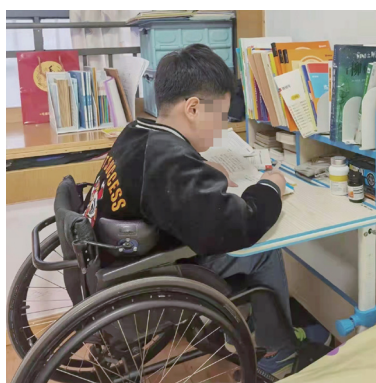
暖 尽力救治的同时也充满希望

“医生当时和我们说，不要白费力气，但我们想着，不管治不治，一定要进行运动康复，让孩子情况不要恶化。”回想起当初的决定，曹星直言，自己“在等一个奇迹”。

为了救一一，原本在职场有着大好前景的曹星把重点放到了家庭，从2017年年初开始，每个工作日，曹星都会请三个小时的假，开车带着一一从株洲出发，在下午四点前赶到长沙，到医院接受专业康复师的理疗。从株洲到长沙这段路，曹星走了将近两年。

“一一确诊后，我是逃避的。”曹星告诉记者，她从来不会向周围人主动谈论起女儿的身体情况，就连面对康复师的疑惑，她也只是告诉对方，一一是一运动方面的障碍。这种情况一直持续到2018年底，一一因为生病住进了ICU。

为了女儿能够渡过难关，曹星开始在网上搜索，寻求帮助，在这过程中，她找到了一个专门针对SMA患者的公益服务团体——“美儿”，在“美儿”机构中，曹星第一次向外人谈论起一一的病情，并和对方分享护理的经验，同样在“美儿”机构中，她认识了来自湖南的另一位SMA患儿家长，陶焯。



由于身体原因，航航中午从学校回来后，下午在家自学，还有不少患有SMA的小朋友只能选择在家学习。

被确诊为SMA，为了救儿子，陶焯在网上搜到了“美儿”机构，加入了他们的QQ群。后来在一次线下见面中，陶焯又认识了两位来自益阳的患儿家长。2013年，抱着“抱团取暖”的想法，陶焯建立了省内SMA患儿家长群，在群里分享各种最新的关于SMA的消息，“最开始，群里面只有七八个家长”，可到现在，微信群里已经有了172个人，“这里起码有100多个家庭”。

2019年，陶焯和曹星等人欣喜地得知，诺西那生钠进入中国市场了！可随之公布的价格却让众人望之却步，“一针注射药虽然会带有赠药，但也要140万元”。

一年多后，诺西那生钠的价格降下来了，却依旧要70万元，这对很多患儿家庭依旧是一个沉重的负担。

湖南省儿童医院神经内科副主任医师吴丽文介绍，因为诺西那生钠需要终生用药，SMA患者在接受诺西那生钠注射的第一年需要注射6针，往后每年都需要注射3针。

吴丽文研究了十余年的SMA，她告诉记者，诺西那生钠是目前国内治疗SMA相对便宜的药品，但并不是特效药，诺西那生钠只能让患儿尽可能地好转，而湖南省儿童医院是省内为数不多的能够注射诺西那生钠药物的医院，诺西那生钠在国内上市以来，在省儿童医院接受注射的患者只有10例左右，“还有不少患者是从省外过来的”。

“SMA是罕见病中的不罕见”，为了推动诺西那生钠进入医保目录药品，大家也开始努力着：2019年，陶焯曾多次组织大家整理资料，向省医保局、卫健委、省妇联等部门求助，希望湖南省能够将诺西那生钠纳入地方性医保的范畴；黄丽在社区中普及SMA，让更多的人了解这个疾病；曹星则向身边正在备孕或已经怀孕的小夫妻科普产前检查的必要性……