

规模化思维议题网络出品

案例 | 罕见病发展中心 联合多方推动议题的策略经验

2019年12月



本文背景

出品机构：“规模化思维”议题网络

“规模化思维——资助机构如何推动影响力规模化”议题网络，由南都公益基金会、深圳壹基金公益基金会与资助者圆桌论坛（CDR）共同发起，旨在发现并研讨资助机构和社会组织在影响力规模化过程中的关键问题和初步经验，推动感兴趣的资助机构建立影响力规模化思维，找到实现大范围、可持续社会变化的路径。

本期案例：罕见病发展中心

罕见病发展中心（以下简称“CORD”）是一家专注于罕见病领域的非营利性组织，由黄如方先生于2013年发起成立。中心致力于增进罕见病患者群体、罕见病组织、医学专业人员、医药企业和政府部门等各相关方的交流与合作，加强社会公众对罕见病的了解，提高患者的罕见病药物的可及性，推动罕见病相关政策出台，开展罕见病领域国际交流合作，促进中国罕见病事业发展。关于CORD更多信息可登陆官网<http://www.cord.org.cn>。

本文目录

- 经CORD团队许可，我们将罕见病领域中，患者组织以及CORD进行议题推动的主要策略和经验简要梳理，供公益同行交流。案例主要内容包括：
 - 了解罕见病及中国罕见病领域的问题
 - 患者组织如何推动罕见病领域问题解决：美国案例与本土行动
 - CORD的行动策略
 - 打造罕见病领域最权威的信息平台
 - 支持罕见病患者组织
 - 行业研究与政策倡导
 - 以政策倡导为核心目标的公众宣传
 - 讨论：
 - CORD为何及如何“出（公益）圈”，选择与科研、医疗机构、医药企业或政府互动合作？
 - 基金会如何更好的支持专业社会组织，推动议题发展？

1. 了解罕见病：关于罕见病的几个数据

- ❑ 迄今全球共发现7000余种罕见病种类；
- ❑ 全球受罕见病影响的人数超过3亿；
- ❑ 其中80%基因致病，具有遗传性；
- ❑ 罕见病平均确诊时间为5年；
- ❑ 全球已上市治疗罕见病的药品600余种；
- ❑ 仅有不到10%的病种有药可医，这其中能够最终获得治疗的患者不到1/3。

1. 了解罕见病：罕见病认知的几个维度

社会视角：

不仅仅是医学问题，还是经济学问题、社会治理问题

时间维度的相对视角：

随着技术发展和时间推移，罕见病会被越来越多的诊断、发现

福利视角：

相关政策的出台是根本，以保障少数人的利益；在政策前提下给予一定市场激励

人类命运共同体：

从病因和概率的角度讲，罕见病与每个人息息相关，是人类进化中的不良基因突变

2. 中国罕见病领域的问题

1. 医疗：

- **罕见病诊断、研究、治疗水平低**：罕见病诊断难、误诊率高；科研投入和研究成果少；缺乏治疗方案或者有经验实施治疗方案的医生；
- **药物可及性程度低**：缺乏自主研发的国产药物；由于关税高、专利保护力度低，进口药难进入者中国；药品的储存、运输等条件差（药品的“最后一公里”问题难解决）；治疗费用及药物费用缺乏对应的医保政策，患者家庭难以支付等。

2. 政策：

- **社会保障政策缺失**：2019年3月国家医保局公布新版医保目录，首次提出罕见病等重大疾病治疗用药将获国家医保新药品目录优先考虑。

3. 社会：

- **病友家庭缺乏社会援助和社会支持**：缺乏资金、照料服务、家庭心理支持等；大多患者家庭因病致贫；
- 罕见病患者在教育、就业、婚恋层面面临普遍的**排斥和歧视**；
- **社会宣传和公众对罕见病的认知不足。**

3. 患者组织如何推动罕见病问题解决

- ❑ 罕见病患者组织是指，由罕见病病友或家属发起成立，代表患者整体利益，整合多方资源，为患者家庭提供服务的非营利组织。
- ❑ 患者组织不是问题的直接解决者，但可以在议题中扮演重要角色，发现、分析社会问题并推动相关方参与和解决问题。

分析和发现
社会问题

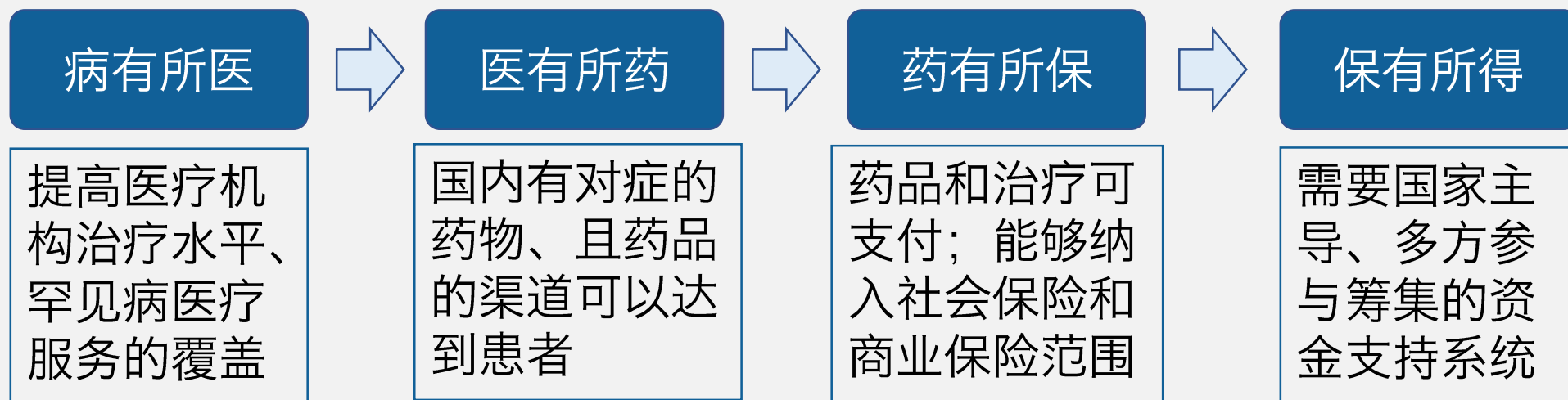
&

推动相关方
参与和解决问题

3.1 分析和发现社会问题

- 中国罕见病患者无药可医或望药兴叹是普遍现象，药物医疗的可及性非常低。没有治疗，病人就谈不上更多的社会价值与理想。所以，对患者而言，获得**最基本治疗权益**，是实现人生其他价值的基石。

罕见病基本治疗权益，如何得到保障？



链条上的问题逐个击破，需要影响的关键利益相关方包括**医疗机构/科研机构、药企、政策制定者**等，以此来制定工作策略。

3.2.1 推动相关方参与和解决问题

- 以美国患者组织参与药品研发全过程为例

□ 从国际经验来看，患者组织可以有效的扮演**政府、医药企业与罕见病患者之间的桥梁作用**，链接并推动相关方参与问题解决。以美国患者组织在药品研发全过程中的作用为例：

药物早期研发	• 向患者及相关群体宣传早期研发的背景和成果 • 患者注册并收集早期研发的原始数据（治疗需求、疾病进程和新药靶点等） • 通过宣传和资源整合，推动药品研发项目启动
药物临床研究	• 为临床研究提供患者疾病负担数据，协助了解疾病对患者生活质量的影响 • 协助设计临床试验重点 • 评估治疗方案为患者带来的风险收益
药物注册审批	• 患者参与药物申报审批已入法 • 可成为患者代表进入FDA专家顾问委员会或直接向FDA提建议
药物上市后的安全监控	• 通过官方或第三方医疗产品监控平台来反馈用药反应等信息
疾病诊断	• 通过宣传倡导促进罕见病诊断知识的公众普及 • 面向医疗机构、医生、学术界进行罕见病诊疗培训 • 患者赋能，让患者具备主动寻求罕见病确诊的能力

3.2.2 推动相关方参与和解决问题

- 中国本土患者组织行动

□ 在中国，罕见病患者组织的工作更多聚焦在个案救助、信息服务、医患教育和心理疏导、社会倡导等方面，在患者治疗权益链条上的干预屈指可数。但近年来，越来越多的患者社群有机会了解和学习国际患者组织行动的先进经验，在药物研发、注册审批、医保政策推动方面取得了积极成效。例如：

- **临床前阶段**：参与疾病自然史的数据收集，探索疾病的发病机制和最迫切的临床需求，为后续可能的临床研究提供宝贵的资源和线索；
- **临床阶段**：协助临床试验的设计/修正和实施；
- **注册审批阶段**：患者组织的意见和参与成为监管部门的决策参考；
- **药品上市后**：推进医保覆盖，提高药品的可支付性（例如“联爱工程”进行白血病相关的政策参与工作，可参考CDR案例《“联爱工程”政策推动的实践与思考》 <https://mp.weixin.qq.com/s/hgxxIEkP5kgzrxj-WdDy0Q>）
- **临床试验和药品研发观念的普及**：在宣教疾病本身的症状体征、诊断、治疗、治理等基本知识的同时，更多的普及临床研究的概念、意义，使患者更加客观的看待临床试验，理性决定是否参与。

4. CORD的行动策略

医疗 / 科研机构:

- 医患教育
- 医学研讨会
- 临床研究
- 专病门诊/诊疗中心

患者组织:

- 自身作为患者组织，推动相关方合作解决问题，成为国内罕见病议题的专业引领者；
- 为其它患者组织提供孵化、能力建设、小额资助等赋能服务。

以患者
为中心

医药企业:

- 合作推动罕见病宣传科普
- 合作推动罕见病诊疗
- 合作推动政策倡导和提高患者药物可及性

政策制定者:

- 国家卫生健康委员会
- 国家药品监督管理局
- 国家医疗保障局
- 国家民政局

4.1 打造中国罕见病领域最权威的信息平台

- 通过网站、微信公众号及微博三方联动，搭建中国罕见病领域最权威信息平台。为相关方提供国内外罕见病医学、孤儿药、研究、患者组织活动、政策等领域最新权威信息，为罕见病患者和家属、医学专业人士、政策制定者、生物和医药企业提供最全面的罕见病信息资讯，同时建设**罕见病百科**、**罕见病患者信息登记系统**和**医疗地图**三大核心数据库。

罕见病信息网：www.raredisease.cn

微信公众号/微博：罕见病信息网

4.2 支持罕见病患者组织

- ❑ CORD不直接进行病友及其家庭的个案救助，通过为单病种病友组织提供孵化、能力建设、小额资助的形式，间接支持病友家庭。
- ❑ 过去8年来，累计支持患者组织近90家，涵盖罕见病种70余种，联系患者人数超过5万人，累计资助额500余万元。

患者组织支持策略

培育/孵化

- 从无到有
- 组织架构搭建
- 人、组织、使命和目标
- 协作办公



能力建设

- 病友服务能力
- 传播与倡导
- 志愿者管理
- 筹资和财务管理



小额资助

- 行政资助(5万以下)
- 项目资助（10万以下）
- 常年开放申请

4.3 行业研究与政策倡导

- ❑ CORD在中国罕见病领域的行动，以政策倡导为核心目标。通过行业研究、递交政策建议函、参与和举办行业会议三个策略，影响政策，旨在从根本上解决罕见病问题链条上的关键挑战。

发起 行业研究

以成为行业智库为目标，研究课题包括中国罕见病群体现状、医保负担、国外药品市场、国外研究报告的翻译等。已发布多份重磅研究报告，得到医疗行业广泛认可，提高行业研究水平。例如：

- 《民间罕见病目录》，促成了国家在2018年出台第一批罕见病目录
- 《中国罕见病药物可及性报告（2019）》
- 《患者社群组织如何推动药物研发：全球经验》

递交 政策建议函

向中央和地方卫生健康、药监局、医保局等部门递交建议函，推进罕见病药品注册及纳入医保等相关事宜。

参与和举办 行业会议

参与和举办国内外行业论坛、研讨会，搭建行业对话的平台，影响领域内关键相关方和政策制定者。例如：

- 中国罕见病高峰论坛：截至2019年已举办8届，已成为中国罕见病领域规模最大的行业论坛，参与者覆盖患者家庭、媒体、药企、医生及政府部门；正在向专业化、国际化发展。

4.4 以政策倡导为核心目标的公众宣传

- ❑ 作为国际罕见病日全球推广伙伴，CORD从2012年开始提出了“改变从了解开始”的社会动员计划，多年的倡导活动让罕见病从“鲜为人知”到渐渐“广为人知”，推动数千万人次关注及参与罕见病这个议题。
- ❑ 从长期来看，CORD面向公众的倡导内容，从早期的知识科普、到社会议题建立、再到政策信息的宣传和倡导方向，逐渐深入和专业化，并以政策倡导为最终核心目标。

CORD公众宣传教育方向的发展

科普宣传

2012-2016年：侧重科普宣传，让公众了解“罕见病”。



社会议题

2016-2019年：侧重社会议题的建立。宣传罕见病患者及其家庭面临的挑战及解决路径等。



政策倡导

2020年以后：侧重政策层面的宣传。解决罕见病患者及其家庭的问题需要哪些政策改变。

4.4 以政策倡导为核心目标的公众宣传： 以2019国际罕见病日为例

- ❑ 2019年2月28日，CORD联合消除罕见病患儿诊断壁垒全球委员会（The Global Commission，“全球委员会”）、IQVIA 艾昆纬中国（全球顶尖医疗健康咨询公司）、CM公益以及各类罕见病患者组织、医院、药企在全国举办宣传倡导活动。同时，CORD也利用今年的罕见病倡导活动举办多个研究报告发布和相关研讨会，进一步强调研究与政策影响的重要作用。

研究报告发布：

- 《消除罕见病患儿诊断壁垒调查结果和建议报告》：由全球委员会发布，报告总结了罕见病在诊断方面存在的主要障碍，并提出了克服这些障碍的可行建议，为全球罕见病诊断提供“行动路线图”。
- 《中国罕见病药物可及性报告（2019）》：由CORD联合IQVIA 艾昆纬中国共同发布，在罕见病患者治疗可及、可负担性方面为政府和行业提出了5年内切实可行的十大建议。
- 《国家首批罕见病名录对应药物梳理报告》：针对2018年国家发布的首批罕见病目录中的121个病种，梳理了对应的全球（美国、欧盟及日本）治疗药物以及全球销售额和国内上市情况。

政策研讨：

- 互联网及新技术在罕见病诊疗中的应用：分享行业中运用互联网、人工智能、大数据等新技术在医疗行业中的真实案例。
- 中国罕见病药物可及性：配合可及性报告的发布，邀请各类专家，紧扣研究报告的研究思路、政策观点展开充分的讨论，以期为行业提供政策发展的切实建议。

5. 讨论：CORD为何及如何“出（公益）圈”，选择与科研、医疗机构、医药企业或政府互动合作？

- ❑ 治疗可及、可支付，是实现其生命价值的最根本需求。从问题出发，系统的分析问题链是第一步，并由此来制定行动策略。
- ❑ CORD作为患者组织，不是问题的直接解决者，可以在议题领域中扮演“发现问题、推动相关方参与和解决问题的关键桥梁”的角色。
- ❑ 由此，为了更有效的解决根本性问题，CORD选择了“出圈”——“解决问题的关键环节在哪里？我们要搞定谁？”——通过影响科研、医疗机构、医药企业、政府相关部门，解决患者及其家庭的最根本需求。
- ❑ 出圈，要在心态上“放下公益机构的道德光环”，在实践上对标专业标准和行业规则，了解不同利益相关方的诉求，才有可能达到预期目标。
- ❑ 出圈，不意味价值观的妥协。以患者利益为核心，是一切行动的最基本原则。

5. 讨论： 基金会如何更好的支持专业社会组织，推动议题发展？

根据不同的定位和核心目标，资助可以分为：资助项目、资助人/组织成长、资助议题三大类。

- 议题型资助中，基金会与资助伙伴不仅是资助契约的甲乙双方关系，更是**议题立场和行动上的价值共同体**。
- **议题型资助需要有系统性视角，长期、多维度、大额的资助投入。**以CORD为例，目前，CORD的收入60%来自企业，20%来自公众捐赠，仅约1/6来自基金会。CORD在罕见病在专业领域内取得了阶段性成果，但**作为议题领域的专业机构，依然面临资金和人力的短缺**。
- 组织的专业化发展，离不开对人和事更加深度的支持。包括：提供更多的非限定支持，让组织有空间进行战略性的布局 and 选择；给到更多的耐心和时间，让团队学习和成长。**团队和组织的可持续发展，才能更好的支撑专业社会组织在议题领域创造更大的影响力。**



资助者圆桌论坛（CDR）

CDR是面向中国资助者的技术支持平台，其使命是“服务中国资助者，探索有效公益，推动社会问题解决”。

cdr4impact.org.cn

版权声明：本报告版权归罕见病发展中心及CDR共同所有，如引用本报告内容，请注明出处。