

· 学术探讨 · 罕见病 ·

# 罕见病治疗筹资机制优化路径的理论初探\*

许滋靖\*

华北理工大学经济管理学院(河北 唐山 063210)

【摘要】筹资机制作为罕见病治疗医疗保障的重要组成部分，其稳定性和可持续性对于罕见病治疗服务医疗保障的高效稳健运行有着重要意义。为了对罕见病治疗筹资机制进行深入研究探讨，本文在总结公平理论、新结构经济学理论和机制设计理论，依照罕见病治疗筹资整体流程对筹资机制整体逻辑体系与关键环节进行辨析，并在此基础上提出我国罕见病治疗筹资机制优化的政策建议。

【关键词】罕见病；治疗服务；筹资机制；机制设计

【中图分类号】R+012

【文献标识码】A

【基金项目】河北省教育厅2023年省级在读研究生创新能力培养资助项目《基于机器学习算法的罕见病诊疗数据挖掘及费用预测》(CXZZSS2023071)

DOI:10.3969/j.issn.1009-3257.2025.12.001

## Theoretical Study on the Optimization of Financing Mechanism for Rare Diseases\*

XU Zi-jing\*

School of Economics and Management, North China University of Science and Technology, Tangshan 063210, Hebei Province, China

**Abstract:** As an important part of the medical guarantee for the treatment of rare diseases, the stability and sustainability of the financing mechanism are of great significance for the efficient and stable operation of the medical guarantee for the treatment of rare diseases. In order to study the rare disease treatment raising mechanism, this paper summarizes the fair theory, the new structural economics theory and mechanism design theory, in accordance with the overall process of financing mechanism of the overall logic system and key links, and on the basis of the rare disease treatment financing mechanism optimization policy Suggestions.

**Keywords:** Rare Diseases; Treatment; Financing Mechanism; Mechanism Design

### 1 罕见病的界定标准

罕见病(rare disease, RD), 又被称为“孤儿病”，通常指发病率与患病率均显著低于常见疾病的病种集合，普遍具有临床表现多样、致病因素复杂、治疗成本高昂及药物可及性不足等特征，界定主要依据单病种发病率或患病率或患病人数。单病种疾病罕见稀有的特质，致使此类疾病缺乏有效的治疗方法，医疗费用给家庭和社会带来极大负担<sup>[1]</sup>。由于各国在人口特征、社会发展水平等方面存在差异，相关的流行病学数据往往缺乏一致性，因此在国际上尚未形成统一的罕见病定义标准<sup>[2]</sup>。

我国罕见病管理工作处于建设初期，规模化体系化的罕见病流行病学调研及病例注册登记数据相对缺乏<sup>[3]</sup>。2018年5月，国家卫健委联合科技部、工信部、国家药监局及国家中医药管理局共同公布了我国《第一批罕见病目录》，标志着我国开始以目录形式对罕见病实施分类管理。随后，《罕见病目录制订工作程序》于同年6月公布，该程序明确将“具备有效诊疗方法”与“治疗费用可负担”作为纳入病种的重要参考，并通过分批组织专家论证、建立动态更新机制，提升了目录管理的科学性与适应性。2019年2月，国家卫生健康委办公厅印发了《罕见病诊疗指南(2019年版)》(以下简称《指南》)。《指南》凝聚了国内外临床实践与研究进展，为罕见病的识别、治疗及长期管理提供了系统性参考，有效促进了诊疗能力提升、专业交流与公众教育。2023年9月20日，国家卫健委、科技部、工信部、国家药监局、

国家中医药局、中央军委后勤保障部六部门联合制定了《第二批罕见病目录》，进一步加强罕见病全程管理能力，旨在全面提升诊疗服务水平，切实保障患者的健康权益。

### 2 理论基础

**2.1 公平理论** 公平正义学说。美国政治哲学家约翰·罗尔斯(John Rawls)在其发表的《正义论》(A Theory of Justice)中对客观社会的利益分配问题做出了价值判断：一个公正的社会应致力于改善处境最不利成员的福祉，注重分配过程的正当性、公众共识与结果均衡。具体而言，程序正义要求建立开放、参与的制度框架以指导政策；公众认同强调在尊重个体追求幸福的同时，须引导其与社会公益相协调；结果公平则指向在有序社会条件下达成相对合理的分配状态。罗尔斯理论的核心原则是，在保障基本自由的基础上，社会平等应优先于经济效益与福利最大化。在这一视角下，社会制度设计必须优先关注弱势群体的基本需要。

社会公平理论及底线公平。马克思正义的公平观强调公平标准的历史相对性和历史发展性，认为真正的社会公平最终体现为“按需分配”。该理论指出，公平的标准随社会实践的发展而演变，因此在构建社会主义制度时，应汲取其思想精髓，通过科学的制度安排，保障弱势群体能够获得基本医疗服务，并抵御因疾病带来的经济风险。

底线公平是近年来由我国学者结合新时代国情提出并发展

【第一作者】许滋靖，女，硕士在读，主要研究方向：社会医学与卫生事业管理、医疗保障、卫生经济学。E-mail: xzj15128817598@163.com

【通讯作者】许滋靖

的,是对社会公平理论表述现实化、具体化和特色化。底线公平明确了公平的边界是无差别的底线福利需求,即在社会福利体系中,所有公民一致的最基本的需求必须优先保障,如解决温饱的生存需求、接受基础教育的发展需求和公共卫生与医疗保障的健康需求。底线公平理论的基本原则是“弱者优先,政府首责,社会补偿,持久效益”,强调在新时代中国特色社会主义制度的支撑下,政府在为人民谋福祉时负有首要的不可推卸的责任,引导调动社会补偿与公众参与,在资源再分配时有计划地向弱势群体倾斜,适时调整保障体系维持在一个适度的公平的福利水平<sup>[4]</sup>。

卫生服务筹资的公平性。世界卫生组织和瑞典国际发展合作组织(SIDA)在1996年的《健康与卫生服务的公平性》倡议书中强调,在分配健康机会时,公平不等于简单平均。它强调了机会的分配应当以实际需求为依据,而非取决于个人所处的社会地位或特权。公平应体现为社会成员共同分享发展成果,而不是被迫承担无法回避的健康风险或权利损失。卫生筹资领域的公平性,是评估医疗卫生服务体系公正程度的关键维度。筹资指的是为购买某一产品或服务而筹集资金。卫生服务筹资的公平性关注的是资金筹集的公正原则,核心在于依据个人的经济承受能力来分摊医疗费用。这一原则具体通过两种形式体现:垂直公平与水平公平。垂直公平指经济能力不同的个体应承担差异化的医疗费用,从而避免低收入者因费用障碍无法获得必需服务,同时防止高收入者过度占用资源。水平公平则要求经济状况相似的人群承担相同水平的医疗支出。从筹资过程来看,卫生筹资公平性包括卫生资源的来源、筹集途径和使用分配等方面<sup>[5]</sup>。国际卫生筹资模式主要可归纳为四种:税收筹资、保险筹资、社区筹资及个人自付。第一,税收筹资依靠国家财政支出,以实现全民基本医疗覆盖为目标。第二,保险筹资包含社会筹资和商业保险两种形式,其中商业保险筹资可以是私人或商业保险,私人保险的公平性通常较低。第三,社区筹资与保险不同,它主要限定于某一地理区域或社区,例如中国的农村合作医疗制度以村为单位进行筹资。第四,个人自付是指个人或家庭直接支付卫生服务费用。自费方式下,付费金额不考虑支付能力差异,只与服务利用量成正比。个人自付模式下,经济困难群体所承受的相对负担更重,容易进一步加剧其健康与生活条件的恶化,形成恶性循环。研究表明,税收制度通常有助于促进社会公平,社会保险与社区筹资对公平的影响较为复杂,而商业保险与个人自付方式则往往与社会公平程度呈现显著的负相关关系。

**2.2 新结构经济学理论** 新结构经济学是由林毅夫教授创立的发展经济学理论分析框架。该理论扬弃了传统结构主义对“市场失灵”的单一关注,也不同于新自由主义对“政府失灵”的过度强调。它以新古典经济学的基本假设为出发点,认为一个经济体在特定时期的经济结构,根本上取决于该时期所拥有的要素禀赋及其内在结构<sup>[6]</sup>。该理论将经济发展视为从低水平向高水平动态演进的过程,并主张在市场有效配置资源的基础上,结合政府的积极作为,共同推动经济体内部要素禀赋结构的升级与内生性转变。在过往的经济学研究中,新结构经济学大多应用于经济结构转型升级研究,为机制优化提供了理论结构范式。

此研究思路在卫生服务筹资机制的内部要素分析的动态研究中具有重要借鉴意义。从服务性质上看,医疗服务不仅具有公共产品的社会福利性,同时兼具了私人产品的商业盈利性。这使得卫生服务筹资机制不仅是多层次医疗保障体系下组建的筹资方案

集合体,更是捆绑了政府、企业和患者等利益相关方的经济利益联合体。类比于宏观经济体的产业结构转型升级,尚未完善的医疗服务筹资机制升级成为主流的、相对完善的筹资机制,需要政府与市场驱动不同筹资方案自身要素的调整以及筹资方案间分担比例的结构调整,在二者循环累积的连续变迁中实现医疗保障格局的发展与转型,从而实现卫生服务筹资机制优化。

**2.3 机制设计理论** “机制”(mechanism)起源于机械领域的机器构造工作原理,之后被引入生物学与医学领域,用以阐释生命有机体各组成部分之间的相互作用及其内在的物理、化学过程,例如遗传机制或免疫机制等。在社会科学特别是西方经济学中,“机制”逐渐演化成为一种更为普遍的分析视角和研究工具,用于描述系统内部各要素的结构安排、相互关系及内外影响因素,隶属并内含于制度和体制中<sup>[7]</sup>。制度是静态的、具象的、以文字等形式表现出来的,依靠强制力量建立的行为准则或管理流程,具体形式包括法律、规章、政策、措施等。体制组织机构为实现目标,按照一定的制度人为地建立起来的一套组织建制体系,如多层次医疗保障体系。机制是制度的实现方式,体制是制度的表现形式。体制和制度都由若干要素组成,这些要素相互作用、相互联系,从而组成若干机制。罕见病治疗筹资机制是指在罕见病治疗服务资金筹资活动中,为提高资金筹资质量(如资金来源稳定、保障有效、各方负担可承受)、降低筹资费用而由筹资主体实施的动态的、抽象的变化过程。

机制设计理论由赫维茨于1960年创立,其核心关切在于:如何在信息分散且不对称的环境中,构建出一种能够激励各方主动配合的机制,从而达成资源的有效分配<sup>[8]</sup>。这一理论框架尤其适合应用于医疗卫生服务体系的机制分析。信息效率是关于经济机制实现既定社会目标所要求的信息量多少的问题。一个好的机制应力求以尽可能少的信息需求和较低的成本来运行,减少对消费者、生产者等参与者信息的依赖<sup>[9]</sup>。激励相容是指在既定机制下,每个参与者在追求自身利益的过程中,其行为结果恰好也符合机制设计者所期望的整体目标。对机制进行研究,关键在于评估其有效性。这通常始于对现有机制运行状况的诊断与评价,剖析其内部构成与运行逻辑。在此基础上,可推进制度创新,进行相应的政策设计、可行性论证,并提出具备可操作性的具体建议。

## 3 结果

**3.1 整体逻辑体系** 图1展现了罕见病治疗筹资机制的整体逻辑体系。从纵向来看,不同发展阶段的筹资机制处于不同的结构层面,这些层面也对应着不同的医疗保障制度安排。总体上可将其归纳为相对成熟、主流的筹资机制,以及尚在初步建立或尚未完善的筹资机制。从较低层级向更高层级的结构转型,其逻辑起点在于分析不同筹资方案内部各项要素及其分摊比例所构成的禀赋结构。筹资方案趋向均衡调整的过程,本质上是一个持续循环、累积演进的动态过程。从横向来看,每个层面代表了在特定医疗保障格局下运行的罕见病治疗筹资机制。该机制包括政府、社会及个人等不同主体形成的多元筹资方案,并通过资金配置优化实现均衡状态。尽管在不同医疗保障格局中,筹资要素禀赋及其结构在特定时点是既定的,但随着时间推移,这些要素及其相互关系会发生内生的动态调整,从而构成一个完整的理论闭环<sup>[10]</sup>。

**3.2 关键环节** 在罕见病治疗筹资机制的研究中,除了以公平理论

与公共管理理论为基础外,还参考了机制设计理论和新结构经济学等分析框架。这些理论有助于明确机制设计的目标与相关利益主体,并通过制度设计、政策工具与规则制定,使机制的整体目标与各参与方的个体利益形成激励相容。在此基础上,能够以较低成本推动资源配置向帕累托更优状态改进。图2展现来罕见病治疗筹资机制优化路径的关键环节,即确定机制、设计机制、机

制可行性机制、机制有效性分析、校正机制反馈。结合罕见病治疗筹资机制的特性,确定机制目标是指实现罕见病治疗服务筹资公平;设计机制即厘清罕见病治疗筹资机制要素;机制可行性分析可以通过梳理医保制度分析罕见病治疗筹资运行情况;机制有效性分析可通过核算卫生费用评估罕见病治疗筹资水平;校正机制是指调整筹资目标或要素结构实现罕见病治疗筹资机制优化。

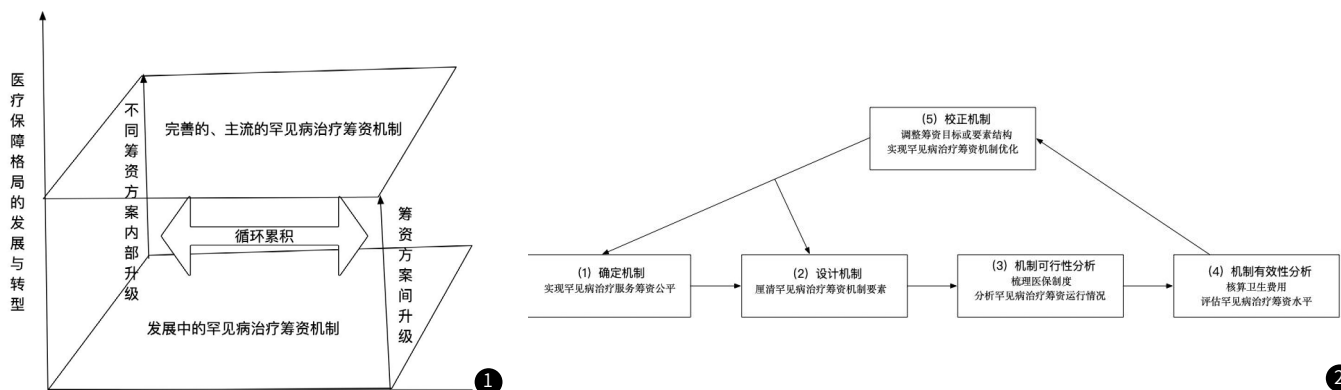


图1 罕见病治疗筹资机制的整体逻辑体系。图2 罕见病治疗筹资机制优化路径的关键环节。

## 4 讨论

**4.1 构建罕见病政策筹资体系与保障体系** 加快推进我国罕见病纲领性法律的制定工作,清晰界定罕见病、孤儿药等相关概念,并以罕见病目录作为制定后续药品研发、社会保障与医疗救助等关联政策的依据。在此基础上,持续完善罕见病药物研发、引进生产、供应保障及市场监管等方面的政策安排,逐步形成“以核心法律为统领,多层次政策协同支撑”的罕见病筹资保障制度框架。

**4.2 优化升级罕见病全周期体系协同机制** 为完善罕见病全周期协同支持体系,建议将更多临床急需的罕见病治疗药物纳入基本医疗保险支付范围,并优先考虑当前目录内尚无对应治疗药物的疾病种类。通过扩充可报销药品目录、放宽报销条件、提升补偿比例及提高封顶线等措施,系统缓解罕见病用药费用负担问题。同时,探索建立针对高值罕见病药品的多元支付机制,整合基本医保、大病保险、医疗救助及慈善援助等多方资源,形成可持续的共付模式,保障患者用药可及。依托我国现有三级医疗卫生服务网络,将罕见病防治工作全面纳入体系之中,构建覆盖筛查、诊断、治疗、康复与长期管理的整合型服务路径,以提升服务的公平性、可及性与可负担性,逐步破解当前罕见病确诊难、就医难、康复难等问题。进一步发挥罕见病诊疗协作网的作用,通过优质医院的引领带动,结合远程会诊、绿色转诊及多学科协作等模式,增强基层诊疗能力,缓解患者跨区域就医压力。此外,应创新罕见病医疗服务供给方式,建立患者与医疗服务机构之间的有效连接机制,满足患者在康复护理、辅助器具、心理支持等多方面的综合需求,推动实现全方位、全周期的健康管理。

**4.3 探索高值临床急需罕见病药物多元创新付费策略** 为推动高价值且临床急需的罕见病药品的可及性,应研究多元化的创新支付策略。鼓励国家医保部门引入基于基金风险或临床疗效的风险共担协议等创新型支付安排,以此推动更多罕见病药物被纳入基本医疗保险保障范围。在执行此类支付协议的过程中,可依托中国国家

罕见病注册登记系统,发挥其数据整合与多中心联动的优势,对协议的实施效果进行持续跟踪与评价,从而增强相关措施的可行性与科学性。对于尚未被基本医保覆盖的罕见病孤儿药,应进一步推动商业健康保险、互助保险等补充保障方式的发展,以更好地满足罕见病患者群体的治疗需求<sup>[11]</sup>。

**4.4 建立罕见病医疗服务综合价值评价体系** 对于临床急需的罕见病专用药物,应超越常规药品的卫生技术评估范式,建立符合罕见病特点、整合药物经济学、临床医学、保障政策及社会学等多学科视角的综合评价机制,并充分考虑罕见病患者的治疗紧迫性。结合新结构经济学理论、公平理论等理论逻辑,基于按疾病诊断相关分组(DRGs)等时代特色,发展探索罕见病治疗服务精细化管理<sup>[12]</sup>。依托于罕见病医疗服务综合价值评价体系,为我国罕见病专用药物的医疗保障纳入决策提供科学依据。

## 参考文献

- [1]李玉欢,李伟.罕见病的基因治疗研究进展[J].罕少疾病杂志,2023,30(3):109-112.
- [2]许滋靖.河北省罕见病治疗服务费用核算研究[D].华北理工大学,2023.
- [3]康琦,胡嘉浩,孔凡心,等.国内外罕见病患者的保障体系研究:以纯合子型家族性高胆固醇血症为例[J].中国药物经济学,2019,14(6):23-30,34.
- [4]严妮,沈晓.非营利性公立医院改革:弱势群体的医疗服务[J].中国医院管理,2015,35(5):1-3.
- [5]时黎,张开宁,姜润生.卫生服务公平性理论框架的探讨[J].中国卫生事业管理,2003,(1):4-5,47.
- [6]宋芳,徐学荣.新结构经济学视角下我国乡村振兴成效评价指标体系研究[J].农业经济,2022,(8):33-35.
- [7]张序,张霞.机制:一个亟待厘清的概念[J].理论与改革,2015(2):13-15.
- [8]何笑.社会性规制的协调机制研究[D].江西财经大学,2009.
- [9]朱慧.机制设计理论—2007年诺贝尔经济学奖得主理论评介[J].浙江社会科学,2007,(6):188-191.
- [10]林毅夫,付才辉,郑洁.新结构环境经济学:一个理论框架初探[J].南昌大学学报(人文社会科学版),2021,52(5):25-43.
- [11]汤静琪.江苏省罕见病用药保障机制研究[D].东南大学,2022.
- [12]江媛,徐凤,徐英,等.DRGs时代下手术室耗材精细化管理[J].罕少疾病杂志,2025,32(2):163-164+170.

(收稿日期:2023-10-03)

(校对编辑:翁佳鸿)