



扩大获取癌症和罕见及孤儿病有效治疗方法，包括药物、疫苗、医疗装置、诊断工具、辅助产品、基于细胞和基因的疗法以及其他卫生技术；以及提高药物、疫苗以及其他卫生产品的市场透明度

总干事的报告

1. 本报告介绍了关于结合综合性方法审视癌症预防和控制,和获取治疗罕见病¹的卫生产品问题的第 WHA70.12(2017)号决议 (A 部分), 以及关于提高药物、疫苗以及其它卫生产品的市场透明度的第 WHA72.8 (2019) 号决议的执行进展情况 (B 部分)。

A. 获取治疗癌症和罕见病的安全、有效、质量有保证和可负担得起的卫生产品

背景

2. 安全、有效、质量有保证和负担得起的疫苗、药物、医疗装置、体外诊断工具和辅助产品对于预防、诊断和治疗癌症、糖尿病等非传染性疾病以及罕见病,同时对患有这些疾病的个人进行监测、康复和姑息治疗是必要的。相关决议、战略和报告都承认了其必要性²。

¹ 影响少数患者的疾病,包括遗传性疾病、罕见癌症、自身免疫性疾病、毒性和/或感染性疾病以及先天性畸形。

² WHA73.2 号决议,通过加速消除作为公共卫生问题的宫颈癌的全球战略及其相关 2020-2030 年目标和具体目标;WHA71.8 号决议(2018 年),增进获得辅助技术;WHA67.20 号决议(2014 年),加强医疗产品管制系统;WHA63.22 号决议(2010 年),人体器官和组织移植;WHA60.29 号决议(2007 年),卫生技术,以及文件 A72/17,获取药物和疫苗。

3. 尽管近来取得了进展，但获得安全、适当、有效和质量有保证的卫生产品仍然是一个全球关切的问题。例如，每 10 个需要辅助产品中只有 1 个可以获取这类产品¹。即使药物可得，往往也没有辅助医疗装置。例如，很少有国家提供试纸，作为糖尿病护理方案的一部分，协助监测需要胰岛素的个人的血糖浓度。
4. 整个卫生系统都存在挑战，特别是在低收入国家。这些问题包括研发投入不足、缺乏选择卫生产品的有效政策、融资和支出管理不力、监管能力欠缺、基础设施薄弱、采购和供应链管理资源不足，以及卫生产品处方不当和使用不合理。
5. 很多患者都须自费支付卫生产品，即使是低价产品可能也负担不起。慢性病需要长期护理，给患者和政府带来了更大负担。罕见病影响少数患者，其管理面临特殊挑战，包括需要复杂和专门的护理。这些疾病可能不被视为全民健康覆盖的重点事项，因此可能被排除在公共采购和报销之外。

特殊挑战

6. 乙肝疫苗预防乙肝相关癌症和其它疾病。2019 年，194 个会员国中有 191 个在其国家疫苗接种计划中纳入了三剂系列，世界上 85% 的婴儿接受了三剂疫苗。然而，只有 43% 的新生儿接受了防止乙肝病毒的母婴传播的出生免疫接种。只有 129 个会员国遵循了世卫组织关于出生接种的建议。在人口中乙肝流行率高的非洲区域，只有 28% 的成员国提供出生接种。
7. 人乳头状瘤病毒疫苗是预防宫颈癌的有效手段。近年来，引入疫苗的国家数目有所增加，但低收入和中低收入国家仍然落后。疫苗的高价格和供应商有限妨碍了一些国家获取疫苗。其它挑战包括交付战略、将疫苗纳入国家方案的计划质量、需求创造不足以及有时是基于谣言对疫苗缺乏信心。全球供应短缺威胁着低收入和中等收入国家的引进。
8. 许多罕见病没有治疗方法。当治疗存在时，其可得性可能取决于国内的法律和条例，包括国家罕见病药物政策、罕见病药物认定和营销授权。

¹ 世卫组织和世界银行。世界残疾报告。日内瓦：世界卫生组织；2011 年（<https://apps.who.int/iris/handle/10665/44575>，2020 年 10 月 27 日访问），以及世卫组织、教科文组织、劳工组织和国际残疾与发展同盟。基于社区的康复：以社区为基础的康复指南。卫生部分。日内瓦：世界卫生组织；2010 年（<https://apps.who.int/iris/handle/10665/44405>，2020 年 10 月 27 日访问）。

9. 细胞疗法、基因疗法和基于细胞的基因疗法有可能满足某些癌症和罕见病患者的医疗需要。细胞疗法、基因疗法和基于细胞的基因疗法在性质上各不相同，相关的监管框架和评估也不协调，甚至并不存在。这些产品的高价格和专利壁垒限制了它们进入少数高收入国家的机会，例如，嵌合抗原受体 T 细胞免疫疗法的价格为几十万美元，脊髓性肌萎缩的基因疗法的价格为数百万美元。

10. 与医疗装置、体外诊断工具和辅助产品相关的特殊挑战包括缺乏适合用户和环境的技术。很少研究和开发具有成本效益、适合用户和环境的设计，而且进展大多是针对高收入国家的。缺乏对维护，修理和获取试剂、消耗品和备件的支持，而且卫生人力不足。由于没有一个通用的命名系统来识别 7000 多种不同类型的医疗装置，此类装置的获取变得很复杂。

11. 大多数诊断和治疗癌症的医疗设备都设在专科医院。辅助产品服务通常是独立的方案，并没有纳入各级卫生保健。

进展

12. 秘书处支持各国实施和监测乙肝和人乳头状瘤病毒疫苗接种规划，并改进采购做法。它正在通过“获取疫苗的市场信息”倡议促进价格透明¹。世卫组织免疫战略咨询专家组提出了解决供应短缺的建议，并审查了更有效使用疫苗的证据。世卫组织启动了关于人类乳头状瘤病毒疫苗的全球获取问题对话，以促进公平获取现有疫苗。消除病毒性肝炎和宫颈癌的相关战略有望加快进展。

13. 秘书处制定了确保人乳头状瘤病毒疫苗的质量、安全性和有效性的标准，还向制造商、监管机构和其它机构提供支持，以促进监管趋同，并落实世卫组织的资格预审。人类乳头状瘤病毒疫苗的安全性受到持续监测，审查工作显示其安全性极佳。秘书处对各国的疫苗进行了引进后评估，并就改进规划提供了指导。

14. 一份关于癌症药物定价的报告²提出了提高癌症药物可负担性和可获得性的备选方案，包括为此提高价格透明度和调整对影响少数人的癌症研究的激励措施。秘书处参与了政策讨论，包括 2019 年的公平定价论坛。世卫组织的《癌症报告》为卫生系统的种

¹ 见 https://www.who.int/immunization/programmes_systems/procurement/v3p/platform/en/（2020 年 10 月 15 日访问）。

² 技术报告：癌症药物的定价及其影响。日内瓦：世界卫生组织；2018 年（<https://apps.who.int/iris/handle/10665/277190>，2020 年 10 月 15 日访问）。

种考虑提供了指导。秘书处制定了帮助支持会员国的临床指南¹，并开发了一系列配套工具。世卫组织关于癌症的倡议包括世卫组织的《全球儿童癌症倡议》。

15. 世卫组织《基本药物示范清单》上的癌症和罕见病药物仅占全世界批准和上市的癌症和罕见病药物总数的一小部分。该清单有助于会员国将药物列为公共筹资、采购和报销的重点事项。

16. 2018年，世卫组织启动了癌症生物治疗产品资格预审试点。对12种生物仿制药和7种用于被忽视的热带病药物作了资格预审。风险评估程序有助于获得额外的产品。世卫组织已为确保细胞和基因疗法产品的安全和有效制定了规范和标准，并采纳了用于衡量标准的参考材料。它发布了《国际非专利药物名称》，涉及细胞疗法、基因疗法和基于细胞的基因疗法（如嵌合抗原受体T细胞免疫疗法和罕见遗传疾病的基因替代疗法）。《国际非专利药物名称》连同统一定义已发表在《世卫组织药物信息》上。这些对于复杂物质的明确识别、处方和使用至关重要。

17. 一些基因治疗产品已经获得批准，如用于B细胞肿瘤的嵌合抗原受体T细胞产品和用于治疗转移性黑色素瘤的溶瘤免疫疗法。这反映了研发和调控途径方面的进展。

18. 秘书处正与罕见病国际合作，制定国际政策，加强卫生系统应对罕见病相关挑战的能力。活动的重点是协调罕见病的国际定义方式，并为罕见病卓越中心全球网络奠定基础。

19. 秘书处与全球血液和骨髓移植网络合作，提高对移植可得性和可及性的认识，建设监管能力，加强治理，以遏制非法和不道德的做法，增加知识，支持创新和研究新产品。

20. 秘书处最近编写了关于增加医疗装置获取途径的指导意见，包括以下内容：《世卫组织基本体外诊断工具示范清单》，其中包含癌症和糖尿病检测；《世卫组织癌症管理重点医疗装置清单》，以及世卫组织关于筛查和治疗癌前病变以预防宫颈癌的医疗装置的技术指南和规范。

¹ 世卫组织关于癌症：确定重点，明智投资和提供全民保健的报告。日内瓦：世界卫生组织，2020年（<https://apps.who.int/iris/handle/10665/330745>，2020年10月15日访问）。

21. 秘书处最近编写了关于增加辅助产品的获取的指导意见,包括《重点辅助产品清单》和《快速辅助技术评估工具包》。秘书处支持会员国努力评估对辅助技术的需求和获取辅助技术的障碍,并管理、资助、采购和提供辅助技术。世卫组织、全球残疾创新中心和克林顿健康倡议组织联合进行了对使用世卫组织工具包的国家能力的评估。

前进的方向

22. 需要开展更多的合作来形成研究、创新与发展,以鼓励为低收入和中等收入初级保健卫生保健设施制定负担得起的解决方案,用于癌症、糖尿病等其它非传染性疾病以及罕见病的管理。

23. 秘书处将继续支持会员国采取行动,选择基本和重点卫生产品,为此将制定此类产品的示范清单和重点产品的相关技术规格,以指导采购。它将继续致力于医疗装置的命名和命名的标准化。它还在开发一个在线培训包,以确保工作人员具备提供一系列辅助产品的必要能力。

24. 世卫组织将继续加强监管系统,包括协调和认可方法,以确保卫生产品的安全性、有效性和质量,并加强会员国监管医疗装置、体外诊断工具和辅助产品的能力。

25. 秘书处将提供指导和培训,确保适当使用治疗癌症、糖尿病和罕见病的卫生产品,并促进对生物医学工程师、实验室科学家和病理学家的培训。

B. 提高药物、疫苗和其它卫生产品市场的透明度

26. 在描述迄今取得的进展和执行 WHA72.8 号决议的下一步措施时,报告的这一部分参考了关于公共卫生、创新和知识产权的全球战略和行动计划的相关章节,以及 2019-2023 年获取药物、疫苗和其它卫生产品的路线图草案。

27. 一些国家作出了提高市场透明度的政治承诺。欧洲区域计划在 2021 年召开一次成员国和相关利益攸关方会议,讨论如何提高成本较高的创新药物的透明度和可负担性。东地中海区域正在考虑一项提议,即建立相关机制,改善各国在药物和疫苗价格方面的合作和信息交流。秘书处通过药物定价和报销信息网络提高了对这一问题的认识。它将继续探讨共享价格和定价方法信息的国际数据平台和论坛的可行性和潜在价值。

28. 欧洲区域和美洲区域正在开展工作，探讨透明度的立法障碍，因为人们意识到，在许多管辖范围，根据法律和（机密）商业协议，很难促进价格和定价透明度。

29. 世卫组织发布了国家药物定价政策修订指南。秘书处正在与阿根廷政府合作，制定2021年公平定价论坛的议程。

30. 来自比较研究的关于提高药物定价和定价透明度的潜在影响的证据仍然有限。正在进行的关于可持续发展目标指标 3.b.3（获取药物）的工作将提供关于可负担性的见解。会员国使用世卫组织 MedMon 移动应用和数据分析平台来监测公共和私营部门的价格，并评估对定价政策的遵守情况¹。许多会员国报告说，作为常规程序的一部分，在公共领域提供了药物价格信息。

31. 根据关于公共卫生、创新和知识产权的全球战略和行动计划，世卫组织继续要求并大力促进进一步发展卫生产品的专利状况信息和许可数据库，并促进公共卫生行为体，特别是采购机构更多地获取此类信息。MedsPaL 是由药物专利和许可数据库建立的一个可公开访问的专利和许可数据库，其中包含低收入和中等收入国家治疗艾滋病毒、丙型肝炎和结核病的药物以及其它已获得专利的基本药物的专利状况信息。

32. 世卫组织正在完成其关于获得丙肝治疗的第三份全球报告。该报告将更新 2016 年和 2018 年发布的前几份报告中的信息，其中将包括丙肝诊断工具的信息。该报告将侧重于丙肝病毒感染负担较重的某些国家，重点介绍最近取得的成就，并提供最新信息，说明获得诊断和药物产品的国家战略和条件的多种和复杂状况，包括产品定价和专利可得性信息，这些共同形成了国家的肝炎应对措施。

前进的方向

33. 尽管取得了进展，但仍有许多工作要做。2021 年公平定价论坛将是一个重要的里程碑，在此论坛上，将评估所吸取的经验教训，并重申会员国和所有利益攸关方对卫生产品的可负担性以及价格和成本透明度的承诺。秘书处将继续提供技术支持和指导，协助成员国努力实现和监测卫生产品市场的透明度。

¹ MedMon-世卫组织基本药物和卫生产品价格和可得性监测移动应用软件 (<https://www.who.int/medicines/areas/policy/monitoring/empmedmon/en/>, 2020 年 10 月 15 日访问)。

34. 各国要想在卫生产品市场透明度方面取得进展，必须重申其政治承诺。为确保合作成功，需要作出更大努力来调动资源和加强能力。

执行委员会的行动

35. 请执委会注意本报告，并就获取治疗罕见病的细胞和基因疗法和其它卫生技术问题提供指导。

= = =