

· 国外药事 ·

药物再开发社会影响债券模式及其启示

汪宝桩, 孟光兴* (广东药科大学, 中山 528400)

摘要 目的: 介绍国外药物再开发社会影响债券为我国提供借鉴和启示。方法: 分析国外药物再开发社会影响债券基本内涵和适用条件, 并深入探究药物再开发社会影响债券项目运行机制和相关成功案例。**结果与结论**: 药物再开发社会影响债券可以为患者加速获得新疗法, 节约医疗卫生费用。结合我国医药产业实际情况, 建议借鉴国外药物再开发社会影响债券成功经验, 引入社会资本, 注重社会效益评价, 制定和完善我国药物再开发相关政策。

关键词: 药物再开发; 社会影响债券; 运行机制; 卫生政策

中图分类号: R95 文献标识码: A 文章编号: 1002-7777(2019)01-0045-05

doi:10.16153/j.1002-7777.2019.01.008

The Model of Drug Repurposing's Social Impact Bonds and Its Enlightenment

Wang Baozhuang, Meng Guangxing* (Guangdong Pharmaceutical University, Zhongshan 528400, China)

Abstract Objective: To introduce drug Repurposing's social impact bonds abroad in order to provide references and enlightenment for China. **Methods:** The basic connotation and applicable conditions of drug Repurposing's social impact bonds abroad were analyzed, and the operation mechanism and relevant successful cases of the project on drug repurposing's social impact bonds were explored. **Results and Conclusion:** The drug Repurposing's social impact bonds can accelerate patients' access to new therapies and save medical care costs. Based on the actual situation of the pharmaceutical industry in China, it is suggested that we learn from the successful experience of the drug Repurposing's social impact bonds abroad, introduce social capital, lay emphasis on social benefit evaluation, formulate and improve the relevant policies of drug repurposing in China.

Keywords: drug repurposing; social impact bonds; operation mechanism; health policy

药物再开发指的是为已知的化合物或者老药申请新的疾病适应证^[1]。尤其对于目前尚无有效治疗手段的疾病, 其可以缓解新药不足状况, 打破无药可医局面, 改善患者生活质量。与传统新药研发相比, 非专利药再开发具有研发平均耗时少、成本低的优点, 但医药企业因难以获得可观利润而无动力开展部分药物再开发项目。为了能够利用社会资金解决社会问题, 早在2010年英国联合其他组织通过实施社会影响债券 (Social Impact

Bonds, SIBs), 不仅有助于解决社会问题, 而且缓解了政府财政压力; 随后, 美国等其他国家也纷纷引入SIBs^[2]。SIBs约定由私人或组织投资者资助某一社会项目, 若项目取得成功, 投资者将收回投资资金并获得一定回报, 若项目失败, 投资资金将不作返还, 此模式在国外有效解决了非专利药再开发的融资难题。

仅仅依靠慈善和政府间断性资助非专利药再开发, 远远不能满足目前7000多种尚无有效治疗手

作者简介: 汪宝桩, 硕士研究生; 研究方向: 药事管理; Tel: 15626266748; E-mail: 1104248216@qq.com

通信作者: 孟光兴, 副教授, 硕士生导师; 研究方向: 药事管理; Tel: (0760) 88207911; E-mail: gzmngx@163.com

段的疾病的用药需求^[3]。2017年国务院办公厅印发了《关于创新政府配置资源方式的指导意见》，要求创新公共资源配置方式，促进经济社会持续健康发展。药物再开发社会影响债券成功地将社会资本引入到药物再开发项目，既带来社会福利又带来经济回报。但我国尚未出台专门的药物再开发融资政策，本文介绍了药物再开发社会影响债券的基本内涵、适用条件、模式和相关成功经验，以期为我国制定和完善相关管理政策提供参考。

1 药物再开发社会影响债券的关键内容

药物再开发社会影响债券通过引入以盈利为目的的私人资金资助药物再开发项目，为社会带来福利，同时投资者也可以获得可观利润。社会影响债券在许多国家得到广泛应用，并在许多领域取得了一定成效，例如解决英国监狱累犯问题、降低美国青少年重复入狱率以及解决无家可归问题等^[4]。目前，通过药物再开发社会影响债券，已实现对西罗莫司、维生素和尼替西农等非专利药再开发，显著降低了医药卫生成本，弥补了新药研发的不足，带来了社会效益。以下从基本内涵、适用条件和模式三个层面介绍药物再开发社会影响债券，分析社会影响债券对药物再开发的促进机制。

1.1 社会影响债券基本内涵

早期英国社会存在许多突出问题，例如照顾孩子、无家可归和青年失业等，政府长期以来难以解决。其通过社会影响债券促进公众、私人 and 志愿组织与政府之间的合作，共同解决上述社会问题，以期达到预定目标。由私人投资者向服务供应商提供资金支持，通过协议约定，如果达到预定目标，政府向投资者返还资金并给予相应约定的报酬，如果未达到预期目标，投资资金将不作返还。在英国，社会影响债券已成功应用于许多领域，让数万人受益。社会影响债券根据取得社会效益的情况给予投资者不同等次的回报。与传统委托相比，社会影响债券具有以下优势：第一，可以通过提高支付报酬获取更高质量的服务，取得更好的社会效益；第二，根据不同社会效益支付不同等次报酬，提高了项目透明度；第三，延长了支付费用时间周期，可以缓解公共财政预算的压力^[5]。

1.2 社会影响债券适用条件

虽然社会影响债券具有许多优势，但并不是所有社会问题都适合采用此方法来解决。需要从以

下四个方面开展可行性评估：①预期结果是否清晰，可测量；②社会效益是否存在提高空间；③政府是否有意愿转移金融风险；④是否能够顺利进行市场融资，资助社会管理项目。预期结果是经过社会干预措施的可测量结果，便于比较干预前后结果的变化，用于判断项目是否成功。例如，解决青少年重复入狱问题，针对某一特定年龄段的从监狱释放的青少年，预期结果可量化为某段时间内减少青少年重复入狱率。在启动一项社会影响债券时，要求设计者能够计算预期成本、预期节约成本和资金节约额^[5]。

1.3 药物再开发社会影响债券模式

药物再开发为老药寻找新适应证，但当再开发的药物为非专利药且药物剂量和配方未变时，相同通用名药物竞争激烈，医生给患者开具通用名产品治疗新适应证的处方行为难以限制，造成许多医药企业难以获得可观利润而放弃药物再开发项目。目前，慈善组织单纯通过资金的方式资助药物再开发项目难以持续。一种可行的方法是通过社会影响债券激励投资者或以盈利为目的的投资组织资助药物再开发项目。

可治愈（Cures Within Reach）是美国一家慈善组织，致力于药物再开发研究，通过加快研发速度，提高药物安全性和成本效益，让更多的患者更快获得新的疗法，改善患者生活质量。其采用了社会影响债券促进药物再开发^[6]，通过社会影响债券方式，政府机构或其他组织与社会影响债券组织之间形成约定。政府机构或其他组织提出一个想获得的社会结果，如果社会影响债券组织能够达到要求，政府机构或其他组织将支付社会影响债券组织事先约定的金额作为回报。如图1显示：私人投资者向社会影响债券组织（Social Impact Bonds Organization, SIBO）提供资金后，SIBO支付服务提供者，服务提供者需达到政府机构或其他组织指定的社会结果。若药物再开发项目达到预期结果，投资者将收回投资并从节约的医疗卫生费用中获取可观的利润。政府剩余资金将用于资助其他药物再开发项目，从而形成一种持续发展的模式，节约费用，改善患者生命质量。药物再开发项目平均费用一般不超过25万美元，从项目最初到临床可获得治疗平均耗时36个月，而传统新药研发平均花费15亿美元，耗时12~19年，与传统研发新药相比，药物

再开发极大地减少了医疗卫生成本，缩短了临床获得新药的时间^[7]。药物再开发社会影响债券帮助政府同时完成了两项任务，既提高了人民群众健康

水平，通过药物再开发治疗目前尚无有效手段的疾病，又减少了医疗卫生费用。



图1 药物再开发社会影响债券模式图

寻找治疗办法（Findacure）是英国一家慈善机构，从事于罕见病救助服务，其通过社会影响债券促进药物再开发，为罕见病患者寻找新疗法^[8]。图2列举了一个罕见病药物再开发社会影响债券（The Rare Disease Drug Repurposing Social Impact Bond, RDDR SIB）的例子。罕见病药物再开发社会影响债券是Findacure采取的一种创新方法，带来了双赢的结果，提高了英国人民健康水平，同时减少了英国医疗服务体系费用。RDDR SIB主要有六大步骤：第一，私人投资者向RDDR SIB提供资金，

为了以后能够获得回报；第二，Findacure从RDDR SIB获取资金资助罕见病药物再开发临床试验。通常需要英国国家医疗服务体系（National Health Service, NHS）花费大量资金进行管理的疾病是Findacure资助的重点对象；第三，罕见病药物再开发项目若取得成果，将为NHS节约医疗卫生费用，同时改善患者健康状况；第四，项目成功后，NHS将向RDDR SIB支付费用；第五，RDDR SIB向投资者返还资金并给予约定报酬；第六，RDDR SIB剩余资金将用于其他罕见病药物再开发项目^[9]。

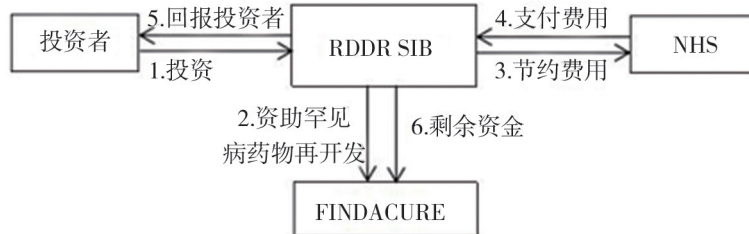


图2 罕见病药物再开发社会影响债券模式图

2 药物再开发社会影响债券节约费用成功案例

2.1 再开发西罗莫司

非专利药西罗莫司再开发是可治愈组织其中一个成功案例，通过药物再开发增加了六种儿童自身免疫性疾病适应证：自身免疫性淋巴增殖综合征（Autoimmune Lymphoproliferative Syndrome, ALPS）、Evans疾病、小儿红斑狼疮、自身免疫性溶血性贫血、特发性血小板减少性紫癜和普通变异性免疫缺陷。在美国大约有2000名儿童患有上述疾病，由于患者人群基数太少，医药企业不愿意研发相关新药。

可治愈组织资助了美国费城儿童医院医生David Teachey博士，他花费不到25万美元在30个月内构建了ALPS模型，治愈了小鼠。然后获得人体临床试验批准，证明西罗莫司能够明显减轻或消除ALPS症状，治疗成功率高于85%。这些患者一直坚持按规定剂量用药，未出现明显副作用，药物有效性未降低。之后开展了多次西罗莫司再开发临床试验，证实了对其他5种儿童自身免疫性疾病有效。目前，西罗莫司已经变成了治疗儿童自身免疫性疾病的典型药物，尤其针对难治性患者^[10]。西罗莫司再开发研究结果公布后，全球200多名医生联系研究者寻求剂量指导。西罗莫司代替其他昂贵治

疗方案,大部分患者不需要住院治疗,因此,为美国每位患者每年节约医疗卫生成本超过10万美元。如果2000名ALPS和其他患有儿童自身免疫性疾病的患者中25%采用这种办法治疗,其中80%可痊愈,每年医疗成本将节约4000万美元。即使其中只有5%接受此疗法,相比于25万美元的投资,每年仍可以节约800万美元。由此可见,西罗莫司再开发改善了儿童患者的病情,提升了患者家庭的生活质量,减轻了财政和社会压力^[1]。

2.2 再开发几种营养素

Berish Rubin博士在福特汉姆大学的实验室通过再开发表没食子儿茶素没食子酸酯、吉斯坦、生育三烯酚和大豆苷元这几种营养素,研发了新的治疗方案,用于治疗家族性精神障碍和超级致命的儿童遗传疾病。这种治疗每周费用不超过100美元,每位患者节约费用与西罗莫司治疗ALPS所节约的费用相当。仅这两种罕见病每年医疗卫生费用可节约数千万美元,投资这项再开发项目资金未超过200万美元,显著的投资回报比为投资者带来了可观的利润^[1]。

2.3 再开发尼替西农

英国尿黑酸尿协会(Alkaptonuria Society, AKU)资助R. Michael负责再开发尼替西农治疗罕见病尿黑酸尿症项目。由于患者疾病阶段不同,导致每位患者费用也各不相同。但总体看,之前的治疗方案在不考虑药物治疗和正常生活所需护理费用的情况下,每位患者每年需要直接费用超过9万英镑。尼替西农再开发的成功为英国极大地节约了医疗卫生费用^[1]。

3 建议

3.1 建立社会影响债券服务体系

社会影响债券是一种用来解决社会问题的创新融资方式,涉及多方利益相关者,程序较为复杂。考虑到我国较多政府部门涉及到药物和债券,我国若想采用药物再开发社会影响债券模式,建议在省一级政府部门设立专门从事SIBs管理的权威机构,避免行政资源分散,明确SIBs适用领域和服务提供商准入门槛,建立社会效益科学评估方法,达到对SIBs进行标准化监督管理的目标^[11]。

3.2 引入社会资本,注重社会效应评价

目前,我国大量的社会闲置资金找不到投资方向,SIBs能够将社会资本正确引导到社会管理领

域。我国作为最大的发展中国家,社会管理领域投资空间巨大,引入SIBs,不仅能够增加私人投资者的投资渠道,而且能够引导社会闲置资金进入合理投资区域。近年来,政府财政投入大量资金解决社会问题,但存在重投入、轻评价现象,不知最终是否达到目标。而SIBs要求能够定量测量社会结果,做到干预措施实施前后结果可比较,定量衡量干预措施发挥多大作用。建议我国在借鉴药物再开发社会影响债券模式时,重视社会效益评价,正确引导社会资本,提高社会闲置资金使用效率。

3.3 用经济管理解决社会问题

启动药物再开发社会影响债券,政府处于一个特殊位置,需要吸引私人投资者投资针对特殊疾病的非专利药再开发项目。过去,政府与私人机构分别处于制定规则和接受规则的角色,不能充分发挥私人机构的积极性。而SIBs相当于政府设计的合理机制,引入社会资本,充分发挥私人机构参与管理社会问题的积极性,增加社会总效用。目前,政府倡导充分激发社会资本活力,鼓励吸引社会资本参与,为广大人民群众提供优质高效公共服务^[12]。药物再开发社会影响债券为投资者带来新的投资渠道,有助于加速获取新的治疗方法,能够实现节约医疗卫生成本目标,将对我国创新社会管理模式具有积极的借鉴意义。

参考文献:

- [1] Sleight S H, Barton D C L. Repurposing Strategies for Therapeutics[J]. *Pharmaceutical Medicine*, 2010, 24(3): 151-159.
- [2] McHugh N, Sinclair S, Roy M, et al. Social Impact Bonds: A Wolf in Sheep's Clothing?[J]. *Journal of Poverty and Social Justice*, 2013, 21(3): 247-257.
- [3] Bloom B E. Creating New Economic Incentives for Repurposing Generic Drugs for Unsolved Diseases Using Social Finance [J]. *Assay & Drug Development Technologies*, 2015, 13(10): 606.
- [4] Mulgan G, Reeder N, Aylott M, et al. Social Impact Investment: The Challenge and Opportunity of Social Impact Bonds [C]// London School of Economics and Political Science. LSE Library, 2012: 1-38.
- [5] GOV UK. Guidance on Developing a Social Impact Bond [EB/OL]. (2017-09-26) [2018-06-20]. <https://assets.>

- publishing.service.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/646733/Knowledge_Box_Guidance_on_developing_a_SIB.pdf.
- [6] Cures Within Reach. Mission and Impact [EB/OL]. [2018-06-20]. <http://www.cureswithinreach.org/about-us/cwrmission>.
- [7] Findacure. Drug Repositioning and Social Impact Bonds [EB/OL]. (2015-03-15) [2018-06-20]. <http://www.findacure.org.uk/drug-repositioning-and-social-impact-bonds/>.
- [8] Findacure. What is Findacure?[EB/OL]. [2018-06-20]. <http://www.findacure.org.uk/about-us/>.
- [9] Findacure. The Rare Disease Drug Repurposing Social Impact Bond (RDDR SIB) [EB/OL]. (2017-02-28) [2018-06-20]. <http://www.findacure.org.uk/drug-repurposing/>.
- [10] Teachey D T, Greiner R, Seif A, et al. Treatment with Sirolimus Results in Complete Responses in Patients with Autoimmune Lymphoproliferative Syndrome [J]. *British Journal of Haematology*, 2009, 145 (1) : 101-106.
- [11] 程丹艺. 社会影响债券的发展及其对我国新型社会管理模式的启发[J]. *金融纵横*, 2013 (8) : 88-92.
- [12] 国务院办公厅. 关于在公共服务领域推广政府和社会资本合作模式指导意见的通知 [EB/OL]. [2018-06-20]. http://www.gov.cn/zhengce/content/2015-05/22/content_9797.htm.

(收稿日期 2018年9月2日 编辑 王雅雯)