

2024年3月18日

行政命令2024-01

**促进筹资和获得提高伊利诺伊州  
镰状细胞病治疗和其他高成本药物及治疗  
之行政命令**

鉴于，镰状细胞疾病是血液病的一种，具有终身遗传性，全美境内有超过100,000人患病，其中伊利诺伊州居民超过5,000人；以及，

鉴于，镰状细胞疾病影响有色人种，特别是美国黑人，但这种影响不成比例。据估计，每365名美国黑人中就有1人患有镰状细胞疾病，每16,300名拉丁美洲人中就有一人患病；以及，

鉴于，镰状细胞疾病引起的症状和健康并发症在5月龄儿童体内可见，随年龄增长恶化。镰状细胞疾病患者的预期寿命比普通人群短至少20年，且其患哮喘、急性胸部综合征、慢性疼痛和疲劳、抑郁症、器官损伤和衰竭、中风以及其他长期危及生命的疾病的风险更高；以及，

鉴于，已**确定**镰状细胞疾病的病因，时间长达70年，但历史上因种族歧视而缺少专门用于治疗镰状细胞疾病的研究和治疗资源，因此，进展受到阻碍；以及，

鉴于，在获得必要的治疗以提高生活质量方面，镰状细胞疾病患者经常遇到阻碍，例如获得护理的地理位置有限、治疗成本高昂、高度依赖紧急护理，以及获得全面管理镰状细胞疾病专业知识的卫生保健提供者数量有限。这些阻碍进一步加重了医疗保健领域的持续性、系统性不平等，对有色人种社区产生的影响不成比例；以及，

鉴于，镰状细胞疾病患者的治疗费用高昂，估计平均终身医疗费用为126万至210万美元，其中患者平均自付费用为34,000至53,000美元。据报道，严重镰状细胞疾病患者的终身医疗费用高达400万至600万美元；以及，

鉴于，伊利诺伊州境内超过40%的镰状细胞疾病患者通过医疗补助计划获得公共资助的健康保险，估计49%的患有镰状细胞疾病的医疗补助计划客户患有严重的镰状细胞疾病；以及，

鉴于，根据第102-0004号《公共法案》（Public Act 102-0004），伊利诺伊州公共卫生部正投资于负责编制和开发创新型解决方案的组织，目的是改善伊利诺伊州境内镰状细胞疾病患者的健康状况，包括教育和外联计划，该计划旨在为患者及其家属、临床提供者、医疗保健专业人员、当地公共卫生和服务提供者、教育工作者以及社区提供**准确、最新和及时**的信息；以及，

鉴于，美国食品药品监督管理局（FDA）于2023年12月8日批准了**两种具有里程碑意义**的基因疗法，用于镰状细胞疾病的治疗和潜在治愈；以及，

鉴于，基因疗法的费用高昂，由此，引发了人们对公平获取、健康保险风险之限制以及公共健康保险项目潜在预算挑战的担忧。尽管最终成本净额和治疗范围有待于美国食品药品监督管理局的近期批准，但需要保证历史上服务受限人群能够公平地获得新型疗法，其重要性显而易见；以及，

鉴于，美国卫生和公众服务部及美国医疗保险和医疗补助服务中心（CMS）认识到，支持各州解决这些变革性基因疗法的高昂成本兼具重要性和紧迫性，宣布推出新型细胞基因疗法（CGT）获取模式。美国医疗保险和医疗补助服务中心选择将镰状细胞疾病作为细胞基因治疗获取模式的第一个重点；以及，

鉴于，在细胞基因治疗获取模式中，将采用一种多州联合谈判的方法，与药品制造商达成更大的谈判筹码，确保美国医疗保险和医疗补助服务中心能够代表各参与州与药品制造商谈判，管理基于结果的协议。基于结果的协议将涵盖多种途径，以节省各州在细胞和基因疗法方面的开支，包括与患者临床结果相关的开支；以及，

鉴于，各州可在2024年夏季申请细胞基因治疗获取模式，最早可在2025年1月开始。各州可以通过不具约束力的意向书和与美国医疗保险和医疗补助服务中心召开的会议概述其优先权，协助美国医疗保险和医疗补助服务中心与参与的药品制造商谈判；以及，

鉴于，细胞和基因疗法的范围已经迅速扩大，包括针对儿童群体的细胞和基因疗法，其中，医疗补助将成为主要收益。去年，美国食品药品监督管理局批准了多种新型细胞和基因疗法，并预测未来几年批准的数量将迅速增加；以及，

鉴于，美国食品药品监督管理局加快审批途径，批准其他新型、高成本的特殊药品和治疗方法。对于加速审批的药品，其批准是基于可能预测临床效益的终点进行。相比其他药品，这些药品标价高，回扣低，且在过去十年或更长时间内，其临床益处都没有经过验证；以及，

鉴于，联邦医疗补助药品回扣计划根据制造商提供的最低或最佳价格向各州提供联邦回扣，但作为回报，州医疗补助计划必须涵盖基本上所有由美国食品药品监督管理局批准的药品，包括加速审批的药品；以及，

鉴于，药品和治疗的成本高昂，人们越来越趋向于使用医疗补助药品。2018年至2021年间，某种品牌药品的平均成本增长了近50%，这反映出推出了新型、高成本特效药和疗法；以及，

鉴于，新型细胞和基因疗法、其他高成本特效药以及影响少数人的罕见病和重症的治疗，给可能在特定年份寻求治疗的人群带来了不确定性，并可能导致预算逐年波动。每次批准新型、高成本药品和治疗，都会增大医疗补助预算的成本和压力；以及，

鉴于，伊利诺伊州医疗保健和家庭服务部（HFS）正积极与美国医疗保险和医疗补助服务中心合作，目的是批准医疗补助州计划修正案，该修正案将允许医疗保健和家庭服务部与药品制造商签订基于结果的协议，就高投资药品和疗法的额外州回扣进行谈判。医疗保健和家庭服务部正处于基于结果的早期采购阶段，能够测试各种方法，管理与药品制造商达成的基于结果的协议，从而确定最佳实践；以及，

鉴于，这是执行创新型、可持续解决方案的重要机会，使伊利诺伊州境内的镰状细胞疾病患者和其他健康状况患者能够负担并获得新兴和变革性基因疗法及特殊药品。伊利诺伊州的后代应实施解决方案，表明我们重视每个人，保证每个人都能够获得优质和可负担的医疗保健服务；以及，

鉴于，重要而有效的方法是成立一个咨询委员会，增加获得新型镰状细胞疾病治疗及其他高成本药品和治疗的机会，汇集各州资源以实现这一共同目标，借鉴国家、州、提供者和消费者权益倡导者的丰富知识和专业知识，并在制定和实施解决方案时，优先考虑患者的意见和社区伙伴关系；

因此，本人，伊利诺伊州州长普利兹克（JB Pritzker），根据《伊利诺伊州宪法》（Constitution of the State of Illinois）第五条赋予本人的行政权力，特此命令如下：

1. 医疗保健和家庭服务部负责领导该州设立支付模式和融资结构，支持获得新型镰状细胞疾病治疗和其他高成本药品，并基于伊利诺伊州的医疗补助计划进行治疗。
2. 镰状细胞疾病治疗及其他高成本药品和治疗的融资和获取咨询委员会（“咨询委员会”）旨在为医疗保健和家庭服务部制定镰状细胞疾病治疗及其他高成本药品和治疗的支付模式和融资结构提供建议，以支持公平获取，并协助国家制定解决方案。
3. 咨询委员会应至少召开四次会议，并应：
  - a. 采取强有力的措施，考虑领域专家、提供者、保险公司、药品制造商和患有镰状细胞疾病或其他需要获得高成本药品和治疗的疾病的医疗补助客户的建议。
  - b. 审查旨在为高成本药品和治疗建立可持续支付模式和融资结构的创新方法，重点关注基于价值和结果的模型。
  - c. 评估在其他各州实施的基于价值和结果的支付方法的成功与挑战。
  - d. 就可在伊利诺伊州和/或可在美国医疗保险和医疗补助服务中心支持下在全国采用的融资方法提出建议。
  - e. 确定成功实施咨询委员会建议所需的各州和各联邦政策、法律、监管和资源的变化。
  - f. 领导并与致力于与简化镰状细胞疾病治疗及其他高成本药品和治疗的人员合作。
  - g. 在起草融资相关政策选择时，促进有效的机构间合作并将联邦和其他州的相关措施纳入考虑范围，重点是确保在伊利诺伊州医疗补助计划中公平获得镰状细胞疾病治疗及其他高成本药品和治疗。
4. 咨询委员会应在2024年12月31日之前编写一份报告，并将该报告提交给州长和州议会。根据该报告，应评估资助新细胞、基因疗法和其他高成本药品选项以及医疗补助计划中的治疗和监测患者结果的选项，并应建议在该计划中公平地提供新型治疗的策略。
5. 社区咨询委员会应由可代表本行政命令所述目标和人口的不同利益攸关方组成，并由州长任命。成员应具有地域多样性，以代表伊利诺伊州城市、郊区和乡郊社区的需求。成员应包括各州领域专家，也可能包括全国专家。医疗保健和家庭服务部可能由其认为必要的各州机构工作人员组成，这些工作人员应作为咨询委员会的成员，无表决权。
6. 咨询委员会由州长委任，由以下人士组成：
  - a. 伊利诺伊州医疗保健和家庭服务部主管或其指定的人员担任主席
  - b. 代表伊利诺伊州公共卫生部（Illinois Department of Public Health）的一名成员。
  - c. 代表伊利诺伊州惩教部（Illinois Department of Corrections）的一名成员。
  - d. 代表州长管理和预算办公室的一名成员。
  - e. 一名患有镰状细胞疾病的成员。
  - f. 一名拥有相关生活经验并患有需要获得新型、创新性药品或治疗的疾病的患者。
  - g. 一名代表治疗镰状细胞疾病患者的提供者的成员。
  - h. 一名代表治疗另一类需要获得新型、创新性药品或治疗患者的提供者的成员。
  - i. 两名拥有处方药回扣谈判和基于结果的协议等专业知识的成员。
  - j. 两名在公共医疗保险项目中资助新型、创新性药品或治疗方面发表研究的成员。

- k. **两名曾担任健康**经济学家或具有精算背景的成员。
  - l. 一名代表镰状细胞疾病倡导组织的成员。
  - m. 一名代表需要获得新型、创新性药品或治疗的疾病倡导组织的成员。
  - n. **两名代表健康保险**行业的成员。
  - o. **两名**一般成员，他们可能符合也可能不符合其他被任命者的资格要求。
7. **两名**拥有实际专业知识，并可在每次会议期间获得不超过250美元的时间补偿酬金的成员。
8. 工作组和社区咨询委员会应努力以协商一致方式**开展**工作；不过，只要成员均**达到**法定人数，即可在出席会议的成员过半数赞成的基础上，批准**相关**措施并提出建议。
9. 咨询委员会成员应按照州长的意愿任职。如任何原因出现空缺，州长应作出一项立即生效的任命。咨询委员会应于2024年12月31日废止。
10. 除了其可能采用的任何章程、政策或程序，社区咨询委员会的所有**运作**都将受《伊利诺伊州信息自由法案》（Illinois Freedom of Information Act, 5 ILCS 140/1 et seq.）和《伊利诺伊州**公开**会议法案》（Illinois Open Meetings Act, 5 ILCS 120/1 et seq.）的规定约束。这不应解释为其他法规对咨询委员会及其活动**不**适用。
11. 医疗保健和家庭服务部应向咨询委员会提供行政支持。
12. 本行政命令的任何内容均不得解释为违反任何联邦或州的法律或条例。除非本行政命令有**明确**规定，否则本行政命令的任何内容都不得影响或改变任何州级机构的现有法定权力，也不得解释为任何州级机构的改派或改组。
13. 本行政命令取代先前任何其他行政命令中的任何相反规定。
14. 如果本行政命令的任何部分被有管辖权的法庭认定为无效，则其余条款仍应保持完全的效力和作用。本行政命令的规定是可分割的。
15. 本行政命令一经向州务卿登记备案，立即生效，并在撤销前一直有效。

---

州长普利兹克（JB Pritzker）

州长发布：2024年3月18日

州务卿登记备案：2024年3月18日