

HEALTH INSURANCE CO-PAYMENT POLICIES FOR RARE DISEASES: INTERNATIONAL LESSONS LEARNED

Ong The Due*, Hoang Minh Tam, Do Tra My, Do Thi Quynh Trang, Dao Anh Son, Pham Tuan Viet

¹Health Strategy and Policy Institute - Alley 196 Ho Tung Mau, Mai Dich Ward, Cau Giay Dist, Hanoi City, Vietnam

¹Transportation Hospital - 169 Huynh Thuc Khang, Lang Ward, Hanoi City, Vietnam

Received: 18/08/2025

Revised: 27/08/2025; Accepted: 05/09/2025

ABSTRACT

Objective: The high cost of treatment, prolonged diagnostic delays, and limited access to medications had made rare diseases a significant challenge for health insurance systems. In the context of Vietnam's proposed amendment to the Law on Health Insurance which included full coverage and the removal of referral requirements for patients with rare diseases this study was conducted to synthesize international experiences regarding co-payment levels and healthcare access mechanisms for this patient group.

Methods: A literature review was carried out using academic databases and international policy reports, focusing on health insurance reimbursement and referral management in the context of rare disease treatment.

Results: Policy analysis from eight countries and the European Union revealed three major models: (1) full exemption from co-payment for patients with rare diseases (e.g., the UK, Italy, Australia, Taiwan); (2) conditional exemptions such as income-based cost caps, HTA waivers for orphan drugs, or classification of rare diseases under long-term conditions with enhanced coverage (e.g., Japan, Germany, France); and (3) the enactment of rare disease-specific laws or national strategies, providing legal and financial foundations for long-term support. Several countries also implemented dedicated support funds such as LSDP (Australia), IMF (UK), and AIFA 5% (Italy) to ensure access to treatment.

Conclusion: International experiences suggested that adapting co-payment and referral policies in a flexible, patient-centered manner aligned well with the specific nature of rare diseases. The proposed reforms in Vietnam's amended Health Insurance Law such as eliminating referrals and offering full reimbursement—represented a sound policy direction, but required technical regulations, cost data, and a clear patient classification system to be effectively implemented.

Keywords: Rare diseases; Health insurance; Co-payment; Referral system; Orphan drugs.

*Corresponding author

Email: ongthedue@hspi.org.vn **Phone:** (+84) 916555626 **Http:** //doi.org/10.52163/yhc.v66iCD14.3079

CHÍNH SÁCH CHI TRẢ CHO BỆNH HIỂM: BÀI HỌC KINH NGHIỆM QUỐC TẾ

Ong Thế Duệ*, Hoàng Minh Tâm, Đỗ Trà My, Đỗ Thị Quỳnh Trang, Đào Anh Sơn, Phạm Tuấn Việt

¹Viện Chiến lược và chính sách Y tế - Ngõ 196 Hồ Tùng Mậu, P. Mai Dịch, Q. Cầu Giấy, Tp. Hà Nội, Việt Nam

²Bệnh viện Giao thông Vận tải - 169 Huỳnh Thúc Kháng, P. Láng, Tp. Hà Nội, Việt Nam

Ngày nhận: 18/08/2025

Ngày sửa: 27/08/2025; Ngày đăng: 05/09/2025

ABSTRACT

Mục tiêu: Chi phí điều trị cao, thời gian chẩn đoán kéo dài và khả năng tiếp cận thuốc hạn chế khiến bệnh hiểm trở thành thách thức lớn đối với hệ thống bảo hiểm y tế. Nghiên cứu này được thực hiện nhằm tổng hợp kinh nghiệm quốc tế về chính sách chi trả và cơ chế tiếp cận y tế dành cho nhóm bệnh nhân này.

Phương pháp: Nghiên cứu tiến hành tổng quan tài liệu từ các cơ sở dữ liệu học thuật và báo cáo chính sách quốc tế, tập trung vào chính sách chi trả BHYT trong điều trị bệnh hiểm.

Kết quả: Phân tích chính sách tại 8 quốc gia và EU cho thấy ba nhóm mô hình chính: (1) Miễn toàn bộ đồng chi trả cho bệnh nhân bệnh hiểm (Anh, Ý, Úc, Đài Loan); (2) Áp dụng miễn trừ có điều kiện như giảm trần chi phí theo thu nhập, miễn bằng chứng chi phí – hiệu quả cho thuốc hiếm, hoặc quy định mức chi trả cao hơn cho bệnh hiểm (Nhật, Đức, Pháp); (3) Ban hành luật hoặc chiến lược quốc gia riêng về bệnh hiểm, tạo nền tảng pháp lý và tài chính dài hạn. Nhiều nước cũng triển khai các quỹ hỗ trợ riêng như LSDP (Úc), IMF (Anh), AIFA 5% (Ý) nhằm bảo đảm tiếp cận điều trị.

Kết luận: Bệnh hiểm gây ra gánh nặng nghiêm trọng về y tế và kinh tế, trong khi đa số bệnh nhân vẫn chưa được tiếp cận điều trị hiệu quả. Kinh nghiệm quốc tế cho thấy các chính sách chi trả thành công thường dựa trên ba yếu tố then chốt: nhận diện bệnh nhân bệnh hiểm trong hệ thống BHYT, linh hoạt trong đánh giá chi phí-hiệu quả, và thiết lập các quỹ hỗ trợ riêng. Việt Nam cần xây dựng khung pháp lý, danh mục bệnh hiểm và cơ chế chi trả phù hợp, đồng thời cân nhắc các mô hình tiên tiến nhằm bảo đảm công bằng và bền vững trong tiếp cận điều trị bệnh hiểm.

Từ khóa: Bệnh hiểm gặp; Bảo hiểm y tế; Đồng thanh toán; chuyển tuyến Thuốc hiếm.

1. ĐẶT VẤN ĐỀ

Bệnh hiểm là nhóm bệnh có tỷ lệ mắc rất thấp trong dân số nhưng lại mang đến hệ lụy nặng nề cả về sức khỏe, tài chính và xã hội. Theo ước tính, khoảng 300–475 triệu người trên toàn cầu đang sống chung với bệnh hiểm, phần lớn trong số này là trẻ em, với tỷ lệ tử vong cao trong những năm đầu đời [1]. Phần lớn các bệnh hiểm hiện vẫn chưa có phương pháp điều trị hiệu quả, trong khi các liệu pháp hiện có thường có chi phí rất cao và đòi hỏi chăm sóc chuyên sâu kéo dài [2], [3]. Điều này dẫn đến nguy cơ chi tiêu thảm họa cho các hộ gia đình, đặc biệt tại các quốc gia có hệ thống hỗ trợ y tế còn hạn chế.

Trong nhiều năm qua, nhiều nước đã điều chỉnh chính sách chi trả để giảm gánh nặng cho nhóm bệnh nhân đặc thù này. Một số quốc gia áp dụng

miễn trừ đồng chi trả, xây dựng cơ chế chuyển tuyến linh hoạt, hoặc triển khai quỹ hỗ trợ song song để đảm bảo tiếp cận thuốc điều trị bệnh hiểm[4-6]. Điểm chung giữa các mô hình này là sự công nhận rằng bệnh hiểm cần được phân loại và tiếp cận khác biệt trong chính sách y tế — không chỉ vì tính chất lâm sàng phức tạp mà còn do nguy cơ bất công bằng trong chi trả và tiếp cận dịch vụ.

Trong bối cảnh đó, nghiên cứu này được thực hiện nhằm tổng hợp kinh nghiệm quốc tế về chính sách chi trả và cơ chế tiếp cận y tế dành cho nhóm bệnh nhân này.

*Tác giả liên hệ

Email: ongthedue@hspi.org.vn Điện thoại: (+84) 916555626 <https://doi.org/10.52163/yhc.v66iCD14.3079>

2. ĐỐI TƯỢNG VÀ PHƯƠNG PHÁP NGHIÊN CỨU

2.1. Thiết kế nghiên cứu

Nghiên cứu này được thực hiện dưới hình thức tổng quan tài liệu nhằm tổng hợp kinh nghiệm quốc tế về chính sách chi trả đối với người bệnh được chẩn đoán xác định mắc bệnh hiếm.

2.2. Nguồn và kỹ thuật tìm kiếm

Dữ liệu được thu thập từ các cơ sở dữ liệu học thuật trực tuyến như PubMed, Google Scholar, cùng với danh mục tài liệu tham khảo của các công trình đã được chọn lọc ban đầu. Ngoài ra, nghiên cứu còn sử dụng tài liệu từ các trang web chính thức của tổ chức y tế quốc tế và chính phủ một số quốc gia, nhằm bổ sung thông tin chính sách và văn bản quy phạm pháp luật liên quan.

2.3. Chiến lược tìm kiếm

Các từ khóa tiếng Anh được sử dụng bao gồm: “Payment”, “Reimbursement”, “Rare diseases”, “Orphan drug”, “Health insurance”, “Patient management”, “Cost-sharing”, “Coverage for rare diseases”, “Healthcare access”, và “Financial burden”. Các cụm từ này được kết hợp linh hoạt để tối ưu hóa phạm vi tìm kiếm và đảm bảo tính liên quan đến chủ đề nghiên cứu.

2.4. Tiêu chí lựa chọn và loại trừ

- Tiêu chí lựa chọn: Bao gồm các nghiên cứu học thuật, sách chuyên khảo, báo cáo khoa học, bài báo và văn bản quy phạm pháp luật quốc tế có nội dung liên quan đến mức đồng chi trả và cơ chế chuyển tuyến đối với người bệnh hiếm.

- Tiêu chí loại trừ: Các tài liệu trùng lặp hoặc không cung cấp thông tin phù hợp và hữu ích cho mục tiêu tổng quan của nghiên cứu.

2.5. Quy trình trích xuất dữ liệu

Các tài liệu được lựa chọn sau bước sàng lọc sẽ được trích xuất thông tin bằng phần mềm Excel, bao gồm các trường dữ liệu: tên tài liệu, tác giả, năm xuất bản, quốc gia thực hiện và nội dung liên quan đến chính sách chi trả đối với bệnh hiếm.

2.6. Phân tích và tổng hợp dữ liệu

Các dữ liệu thu thập được chia thành hai nhóm:

(1) Dữ liệu mô tả từ các nghiên cứu dịch tễ học và kinh tế y tế, được tổng hợp nhằm làm rõ tỷ lệ mắc, đặc điểm lâm sàng, tỷ lệ tử vong và chi phí điều trị bệnh hiếm tại các quốc gia (trình bày trong mục 3.1 và 3.2);

(2) Dữ liệu chính sách, được xử lý theo phương pháp phân tích nội dung định tính, nhằm nhận diện và phân loại các đặc điểm chính sách chi trả cho bệnh hiếm. Thông tin được mã hóa và phân nhóm theo

các chủ đề cốt lõi:

- Tỷ lệ đồng chi trả hoặc miễn chi trả;
- Luật và khung pháp lý về bệnh hiếm;
- Chính sách chi trả cho thuốc hiếm;
- Cơ chế hỗ trợ tài chính riêng (quỹ độc lập, trợ giá...);
- Tiêu chí phân loại bệnh nhân và trần chi phí theo thu nhập.

Các kết quả được tổng hợp vào bảng so sánh giữa các quốc gia và phân tích theo chiều sâu nhằm rút ra

3. KẾT QUẢ

3.1. Bệnh hiếm và thách thức trong điều trị bệnh hiếm

Bệnh hiếm là những bệnh có tỷ lệ mắc rất thấp, với định nghĩa khác nhau giữa các quốc gia. Tại EU, một bệnh được coi là hiếm nếu tỷ lệ mắc dưới 1/2.000 người [1]; tại Ấn Độ là dưới 1/5.000 người; tại Mỹ là dưới 200.000 người [10]; trong khi Trung Quốc sử dụng ngưỡng thấp hơn, dưới 1/500.000 người. Trong khi đó, một số nước đang phát triển chưa có định nghĩa cho bệnh hiếm [11].

Các triệu chứng của bệnh hiếm thường không đặc hiệu, dẫn đến việc mỗi bệnh nhân mất trung bình 5 năm để chẩn đoán chính xác, khám trung bình 5 bác sĩ và bị chẩn đoán sai ít nhất 3 lần [12]. Hơn 95% bệnh hiếm chưa có phương pháp điều trị hiệu quả, và giá thuốc điều trị bệnh hiếm thường cao gấp 7 lần so với bệnh thông thường [3].

3.2. Gánh nặng bệnh tật và gánh nặng kinh tế của bệnh hiếm

3.2.1. Gánh nặng bệnh tật

Bệnh hiếm, mặc dù chỉ ảnh hưởng đến một tỷ lệ nhỏ dân số, lại tạo ra những hệ lụy nghiêm trọng về mặt sức khỏe cộng đồng. Ước tính có khoảng 3 đến 8% dân số thế giới mắc các bệnh hiếm [1].

Khoảng 72% bệnh hiếm có nguyên nhân di truyền, phần lớn khởi phát sớm ở trẻ em [3]. Có đến 35% số ca tử vong xảy ra trong năm đầu đời và 30% trẻ không thể sống quá 5 tuổi. Các nghiên cứu cho thấy tỷ lệ tử vong ở nhóm mắc bệnh hiếm cao hơn so với dân số chung. Tại vùng Ý, nghiên cứu kéo dài từ năm 2002 đến 2019 ghi nhận tỷ lệ tử vong chuẩn hóa ở bệnh nhân bệnh hiếm cao hơn gần gấp đôi so với dân số nói chung (1,93 lần), trong đó tỷ lệ sống sót sau 15 năm thấp nhất thuộc về nhóm bệnh thần kinh hiếm gặp (58%), tiếp đến là bệnh da liễu hiếm gặp (68%) và bệnh thấp khớp hệ thống (81%) [14]. Tại Ireland, nghiên cứu cho thấy 58,6% số ca tử vong ở trẻ dưới 15 tuổi có bệnh hiếm nền, và các trường hợp này chiếm tới 87% tổng số ngày điều trị nội trú trước khi tử vong [15].

3.2.2. Gánh nặng kinh tế

Bên cạnh gánh nặng bệnh tật, bệnh hiểm còn gây ra gánh nặng kinh tế nặng nề đối với cả hệ thống y tế và gia đình bệnh nhân. Một nghiên cứu thực hiện tại Đức, Pháp và Ý cho thấy chi phí điều trị trung bình cho một bệnh nhân mắc bệnh hiểm là khoảng 107.000 EUR mỗi năm – cao gấp 15 lần so với các bệnh phổ biến (7.000 EUR/năm) [16]. Đặc biệt, khi không có phương án điều trị, gánh nặng chi phí tăng thêm khoảng 28% mỗi năm. Chi phí gián tiếp (bao gồm mất thu nhập, chi phí chăm sóc, cải tạo nhà ở, di chuyển...) chiếm từ 29% đến 45% tổng chi phí và phần lớn do gia đình tự chi trả. Tại Mỹ, tổng chi phí liên quan đến 373 bệnh hiểm ước tính lên tới 2.200 tỷ USD mỗi năm, ảnh hưởng đến khoảng 8,4 triệu người bệnh [17].

Tình hình tại châu Á cũng cho thấy một bức tranh tương tự. Theo Chung và cộng sự (2023), tại Hồng Kông, tổng chi phí điều trị bệnh hiểm là 62.084 USD/năm, trong đó chi phí trực tiếp cho y tế là 23.995 USD; còn lại là chi phí trực tiếp ngoài y tế (ăn, ở, di chuyển...) lên tới 24.814 USD và chi phí gián tiếp là 13.273 USD [18]. Tại Đài Loan, Hsu và cộng sự (2018) báo cáo tổng chi y tế cho bệnh hiểm tăng nhanh từ 18,65 triệu USD năm 2003 lên 137,44 triệu USD năm 2014, tương đương 0,68% chi tiêu y tế toàn quốc. Chi phí thuốc chiếm phần lớn – lên đến 88,75% trong tổng chi bệnh hiểm năm 2014. Mức chênh lệch chi phí giữa bệnh nhân bệnh hiểm và người dân thường cũng rất lớn, gấp 20,4 lần về tổng chi y tế và 69,5 lần về chi phí thuốc [19].

3.2. Kinh nghiệm quốc tế về chính sách chi trả đối với người bệnh được chẩn đoán xác định đối với bệnh hiểm

Liên minh Châu Âu (EU) đã ban hành một khung

pháp lý chung về thuốc hiểm thông qua Quy định EC 141/2000, nhưng chính sách chi trả cho điều trị bệnh hiểm lại phụ thuộc vào chiến lược của mỗi quốc gia thành viên. Điều này dẫn đến sự khác biệt lớn về mức độ tiếp cận thuốc hiểm giữa các nước. Một số quốc gia như Đức, Pháp và Ý có cơ chế riêng để chi trả hoặc miễn đánh giá chi phí – hiệu quả cho thuốc hiểm (Bảng 1).

Pháp chưa có luật về bệnh hiểm, nhưng đã triển Kế hoạch quốc gia về bệnh hiểm từ năm 2005. Bệnh nhân mắc bệnh hiểm được hưởng mức chi trả 100% và Pháp là một trong các quốc gia có số lượng thuốc hiểm được hoàn trả nhiều nhất [21]. Bên cạnh đó, Pháp có một số cơ chế để tăng tiếp cận với các thuốc hiểm, như cấp phép tạm thời cho thuốc hiểm trước khi được phê duyệt chính thức và không yêu cầu chặt chẽ về bằng chứng chi phí – hiệu quả trong phê duyệt thuốc hiểm. Tương tự, Đức cũng chưa có luật về bệnh hiểm, nhưng cũng đã ban hành Kế hoạch quốc gia về bệnh hiểm vào năm 2013 và chi trả gần như toàn bộ các chi phí điều trị bệnh hiểm. Nhiều bệnh hiểm được giảm trần chi phí xuống chỉ còn 1% thu nhập hàng năm, và trẻ em được miễn phí hoàn toàn chi phí điều trị. Bên cạnh đó, Đức cũng có quy định miễn đánh giá chi phí – hiệu quả cho thuốc hiểm nếu doanh thu của thuốc thấp hơn một ngưỡng cụ thể [6]. Trong khi đó, Ý là một trong những quốc gia tiên phong về hệ thống pháp lý cho bệnh hiểm. Theo đó, các bệnh hiểm trong danh mục chính thức được miễn toàn bộ đồng chi trả và người nhà của bệnh nhân có thể được hỗ trợ xét nghiệm di truyền miễn phí. Ngoài ra, Ý còn có quỹ để hỗ trợ thuốc chưa được cấp phép, cùng với cơ chế linh hoạt cho phép sử dụng thuốc chưa phê duyệt trong khi chờ cấp phép [5].

Bảng 1. Kinh nghiệm quốc tế về chính sách chi trả đối với bệnh hiểm

Chính sách		
EU (Châu Âu)	1. Tỷ lệ chi trả cho bệnh nhân bệnh hiểm	- Không có hệ thống BHYT chung cho toàn EU; việc chi trả do từng quốc gia quyết định. Hầu hết các nước EU đều có BHYT toàn dân. Nhiều nước miễn hoặc chi trả 100% chi phí cho bệnh hiểm được công nhận. Ví dụ, Ý miễn toàn bộ đồng chi trả cho các dịch vụ điều trị ngoại trú bệnh hiểm; Pháp cũng miễn phần cùng trả (ticket modérateur) cho bệnh hiểm thuộc diện bệnh nặng kéo dài (ALD).
	2. Luật/văn bản pháp quy riêng cho bệnh hiểm	- Ở cấp EU có Quy định (EC) 141/2000 về thuốc hiểm, tạo khung pháp lý khuyến khích phát triển thuốc điều trị bệnh hiểm (ưu đãi về phê duyệt, độc quyền thị trường 10 năm). EU cũng có Khuyến nghị Hội đồng năm 2009 kêu gọi các nước thành viên xây dựng kế hoạch quốc gia về bệnh hiểm. - Tuy nhiên, EU không có luật BHYT chung cho bệnh hiểm; các quy định bảo hiểm tùy thuộc luật quốc gia.
	3. Chính sách đối với thuốc hiểm	- EU cho phép phê duyệt tập trung thuốc hiểm qua EMA, nhưng quyết định thanh toán do quốc gia. Không có quỹ BHYT chung cho thuốc hiểm cấp EU. - EU khuyến khích phát triển thuốc hiểm (quyền độc quyền 10 năm, hỗ trợ phí, tư vấn khoa học...), tuy nhiên việc đánh giá HTA và chi trả do từng nước. Nhiều nước EU có cơ chế linh hoạt: ví dụ Đức miễn đánh giá lợi ích ban đầu cho thuốc hiểm doanh thu <50 triệu €; Anh có chương trình HST với ngưỡng cost-effectiveness cao hơn cho thuốc hiểm.

Chính sách		
EU (Châu Âu)	4. Hỗ trợ tài chính đặc biệt / Quỹ riêng cho bệnh hiếm	- Ở cấp EU không có quỹ thanh toán riêng cho bệnh hiếm; ngân sách điều trị là của từng nước. EU hỗ trợ gián tiếp qua các quỹ nghiên cứu (như chương trình Horizon) và thiết lập Mạng lưới tham chiếu châu Âu (ERN) để kết nối chuyên gia và tối ưu điều trị bệnh hiếm xuyên biên giới. - Một số dự án của EU tài trợ đào tạo, chẩn đoán (VD: dự án Screen4Rare), nhưng chi trả chi phí thuốc men cụ thể vẫn do hệ thống BHYT quốc gia gánh.
	5. Phân loại bệnh nhân / Trần chi trả đặc biệt cho nhóm bệnh hiếm	- Ở cấp độ EU không có phân loại chung. Mỗi nước tự xác định danh mục bệnh hiếm hưởng quyền lợi. EU hỗ trợ xây dựng mã ORPHAcodes để các nước mã hóa bệnh hiếm nhất quán, nhưng việc miễn giảm chi phí là do từng hệ thống quốc gia quyết định. - Nhiều nước EU có hạng bệnh hiếm trong diện bệnh nặng: thí dụ Pháp ALD, Ý esenzione malattie rare, Đức chronisch krank... để bệnh nhân được hưởng chi trả cao hơn, trần phí thấp hơn.
Pháp	1. Tỷ lệ chi trả cho bệnh nhân bệnh hiếm	- Bệnh nhân mắc bệnh hiếm ở Pháp có thể được BHYT chi trả 100% chi phí chăm sóc liên quan nếu bệnh được xếp vào danh mục “Bệnh lý dài hạn” (Affection de Longue Durée, ALD). Khi đó bảo hiểm thanh toán toàn bộ theo biểu phí chính thức, bệnh nhân không phải trả phần cùng chi trả. - Nếu bệnh hiếm chưa được xếp ALD, chi trả theo mức chung (thường BHYT thanh toán ~70–80%, phần còn lại do bảo hiểm bổ sung hoặc người bệnh trả).
	2. Luật/văn bản pháp quy riêng cho bệnh hiếm	- Không có luật riêng chỉ dành cho bệnh hiếm ở Pháp. Thay vào đó, Pháp tiên phong xây dựng Kế hoạch quốc gia về bệnh hiếm (Plan National Maladies Rares) đầu tiên năm 2005. Các kế hoạch này (đến nay là Kế hoạch 3, giai đoạn 2018–2022) đặt khung chính sách cho chẩn đoán, chăm sóc và nghiên cứu bệnh hiếm. - Pháp thực thi trực tiếp quy định thuốc hiếm của EU, và có các văn bản hướng dẫn sử dụng thuốc hiếm qua cơ chế ATU (cấp phép tạm thời trước phê duyệt).
	3. Chính sách đối với thuốc hiếm	- Hội đồng HAS (Ủy ban Minh bạch) đánh giá thuốc hiếm dựa trên lợi ích lâm sàng cộng thêm. Pháp có xu hướng chấp thuận hoàn trả cho nhiều thuốc hiếm quan trọng: hiện 116 thuốc hiếm đã được hoàn trả ở Pháp (cao nhất châu Âu). - Pháp còn có cơ chế ATU/early access cho phép bệnh nhân tiếp cận thuốc hiếm trước khi cấp phép chính thức; ~70% thuốc hiếm sau này hoàn trả từng qua diện ATU. Chi phí-hiệu quả không áp dụng cứng nhắc: nhiều thuốc hiếm được xếp hoàn trả 100% do tính nghiêm trọng của bệnh.
	4. Hỗ trợ tài chính đặc biệt / Quỹ riêng cho bệnh hiếm	- Pháp không có quỹ riêng cho thuốc hiếm ngoài hệ thống bảo hiểm thông thường. Mọi chi phí điều trị (thuốc hiếm, xét nghiệm...) được quỹ BHYT bắt buộc và bảo hiểm bổ sung chi trả theo chế độ ALD nếu bệnh được công nhận. - Nhà nước Pháp có ngân sách cho Trung tâm tham chiếu bệnh hiếm (CRMR) và tài trợ các chương trình nghiên cứu bệnh hiếm, nhưng không có quỹ độc lập tương tự CDF hay LSDP.
	5. Phân loại bệnh nhân / Trần chi trả đặc biệt cho nhóm bệnh hiếm	- Có. Pháp cho phép bệnh hiếm được xếp vào nhóm ALD30 hoặc ALD31 (bệnh lý dài hạn cần điều trị tốn kém) để hưởng chế độ bảo hiểm 100%. Bệnh nhân/y bác sĩ có thể nộp hồ sơ đề nghị cơ quan BHYT công nhận bệnh hiếm là ALD ngoài danh mục (ALD31). - Khi đã được cấp mã ALD, người bệnh nhận thẻ miễn phí (exo) để xuất trình khi khám chữa, đảm bảo không phải thanh toán phần chi trả. Nếu bệnh không đủ tiêu chí ALD, bệnh nhân vẫn được bảo hiểm bổ sung (mutuelle) hỗ trợ phần lớn chi phí còn lại.

Chính sách		
Đức	1. Tỷ lệ chi trả cho bệnh nhân bệnh hiếm	- BHYT bắt buộc (SHI) ở Đức chi trả mọi điều trị cần thiết cho bệnh hiếm như các bệnh khác. Bệnh nhân chỉ đóng đồng chi trả nhỏ (ví dụ 5–10€ một đơn thuốc, 10€/ngày viện) và tổng chi trả mỗi năm được giới hạn tối đa 2% thu nhập hộ gia đình (chỉ 1% nếu mắc bệnh mạn tính). Nhiều bệnh hiếm được coi là bệnh mạn, nên bệnh nhân thực tế được giới hạn trần chi trả 1% thu nhập. - Trẻ em dưới 18 tuổi cũng được miễn mọi đồng chi trả.
	2. Luật/văn bản pháp quy riêng cho bệnh hiếm	- Không có luật chuyên biệt về bệnh hiếm. Đức dựa trên quy định chung của EU về thuốc hiếm. Năm 2013, Đức đã ban hành Kế hoạch hành động quốc gia về bệnh hiếm (NAMSE), đề ra 52 biện pháp cải thiện chăm sóc người bệnh hiếm. - Các quyền lợi của bệnh nhân hiếm được lồng ghép trong luật BHYT và luật về người khuyết tật chung. (Ví dụ người bệnh nặng, bao gồm bệnh hiếm, được quy chế “mắc bệnh mạn tính nghiêm trọng” để hưởng trần chi trả 1% thu nhập như trên).
	3. Chính sách đối với thuốc hiếm	- Đức tài trợ thuốc hiếm qua BHYT như thuốc thường, nhưng có ưu tiên đặc biệt: Theo Luật AMNOG, thuốc hiếm được coi như có lợi ích bổ sung mặc định khi vừa ra mắt, miễn quy trình đánh giá lợi ích đầy đủ. - Ủy ban G-BA chỉ tiến hành thẩm định chi tiết khi doanh thu thuốc vượt €50 triệu/năm. Đức không dùng ngưỡng chi phí-hiệu quả QALY; giá thuốc hiếm được đàm phán sau 1 năm lưu hành, thường dựa trên so sánh với liệu pháp hiện có. (Lưu ý: từ 2023 Đức đang xem xét thắt chặt ngưỡng doanh thu xuống €20–30 triệu).
	4. Hỗ trợ tài chính đặc biệt / Quỹ riêng cho bệnh hiếm	- Đức không cần quỹ riêng vì hệ thống BHYT chi trả đầy đủ. Các thuốc hiếm sau khi được cấp phép đều mặc định được hoàn tiền bởi quỹ BHYT (trừ phi đàm phán giá thất bại, rất hiếm). - Đức thiết lập nhiều Trung tâm xuất sắc về bệnh hiếm (ví dụ Trung tâm về Bệnh Hiếm tại các bệnh viện đại học) và có Quỹ nghiên cứu y học để hỗ trợ tìm liệu pháp, nhưng chi phí thuốc và điều trị do các quỹ bảo hiểm sức khỏe chi trả như thường lệ.
	5. Phân loại bệnh nhân / Trần chi trả đặc biệt cho nhóm bệnh hiếm	- Có. Đức không có danh mục “bệnh hiếm” riêng, nhưng coi hầu hết bệnh hiếm nặng là bệnh mạn tính nghiêm trọng. Người bệnh mạn tính (điều trị liên tục >1 năm) được giảm trần đồng chi trả xuống 1% thu nhập. - Bệnh nhân phải đăng ký tình trạng “chronically ill” với quỹ bảo hiểm. Ngoài ra, trẻ em <18 tuổi đương nhiên miễn đồng chi trả. Nhờ đó, người bệnh hiếm ở Đức thường chi trả rất ít (ví dụ thu nhập 50.000€/năm thì trần chi là 500€/năm, quá mức đó bảo hiểm trả 100%).
Ý	1. Tỷ lệ chi trả cho bệnh nhân bệnh hiếm	- Ở Ý, theo Nghị định 279/2001, các bệnh hiếm trong danh sách chính thức đều được miễn hoàn toàn việc đồng chi trả (“ticket”) cho chẩn đoán và điều trị ngoại trú tại các cơ sở công. Nghĩa là bệnh nhân không phải trả tiền khám, xét nghiệm, thuốc men liên quan đến bệnh hiếm. - Nếu cần xét nghiệm di truyền cho thân nhân để chẩn đoán bệnh hiếm, xét nghiệm đó cũng được thực hiện miễn phí. Tất cả chi phí do Dịch vụ Y tế Quốc gia (NHS) đài thọ bằng ngân sách công.
	2. Luật/văn bản pháp quy riêng cho bệnh hiếm	- Có. Ý ban hành Nghị định Bộ trưởng 279/2001 – văn bản pháp lý đầu tiên về bệnh hiếm ở nước này. Nghị định 279/2001 xác định tiêu chí bệnh hiếm (đe dọa tính mạng hoặc mạn tính suy nhược, cần chăm sóc phức tạp, tỷ lệ lưu hành <5/10.000) và ban hành danh mục 284 bệnh hiếm được bảo trợ. - Nghị định cũng thiết lập mạng lưới trung tâm đầu mối về bệnh hiếm tại mỗi vùng. Gần đây, Ý thông qua Luật số 175/2021 (“Testo Unico” về bệnh hiếm) nhằm củng cố bảo vệ quyền lợi người bệnh hiếm và thúc đẩy nghiên cứu, sản xuất thuốc hiếm.

Chính sách		
Ý	3. Chính sách đối với thuốc hiếm	- Ý cho phép hoàn trả thuốc hiếm nếu đáp ứng các tiêu chí: bệnh chưa có liệu pháp hiệu quả, thuốc mới có ích lợi lâm sàng vượt trội, tỷ lệ lợi ích/nguy cơ chấp nhận được và có lợi ích kinh tế-xã hội. AIFA sẽ đánh giá và đàm phán giá với hãng. - Ý có các cơ chế đặc thù: Law 648/1996 cho phép sử dụng thuốc chưa phép hoặc ngoài chỉ định trên chi phí công nếu không có liệu pháp thay thế. Hiện có ít nhất 14 thuốc hiếm được cho phép sử dụng “off-label” và được hoàn trả ở Ý theo luật này. Ngoài ra, Fondo AIFA 5% (xem cột 4) hỗ trợ thuốc hiếm trong giai đoạn chờ cấp phép. Ý không áp dụng cứng nhắc mô hình QALY, thay vào đó cân nhắc nhu cầu chưa được đáp ứng và tính hiệu quả lâm sàng.
	4. Hỗ trợ tài chính đặc biệt / Quỹ riêng cho bệnh hiếm	- Có. Ý có Quỹ AIFA 5% dành cho thuốc hiếm và thuốc cứu mạng: trích 5% ngân sách được phẩm để tạo quỹ khoảng 45 triệu € mỗi năm. Một nửa quỹ này dùng chi trả cho bệnh nhân cần thuốc hiếm hoặc thuốc đặc trị chưa được PBS đài thọ; nửa còn lại tài trợ nghiên cứu độc lập về bệnh hiếm và thuốc hiếm. - Ngoài ra, Ý có quy định chi ngân sách vùng: các vùng được cấp ngân sách để chi trả cho bệnh nhân thuộc mạng lưới bệnh hiếm. Bệnh nhân không phải trả thêm tiền, kể cả nếu cần thuốc theo luật 648/96 (ngân sách do Nhà nước và vùng cùng chịu).
	5. Phân loại bệnh nhân / Trần chi trả đặc biệt cho nhóm bệnh hiếm	- Có. Ý có danh mục mã bệnh hiếm ban hành kèm ND 279/2001. Bệnh nhân trong danh sách được cấp giấy chứng nhận bệnh hiếm, từ đó được miễn phí toàn bộ các dịch vụ y tế liên quan bệnh đó. - Bệnh nhân bệnh hiếm cũng được hưởng ưu tiên trong một số hỗ trợ xã hội (như trợ cấp khuyết tật, hỗ trợ di lại) tương tự như người khuyết tật nặng. Không có trần chi trả hàng năm do họ đã miễn phí rồi. (Chi phí được thống kê riêng để chính phủ hoàn ngân sách cho vùng).
Vương quốc Anh	1. Tỷ lệ chi trả cho bệnh nhân bệnh hiếm	- NHS chi trả 100% chi phí khám chữa bệnh cần thiết. Mọi công dân, bao gồm bệnh nhân bệnh hiếm, đều được miễn phí tại điểm sử dụng dịch vụ y tế. - Vương quốc Anh không thu tiền khi khám chữa tại bệnh viện công; chỉ có một số khoản nhỏ như phí kê đơn thuốc ở Anh (~£9/đơn), nhưng nhiều bệnh nhân bệnh mạn được miễn phí kê đơn. Nói chung, bệnh nhân bệnh hiếm không phải chi trả cho chăm sóc y tế trong hệ thống NHS.
	2. Luật/văn bản pháp quy riêng cho bệnh hiếm	- Không có luật riêng về bệnh hiếm. Chính phủ Anh áp dụng các chiến lược và chính sách mềm. Chiến lược Bệnh hiếm UK 2013–2020 và Khung Bệnh hiếm UK 2021 đặt ra mục tiêu cho chẩn đoán, điều trị và nghiên cứu bệnh hiếm. - Hệ thống NHS hoạt động trên cơ sở luật y tế chung, đảm bảo tính phổ quát và miễn phí cho mọi người dân, thay vì ban hành luật riêng cho từng nhóm bệnh.
	3. Chính sách đối với thuốc hiếm	- NICE đánh giá thuốc hiếm; phần lớn thuốc hiếm mới đều qua quy trình HTA. Tuy nhiên, Anh có lộ trình HST (Highly Specialised Technologies) dành cho thuốc điều trị bệnh cực hiếm ($\leq 1/50.000$ dân). HST áp dụng ngưỡng chi phí-hiệu quả linh hoạt cao hơn: sẵn sàng trả ~£100.000/QALY, và có thể chấp nhận tới ~£300.000/QALY nếu lợi ích sức khỏe lớn. - Năm 2021, Khung Bệnh hiếm UK đã điều chỉnh quy trình HST, nhấn mạnh yếu tố bệnh nặng và khó thu thập chứng cứ, nhằm tăng khả năng phê duyệt thuốc hiếm. Do đó nhiều thuốc hiếm đắt tiền mà bằng chứng hạn chế vẫn được NHS đàm phán chi trả thông qua thỏa thuận đặc biệt (thí dụ thuốc vắc-xin gene trị SMA...).

Chính sách		
Vương quốc Anh	4. Hỗ trợ tài chính đặc biệt / Quỹ riêng cho bệnh hiếm	- Có. Năm 2021, Anh ra mắt Quỹ Thuốc Đổi mới (IMF) với ngân sách £340 triệu/năm (tương đương Quỹ thuốc Ung thư CDF dành cho ung thư). Quỹ này hỗ trợ tạm ứng chi trả các thuốc mới đầy hứa hẹn cho mọi bệnh hiếm/ng hiếm trọng trước khi có đủ bằng chứng về hiệu quả chi phí. - IMF giúp bệnh nhân bệnh hiếm được dùng thuốc sớm, trong khi chờ NICE đánh giá dài hạn. Ngoài IMF, NHS England cũng có ngân sách dịch vụ chuyên môn hóa dành cho nhiều liệu pháp bệnh hiếm được Ủy ban chuyên môn quốc gia tài trợ. (Scotland, Wales có quỹ tương tự quy mô nhỏ hơn để hỗ trợ thuốc hiếm).
	5. Phân loại bệnh nhân / Trần chi trả đặc biệt cho nhóm bệnh hiếm	- Không phân biệt chính thức do toàn bộ chăm sóc sức khỏe đều miễn phí. NHS không đặt trần chi trả vì bệnh nhân hầu như không trả tiền. - Tuy nhiên, Anh có cơ chế Ủy ban chuyên môn hóa: nhiều bệnh hiếm/thuốc hiếm được đưa vào nhóm “dịch vụ chuyên khoa quốc gia”, do NHS England tài trợ thay vì địa phương, đảm bảo bệnh nhân hiếm trên toàn quốc được tiếp cận bình đẳng. (VD: liệu pháp enzyme cho bệnh Pompe do ngân sách chuyên môn chi trả).
Úc	1. Tỷ lệ chi trả cho bệnh nhân bệnh hiếm	- Úc có hệ thống Medicare (BHYT công) chi trả phần lớn chi phí y tế cơ bản. Nhiều dịch vụ khám chữa bệnh miễn phí hoặc được chính phủ trợ giá. - Thuốc men trong danh mục Chương trình Phúc lợi Dược phẩm (PBS) có đồng chi trả cố định (năm 2023 khoảng 42 AUD, hoặc ~6 AUD cho đối tượng ưu đãi). Khi bệnh hiếm cần thuốc rất đắt không có trong PBS, sẽ có cơ chế riêng (xem LSDP bên dưới).
	2. Luật/văn bản pháp quy riêng cho bệnh hiếm	- Không có luật chuyên biệt cho bệnh hiếm. Tháng 2/2020, Chính phủ Úc công bố Kế hoạch Hành động Chiến lược Quốc gia về Bệnh hiếm – lần đầu có khung chính sách toàn quốc cho bệnh hiếm. Kế hoạch này nhấn mạnh việc đảm bảo người bệnh hiếm được tiếp cận công bằng, kịp thời với các liệu pháp tiên tiến. - Ngoài ra, Úc có các quy định chung về đánh giá công nghệ y tế và phúc lợi xã hội, trong đó bệnh hiếm được cân nhắc như một phần của ưu tiên sức khỏe cộng đồng (nhưng không có đạo luật riêng).
	3. Chính sách đối với thuốc hiếm	- PBAC (Hội đồng Cố vấn Lợi ích Dược phẩm) tại Úc đánh giá mọi thuốc mới, bao gồm thuốc hiếm, về hiệu quả và chi phí-hiệu quả để quyết định có đưa vào PBS hay không. Yêu cầu cost-effectiveness khá nghiêm ngặt. - Tuy nhiên, Úc có Chương trình Thuốc Cứu sinh (LSDP) như một lối đi riêng: các thuốc hiếm có hiệu quả lâm sàng nhưng không đạt tiêu chí chi phí-hiệu quả để được PBS sẽ được xem xét cấp qua LSDP. LSDP không đòi hỏi phân tích cost-effectiveness như PBAC – thực tế quy định không cần chứng minh hiệu quả chi phí để thuốc được chấp thuận vào LSDP. (Hãng chỉ cần cung cấp giá tham khảo quốc tế và bằng chứng hiệu quả lâm sàng).
	4. Hỗ trợ tài chính đặc biệt / Quỹ riêng cho bệnh hiếm	- Có. Chương trình Thuốc Cứu sinh (LSDP) thành lập 1995 nhằm trợ cấp toàn phần thuốc thiết yếu cho bệnh cực hiếm đe dọa tính mạng. LSDP hoạt động bổ sung PBS, chi trả thuốc mà PBAC từ chối do không đạt cost-effectiveness. - Điều kiện thuốc vào LSDP: bệnh cực kỳ hiếm ($\leq 1/50.000$ dân) và đe dọa tính mạng; thuốc có hiệu quả rõ rệt nhưng giá quá cao so với tiêu chí PBS. Hiện nhiều thuốc điều trị các bệnh lysosomal, rối loạn chuyển hóa di truyền đã được cấp qua LSDP. Bệnh nhân dùng thuốc LSDP không phải trả đồng chi trả nào (khác với thuốc PBS), chi phí do Chính phủ đài thọ 100%.
	5. Phân loại bệnh nhân / Trần chi trả đặc biệt cho nhóm bệnh hiếm	- Không có phân loại riêng cho bệnh hiếm trong BHYT, nhưng Úc có các mức trần hỗ trợ chi phí chung: Medicare Safety Nets – khi chi phí một năm vượt ngưỡng, Medicare sẽ tăng tỷ lệ hoàn trả (thậm chí 100%). - PBS cũng có ngưỡng đồng thanh toán: sau khi một gia đình chi trả khoảng AUD \$1.563/năm (2023) cho thuốc, các đơn thuốc tiếp theo chỉ còn đồng chi trả thấp (AUD \$6.80) hoặc miễn phí nếu đã có thẻ ưu đãi. Bệnh nhân bệnh hiếm nếu sử dụng nhiều dịch vụ/thuốc đắt tiền sẽ sớm đạt ngưỡng và được bảo vệ tài chính. (Thuốc LSDP thì luôn miễn phí).

Chính sách		
Đài Loan	1. Tỷ lệ chi trả cho bệnh nhân bệnh hiểm	- Đài Loan có BHYT Toàn dân (NHI) từ 1995, chi trả cho mọi bệnh tật (bao gồm cả bệnh hiểm) trong phạm vi quyền lợi. Bệnh hiểm được xếp vào nhóm “bệnh đặc biệt/catastrophic”, do đó bệnh nhân được miễn toàn bộ viện phí, không phải đóng đồng chi trả cho các dịch vụ liên quan trong thời gian điều trị. - Nói cách khác, khi có thể xác nhận bệnh hiểm (chứng nhận bệnh nan y), bệnh nhân không phải thanh toán phần chi phí nào cho khám, điều trị bệnh hiểm trong phạm vi BHYT.
	2. Luật/văn bản pháp quy riêng cho bệnh hiểm	- Có. Đài Loan ban hành “Luật Bệnh hiểm và Thuốc hiểm” năm 2000, trở thành nước thứ 5 trên thế giới có luật riêng bảo vệ người bệnh hiểm. Luật này đặt ra định nghĩa bệnh hiểm (hiện là lưu hành <1/10.000 dân) và mục tiêu: phòng ngừa bệnh hiểm, chẩn đoán sớm, chăm sóc tích cực, hỗ trợ bệnh nhân tiếp cận thuốc điều trị chuyên biệt và thực phẩm dinh dưỡng đặc biệt. - Luật cũng thiết lập Ủy ban đánh giá bệnh hiểm và thuốc hiểm, tạo cơ sở pháp lý để phê duyệt thuốc hiểm nhanh chóng và hỗ trợ tài chính cho bệnh nhân.
	3. Chính sách đối với thuốc hiểm	- Đài Loan thanh toán thuốc hiểm thông qua BHYT nếu thuốc đã được phê duyệt lưu hành. Chính NHI có hạng mục riêng cho thuốc hiểm, sử dụng quỹ dự phòng để chi trả cho các thuốc đắt tiền. Hiện có 77 thuốc hiểm và 40 thực phẩm dinh dưỡng đặc biệt cho bệnh hiểm đã được phê duyệt tại Đài Loan. - Nếu thuốc cần thiết chưa có phép tại Đài Loan, Bộ Y tế có thể cho nhập khẩu theo diện đặc cách (theo Luật bệnh hiểm) và NHI sẽ xét chi trả từng trường hợp. Việc đánh giá chi phí-hiệu quả không được nhấn mạnh – ưu tiên hàng đầu là nhu cầu điều trị và tính an toàn hiệu quả. (Thực tế, BHYT Đài Loan đã chi trả cho nhiều thuốc mới rất đắt để hỗ trợ bệnh nhân hiểm, dù gây áp lực ngân sách).
	4. Hỗ trợ tài chính đặc biệt / Quỹ riêng cho bệnh hiểm	- Có. Để hỗ trợ bệnh nhân hiểm, Đài Loan trích quỹ BHYT lập hạng mục chi trả riêng cho thuốc và thực phẩm đặc biệt cho bệnh hiểm. Khi thuốc/chi phí không nằm trong phạm vi BHYT, Chính phủ sẽ hoàn trả 70% chi phí (bằng ngân sách đặc biệt); nếu gia đình bệnh nhân thuộc diện thu nhập thấp, mức hoàn trả có thể đến 100% cho thuốc và dinh dưỡng đặc biệt cần thiết. - Ngoài ra, Đài Loan có Quỹ hỗ trợ bệnh hiểm TFRD (phi chính phủ) hoạt động mạnh, huy động tài trợ và hợp tác với Bộ Y tế để hỗ trợ thêm (VD: giúp chi trả 30% chi phí còn lại ngoài BHYT cho một số trường hợp).
	5. Phân loại bệnh nhân / Trần chi trả đặc biệt cho nhóm bệnh hiểm	- Có. Đài Loan xếp tất cả bệnh hiểm vào nhóm “bệnh nan y thảm họa” (catastrophic illness), cùng với ung thư, suy thận... Khi được chứng nhận nhóm này, bệnh nhân được miễn mọi đồng chi trả cho bệnh đó. - Ngoài ra, Đài Loan có chính sách thu nhập: với chi phí không do BHYT chi (như thuốc chưa có trong danh mục), nhà nước hỗ trợ 70% chi phí cho mọi đối tượng, nhưng hỗ trợ tới 100% chi phí cho hộ thu nhập thấp. Điều này đảm bảo không ai bị bỏ lại vì gánh nặng tài chính khi mắc bệnh hiểm.

Chính sách		
Nhật Bản	1. Tỷ lệ chi trả cho bệnh nhân bệnh hiểm	- Nhật Bản quy định người bệnh thông thường trả 30% viện phí, BHYT trả 70%. Tuy nhiên đối với “bệnh Nanbyo” (bệnh nan y hiểm gấp) được chỉ định, từ 2015 tỷ lệ đồng chi trả của bệnh nhân đã giảm xuống 20% (thay vì 30%). - Ngoài ra, Nhật có chế độ giới hạn chi trả hàng tháng tùy thu nhập: nếu chi phí vượt mức trần theo thu nhập, phần vượt sẽ được bảo hiểm thanh toán. Nhờ đó, nhiều bệnh nhân bệnh hiểm thực tế trả rất ít hoặc không phải trả chi phí lớn. (Người thu nhập thấp, bệnh nặng có thể được giảm đồng chi trả còn 0% theo quy định hỗ trợ của chính phủ địa phương).
	2. Luật/văn bản pháp quy riêng cho bệnh hiểm	- Có. Nhật Bản ban hành nhiều chính sách cho bệnh hiểm: Quy chế thuốc hiếm (1993) khuyến khích phát triển thuốc hiếm, và đặc biệt Luật Nanbyo 2014 (Luật về hỗ trợ y tế cho bệnh nan y, hiệu lực 2015) nhằm mở rộng danh sách bệnh nan y được trợ giúp. - Luật Nanbyo 2014 lần đầu đưa ~300 bệnh hiểm vào diện được trợ cấp chi phí và hỗ trợ toàn diện. Nhật cũng có Kế hoạch kiểm soát bệnh nan y tích hợp trong chính sách y tế quốc gia và ngân sách hàng năm cho bệnh hiểm.
	3. Chính sách đối với thuốc hiếm	- Nhật Bản khuyến khích phát triển thuốc hiếm bằng nhiều ưu đãi: miễn/giảm phí đăng ký, trợ cấp nghiên cứu, rút ngắn thời gian xét duyệt và thêm 2 năm độc quyền thị trường (tổng 10 năm) cho thuốc hiếm. - Về thanh toán, sau phê duyệt, thuốc hiếm được đưa vào danh mục BHYT với giá thương lượng. Nhật Bản bắt đầu áp dụng đánh giá chi phí-hiệu quả (HTA) cho một số thuốc đắt tiền từ 2019, nhưng đã miễn trừ thuốc hiếm khỏi diện bắt buộc đánh giá HTA. Thay vì QALY, Nhật định giá dựa vào phương pháp so sánh chi phí hoặc tính toán chi phí sản xuất, và cho phép cộng phụ cấp “thuốc hiếm” (5–20%) vào giá để phản ánh giá trị của thuốc hiếm.
	4. Hỗ trợ tài chính đặc biệt / Quỹ riêng cho bệnh hiểm	- Không có quỹ tách biệt kiểu LSDP, vì Nhật tích hợp hỗ trợ bệnh hiểm trong hệ thống chung: Ngân sách trợ cấp Nanbyo do chính phủ và địa phương cùng chi trả. Trung ương hỗ trợ 50% kinh phí cho chương trình trợ cấp y tế bệnh nan y của các tỉnh. - Nhật Bản dành ngân sách hàng năm cho đề án nghiên cứu Nanbyo, quỹ nghiên cứu thuốc hiếm (qua PMDA) và trợ cấp sinh hoạt cho bệnh nhân nặng. Các chi phí thuốc men, chăm sóc của bệnh hiểm được thanh toán qua BHYT và phần đồng chi trả của người bệnh thì được ngân sách nhà nước hỗ trợ giảm như đã nêu.
	5. Phân loại bệnh nhân / Trần chi trả đặc biệt cho nhóm bệnh hiểm	- Có. Nhật Bản có hệ thống chứng nhận “Nanbyo” cho bệnh nhân mắc các bệnh nan y hiểm đã được chỉ định. Bệnh nhân Nanbyo chỉ phải đóng 20% viện phí thay vì 30%, và được nhận số giới hạn chi phí hàng tháng tùy thu nhập (thấp nhất ~5.000 yên/tháng cho thu nhập thấp). - Nếu bệnh rất nặng (cần chăm sóc đặc biệt) hoặc hộ thu nhập rất thấp, có thể giảm đồng chi trả xuống 0% theo quyết định của chính quyền địa phương. Hệ thống phân loại này giúp bệnh nhân hiểm ở Nhật luôn được chi trả ở mức cao nhất trong khung BHYT và trợ cấp nhà nước.

Tại Anh, hệ thống NHS cung cấp dịch vụ y tế miễn phí cho người dân, bao gồm các dịch vụ điều trị bệnh hiểm. Mặc dù chưa ban hành luật riêng cho bệnh hiểm, nhưng nước này cũng đã xây dựng Khung Bệnh hiểm 2021 và triển khai cơ chế riêng để đánh giá thuốc điều trị bệnh hiểm với ngưỡng chi phí – hiệu quả linh hoạt hơn. Đặc biệt, Anh có ngân sách riêng đã giúp bệnh nhân tiếp cận sớm với thuốc hiểm trước khi có đầy đủ các bằng chứng về chi phí – hiệu quả [4].

Tại Úc, hệ thống Medicare chi trả phần lớn chi phí dịch vụ y tế cho người dân. Úc cũng ứng dụng cơ chế xét duyệt thuốc dựa trên bằng chứng chi phí – hiệu quả. Tuy nhiên, riêng đối với thuốc cực hiếm (tỷ lệ hiện mắc $\leq 1/50.000$ dân) có hiệu quả lâm sàng nhưng chưa đạt chi phí – hiệu quả, Úc có chương trình LDSP cho phép chi trả các thuốc này. Song song đó, Chính phủ Úc cũng ban hành Kế hoạch hành động quốc gia về bệnh hiểm vào năm 2020 - là chiến lược dài hạn đầu tiên về bệnh hiểm trên toàn quốc [4].

Ở châu Á, Đài Loan là một trong số ít quốc gia có luật bệnh hiểm từ năm 2000. Về cơ chế tài chính, Đài Loan có BHYT toàn dân chi trả từ 70–100% chi phí cho bệnh nhân mắc bệnh hiểm, trong đó người thu nhập thấp có thể được chi trả toàn bộ. Đáng chú ý, chính phủ Đài Loan hỗ trợ nhập khẩu thuốc chưa có phép, bao gồm thuốc điều trị bệnh hiểm. Bên cạnh đó, các tổ chức phi chính phủ đóng vai trò quan trọng trong việc hỗ trợ chi phí điều trị bệnh hiểm, đóng góp thêm nguồn tài chính hỗ trợ điều trị bệnh hiểm bền vững và hiệu quả [22].

Tại Nhật Bản, hệ thống hỗ trợ bệnh hiểm được triển khai thông qua chương trình Nanbyo, giúp bệnh nhân được giảm đồng chi trả từ 30% xuống còn 20% và giới hạn trần chi phí theo thu nhập hàng tháng của người bệnh. Nhật Bản cũng miễn trừ đánh giá chi phí-hiệu quả với thuốc hiểm [23].

4. BÀN LUẬN

Kết quả phân tích từ các quốc gia cho thấy, có ba nhóm chính sách chi trả cho bệnh hiểm đang được áp dụng. Nhóm thứ nhất gồm các quốc gia miễn chi trả gần như toàn phần, tiêu biểu như Ý (miễn hoàn toàn đồng chi trả), Đài Loan (hoàn trả 70–100%), Anh (chi trả toàn bộ) và Úc (tài trợ thuốc hiểm chưa đạt chi phí – hiệu quả). Đây là những mô hình thể hiện rõ cam kết bảo vệ tài chính và mở rộng bao phủ cho người bệnh hiểm, nhưng đồng thời cần có năng lực tài chính và kiểm soát nghiêm ngặt về danh mục chi trả. Nhóm thứ hai bao gồm các nước áp dụng cơ chế linh hoạt như Nhật Bản, Đức, Pháp và Vương quốc Anh. Những quốc gia này vẫn duy trì nguyên tắc đánh giá hiệu quả chi phí, nhưng có cơ chế miễn trừ hoặc ưu tiên riêng đối với bệnh hiểm. Nhật miễn bằng chứng đánh giá chi phí – hiệu quả với thuốc

hiếm, áp dụng giới hạn chi phí theo thu nhập. Đức miễn đánh giá lợi ích bổ sung nếu doanh thu thuốc dưới ngưỡng, đồng thời có trần chi trả 1% thu nhập hộ gia đình. Pháp xếp bệnh hiểm vào nhóm bệnh lý dài hạn để chi trả 100%, trong khi Anh áp dụng cơ chế HST và IMF giúp bệnh nhân tiếp cận sớm thuốc hiểm với ngưỡng chi phí – hiệu quả linh hoạt. Nhóm thứ ba là các quốc gia có luật riêng hoặc chiến lược quốc gia về bệnh hiểm, như Đài Loan, Ý, Nhật Bản và Úc [12-18]. Đây là nền tảng chính trị - pháp lý giúp thúc đẩy các chính sách chi trả và hỗ trợ toàn diện hơn cho bệnh hiểm, từ định nghĩa, danh mục bệnh, thuốc hiểm đến mô hình phân loại bệnh nhân và cơ chế phối hợp đa ngành. Các luật và chiến lược này cho thấy vai trò quan trọng của hành lang pháp lý trong việc thiết kế và thực thi các chính sách chi trả hiệu quả.

Từ các bài học quốc tế, có thể thấy một số yếu tố then chốt ảnh hưởng đến thành công của chính sách chi trả cho bệnh hiểm. Thứ nhất là cơ chế phân loại và nhận diện bệnh nhân bệnh hiểm trong hệ thống chi trả, thường thông qua mã bệnh, nhóm bệnh đặc biệt hoặc chứng nhận bệnh nan y. Thứ hai là mức độ linh hoạt trong việc áp dụng đánh giá chi phí-hiệu quả cho thuốc hiểm, nhằm cân bằng giữa bằng chứng lâm sàng hạn chế và nhu cầu điều trị khẩn thiết. Thứ ba là vai trò của các quỹ hỗ trợ riêng như AIFA 5% (Ý), LSPD (Úc) hay IMF (Anh), giúp chia sẻ rủi ro tài chính cho hệ thống chi trả.

Việc đề xuất chi trả 100% chi phí cho bệnh nhân mắc bệnh hiểm tại Việt Nam là một hướng đi tích cực, nhưng đi kèm với nhiều thách thức thực tiễn. Hiện nay, Việt Nam chưa có danh mục bệnh hiểm chính thức, chưa tích hợp mã hóa chuẩn quốc tế, và chưa xây dựng cơ chế phân loại bệnh hiểm trong hệ thống chi trả. Bên cạnh đó, dữ liệu chi phí điều trị thực tế theo từng tuyến và nhóm bệnh còn hạn chế, gây khó khăn cho việc đánh giá tác động kinh tế và xây dựng chính sách phù hợp.

Trong bối cảnh Bộ Y tế đang tiếp tục hoàn thiện chính sách BHYT, Việt Nam có thể tham khảo các mô hình quốc tế như: chính sách áp trần chi phí theo thu nhập tại Nhật; miễn đánh giá chi phí – hiệu quả đối với thuốc hiểm; hoặc triển khai các quỹ hỗ trợ riêng cho bệnh hiểm nhằm giảm áp lực tài chính lên quỹ BHYT và tăng tiếp cận đối với thuốc điều trị bệnh hiểm.

5. KẾT LUẬN

Bệnh hiểm gây ra gánh nặng nghiêm trọng về y tế và kinh tế, trong khi đa số bệnh nhân vẫn chưa được tiếp cận điều trị hiệu quả. Kinh nghiệm quốc tế cho thấy các chính sách chi trả thành công thường dựa trên ba yếu tố then chốt: nhận diện bệnh nhân bệnh hiểm trong hệ thống BHYT, linh hoạt trong đánh giá chi phí-hiệu quả, và thiết lập các quỹ hỗ trợ riêng.

Việt Nam cần xây dựng khung pháp lý, danh mục bệnh hiếm và cơ chế chi trả phù hợp, đồng thời cân nhắc các mô hình tiên tiến nhằm bảo đảm công bằng và bền vững trong tiếp cận điều trị bệnh hiếm.

TÀI LIỆU THAM KHẢO

- [1] Danese E. và Lippi G. (2018). Rare diseases: the paradox of an emerging challenge. *Ann Transl Med*, 6(17), 329.
- [2] Delaye J., Cacciatore P., và Kole A. (2022). Valuing the “Burden” and Impact of Rare Diseases: A Scoping Review. *Front Pharmacol*, 13, 914338.
- [3] Nguengang Wakap S., Lambert D.M., Olry A. và cộng sự. (2020). Estimating cumulative point prevalence of rare diseases: analysis of the Orphanet database. *Eur J Hum Genet*, 28(2), 165–173.
- [4] Ng Q.X., Ong C., Chan K.E. và cộng sự. (2024). Comparative policy analysis of national rare disease funding policies in Australia, Singapore, South Korea, the United Kingdom and the United States: a scoping review. *Health Economics Review*, 14(1), 42.
- [5] Taruscio D., Kodra Y., Ferrari G. và cộng sự. (2014). The Italian National Rare Diseases Registry. *Blood Transfus*, 12(Suppl 3), s606–s613.
- [6] Schlangen M. và Heuing K. (2023). Rare diseases in Germany - Developments in the status of medical care. *J Health Monit*, 8(4), 7–16.
- [7] Quốc hội khoá XV (2024). Luật số 51/2024/QH15 ngày 27 tháng 11 năm 2024 về việc Sửa đổi, bổ sung một số điều của Luật Bảo Hiểm Y Tế. .
- [8] Quốc hội khoá XV (2023). Luật Khám Chữa bệnh số 15/2023/QH15 ngày 09 tháng 01 năm 2023. .
- [9] Bộ Y Tế (2022). Báo cáo tổng kết, đánh giá thực hiện Luật Bảo Hiểm Y Tế giai đoạn 2015-2020. .
- [10] Wan E.L., Elkaim Y., Gao W. và cộng sự. (2023). Zebras Among Us: Advocating for the 30 Million Americans Living with Rare Disease. *Med Sci Educ*, 33(5), 1239–1242.
- [11] Shafie A.A., Chaiyakunapruk N., Supian A. và cộng sự. (2016). State of rare disease management in Southeast Asia. *Orphanet J Rare Dis*, 11(1), 107.
- [12] Merker V.L., Slobogean B., Jordan J.T. và cộng sự. (2022). Understanding barriers to diagnosis in a rare, genetic disease: Delays and errors in diagnosing schwannomatosis. *Am J Med Genet A*, 188(9), 2672–2683.
- [13] Chung C.C.Y., Chu A.T.W., và Chung B.H.Y. (2022). Rare disease emerging as a global public health priority. *Front Public Health*, 10, 1028545.
- [14] Mazzucato M., Visonà Dalla Pozza L., Minichello C. và cộng sự. (2023). Estimating mortality in rare diseases using a population-based registry, 2002 through 2019. *Orphanet J Rare Dis*, 18(1), 362.
- [15] Gunne E., McGarvey C., Hamilton K. và cộng sự. (2020). A retrospective review of the contribution of rare diseases to paediatric mortality in Ireland. *Orphanet J Rare Dis*, 15(1), 311.
- [16] Delaye J., Cacciatore P., và Kole A. (2022). Valuing the “Burden” and Impact of Rare Diseases: A Scoping Review. *Front Pharmacol*, 13, 914338.
- [17] Yang G., Cintina I., Pariser A. và cộng sự. (2022). The national economic burden of rare disease in the United States in 2019. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 17(1), 163.
- [18] Chung C.C.Y., Ng N.Y.T., Ng Y.N.C. và cộng sự. (2023). Socio-economic costs of rare diseases and the risk of financial hardship: a cross-sectional study. *Lancet Reg Health West Pac*, 34, 100711.
- [19] Hsu J.C., Wu H.-C., Feng W.-C. và cộng sự. (2018). Disease and economic burden for rare diseases in Taiwan: A longitudinal study using Taiwan’s National Health Insurance Research Database. *PLoS One*, 13(9), e0204206.
- [20] Czech M., Baran-Kooiker A., Atikeler K. và cộng sự. (2019). A Review of Rare Disease Policies and Orphan Drug Reimbursement Systems in 12 Eurasian Countries. *Front Public Health*, 7, 416.
- [21] Pichon T., Messiaen C., Soussand L. và cộng sự. (2023). Overview of patients’ cohorts in the French National rare disease registry. *Orphanet J Rare Dis*, 18(1), 176.
- [22] Hsiang N.-C., Huang W.-F., Gau C.-S. và cộng sự. (2021). The impact of the rare disease and Orphan Drug Act in Taiwan. *J Food Drug Anal*, 29(4), 717–725.
- [23] Ninomiya K. và Okura M. (2022). Nationwide comprehensive epidemiological study of rare diseases in Japan using a health insurance claims database. *Orphanet J Rare Dis*, 17(1), 140.
- [24] Quốc hội khoá XIII (2014). Luật số 46/2014/QH13 ngày 13 tháng 06 năm 2014 về việc Sửa đổi, bổ sung một số điều của Luật Bảo Hiểm Y Tế. .