

□ 本报记者 李颖

■热点聚焦

我国罕见病相关政策法规欠缺

■资讯

我国将开展干细胞治疗心衰临床试验

科技日报讯(记者项铮)干细胞治疗心力衰竭的C-Cure®技术,有望使心力衰竭患者重获健康与新生,这种治疗方法目前已经在美国通过二期临床研究。这种治疗方法今年将在北京、上海、广州设立8—10个国际多中心临床试验基地,北京安贞医院、上海东方医院将率先进行这种疗法的创新性临床研究。

C-Cure®技术是从患者骨髓中提取骨髓间充质干细胞,在体外重组、分化成心肌前体细胞,并通过心导管C-Cathez®植入患者受损心脏部位,实现心肌细胞再生,治疗缺血性心力衰竭。目前,这两项新技术分别获得了2014年欧洲医药科学大奖的“突破奖”和“最佳技术奖”两项提名。C-Cure®干细胞治疗心衰研究已获批准在美国和欧盟进行III期临床试验,其预计于2016年在全球上市。C-Cathez®导管技术于2012年4月获得欧盟合格认证和专利许可。

数据显示,全球有心力衰竭患者1.17亿人,其中中国心衰患者数量为2997.1万,占全世界心衰患者总数的25.6%,给家庭、社会都造成了巨大负担。儿童治疗心衰需要心脏移植,由于条件限制,即使像北京安贞医院这样的三甲医院,每年做的心脏移植手术仅为30例左右,北京安贞医院小儿内科主任顾虹告诉记者,如果干细胞治疗心衰的临床试验获得成功,将对治疗儿童心衰发挥重要作用。

据记者了解,C-Cure®技术和C-Cathez®导管由麦迪舜医疗集团和梅奥诊所共同投资的公司拥有。麦迪舜医疗集团已在香港建造了符合药品生产质量管理规范的生产基地,设施先进的测试实验室和医疗中心,并将于今年10月投入使用。今年内还将在北京建立相同规模的实验室,以配合临床试验的开展。麦迪舜医疗集团董事长王晓峰告诉记者,如果顺利,这个产品将于2017年推出。

随着干细胞研究不断深入,干细胞公司越来越多,市场前景极为乐观。同济大学医学院院长徐国彤介绍,有数字认为20年内干细胞治疗将有4000亿美元的市场份额,如果研究顺利的话,预计数字还将扩大。我国也将出台《干细胞临床试验研究管理办法》,将对我国干细胞再生医学快速、规范地发展有重要意义。

本版与科技部社会发展科技司、中国生物技术发展中心合办

我国罕见病仍无官方界定

世界卫生组织将罕见病定义为患病人数占总人口的0.065%—0.1%之间的疾病或病变,也就是说,一万人里只有6到10位患者。

目前全球共有5000—6000种罕见病,共占到人类疾病的10%,常见的有白血病、

■调研报告

紧密型县乡一体化更适合农村医疗卫生需求

□ 郑莉丽 本报记者 吴红月

在8月17日举办的中国医院论坛“县级医院改革经验分享”分论坛上,中国医院协会常务副会长兼秘书长李洪山报告的《医疗卫生服务县乡一体化调研的探索、实践与思考》引起了与会代表的关注。该项调研通过实地考察、座谈研讨、深度访谈、资料采集及分析等多种方式,基本摸清了各地开展医疗卫生服务县乡一体化的基本情况、运行模式、组织架构,存在问题,并提出了政策性建议。调研认为,紧密型县乡一体化更适合农村医疗卫生发展的需求,具有推广价值。

县乡一体化医疗具有两种类型

目前,全国有超过300个县进行了县乡一体化医疗卫生服务的探索与实践。

调研人员选择不同经济发展水平区域实施县乡一体化的县、乡、村三级医疗服务机构作为样本,先后前往陕西省西安市阎良区、河南省郑州金水区及安阳县、云南省新平彝族傣族自治县和峨山彝族自治县等地进行了实地调研。

调研发现,目前各地实施的一体化模式分为紧密型与松散型两种。

在紧密型模式下,核心医院(县级医院)具有对一体化内乡镇卫生院院长的任命权、对一体化内员工的管理调配权,对乡镇卫生院在业务、财务、后勤、药品耗材等方面的管理权。其中郑州金水区的一体化模式具有代表性。金水区推行医疗资源一体化管理的思路是:区属医疗机构整体合并,组建以金水区人民医院为中心的区总医院,下设四所卫生院及若干社区卫生服务中心(站),形成由政府主导下以区医院为龙头、卫生院为骨干、村卫生所为基础的医疗卫生服务体系。区总医院和各卫

生院是各自独立的法人。区总医院和卫生院之间,各卫生院之间,既实行统一管理,又实行双向核算。区总医院和各卫生院建立双向转诊制度和应急出诊制度,形成良性转诊机制。

而松散型一体化,核心医院仅仅是派出帮扶人员,给予业务指导,并不实质性参与乡镇卫生院的财务、后勤、药品耗材等方面的管理。核心医院与乡镇卫生院之间还存在着竞争关系,分级诊疗难以建立。

对于两类一体化模式,调研人员从患者、医院、医疗资源配置三个角度进行了比较与评价,认为紧密型一体化是一种比较适合国情、适合基层医疗机构发展、适合农民就医需求的模式。在紧密型一体化模式下,首先是农民群众可以享受到相对优质的医疗服务和乡镇卫生院低廉的收费。其次是可以提升乡镇卫生院的服务能力。第三是盘活了医疗资源。同时,打破了乡镇卫生院人才匮乏的困局。在一体化医院内推行电子病历和远程会诊等,X线检查等由县级医院统一读片、诊断,既有助提高基层诊断准确率,又节约了设备购置费用。在对患者的分流方面,“分级诊疗、基层首诊、双向转诊”的就医模式正在形成。

三大问题制约县乡一体化实施

调研报告指出,医疗卫生服务县乡一体化实施中也面临着三个主要问题。其一是如何突破体制性障碍。目前各地在探索医疗卫生服务县乡一体化方面,尚未形成统一的标准化管理措施,在实施中会遇到很多体制性障碍,比如,管理体制上,县医院与乡镇卫生院的责任主体不同;用人机制上,县医院与乡镇卫生院管理者的聘任渠道不同,县医院医疗卫生人员与乡镇卫生院医

营营利性机构,罕见病发展中心(CORD)撰文说,“冰桶挑战”火热的背后,却掩饰不了中国罕见病现状的困境。

中国最早的有关罕见病的医学法规是在1999年出版的《药品注册管理办法》,其中提到罕见病和治疗罕见病新药,但并未对“罕见病”的概念进行明确界定。2007年新版《药品注册管理办法》中对罕见病临床试验和审批有两条优惠措施,但依然未给出罕见病的具体定义或范围,这给罕见病相关研究和诊疗设置了第一个最为基础的障碍。

许多罕见病在中国可能找不到权威的医学专家和诊疗机构,只有极少类的罕见病在中国能有权威的诊疗医生,而且每个疾病只有1至2个权威医生,中国这么大的国家和这么多的人口,再加上罕见病的诊疗的复杂性,病人的误诊、漏诊自然就产生了。

早在四年前,绝大多数的社会公众都没有听说过“罕见病”这个词,更别提公众对罕见病知识的了解以及对该群体的认知。瓷娃娃罕见病关爱中心从2009年开始每年开展大量的宣传和倡导活动,使得公众慢慢开始有了了解,但整体来说,公众对罕见病的认知程度还非常低。

纳入重疾险尚有距离

据了解,保障治疗是中国罕见病患者所面临的首要问题,而在部分国家和地区已经

有了针对部分罕见病所制定的保障措施。因此,一套系统的罕见病社会保障体系,对罕见病患者而言尤为迫切。

目前,全球已有30多个国家先后从立法方面对罕见病用药研发及治疗方面给予了保障和支持。如今欧盟市场上罕见病用药已达681种,日本国内已有182种。但在中国,目前市场上销售的130种罕见病用药全部来自进口,仅有57种进入医保范围,可全额报销的仅有10种。

目前,我国缺乏针对罕见病的特殊医疗保障,罕见病未在全国范围内纳入医保范围,不过,个别地方关注罕见病的地方规定陆续出台。比如,宁夏回族自治区将戈谢病患者每年的住院费用,纳入基本医疗保险和城乡居民大病保险住院费用支付范围,将报销85%的医疗费用;青岛市也已确定罕见病为大病医疗救助制度的特药救助项目和特材救助项目。“虽然我国也将一些比较常见的罕见病纳入大病医保范畴,但当下医保的覆盖并不到位,且缺乏商业保险产品,社会救助也不足。”罕见病中心副主任肖磊如是说。

罕见病政策正逐渐完善

与常见病药的高需求相比,由于“孤儿药”市场小,很少有制药公司研发罕见病治疗药物;而一些发达国家和地区虽然研制并

■医疗动态

肿瘤心理学专业委员会学术年会召开

科技日报讯(刘晨)中国抗癌协会肿瘤心理学专业委员会学术年会暨第六届北京肿瘤医院肿瘤心理与姑息治疗学专班22日在京举行。本次大会以心理与人文、心理与姑息、宁养与临终关怀、星星之火之心理实践分享以及乳腺癌与肺癌多学科研讨专场来讲授心理社会肿瘤学前沿进展,分享先进经验,借机对肿瘤科年轻医护人员的成长注入新活力,拓宽学科发展的平台。

心理社会肿瘤学从20世纪70年代成立

至今在全世界范围内已得到长足发展,然而在我国这一学科仍处于起步阶段,心理治疗以及精神卫生如何融入临床肿瘤工作,尤其是如何融入肿瘤晚期患者的姑息治疗和临终关怀仍是亟待解决的问题。

本次大会是新一届中国抗癌协会肿瘤心理学专业委员会在汲取国外学科发展经验的同时,致力于掀开我国心理社会肿瘤学事业的新篇章,为人文医学在肿瘤治疗中的发展做出积极贡献。

北大人民医院连续三届获国家级教学成果一等奖

科技日报讯(钟艳宇)日前,国家教育部公布2014年高等教育国家级教学成果奖获奖名单,北京大学人民医院“德育为先、能力为重、推进临床实践教学综合改革”项目获得一等奖,这已经是北京大学人民医院连续三届获得国家级教学成果一等奖。

国家级教学成果奖每四年评选一次,本次申请国家级教学成果奖的项目共计946项,其中仅有50个项目获得一等奖,北京地区更是仅有北京大学、清华大学、中国人民大学和北京科技大学等7所单位的10个项目获得一等奖。

该项目创新性提出临床实践综合体系建设理念,强调以德为先、能力为重,并建立起“理论学习—模拟训练—临床实践”的临床技能循环培训新模式,有效推动临床实践的综合改革。同时,北京大学人民医院经过数年的积淀与修订,不仅牵头出版了首部《中国医学生临床技能操作指南》,明确了我国临床医学教育本科阶段医学生所必须掌握的基本技能,建立起客观化规范化临床技

能操作质量标准,而且成功主办了全国高等院校大学生临床技能竞赛,建立起可操作、可复制模式,加快了全国高等院校临床实践教学改革的步伐,同时搭建起结构精良的临床实践教学教师队伍以及支撑体系建设平台。2014年,北京大学人民医院临床能力培训中心获得国际模拟协会认证,这是国内医学模拟教学机构首次通过的国际权威认证。



■医疗新干线

探索建立科研数据利用及知识产权共享机制

□ 本报记者 吴红月

“为实现CCgenous研究项目资源共建共享,提高资源利用率,避免重复开发建设,建立团结协作、互信、互助的伙伴关系,要建立中国肝病数据库,将各类数据整合在一起,为未来进一步研究提供一种有效的平台和知识产权分享制度。”日前,在“丙型肝炎登记注册系统及CCgenous研究研讨会”上,北京大学人民医院副院长魏来教授表示,将通过制度建设,将科研数据进行二次开发和利用。

科研数据二次研发需要制度支持

临床研究随访调查的基本数据在课题结束之后,是将大量的数据束之高阁还是继续设题研究?如何将更多的研究人员引进到与临床相关的科研项目中,魏来教授认为,这是许多科研课题面临的一个新问题,应该通过制度设计促进课题延伸。

以往,许多与临床医学相关科研课题研究是由多中心参与完成的,各地的临床医生在收集数据方面起到了积极的作用,但是,由于研究报告的撰写和署名要求,他们的贡

献没能够在研究报告上得到足够的体现,同时,有些参与者所具有的开拓性研究难以得到知识产权的保护,还有更多的人希望利用已有的调研数据再进行二次研究,人们发现,这些时候都会面临着知识产权如何分享的困境。魏来教授告诉科技日报记者,这是一个具有普遍性的问题,在国内还没有相应的法规和制度作支撑。

鼓励和吸引更多临床医生参与

魏来从事慢性乙肝的研究长达20多年,在丙型肝炎和肝炎免疫治疗领域有很深造诣,现任中华医学会肝病学会分会主任委员、中华医学会北京分会肝病专业委员会主任委员、卫生部全国临床检验标准委员会临床应用准则专业委员会委员等职,主持制订了国家卫生行政主管部门《丙型肝炎病毒筛查及其管理》,还是美国《慢性肾脏疾病中丙型肝炎病毒感染的预防、诊断、处理和指南》唯一参与编写的亚洲肝病专家,参与编写《亚太地区丙型肝炎专家共识》,中

国《慢性乙型肝炎指南》和《丙型肝炎指南》等专业及科普类丛书。在国家“八五”、“九五”、“十五”、“十一五”期间,参加并主持完成了近18项国家级和省部级科研项目,具有丰富的临床、教学和科研经验。

“丙型肝炎是在1989年发现的,我从1993年就开始围绕相关课题做研究”,魏来教授说。在20多年的临床治疗和科研中,他深刻地感受到,一方面,许多临床数据还有待深入挖掘,另一方面,应该让更多的人主动参与到科研课题中。

“我们鼓励不同地区的医生对所拥有的数据进行二次研究,通过学术探讨和突破性研究,将相关临床诊疗方法和手段提炼出来,在一个公共平台上共享。而这个平台将围绕一个知识产权体系建立起来,通过一个配套制度得以延续和发展。”魏来教授说。

从CCgenous延伸二次研发

丙肝基因型在不同区域呈现出不同的特征,比如,南方地区的丙肝基因以6型为

主,发生常常与吸毒有关。我国目前出现的乙肝和丙肝合并发生的现象越来越多,这在欧美国家都不常见,有待于临床医生对这一流行病学现象进行更多的深入研究。

据了解,由魏来教授主持的CCgenous课题是针对中国汉族人群丙型肝炎患者病毒基因型和IL28B宿主基因型分布的一项横断面研究,有全国28家大学医院参加,以997例汉族丙肝初治患者的肝病并发症及肝外表现。调查结论是:我国丙型肝炎以基因1b型为主,为相对难治的丙型肝炎。但是大部分患者宿主IL28B基因型为CC型,该宿主基因型利于抗病毒治疗病毒学的应答。研究结果显示,肝硬化患者占有相当一部分比例,对于丙型肝炎应该重视早期诊断和治疗,以减少和避免终末期肝病的发生。

“这一课题由全国28家医院的专科临床医生参与,来自于各地的病例数有所不同。有时数据出来后,各地的医生会以自己所掌握的局部地区的数据进行分析,但这一

研究得出的结论在科学方法上是不够准确的,因为课题设计之初,是以全国为一个大样本量进行设计的。要让更多的人用好数据,利用全部的数据进行有针对性的分析,就需要构建一个知识共享的平台,也要吸引更多人的参与。”魏来教授说。

为了构架这一新型的数据平台,魏来教授课题组建立了《中国慢性丙型肝炎患者基因型分布及随访研究—资源共享和知识产权分享制度》,并于今年7月6日,在CCgenous课题所有的参与者中进行讨论。

记者注意到,在《资源共享和知识产权分享制度》的第二条中,对于资源做出如下定义,即“研究项目所涉及的病例资源、病历及检测数据资源、软件信息平台、文档及影像资料等”,而第四条则表明,本项目临床研究数据由各参加单位共享。针对专利申请也有明确的规定。

魏来教授说,现在提倡大数据分析,我们是希望为临床医生提供有效的研究平台,解决临床诊治中遇到的问题,并通过论文的

形式发表出来,使更多的人能够在临床中学会应用。

丙肝临床研究强调可持续性

数据显示,2011年我国丙肝报告发病人数达17万余人,相比于2003年的发病人数在8年间增长了7倍。魏来教授指出,丙肝已经成为我国继乙肝之后的另一大慢性肝病。由于丙肝症状比较隐匿,容易被忽视,我国丙肝患者就诊率仅为1.6%。

目前,通过国家计划免疫战略实施,乙肝的发病率逐年降低,而CDC报告的丙肝病例数却逐渐升高,特别是丙肝病人发生肝硬化、肝硬化的几率在上升。而有哪些因素导致了这些病程的发生,如何去预测和干预,如何用药,丙肝疫病的研发还都处于未知阶段。

魏来教授呼吁,丙肝及其相关疾病的科研应强调可持续性,以确保在丙肝作为慢性高发病因出现之前能够获得有效的方法,通过公共卫生等手段进行全面的防控,遏制其大范围发生。