

新闻热线:010—58884115
E-mail:Lsx1Lsx2@126.com

■主编 吴红月 责编 卢素仙

反思“精准医学计划”为中国带来什么

——专访中科院院士、遗传学家贺林教授

□ 本报记者 吴红月

■创新启示录

今年1月20日,美国总统奥巴马在国情咨文中提出“精准医学计划”,预算2.15亿美元,希望以此“引领一个医学时代”。新闻一经发布,没想到我国上下好像动得更快,热闹非凡,不少人给美国总统点赞。有人表示,受奥巴马影响,中国在15年内将跟踪投放600亿元人民币。也有人质疑,美国总统在中国是否真具有金口玉言的分量,他的一小段话也许能适合美国社会的结构与特点,但适合我国的情况吗?“精准医学计划”对我国的发展有大概率获胜的机会吗?为此,科技日报记者专访了中国科学院院士、著名遗传学家、上海交通大学Bio-X研究院院长贺林教授,请他从应用的角度进行深入分析和探讨。

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

奥巴马的“精准医学”计划主要体现为:启动“百万人基因组计划”(资助NIH 1.38亿美元);做好队列(cohort)及对照,建立与临床有关的“史无前例的大数据”;寻找引发癌症的遗传因素(资助NCI 78万美元);继续美国已经开展的癌症基因组研究计划;建立评估基因检测的新方法(资助FDA 1000万美元);保护知识产权与有关版权的管理和保证精准医学和相关创新的需求;制定一系列的相关标准和政策(资助ONC 500万美元)保护个人隐私和各种数据;PPP(Public-Private-Partnership,公私合作)模式:企业家和非盈利组织参加。上述内容又可以概括为三方面,即科学内容(百万美国人测序与癌症基因组);政府功能的相应改变及法规标准的建立,以及公私合作,社会参与。

“精准医学”是否适用于中国

那么,奥巴马的精准医学究竟新在哪里?贺林院士告诉科技日报记者,他曾于2013年作为共同主席主持了Nature Genetics Conference - From GWAS to Precision Medicine(“自然遗传学”大会——从全基因组关联分析到精准医学),其主题内容已包含着“精准医学”;同年9月20日,作为东亚遗传协会主席在哈尔滨举办的第十三届东亚遗传学会学术研讨会的主题中仍用有“Precision Medicine(精准医学)”。

贺林院士认为,这一计划并非给出了一个全新的概念,而是对原有计划的重新组合和叠加,更像是树立了一个工作“标准”和新的目标,从预算上也可以看出锦上添花的特点。

如果中国“引进”这一计划,几乎可以肯定将形成一个所谓中式版的“精准医学”,即呈现出一个包罗万象的场景,如:内、外、妇、幼、眼、耳、鼻、喉等科……“如果这些科室都能搞精准医学,放射科、精神科为什么不能?又有什么理由不包括更多?最终展现出的将是一个全民皆兵的局面。”贺林院士称。

贺林院士也提到了中国工程院院士程京最近的想法,“我们目前想极力弄清楚美国为什么要这么做?我们应该怎么做?美国有自己的打算,但中国要有自信,应该由我们自己的思考,想清楚应该做些什么。如果看不清方向,盲目跟从,最后的结果会让人哭笑不得”。

贺林院士特别强调,切忌盲目跟从,应该静下心来反思,“精准医学”是否会像当年热热闹闹的转化医学一样至今难以找到突破亮点?它又会在什么样的时间内能够使民众的健康受到怎样的益处?

“转化医学”内含精准医学

一度在征服疾病中看上去比精准医学还要热闹得多的转化医学,在高调“唱”了20年左右后的今天,几乎很难拿出一个非常像样的成功之例。这些现象反映出的是一种低效“乱象”。贺林院士指出,其中转化医学内就含有精准医学成分。

自1996年《柳叶刀》杂志正式提出“转化医学”这一新名称以后,其内涵经历了不断外延和演变。贺林院士认为,“转化医学”不仅是一个口号,更是一种理念,是使人类健康得到改善的一项工作。要实现这个理念与目标,就要有明确的计划、大智慧的思维以及脚踏实地的行动。

个体化医学在全球特别是西方社会风起云涌,其中基因测序技术在个体化诊疗中的凶猛崛起,主要体现在个体化用药基因检测与无创产前DNA检测,两者形成了个体化诊疗的重要板块。个体化诊疗或个体化医学是以每个患者的信息为基础决定治疗方案,从基因组成或表达变化的差异来把握治疗效果或毒副作用等应答的个性,对每个患者进行最适宜的药物治疗法,如癌症的药物有效率为25%,风湿性关节炎的药物有效率为50%,而同一药物在不同个体内的效果差异最高可达300倍。

贺林院士说,“无创产前检测是新生儿重要的个体化医学检测,个体化用药基因检测则是更为直接的个体化诊断措施。而精准医学是个体化医学的基本要素”。

遗传咨询现状堪忧

记者了解到,这些年来,虽然我国生命科学突飞猛进,但大大忽略了遗传咨询应贡献的内容。

遗传咨询是联合人类基因组技术和人类遗传学知识,为人类开展遗传咨询、基因诊断、遗传病治疗等相关医学服务和常规的健康服务。遗传咨询又分为临床遗传咨询和非临床遗传咨询两类,在我国,目前几乎还没有建立起遗传咨询体系,遗传咨询主要是存在在产前诊断和产前筛查中心,由临床医生担任。“没有专业的遗传咨询师;在其他与遗传相关的领域,如癌症风险预测等,同样没有专门的遗传咨询师;没有专门的机构进行遗传咨询师的认证、考核及遗传咨询资料整理工作;尚未制定任何正式的遗传咨询相关政策及指导性文件。”贺林院士对此堪忧。

而在美国、加拿大已有了完善的遗传咨询体系,用于对遗传咨询师培训和考核体系;拥有专门的遗传咨询委员会和专业的遗传咨询培训机构;培养专业的遗传咨询师,从事遗传咨询工作;具有

专业的机构进行遗传咨询指南的制定工作。

贺林院士表示,我国的遗传咨询现状非常落后,处在时不我待的紧迫状态,有必要思考以下等式的方式促进理解:转化医学=精准医学=个体化医疗。“应该说,它们相互独立又相互关联,或许可以用符号≈代替=”。贺林院士认为,三者的关系应该是,转化医学是口号,精准医学是标准,个体化医学是目标,而遗传咨询是纽带,贯穿始终。

“新医学”横空出世

随着科学技术在不断地取得进步,我国的出生缺陷率不但下降反而升高,另有各类报道认为肿瘤、高血压、糖尿病等多种疾病的发病率都处升高趋势。为什么会出现这种现象?贺林院士指出其中原因之一是,现有的技术水平无法看清疾病深层的问题。为了解决这一难题,启动人类基因组计划所带来的海量信息和数据在遗传咨询的纽带作用下与临床疾病特征有机地结合后,将促使人类有可能更好地和病魔做斗争。这就是横空出世的“新医学”要做的事。

安吉丽娜·朱莉和姚贝娜,两位患有同样肿瘤的明星,由于采取的措施不同,她们的命运各不相同。贺林院士进一步解释,在这个事例中,开始阶段对乳腺癌致癌基因BRAC1和BRAC2进行的基因检测可以看作是转化医学的一个初级范例;检测的准确性由精准医学的精确度表述;个体化差异的结果体现了典型的个体化医学的内容,并且指导用药的种类,包括决定是否使用第一个PARP抑制剂,阿斯利康的奥拉帕尼(Olaparib);遗传咨询可合理解释用药的决定和未来的治疗方案及效果等。

人类基因组计划颠覆了世界,改变了人类;新医学时代正在到来。总体说来,精准医学作为个体化医学的基本要素,遗传咨询驱动新医学的进程,而新医学才是解决人类健康的钥匙。“精准医学”需要推进发展,因为它是新医学的基础。“我希望中国的‘精准医学计划’与其抓住一个要素,不如抓住解决问题的根本钥匙,也希望我们今后的‘精准决策’最好能够不是出自一位美国总统。”贺林院士如是说。



安吉丽娜·朱莉(右)和姚贝娜(左),两位患有同样肿瘤的明星,由于采取的措施不同,她们的命运各不相同。

■生物医药

健能隆获FDA许可启动F-652临床II期研究

科技日报讯(记者吴红月)5月4日,健能隆医药宣布,美国食品和药品监督管理局(FDA)已经同意此药的临床申请和临床IIa研究方案,并启动全球首创新药F-652治疗急性移植物抗宿主病(aGVHD)的临床II期研究。该临床II期试验是研究F-652(重组人白介素-22-IgG2-Fc)与系统性皮质类固醇激素联合治疗造血干细胞移植病人新近诊断的伴发II-IV级下消化道症状的急性移植物抗宿主病。

据了解,健能隆于2013年在澳大利亚完成了以健康志愿者为受试者的F-652临床I期试验,结果显示,F-652具有良好的安全性、预期的药代动力学和诱导生物标志物的特性。由此,健能隆与美国纪念斯隆-凯特琳癌症中心合作,以急性移植物抗宿主病为首个适应症开展临床II期研究。

该项单臂、开放的IIa期临床试验,主要评价F-652与系统性皮质类固醇激素联合使用,在治疗造血干细胞移植后的急性移植物抗宿主病患者(aGVHD)中的安全性、耐受性和药代动力学特征。F-652每周给药一次,连续给药四周。病人的安全性及有效性将会随访180天,并收集365天后的受试者的生存状况。研究的主要疗效评价指标为伴发下消化道症状的aGVHD第一次用药后28天的有效性。该临床II期试验还将在美国德州的MD安德森癌症中心进行,并将陆续进入更多的美国癌症医学中心。

健能隆科学顾问委员会主席David Lacey博士表示,“F-652此前在健康志愿者受试者的研究上,已经显示出了良好的生物活性和治疗潜力。F-652是由健能隆医药应用其独有的DiKine双分子平台开发,并进入国际临床II期试验的第二个创新生物药,这充分证明了该平台的成药能力和再次成功运用”。

健能隆首席医学官汤凯扬博士告诉科技日报记者,“F-652是真正由中国生物科技公司开发和生产的全球首创新药。这项成就以及能够与世界顶尖的癌症医学中心共同合作开展全新靶点的药物临床前和临床研究,是我国创新生物药的重要里程碑。该临床II期研究是F-652首次用于治疗病人。F-652具有治疗更多临床疾病的潜力,健能隆将继续与国际一流研究机构合作,不断尝试解决更多医学难题”。

据了解,健能隆已经向国家食品和药品监督管理局递交了F-652治疗急性胰腺炎的临床试验申请,该申请目前处于审核阶段。

■医改进行时

努力把“医疗科技惠民生”做得更好

□ 本报记者 张林军

人口健康事关民生,做好基层医疗卫生工作事关医疗体制改革成败。在日前召开的2015年科技部社会发展科技工作会议上,浙江省科技厅副厅长曹新安表示,浙江省始终把基层医疗机构的临床需要作为科技工作的重中之重予以关注,努力解决医疗科技服务“最后一公里”问题。

据介绍,近年来浙江省把医疗科技惠民作为切入点,使科技工作更加贴近基层、贴近百姓、贴近需求,探索出一套科技惠民和科技创新工作的新模式和新机制。“十二五”期间,浙江省实施了十大科技专项,其中涉及人口健康的就占2项,即现代生物制药和重大与高发疾病防治技术专项,共组织实施项目200余项。通过专项实施,传染病防治、器官移植、出生缺陷防治、恶性肿瘤诊治等领域都取得较大突破,贝达药业1.1类新药埃克替尼成功上市,电子耳蜗实现国产化,拥有自主知识产权的16排CT、PET-CT进入临床阶段。

为促进成熟先进和安全适宜的科技成果走向基层,浙江省启动实施十大科技成果转化工程。“基层卫生适宜技术成果转化工程”作为主要内容,于2012年组织启动了微创技术、眼病防治适宜技术等8项成果转化子工程。

据悉,在广泛听取基层医院和各级卫生部门意见的基础上,遴选了48项先进适宜技术整合成8项重大项目进行转化推广;并从项目征集遴选、方案对接和考核检查各个环节,浙江省科技厅会同相关部门共同推进。

根据基层医院的需求,采取统一规划,分步实施的方法,细化量化分年月实施方案。各项转化技术采取专项技术培训、技术专家实地辅导、专题讲座、巡回现场会等多种交流方式逐项推广,并利用QQ、微信、微博等互联网平台进行交流,取得了良好的效果。通过工程实施,在全省11个地市200余家县级以上医院建设45家转化示范基地,培养5000名各类专业技术骨干,有效降低转诊率15%左右。

作为科技惠民工作的重要手段和资源,浙江省组织实施

了一批医疗科技惠民项目。曹新安介绍说,科技惠民项目的选择,首先是当地政府应做、想做、愿做的民生工程,以地方政府为主,科技工作带动推进,来布局示范工程项目。兰溪市开展的“三级康复服务体系建设和中医药技术示范项目”,把建立中医药为特色的区域性三级康复服务体系作为政府工作目标积极谋划推进。因此,该项目较快地引进了适合基层、高效、合理的中医药康复技术成果,及时配置了相应的基础设施,预期建成5个康复站、50个康复点,培训专业人员2500人次,推广示范康复技术成果10项以上。

其次是地方急需改善民生问题的科技解决方案。如舟山群岛网络医疗与网格化健康服务应用示范“项目,在25%的县级医院和50%的乡镇卫生院建立远程服务体系,辐射95%的岛屿人口。仅2014年度,在浙江省启动的4个人口健康领域示范项目中,转化示范18项技术,培养500名基层医院专业医生。

基层医疗机构需要方便、快捷、价廉的中低端产品,为此,浙江省通过项目推动、企业培育、示范推进等举措,加快研发各类医疗器械产品,摸索国产医疗器械走进基层医疗机构的新路子。

截至2014年,已在省内130家医院示范国产设备2800台(套),推广国产医疗器械总价值3500万元以上,受益人口500万以上。为整体推进此项工作,2014年,省政府还专门出台了《关于“精准对接 精准服务”支持医疗器械产业提升发展的若干意见》,启动实施医疗器械产业技术创新综合试点,成立了11家重点企业研究院。扶持高端医疗装备产品,以及适合基层卫生医疗机构使用的智慧化、家庭化、个体化医疗器械产品的开发。

谈到今后的工作,曹新安表示,将紧紧围绕“四个全面”的综合能力部署,加强创新,努力把“医疗科技惠民生”做得更好;布局一批省级临床医学转化中心,提高医学科技创新水平;引进培养高层次创新人才,建设高端人才集聚中心;优化创新创业环境,支持大众创新创业。

■一周视点

回收家庭过期药需制度化

□ 向文

家庭过期药品是环境污染的源头之一。随着居民家庭备用药物越来越多,过期药处置已成不少家庭甚至社会难题。

我国约有78.6%的家庭备有“小药箱”,且80%以上家庭没有定期清理的习惯,很少有人知道如何正确处置家庭过期药。如果误服过期药,不仅不能治病,反而可能致命。

日前,湖北省食品药品监督管理局总工程师朱与杰称,目前国家已将过期药品列入“国家危险废物目录”。过期失败的药品被随意丢弃,药品中某些成分在自然环境中发生化学反应,产生有害物质,对环境造成污染。药品过期后,药品的化学成分会改变,甚至会分解出一些有害物质,误食误服会对身体造成伤害。特别是一些特殊性质的药品,如磺胺类、青霉素类药品过期后,容易引发人体过敏和休克。如果随意丢弃,很有可能落到贩贩于手中继续流通,后果非常严重。

据笔者了解,目前一些制药企业主动回收过期药品,并在药监部门的监督管理下集中销毁。2004年起,广药白云山就启动了家庭过期药品免费回收机制。十一年来,“家庭过期药品回收(免费更换)机制”在实践中不断创新升级,其他一些制药企业,比如东北制药也曾坚持“回收过期药品,宣传用药常识”,并在药监部门监督下销毁过期药品。为了吸引公众参与,同时大都伴有旧药换赠品的活动。

然而,仅依靠一两家企业回收药品的力量是不够的。回收过期药不仅需要更多制药企业和医疗机构的参与,更需要政府从法律法规层面推动家庭过期药品的回收机制的常态化、制度化。

家庭过期失效药品的处置在国外早有先例。比如在美国有的州已经立法,在欧洲,有成立专门的回收协会,有的家庭只需要付少量费用即可。在日本,有设置专门的定点回收药店等等。这些都为我国的家庭过期药品回收制度的建立提供了参考。

笔者认为,对家庭过期失效药品的管理需要法治保障,这是加快构建药品安全治理体系、提高药品安全治理能力的应有之意。2001年修订的《药品管理法》已施行14年,但是对药品的研制、生产、经营、使用作出了约束和调整,没有给家庭过期失效药品的管理给予相应的法律地位,是法治空白。朱与杰表示,希望在《药品管理法》或者《药品管理法实施条例》的修订中予以明确,或者在一些部门的规章、地方性的法规上予以明确,给予过期药品管理以法律保障。同时家庭过期药的回收也是一个涉及药监、环保、卫生等多个部门和药厂、药店、医院等多个环节的事情,需要“无形、有形”两只手同时发力,实现多方共治,才能为消费者的健康和环境的优化做出更大的贡献。

目前,我国尚未建立长期有效的过期药品回收机制。《药品管理法》对药品生产、销售、使用都做了明确规定,然而对于过期药品的回收处理,特别是对零散的家庭过期药品缺乏明确的法律法规和行之有效的监管机制。下一步,应进一步强化宣传,扩大影响,形成常态化回收机制,使更多的市民知晓过期失效药品危害,自觉自愿主动送交自家过期失效药品。

中国设计“国际爱耳日”标识被选用

科技日报讯(记者项铮)记者从“国际爱耳日”标识设计大赛评委会获悉,由中国聋儿康复研究中心设计选送的标识——“聆听世界的声音”从全球选送的125个参赛作品脱颖而出,成为获胜标识。自2016年起,该标识将在“国际爱耳日”宣传材料上统一使用。此次“国际爱耳日”标识设计大赛由世界卫生组织发起,瑞典Ida学院赞助开展。

大赛评委会认为,中国聋儿康复研究中心选送的标识采用了清晰的图示语言,具有听力和全球感召力两方面寓意。标识鲜明的色彩营造了一种友善的感受,吸引了公众的认同,能够完美的展示“国际爱耳日”的精神。

中国聋儿康复中心的专家介绍,“国际爱耳日”LOGO创意来源于国际社会对听障患者的关注。几何抽象化的地球代表了国际社会对听障患者关爱的力量,极富动感的双线条代表了耳朵的造型,聚合的整体感加上耳朵双曲线的律动感,代表了“国际爱耳日”的主题理念——用耳朵聆听世界的声音。整体线条感设计简洁,对“国际爱耳日”的主题表达简单而准确,符号化的表现便于世界各地人们对“国际爱耳日”的理解。

“爱耳日”起源于中国。中国聋儿康复研究中心是“国际爱耳日”的主要发起单位,是世界卫生组织听力障碍预防与康复合作中心。此次,中国聋儿康复研究中心在“国际爱耳日”标识设计大赛中获胜,再次体现了国际社会对我国听力残疾预防与康复事业的充分认可,以及我国在参与全球防聋治聋工作中的重要地位。今后,中国聋儿康复研究中心还将继续加强国际交流与合作,促进我国听力残疾预防与康复事业快速发展。