

# 给血友病患者健康行走的希望

□本报记者 王潇雨  
通讯员 董源

最近,中国医学科学院血液病医院(中国医学科学院血液学研究所)张磊、杨仁池团队收到了患者张先生寄来的照片。今年28岁的张先生曾患重型B型血友病,导致关节长期反复出血,后来发展成膝关节畸形、持续疼痛,行动不便。两年前,他加入张磊团队开展的临床试验,接受基因治疗。

今年,张先生接受了全膝关节置换术,恢复了正常生活。照片中的张先生骑着马,笑容灿烂。

据悉,这是全球首个基因治疗血友病后无凝血因子输注下成功实施全膝关节置换术的病例。10月27日,研究团队的相关论文发表在《新英格兰医学杂志》上。

由于基因突变导致凝血障碍,张先生从4岁开始就间断出现肘关节、膝关节及多部位自发性出血,5岁时被确诊为重型B型血友病。20多年

前,治疗手段有限,张先生仅是在出现关节出血时输注凝血酶原复合物来缓解出血后的疼痛、肿胀,但不能降低出血发作的频率。由于多个关节长期反复出血,张先生患上了血友病性关节病,并不断加重。这期间,张先生曾在输注凝血酶原复合物之后,接受过多关节的滑膜切除术,但是治标不治本,反复的自发出血仍然不断损害他的关节。

2020年,张先生得知中国医学科学院血液病医院血检止血诊疗中心开展B型血友病基因治疗的临床试验并在招募受试者,就重新踏上了求医之路。经过研究者告知、筛选检查等一系列流程,张先生顺利入组并接受了基因治疗。在随访的一年中,他的凝血因子FⅨ:C维持在正常范围内,也没有出现不良反应。但已发生的关节损伤无法恢复,后来进展为终末期血友病性关节病。

“一走路,膝盖就疼得钻心,有时连一百米都走不了。”张先生询问张磊,“有什么方法可以让我自由活动,不再疼痛?”

对于张先生而言,关节置换术是一种可选择的治疗方案,但这种手术对于止血能力要求极高。一般来说,普通血友病患者需要在围手术期接受高剂量的凝血因子FⅨ替代治疗,来保证手术期间顺利止血、伤口顺利愈合。伤口愈合后,还需要继续预防治疗,以保证康复训练时不出血。此外,患者仍要面对长期、反复的静脉穿刺输液治疗。

“张医生,我还是想试试。”面对张先生的选择,张磊答应“一起去闯关”。他牵头组建了由血液科、凝血检验科、骨科、康复科等多专业医生组成的多学科团队,团队多次讨论,做好各种预案,以保障手术及术后康复顺利。今年5月,张先生接受了右膝的全膝关节置换术。

“我们特别关心患者围手术期凝血管理。”论文共同第一作者、中国医学科学院血液病医院主任医师薛峰介绍,“考虑患者凝血因子处于正常范围,在围手术期不予其凝血因子FⅨ药物替代治疗,但对患者的凝血因子指标进行严密监测,以应对

可能出现的风险。经监测,患者手术日术前凝血因子FⅨ:C为50.1单位/分升,术后下降至46单位/分升,在术后第一天恢复至53.8单位/分升,维持上升趋势至术后第5天后逐渐下降并趋于稳定,其他凝血因子活性在术后轻度下降后恢复至基线水平。”

手术主刀医生、山东第一医科大学第一附属医院主任医师袁振介绍,患者在手术过程中出血量约为150毫升,与非血友病患者手术出血量相似,且术后伤口愈合良好,没有感染、切口延迟愈合等不良事件。

## 链接

“中国有10万~12万名血友病患者。血友病是罕见病,分为A型和B型,因基因突变体内凝血因子活性显著降低,可产生终生自发出血倾向,不少患者因关节肌肉反复出血最终残疾。”论文共同第一作者、中国医学科学院血液学研究所博士研究生王洋婧介绍,目前,血友病的临床标准治疗方式为凝血因子FⅨ替代治疗,且需要终生治疗,这给患者家庭和社会带来沉重的经济负担。

“从机制上来说,基因治疗是有

望治愈B型血友病的唯一疗法,目前多种产品仍处于临床试验阶段。此前,尽管基因治疗可能使血友病患者的凝血因子数值保持在正常范围内,但凝血因子IX高活性突变体的体内止血能力能否耐受重大的止血挑战未知。”张磊指出,“张先生在基因治疗后,在没有接受凝血因子FⅨ输注的情况下,成功接受全膝关节置换术,证明了凝血因子IX高活性突变体在面临重大止血挑战时,在体内具有确切有效的止血能力。”

## 王拥军获世界卒中组织最高成就奖

本报讯(通讯员卢国强 记者赵星月)在10月27日于新加坡举行的2022年第14届世界卒中大会上,首都医科大学附属北京天坛医院院长王拥军教授获得世界卒中组织最高成就奖——“主席奖”,成为亚洲国家获得该奖项的第一人。

世界卒中组织“主席奖”旨在表彰在卒中诊疗及科研领域作出巨大贡献的国际引领者,每年在全球卒中研究学者中仅评选出一位。世界卒中组织主席马克·费舍尔在颁奖词中说,王拥军及其团队在降低缺血性脑血管病残余复发风险方面作出众多杰出贡献,创立了非致残性缺血性脑血管病短期联合抗血小板治疗的“CHANCE”方案,开创了缺血性脑血管病联合抗血小板治疗的时代。

据了解,近年来,中国脑血管病领域研究重磅成果频出,已成为影响世界脑血管病研究的重要力量。

## 袁勇贵获评国际心身医学会心身医学专家

本报讯(特约记者程守勤 刘敏)近日,第26届国际心身医学会年会在美国举办。会上,国际心身医学会授予东南大学附属中大医院心身医学科主任袁勇贵教授“国际心身医学会心身医学专家”称号。这也是该荣誉颁发4年来,首次授予中国专家。

据介绍,自2019年起,国际心身医学会组织心身专家评估委员会对世界各国的专家进行评估,每年授予5名左右的专家为“国际心身医学会心身医学专家”。袁勇贵现任中华医学会心身医学分会主任委员,从事心身相关障碍的临床诊治和发病机制等研究近30年。

近年来,重庆市大足区人民医院坚持以人民健康为中心,以改革创新为动力,以建立健全现代医院管理制度为目标,加快推动公立医院高质量发展,进一步满足人民群众多元化医疗卫生服务需求,提升群众就医满意度,获得感、安全感。

### 推进党建与业务全面融合

“坚持党建引领,就是要推进党建和业务工作的深度融合,以高质量党建引领高质量发展。”大足区人民医院党委书记席家庄表示。近年来,该院党委坚持以政治建设为统领,以贯彻落实加强公立医院党的建设总要求为契机,通过深化拓展“党员先锋工程”等活动,实施“领航”“铸魂”“堡垒”“融合”“清廉”五大工程,建设“政治型”“学习型”“服务型”“效能型”“廉洁型”的五型党组织。

该院党委开展人才政策提升、培养加速、平台晋档、服务提质“四大行动”,先后引进博士5人、硕士162人,建成韩德院士工作站、重庆市博士后工作站等人才平台。该院党



## 你达标了吗

10月31日,学生们在进行“50米快速跑”比赛。当日,为落实《国家学生体质健康标准》检测工作,山东省青岛市市北区普集路小学举行小学生“体质健康达标”运动会。学生们通过测试项目锻炼,丰富了校园体育活动内容,增强体质,促进身心健康。

王海滨摄

## 华西发布两项精准医学创新成果

本报讯(特约记者喻文苏)日前,第八届成都精准医学国际学术论坛在四川省成都市开幕。川大华西精准医学产业创新成果发布会同步举行,华西医院与联影医疗共同打造的智慧健康管理移动车、华西医院与深睿医疗共同研发的面向呼吸疾病的医学人工智能数据库发布。

今年3月,由四川大学华西医院牵头的国家精准医学产业创新中心揭牌运行,基本构建起“政产学研资”紧密协同的产业创新生态系统。华西医院与联影医疗共同打造全球首个智慧健康管理移动车,健康管理移动车整合了智能天眼CT、便携式超声、十二导联心电图机等,一站式提供癌症、呼吸系统疾病、心脑血管疾病三大慢病早筛服务。此外,运用自主可控的5G+云技术,基层医疗卫生机构可与四川大学华西医院医疗专家远程互联互通,实时获取诊断报告与个性化诊疗方案。

华西医院与深睿医疗通过整合、治理和集成多维临床信息,建立标准、安全的呼吸系统疾病数据库,最终应用于呼吸疾病AI产品的训练、验证和测试。依托华西医联体资源优势,集成全国多中心多源异构数据,研发出胸部疾病人工智能辅助诊断产品。该产品可智能识别结节、肿块、磨玻璃密度影等20种胸部异常征象,依托多模态、全周期临床多维信息,对肿瘤性疾病、感染性疾病、气道性疾病提供鉴别和综合诊断,实现肺癌、肺炎、肺结核、慢性阻塞性肺疾病、间质性肺病、胸腔积液、气胸、支气管扩张等8种常见呼吸疾病的精准诊断,准确性高达90%。目前,该产品已在华西医院、华西医联体及全国100多家医院推广应用。

## 卒中取栓后血压管理下限明确

控制在140至180毫米汞柱更有利于病人康复

据新华社上海10月29日电(记者龚雯 丁汀)10月29日是世界卒中日。28日,国际期刊《柳叶刀》在线发表海军军医大学第一附属医院(上海长海医院)脑血管病中心刘建民教授团队临床研究的最新成果——“急性缺血性卒中机械取栓成功再通后强化降压控制的研究”。

该研究历时4年,由中澳合作,国际9个职能委员会全程介入,国内45家卒中中心参与,通过筛选1828例患

者,最终入组821例,证实对于急性大血管闭塞缺血性卒中患者,经血管内治疗成功开通血管后,强化血压管理(<120毫米汞柱)患者临床预后差于标准血压管理(140至180毫米汞柱)组,为急性缺血性卒中机械取栓再通后血压管理提供了证据支持,有望改写指南并指导临床实践。

据悉,尽管90%以上的卒中患者可通过机械取栓获得血管的再通,但是仍有半数以上的患者遗留残疾甚

至死亡,如何通过规范化的围术期管理改善患者预后,一直是全球卒中领域的重大科学问题。

刘建民表示,血压管理是围术期管理措施中能够改善患者临床预后最重要的一项。根据国际和国内诊疗指南,机械取栓血管再通后收缩压控制在<180毫米汞柱范围都是合理的,但按正常人的血压标准强化降压(<120毫米汞柱)还是控制在一个相对较高的水平(140至180毫米汞柱)

仍然存在争议。而这一问题事关整个围术期血压管理策略的制定,国际上同期在研的10余项同类研究,都在试图为这一难题给出答案。

据悉,由刘建民团队牵头的这项研究自2018年提出,获得国家卫生健康委卒中防治工程委员会、上海申康医院发展中心及上海市科委等部门立项资助,2020年7月开始首例患者入组,2022年3月完成最后1例患者入组,同年6月完成全部患者随访工作。

研究结果发现,强化降压治疗组90天功能预后良好的比例占47.5%,而标准血压管理组功能预后良好的比例达到60.8%,有力证明强化降压到小于120毫米汞柱对患者不利,而140至180毫米汞柱的标准血压管理则更有利于病人康复,为卒中患者血管再通后血压管理指明了安全下限。

## 重庆市大足区人民医院:

# 改革创新 为实现高质量发展蹚新路

域医学重点学科5个、市级临床重点专科10个、市级医疗特色专科4个,先后获批国家级胸痛中心、房颤中心、卒中中心、创伤中心,多项医疗技术填补了区域空白。

该院积极抢抓川渝卫生健康一体化发展机遇,通过与四川大学、重庆医科大学、华西口腔医院等院校合作,加盟华西口腔专科联盟、筹建大足区医学遗传及再生医学中心和青少年近视防治中心等。华西口腔医院等机构知名专家定期来院坐诊指导,为高水平学科建设筑牢坚实基础。

作为重庆市首批DRG(疾病诊断相关分组)支付改革试点单位,该院还进一步规范医疗服务行为,提升医疗服务质量、严格精细化成本控制,医疗

费用不合理增长得到有效控制,精细化管理水平得到显著提升,医保基金使用效率明显提高。

### 持续改善患者就医体验

“向人民群众提供更加优质、高效、便捷的医疗服务是我们孜孜不倦的追求。”席家庄表示。近年来,医院多措并举推进“美丽医院”“智慧医院”建设,实施环境美化、服务改善、人文涵养“三大工程”建设和十大具体举措,实现了医院升“颜值”、提“形象”、展“精神”的目标。医院获评重庆市首批“美丽医院”建设示范单位和重庆市四级智慧医院,

患者就医获得感、满意度明显提升。

该院还以“我为群众办实事”实践活动为抓手,成立以党员队伍为主的“康宁爱心”之家,深入社区、乡村、学校、企业等地开展惠民义诊、健康宣讲等活动,组织开展疫情防控、导医导诊等志愿服务超1万小时,荣获全国文化科技卫生“三下乡”活动优秀团队称号。

“在深化公立医院改革的进程中,我院形成了多项全国、全市推广经验。”席家庄表示。

风正潮平,正当扬帆破浪;任重道远,更需扬鞭催马。未来,医院将持续巩固改革创新成果,不断提升医疗服务质量,努力让人民群众在高质量发展进程中享受高品质的医疗服务,全力推进成渝地区双城经济圈中部医疗中心建设工作。(吕红亮)

### 筑牢高水平学科根基

作为国家三级甲等综合医院,该