

基因治疗给先天性耳聋患儿带来希望

本报讯 (特约记者张婷芳 通讯员王会 陈玉鑫) 复旦大学附属眼耳鼻喉科医院的一项最新研究成果,证明了双耳基因治疗在先天性耳聋患者临床治疗中的安全性和有效性,展现了基因治疗在治愈先天性耳聋疾病中的应用潜力。相关文章日前发表在国际期刊《自然·医学》上。

该研究项目由复旦大学附属眼耳

耳鼻喉科医院、国家卫生健康委听觉医学重点实验室的李华伟教授、舒易来教授、王武庆教授团队领衔,联合哈佛大学医学院陈正一教授完成。

研究团队通过双侧基因治疗,让5名听障患儿双耳听力均得到明显恢复,言语功能和声源定位能力也得到改善。这些听障患儿均因耳蜗蛋白缺陷(OTOF基因突变)导致先天性耳

聋。研究团队将前期研发的基因治疗药物,通过局部微创、显微注射的方式,一次性注射到患者双耳。

OTOF基因突变是先天性耳聋常见的病因之一,患者通常表现为重度、极重度或完全听力损失和言语障碍。在不同人群中均发现OTOF基因的高突变携带率。在我国,婴幼儿听神经病人群中,因OTOF基因突变导致耳

聋的患者高达41%。

基因治疗目前被认为是根治先天性耳聋最有潜力的策略之一。它可以通过递送载体将具有正常功能的基因直接递送到内耳,以表达功能正常的蛋白,恢复正常功能,从而在根本上恢复或改善患者听力。腺相关病毒(AAV)是目前最常用的基因治疗递送载体,然而OTOF基因超出了单个

AAV载体的递送上限。

为克服大基因内耳递送难题,研究团队研发出基于AAV的双载体基因置换疗法(AAV1-hOTOF),即采用双AAV载体。由该载体携带人源正常OTOF基因在内耳中重新组合,以发挥正常功能。随访期间良好的安全性,展示了AAV1-hOTOF药物双耳基因治疗安全有效。

新版医保药品目录调整工作启动

本报讯 (记者吴少杰) 近日,国家医保局公布《2024年国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录调整工作方案》《2024年国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录调整申报指南》《谈判药品续约规则》以及《非独家药品竞价规则》。按照《工作方案》,2024年7月1日至14日,国家医保服务平台开通网上申报系统,符合条件的申报主体可进行申报。经专家评审和谈判/竞价后,将于11月份公布药品目录调整结果,发布新版药品目录。

据悉,在往年经验做法的基础上,国家医保局今年对《工作方案》进行了小幅调整。在申报条件方面,按规则对药品获批和修改适应证的时间要求进行了顺延,2019年1月1日以后获批上市或修改适应证的药品可以提出申报;在调出品种的范围方面,将近3年未向医保定点医药机构供应的常规目录药品,以及2024年6月30日前未按协议约定保障市场供应的谈判药品列为重点考虑的情形,强化供应保障管理;在强化专家监督方面,明确专家参与规则和遴选标准条件,加强对参与专家的专业培训和指导,建立健全专家公正履职承诺、保密管理、对外宣传等规定。此次目录调整,除在调出情形中增加未按协议约定保障市场供应的谈判药品外,将在今年的协议文本中增加关于保障药品供应的条款并纳入考核管理,督促医药企业在谈判纳入医保目录后做好市场供应。

为稳定企业预期,今年的续约规则和竞价规则与往年基本保持一致。第一批竞价品种的支付标准有效期将于今年12月31日到期,今年的竞价规则中增加了对支付标准有效期至期品种经专家评审纳入常规目录管理的表述,使规则更加完善。

进口牛黄拟试点用于中成药生产

本报讯 (记者吴少杰) 7月1日,国家药监局与海关总署联合发布《关于允许进口牛黄试点用于中成药生产有关事项的公告(征求意见稿)》。《征求意见稿》提出,对来自不存在疯牛病疫情禁令国家(地区),且符合我国海关检疫要求和药品质量检验要求的牛黄,允许其试点用于中成药生产。试点时限设定为自公告发布之日起2年,到期后根据试点工作情况,牛黄进口使用相关工作逐步在全国范围内推开。

进口牛黄传统上一直是我国牛黄药材的重要来源。因2000年前后疯牛病疫情在全球蔓延,为控制风险,国家药监局规定“禁止使用进口牛源性材料制备中成药,如天然牛黄、牛胆膏、牛骨粉等”。海关总署对境外天然牛黄未开展检疫准入,天然牛黄未列入《获得我国检疫准入动植物源性药材种类及输出国家地区名录》。此后,我国未再批准牛黄进口。牛黄作为牛的胆囊结石(少数为胆管结石)极为稀有,我国每年牛黄的出产量远不能满足传统中成药生产的需求量,牛黄资源面临紧缺局面。

《征求意见稿》提出,为稳妥推进牛黄进口用于中成药生产相关试点工作,结合区域改革发展需求,确定北京、天津、河北、上海、浙江、江西、山东、湖南、广东、四川、福建、广西12个省(区、市)为试点区域。牛黄进口申请人应当为试点区域内处方含牛黄中成药品种的药品上市许可持有人,进口的牛黄仅限进口申请人自用于相关中成药的生产,不得销售。进口牛黄应当在海关指定的企业存放和加工。药品上市许可持有人应当建立进口牛黄的追溯体系,覆盖产地加工、进口、运输、储存、投料等环节。使用进口牛黄生产中成药的生产企业应当设置单独的生产设备,不得与其他品种共线生产。

近年来,河南省围绕“县级强、乡级活、村级稳、上下联、信息通”目标,持续推进整合型县域医疗卫生服务体系建设,类似宝丰县推动基层卫生健康事业高质量发展的改革,一直在全省各地如火如荼地推进。黄红霞介绍,河南省强化“县乡一体、乡村一体、城乡联动”,截至2023年,建成县域医疗中心104个,有79家县级医院、30家县级中医院达到三级水平,建成紧密型县域医共体172家,医共体监测和绩效评价排名全国第四。

2023年,河南省县域内基层就诊率为69.26%,同比提高0.48个百分点。黄红霞说:“坚持改革攻坚,坚持提质升级,全省乡村医疗卫生服务体系不断完善,能力持续提升,健康‘守门人’作用广受认同,城乡居民信赖基层、就近就医的意愿明显提升,为推进分级诊疗制度建设发挥了重要作用。”

CAR-T细胞治疗神经免疫病有了科学依据

本报讯 (特约记者常宇 通讯员田娟) 日前,华中科技大学同济医学院附属同济医院神经内科王伟教授和田代实教授团队在国际期刊《科学·免疫》上发表关于CAR-T细胞(嵌合抗原受体T细胞)治疗视神经脊髓炎谱系疾病患者的单细胞多组学分析的研究论文,这是全球首次在单细胞水平系统描绘出CAR-T细胞在自身免疫疾病患者体内的动态变化轨迹。

该研究结果不仅分析了CAR-T

细胞中枢浸润的分子特征,还揭示了CAR-T细胞治疗中枢神经系统免疫性疾病的中枢神经免疫重塑机制,从细胞和分子水平阐明了自身免疫性疾病患者和肿瘤患者CAR-T细胞的分子差异,为CAR-T细胞治疗中枢神经系统免疫性疾病的机理提供重要科学依据。

王伟教授团队于2023年在全球首次通过CAR-T细胞成功治疗视神经脊髓炎谱系疾病患者。该研究已初

步证明CAR-T细胞治疗在视神经脊髓炎谱系疾病中的良好耐受性和安全性,展示了持久的致病性抗体清除作用以及潜在的临床疗效。然而,CAR-T细胞治疗中枢神经系统免疫性疾病的细胞动力学特征和免疫学特征尚不明确。

于是,团队成员进一步研究,通过对接受CAR-T细胞治疗的复发难治性、人水通道蛋白-4阳性的视神经脊髓炎谱系疾病患者和同期多发性骨髓

瘤患者的血液和脑脊液样本进行单细胞多组学分析,从细胞分子层面描绘了CAR-T细胞进入免疫性疾病患者体内的动态演变过程。

研究还发现CAR-T细胞治疗中枢神经的免疫异常的关键,即具有趋化特性的CAR-T细胞更容易穿透血脑屏障进入中枢,直接杀伤中枢神经系统的异常浆细胞,减少鞘内自身抗体的分泌以及免疫细胞的异常激活,从而调节视神经脊髓炎谱系疾病患者

中枢神经系统免疫紊乱状态,利于患者的中枢免疫重建。

王伟表示,同济医院是采用CAR-T治疗自身免疫疾病患者样本量最多和疾病种类最多的单一中心,且大多数患者已成功实现了两年无药健康生存,这标志着CAR-T疗法在自身免疫疾病治疗中取得了显著且持久的疗效。这些原创性的研究发现有望为后续CAR-T细胞治疗免疫病的产品迭代改良提供重要的科学依据。

首届首都“优促计划”科转创业营开班

本报讯 (记者郭蕾) 日前,第一期首都医学科技创新成果转化“优促计划”科转创业营开班。创业营以“前沿大讲堂+团门实训小组课+行动学习”模式开展,为期3天。此次培训包含院士前沿引导、政策权威解读、实效陪跑教学、大厂实研研学等多个环节。

据了解,“优促计划”是北京市首个以医疗机构为创新主体深度参与项目孵化的医药卫科技成果转化类项目,由北京市卫生健康委主导。该项目以临床问题和需求为导向,旨在解决临床未解决的问题、回应患者未满足的需要,不断完善政策机制,塑造有组织的医学科技创新转化生态体系。截至目前,共有998个优质转化类项目被纳入首都转化医学项目储备库,1763名医疗科创领域相关专家被纳入首都医药卫科技成果转化专家库。

首届科转创业营由北京市卫生健康委、北京经济技术开发区管委会指导,北京市医疗卫生科技促进中心、北京先进医疗器械协同创新中心和北京经开区生物技术和大健康产业专班联合主办,北京大学创业训练营承办。

沈阳市心理健康服务中心揭牌

本报讯 (特约记者闫奕涵 郭睿琦) 日前,辽宁省沈阳市心理健康服务中心揭牌。该中心配备102名经验丰富的心理治疗师,可为市民提供心理咨询与治疗、心理健康筛查、心理健康促进等服务。

该中心设有婚恋调适室、正念赋能室等共计10余间专业咨询室,以满足不同咨询需求。同时,该中心根据功能性质的差异,分为经络助眠区、儿童青少年身心养护区、多动及注意力整合区、身心健康管理区等13个功能区域。该中心将组织并规范培训基层心理健康人才,推进志愿者队伍建设,指导基层建立心理服务站点“疗愈驿站”,助力沈阳市不断完善“横向到边,纵向到底”的网格化心理服务体系。

河南:谋基层高质量发展“中原之策”

(上接第1版)

在平顶山市,围绕县级医院对乡镇卫生院开展帮扶,各县(区、市)深入探索了“以科带院”“科主任下乡”“院科共建”等多种行之有效的措施。以宝丰县推行“以科带院”为例,4年多来,全县已累计选派24名二级以上医院的优秀业务骨干到基层进行驻扎式帮扶,担任乡镇卫生院业务院长、名誉院长,开展教学查房、病历质控、疑难病例讨论等“传帮带”工作,为基层分院全方位培养人才。

宝丰县医疗健康集团纪委书记王延芳介绍,鉴于“以科带院”取得的帮扶实效,总医院在大营、闹店、赵庄、商酒务4家外科基础相对较强、手术设备相对齐全、服务半径较大的分院,建设县域基层手术中心,进一步提高基层医疗卫生机构的服务能力,助力实现“小病不出乡”。

“我们不仅把外科业务重新捡起来了,而且得到了很好的发展。”宝丰县医疗健康集团商酒务分院(商酒务镇卫生院)院长张书华介绍,分院的县

域基层手术中心投入使用以来,陆续已能开展骨科、普外、肛肠、妇科等多学科手术,就医更加便捷,还节约了费用,群众满意度很高。

记者走访发现,在设备配备方面,数字X射线摄影仪、彩超、全自动生化分析仪基本已成为河南省各乡镇卫生院的标配“三大件”。黄红霞介绍,目前河南省约有40%的乡镇卫生院已经配置了CT机或核磁共振仪。

“发热诊室、全科门诊、中医馆、健康驿站基本全覆盖,设置康复医学科的比例达到35%,开展医养结合服务的有168家,建成胸痛救治单元268个、卒中救治单元145个。”黄红霞说,围绕“乡级活”目标,全省乡镇卫生院坚持以健康为中心,打造防治一站式、康养一体化服务模式,较好满足了农村居民基础性、便利性、多层次、多样化健康服务需求。

服务基层,县域医疗在“做大做强”

2020年1月,宝丰县按照县域紧密型医供体建设要求,结合本地实际,成立宝丰县医疗健康集团。针对“救得了急病”“管得住慢病”,宝丰县医疗健康集团做了大量工作:投入6000余万元打造县域医共体信息化平台,建成六大“诊疗资源共享中心”;建设县级胸痛、卒中、创伤等危急重症“五大中心”,同时在县域东南西北4个方向各建设一个卫生院急救站点;建设县级远程心电、影像诊断中心,实现乡村检查、县级诊断;建设县、乡慢病管理中心,责任医师分级管理患者,逐步推进慢病“防、治、管”整体融合。

在夯实乡村两级服务体系的基础上,宝丰县还拿出“真金白银”围绕“县

级强”做文章,采取务实举措提升县级医院服务能力。

王延芳介绍,该县制定“大病外聘专家”政策,建成涵盖各专业,有111名省、市知名医师的外聘专家库,梳理普外、泌尿、骨科等11个专业128项手术的外聘专家手术目录,县财政每年列支400万元,用于外聘专家开展会诊、手术等活动的支出。

改革以来,宝丰县已累计开展冠脉介入手术3800余台,急性心肌梗死的死亡率由8.21%降至2.52%;开展脑卒中溶栓865例、神经血管介入手术151例,DNT(从患者进入医院到开始溶栓治疗)时间中位数由56分钟缩短至20分钟左右;高血压、糖尿病、慢性精神障碍、慢性阻塞性肺疾病、肺结核“五病”人群的并发症发病率降低2.1个百分点。2024年5月,该县城乡居民县域内就诊率达到94.77%,乡镇卫生院(急)诊人次同比上升36.71%。