

中国首款按疗效价值支付的生物创新药进展喜人,患者均获“完全缓解” 创新支付模式加速新药“用得起”

据文汇报 近日,中国首款淋巴瘤按疗效价值支付计划首批参与的4位患者均获“完全缓解”振奋结局,简言之,就是在他们体内已没有检出淋巴瘤细胞,这是患者梦寐以求的结局。这4名患者来自上海交通大学医学院附属瑞金医院、广州市第一人民医院以及浙江大学医学院附属第一医院。这也意味着CAR-T疗法经过这一创新支付模式,帮助更多淋巴瘤患者走向“可及可愈”。

复星凯特“奕凯达(阿基仑赛注射液)中国首款淋巴瘤按疗效价值支付计划”于今年1月推出,符合条件的患者在使用奕凯达治疗后,若未能达到“完全缓解”的结果,将获最高60万元的返还。该计划是中国首个按疗效价值支付的淋巴瘤药品的创新支付模式,奕凯达也是中国首款按疗效价值支付的生物创新药。淋巴瘤是一种血液系统的恶性肿瘤,非霍奇金淋巴瘤约占所有淋巴瘤

的90%,发病率近年呈增长趋势,大B细胞淋巴瘤又是最常见的成人非霍奇金淋巴瘤。瑞金医院血液科主任医师许彭鹏介绍,大B细胞淋巴瘤在经过一线治疗后,仍有40%的患者出现疾病进展或复发,尤其是对原发难治和早期复发的患者,治疗棘手,临床上迫切需要创新的治疗方式。CAR-T细胞疗法为患者带来新的希望。瑞金医院的2名淋巴瘤患者

在经标准一线化疗后一年内复发,在CAR-T团队的帮助下接受了奕凯达CAR-T疗法,如今已获得完全缓解的好结果。医生解释,在临床上,当患者体内无法检测出淋巴瘤细胞时,即可达到“完全缓解”,这是评估长期生存乃至达到治愈目标的重要指征。当前,以CAR-T为代表的创新药研发如火如荼,但动辄数百万元的价格阻碍了患者对这类创新药的可及

度,“有药,用不起”成为患者的就医痛点。奕凯达按疗效价值支付计划正是在此背景下出炉。该计划从综合临床价值、经济价值、社会价值和患者价值等多维度进行考量,为高价值药物的市场准入和支付方式提供创新解决方案,旨在帮助更多高危复发难治淋巴瘤患者获得新生。在业内看来,这一创新支付方式也为CAR-T进入医保提供全新思路。 ■唐闻佳

“人脐带间充质干细胞治疗心衰注射液”进入临床试验 期待让心肌细胞“复生”

据解放日报 记者日前从上海市东方医院获悉,由国家干细胞转化资源库临床级干细胞库负责人、东方医院名誉院长刘中民团队研发的“人脐带间充质干细胞治疗心衰注射液”已进入I期临床试验阶段,这也是我国在该领域的首款药物。

我国目前心血管疾病患者数量达3.3亿人,其中进展为心力衰竭者并不罕见,约有890万余名患者饱受其苦,5年死亡率超过50%。药物、起搏器、心脏移植等现行治疗方式均存在一定缺陷,是否有突破性新疗法?

治心衰现有手段存在一定缺陷

东方医院干细胞基地GMP实验室主任贾文文介绍,干细胞的功能为控制和维持细胞的再生。从分化潜能而言,干细胞可分为全能、多能与单能,如胚胎干细胞具有发育全能性,在理论上可以诱导分化为机体中所有种类的细胞;而人脐带间充质干细胞则是一种多能干细胞。

“它是从脐带黏液质中提取的干细胞,具有组织修复、免疫调节、抗炎作用,并且免疫原性低,可分化为多种细胞类型,在再生医学中具有广泛应用潜力,尤其是在修复受损的软骨组织、骨骼和心肌等领域。同时,人脐带间充质干细胞还能通过分泌特定的细胞因子调节免疫反应和减少炎症,对自身免疫疾病和慢性炎症疾病的治疗具有重要意义。”

刘中民介绍,心衰是由于心脏结构和/或功能异常导致心室充盈和/或射血能力受损的一组临床综合征,是大部分心血管疾病发展的最终阶段,随着年龄增长,患病率和发病率均明显增加。“目前,主要有药物治疗、血运重建、细胞和基因治疗等临床手段,但大多会反复发作,无法解决心脏的真正问题。若走到最后一

步——心脏移植,不仅供体少、创伤大、经济负担重,患者也较难回归社会,生活质量大打折扣。”

如何能让心肌细胞“死而复生”?刘中民团队将目光投向了干细胞的再生修复能力。

干细胞治疗有望降低心衰死亡率

东方医院早在2013年就联合中国科学院上海高等研究院等成立干细胞工程转化医学中心,打造了国内首个“干细胞存储—制备与质检—基础研究—临床前研究—临床研究—临床转化应用”的全产业链。

刘中民还记得,在当时我国干细胞产业化政策未明的大背景下,上海先行先试,2014年,张江高新技术产业园区管理委员会投入2.55亿元打造干细胞产业基地,东方医院承担了干细胞转化医学产业基地项目。此次“人脐带间充质干细胞治疗心衰注射液”的研发,便是其中一项成果,2017年作为上海市科委计划项目立项,2019年完成国家干细胞研究项目备案,今年1月正式获得药物临床试验I期临床默示许可。

东方医院干细胞基地办公室主任汤红明介绍,临床前动物实验结果提示,通过小鼠心肌梗模型和猪冠脉结扎致心衰模型研究,“人脐带间充质干细胞治疗心衰注射液”可通过旁分泌作用调控心肌组织微环境,对于缺血性心脏病中的心肌细胞组织损伤有明显抑制作用,增加动物心功能,促进血管再生,减少心肌凋亡。

在全球范围内,间充质干细胞治疗心衰的研究现状如何?刘中民说,随机双盲研究目前共有12项,共入选823例患者,结果显示,治疗使死亡率下降27%,再入院率下降47%,分钟步行距离增加117米,德国、日本分别有一款治疗心脏疾病的干细胞

产品已上市。“我们希望研发出属于中国人群的新药,若能降低四分之一的死亡率,对个人、家庭乃至社会都将带来人力、物力与经济减负。”

对临床安全性有效性充分评估

2022年8月,国家干细胞转化资源库依托单位东方医院已签署《技术转让(合作)合同》受让相关技术及成果,将优先在中国开展药品注册申报及后续临床试验开发。进入临床试验阶段后,还有哪些关键技术瓶颈亟待攻克?

“相对于传统化学药物,干细胞质量检验在方法学验证方面缺乏统一标准与规范,且表面标志物、周期、凋亡及细胞功能学等检项缺少标准品。”刘中民坦言,制备安全、合格、优质的细胞制品,是一条漫长的路,尤其需保证不同批次的质量均一化。“另一方面,动物实验可使用带有示踪剂的样本进行研究,进入人体后,干细胞到了什么器官、停留多久、能否解决问题,都需要审慎的数据支撑。”

据悉,“人脐带间充质干细胞治疗心衰注射液”I期临床试验主要入组对象为35至75岁的严重慢性缺血性心衰患者,治疗方案需在开胸手术中同时进行干细胞注射治疗,保证受试者安全的关键在于克服术后感染、出血等风险。现阶段相关受试者均来自东方医院,后续还将联合长三角地区多家三甲医院招募,为临床安全性和有效性进行充分科学评估。

“从化学药物到物理疗法,再到细胞治疗,医学界已经迎来‘第三次革命’。”刘中民说,干细胞医学如同“发展之翼”,期待上海在干细胞产业发展中抢占国际先机,未来形成集政策监管、产品孵育、成果交易与临床验证为一体的成果转化模式,最终让更多患者受益。 ■黄杨子

“大处方”防治“小眼镜”

最新发布的《近视防治指南(2024年版)》指出

近视前驱期的儿童通过增加户外活动时间、减少近距离用眼负荷等综合措施干预,可有效减少近视的发生

每天户外活动时间不少于2小时

监测数据显示 2022年我国儿童青少年总体近视率为51.9% 较2018年下降了1.7个百分点

专家表示 还要做好科普宣传,指导学生、家长和教师了解科学用眼和护眼知识,帮助儿童青少年养成良好用眼卫生习惯

对于已经近视的孩子 需要根据情况选择合适的矫正手段,如光学手段、药物、行为学等

家长应该根据孩子的症状和情况,主动寻求专业医学帮助,并根据医生建议进行治疗和矫正

在行为学控制方面,除了户外活动,正确的坐姿、握笔姿势以及良好的家庭光线环境也是预防近视的关键因素

新华社发(梁晨 制图)

上海长护险待遇怎么申请?

据解放日报 当前,上海每月约40万失能老人享受长护险服务。长护险待遇怎么申请?复核评估期间是否可以继续享受原待遇?长护险居家照护中的时间补助和现金补助可以同时享受吗?市医保局对于这些常见问题进行回应。

问:上海长护险待遇怎么申请?

答:申请人可由其监护人或代理人通过街道社区事务受理服务中心或分中心就近办理。对于申请社区居家照护的服务对象,服务机构会在确认评估报告有效后与服务对象联系,制定服务计划,并安排居家护理服务。对于申请养老机构照护的服务对象,如已入住养老机构的,养老机构会在确认评估报告有效后为服务对象制定服务计划,安排护理服务;如尚未入住

养老机构的,养老机构会按规定的先后顺序,安排服务对象入住,并制定服务计划,安排护理服务。

对参保人员在评估有效期内发生的居家上门照护的服务费用,长护险基金的支付水平为90%;社区日间照护和养老机构照护的服务费用,支付水平为85%。

问:我之前长护险居家照护的评估等级为四级,期满后重新评估为二级。我对评估等级提出异议,并提交了复核申请。复核评估期间,还是按照原来的四级享受长护险待遇吗?

答:根据相关规定,评估对象对期末评估或状态评估结果有异议、申请复核评估的,评估期间,可继续享受原长护险待遇。复核评估结果生效后,按复核评估结果享受长护险待遇。

所以在复核评估期间,还是可以按原来的四级享受长护险待遇。

问:长护险居家照护中的时间补助和现金补助可以同时享受吗?

答:根据相关规定,为体现鼓励居家养老的原则,对评估等级为五级或六级接受居家照护服务的参保人员,连续接受居家照护服务1个月以上6个月(含)以下的,由其自主选择,在规定的每周7小时服务时间的基础上,每月增加1小时的服务时间或获得40元现金补助;连续接受居家照护服务6个月以上的,由其自主选择,在规定的每周7小时服务时间的基础上,每月增加2小时的服务时间或获得80元现金补助。

也就是说,现金补助和增加服务时长不可同时享受。 ■周程祎

适当免疫应答有助孩子成长

据解放日报 近日开启的“自在呼吸,童年无忌”儿童呼吸健康科普公益行动传出消息:呼吸道感染导致全球每年约70万儿童死亡。幼儿时期是肺发育的关键时期,加之换季天气多变、昼夜温差大,儿童作为呼吸道疾病易感人群,面临较大健康风险。如何更好地预防儿童反复呼吸道感染?

中国医师协会变态反应医师分会首届副会长洪建国提醒,免疫系统在孩子从患病到康复的过程中起到了至关重要的作用。儿童免疫系统尚未发育成熟,气道相对狭窄,黏膜柔嫩,血管丰富,局部的屏障功能也不完整,7岁左右才会接近成人水平。在此之前,儿童气道对于细菌和病毒防御力较低,反复呼吸道感染是儿童喘息性疾病和哮喘急性发作的常见原因。

适当的“免疫应答”有助于孩子健康成长。机体免疫功能不足容易感染,而机体免疫系统过度反应则容易诱发哮喘等过敏性疾病,平衡儿童免疫力是减少反复呼吸道感染和气

道过敏性疾病的关键之一。

专家解释,人体免疫系统包含固有免疫、适应性免疫两部分。固有免疫是人体的第一道防线,如人体健康的皮肤和呼吸道黏膜组织可将病原体阻挡在身体之外,适应性免疫则是一种接受外来刺激后逐渐建立的后天防御功能,主要由人体内的T细胞和B细胞发挥作用。儿童的呼吸免疫力可通过训练免疫逐步提升。训练免疫是指通过接触病原体或其他类病原体的免疫刺激,使人体的免疫系统得到激活和增强的过程。适时接种疫苗和使用免疫调节剂,都是对儿童进行免疫训练,从而提升孩子免疫力。

洪建国说:“临床证据表明,使用免疫调节剂诱导的免疫训练,可刺激机体的固有免疫和获得性免疫,预防多种病毒和细菌感染。对于免疫力低下且反复呼吸道感染的孩子,建议遵循医嘱在呼吸道感染高发季节前三个月使用免疫调节剂,降低感染风险。” ■顾泳