



武汉光谷同济儿科

托起血液肿瘤患儿一片天

本期嘉宾: 华中科技大学同济医学院附属同济医院儿童血液肿瘤团队
《医师报》融媒体记者 王丽娜

刘爱国 依托国家中心 打造亚专科“硬实力”

首例儿童青少年基因治疗病例在同济医院儿科完成,在儿童血液肿瘤科主任刘爱国看来绝非偶然。科室在像血友病这种儿童出凝血疾病的诊疗方面有着悠久的历史 and 强大的优势。同济医院儿童血液肿瘤专业起步于20世纪60年代,是全国首批儿童血液学硕士授予点,2004年开始招收博士研究生,并于2012年独立成科。学科带头人胡群作为中华医学会儿科分会血液学组副组长,引领了我国第一版免疫性血小板减少症(ITP)和儿童血友病的诊疗指南。科室的学科建设过程中一直紧跟医学前沿步伐,不断推进亚专科建设。

2019年,在同济儿童医院罗小平院长的带领下,湖北省儿童医学中心成立,医院还是湖北省儿童罕见病医学中心。这么多重点中心“落地”在同济医院儿科,是荣誉更是动力。

“儿童血液和肿瘤性疾病种类繁多,站在省儿童医学中心的平台上,如果某一疾病同济‘接不住’,患儿只能往更远处

求医。无形给他们造成了更大的负担。”刘爱国表示,同济医院儿童血液/肿瘤科虽属综合性医院,且科室仅有14位医生,但从患者数多的白血病/淋巴瘤方向,到患者数少的罕见病方向,亚专科建设非常齐全。

造血干细胞移植被誉为很多血液良恶性疾病治疗的“终极武器”。“造血干细胞移植和细胞治疗亚专科,是我们今后重点发展的亚专科,难度大,也非常具有挑战。”刘爱国介绍,目前新院区造血干细胞移植共有两个病区、17个移植仓,其中包括14个百级仓和3个千级仓,是华中地区移植仓最多的儿童血液疾病移植中心。

2022年开始投入运营的新院区移植中心显示出强大的诊疗能力,除了白血病和重型再障外,团队还开展了地中海贫血、噬血细胞综合征、黏多糖病、湿疹血小板减少伴免疫缺陷综合征(WAS)、高IgE综合征、中性粒细胞减少伴免疫功能不全(舒戴综合征)、X连锁免疫紊

乱-多内分泌疾病伴肠病(IPEX)、先天性无巨核血小板减少等等,各种罕见病免疫缺陷、骨髓衰竭或遗传代谢病的造血干细胞移植。

“我们为什么要建立这么大的移植中心?一方面患者的信任以及需求,另一方面其他专科要进行造血干细胞移植的患者也可以在我们这里完成,实现光谷同济儿童医院‘为儿童提供一站式、多学科、全周期健康服务’的办院宗旨,也可以实现大病不出同济,夯实湖北省儿童血液/肿瘤疾病诊疗能力。”刘爱国说。

在湖北儿童医学中心平台下,成立了同济儿科专病联盟,儿科在多种专病领域都可以和基层医院进行会诊转诊。科室还牵头国家基层儿科医护培训项目,组织基层医护开展线上线下继续教育。特别是科室在中国医药论坛APP平台上连续4年开展的“同济儿科云课堂”,因其选题设计新颖、接地气,得到了国内非常多儿科医生的好评,点击量已超2000万,影响非常大。

王雅琴 让患儿心灵有一方“世外桃源”

走进光谷同济儿童住院部的五楼,缤纷的色彩映入眼帘,不同于以往认知中的医院病房,这里走廊宽敞,墙壁装饰温馨。推开第一个房间的门,小朋友们在老师的引导下画画、看书,除了小小的光头,完全看不出他们和普通孩子有什么不同。

这里是光谷同济儿童医院血液肿瘤科的新阳光病房学校,也是孩子们的“世外桃源”,学校里的手工课、音乐课、绘画课可以让他们短暂逃离血液病治疗时的痛苦。儿童血液肿瘤科副主任王雅琴说:“小朋友最能触动心弦,在进行新病房分配时,科室就考虑到了要给这些身体受伤的小朋友一方心灵休憩的‘世外桃源’。”

她告诉记者整个房间墙上的作品全是出自这些小朋友之手,房间里的桌椅板凳也都是爱心人士捐赠的,每逢开放日会有志愿者过来看望小朋友们;武汉市中心血站、医院输血科和科室也有良性互动,每年六一儿童节会给科室提供爱心血小板。重大节日,社交媒体平

台或公益组织还会开展认领小患者心愿的“圆梦活动”,减少了很多小患者治疗痛苦的同时,也有了更多的甜蜜回忆,很多小患者也因此不会惧怕住院和治疗。

2023年,武汉同济医院获批成为湖北省罕见病医学中心,儿童血液肿瘤科牵头成立了儿童血液系统罕见病分中心、血友病分中心,这么多头衔下是强有力的诊疗实力保证。

多学科诊疗(MDT)团队建设也是保证诊疗实力的关键一环。“光谷同济儿童医院各专科齐备,开设了包括儿童实体瘤、罕见病和遗传代谢内分泌等多个MDT团队,可对外挂号,一次门诊可以给病情复杂

的患者提供更加完善的后续诊疗计划。”王雅琴说。

不可否认,相比于大部分国家,我国医生是最能干的,儿科医生尤为如此。国内儿科医生缺口巨大,已是不争的事实,儿科医生因此成为“钱少、活多、心累”代名词。采访结束,一个数字也让记者觉得格外扎心——“14位医生”,除了日常诊疗、移植患者管理、为患儿谋福利,他们还要面对临床研究、基金项目、基层帮扶、自己的终身学习,以及全部的儿科血液病/肿瘤亚专科建设。“守望从医誓言,不忘生死相托。”他们用自己的奉献、爱心、责任心为血液肿瘤患儿托起一片天。



2022年,以前需终身注射凝血因子的血友病患者迎来好消息,血友病B基因治疗在我国落地,只需一针,患者即可达到临床治愈。消息一出,让华中科技大学同济医学院附属同济医院儿科胡群教授、刘爱国教授带领的团队既高兴又心急。高兴的是期盼已久的血友病基因治疗终于落地且疗效可靠,心急的是这一成果仅适用于成人血友病患者,要想在发病率更高的儿童患者中应用,还要“另起炉灶”开展新研究。带着无数血友病患儿家属的期待,基于医院儿童血液雄厚的学科基础,胡群团队主动肩负起“为儿童血友病患者找药”这一重任。经过近一年的筹备,研究一举成功,成为我国儿科首个成功实施基因治疗的儿童血友病B案例,也将儿童血友病B今后的治疗带到了一个崭新的时代。

胡群 治好儿童疾病 武器不能缺

“怕不怕?”胡群握了握准备接受注射的17岁小溪的手问道。“这是我这么多年打的针里最期待的一针。”小溪乐呵呵地和围在他身边的医生们说。随着液体慢慢注射进入小溪的静脉,他也成为我国在儿科第一个使用基因治疗的青少年血友病B患者。

如今,距离小溪接受治疗已过去了三个多月,以前需每周静脉注射一次凝血因子的他已不需用药,并且监测下来一切指标均正常,没有发生自发出血。

“治疗后的小溪就投入到了高考的冲刺中。我们为了这一天已经等了好多年。”小溪的妈妈回忆:当时,他们在知道孩子患的这种病需要终身静脉注射凝血因子后,全家都崩溃了,小小的胳膊扎了这么多年的针,我们一直都在盼,哪怕有个能口服的药都好呀,没想到这次等来的是可能一针治愈,我们真是太高兴了。

为了这一针,儿科血液肿瘤团队也从一年前就开始准备,光资料就准备了厚厚的一大本。从患者如何筛选,到出现什么问题怎样应对,肝功能不好怎么办,凝血因子水平下降怎么办……终于,在天津血研所张磊团队帮助下方案顺利实施。

“基因治疗的药物和成人一样,剂量也按和成人一样的公斤体重标准计算,所以准备

过程药物准备不是最复杂的。”胡群介绍,从保护儿童的角度,临床研究需要满足国家和医院的众多伦理、研究条件要求。此外,合适患者筛选也是关键一环。血友病B的基因治疗药物是携带正常凝血因子IX(FIX)基因片段的腺相关病毒载体,其靶细胞是肝脏细胞,因此,要求患者肝脏功能正常,并且保证健康的生活方式和生活规律,“不吸烟、不喝酒、不熬夜。因为中医认为熬夜也会伤肝。”只有这样,腺相关病毒载体进入参与试验者体内后才能表达出理想的FIX。

“剂量靠猜、分药靠掰”,没有儿童专用药,是儿科用药困境,也是儿科医生遇到的众多难题和挑战之一。“不开展临床研究,儿童就没有药。尤其现在,血液肿瘤进展日新月异,不良反应小、更能延长和改善血液肿瘤结局的成人用药层出不穷。作为湖北省儿童医学中心,我们不能眼睁睁看着孩子没有药。”开展这样的儿童青少年药物临床研究,早已成为同济医院儿科团队默认的担当之一。

截至目前,团队已组织及参与儿童血液及儿童肿瘤相关临床试验20余项;胡群作为团队领军者还主持国际血液病基金课题一项;近5年,团队主持国家自然科学基金6项,并产生了丰硕的成果。



扫一扫,关联阅读
健康中国地铁公益巡展
专题