

阅读提要

■5月20日，上海瑞金医院成立临床研究多学科咨询门诊和瑞金-海南特许新药新械咨询门诊。该院副院长沈柏用介绍，“这两个全新的门诊是一次全新尝试，对于尚未在国内上市的新药需求，患者可通过该门诊咨询医师，经全面评估适宜后，瑞金医院将协调引进所需药物至海南分院，并通过临床试验程序为患者提供治疗。”

■“从患者申请到用药，最少需要2个月的时间，当然我们还在努力缩短时间，但这一过程很复杂。”沈柏用介绍，医生需要向国外药厂申请，然后通过海南的政策，层层审批，最终药物才能用到患者身上。而这些药物价格往往比较贵，医生也会跟药厂沟通赠药，但因承担不了费用而放弃治疗的患者也不在少数。

■2024年1月，张达（化名）在海南瑞金医院用上了玛伐凯泰，不用做手术，仅服药一个月，疾病症状和心脏超声数据就得到了显著改善。4月24日，玛伐凯泰获中国国家药品监督管理局优先审评批准。6月13日，上海瑞金医院心内科主任医师金玮告诉记者，国内患者有望在今年年内能够使用上玛伐凯泰。

“哪怕只有一个人申请临床试验，我们也会开始找新药、新疗法。”

在上海瑞金医院，有两个特殊的门诊，一个是临床研究多学科咨询门诊，一个是位于海南的瑞金海南特许新药新械咨询门诊，他们为疑难杂症患者全球去找药。

上海瑞金医院副院长沈柏用告诉健康时报记者，对于尚未在国内上市的新药需求，患者可通过两个特殊门诊的“绿色通道”，几乎是“全球零时差”用上新药，寻得一线生机。

求医

“没见过”“治不好”

“对走投无路的患者而言，尽早尝试新药，无疑是黑暗中的一盏灯火。”从医数十载，沈柏用深知疑难杂症患者对新药的渴望。

妮妮（化名）是一名先天性软骨发育不全的患儿。出生不久，她的母亲就发现，她的生长发育速度远慢于同龄孩子，个子比弟弟妹妹矮一大截。

四处寻医得到的答复基本都是：“没见过这种病”“天生长的慢”，得到确诊后给的答复却是“治不好”。

先天性软骨发育不全是一种罕见病，发病率约为1/17000~1/28000。

上海瑞金医院儿内科主任医师董治亚告诉健康时报记者，这种疾病的典型特征是严重的不成比例矮小（四肢特别短小），未经治疗的患儿成年后平均身高低于130厘米。而且，超过80%以上的该患儿存在不同程度的并发症，如肥胖、高血压、脑积水、限制性肺疾病、中耳功能异常等，严重影响生活质量。

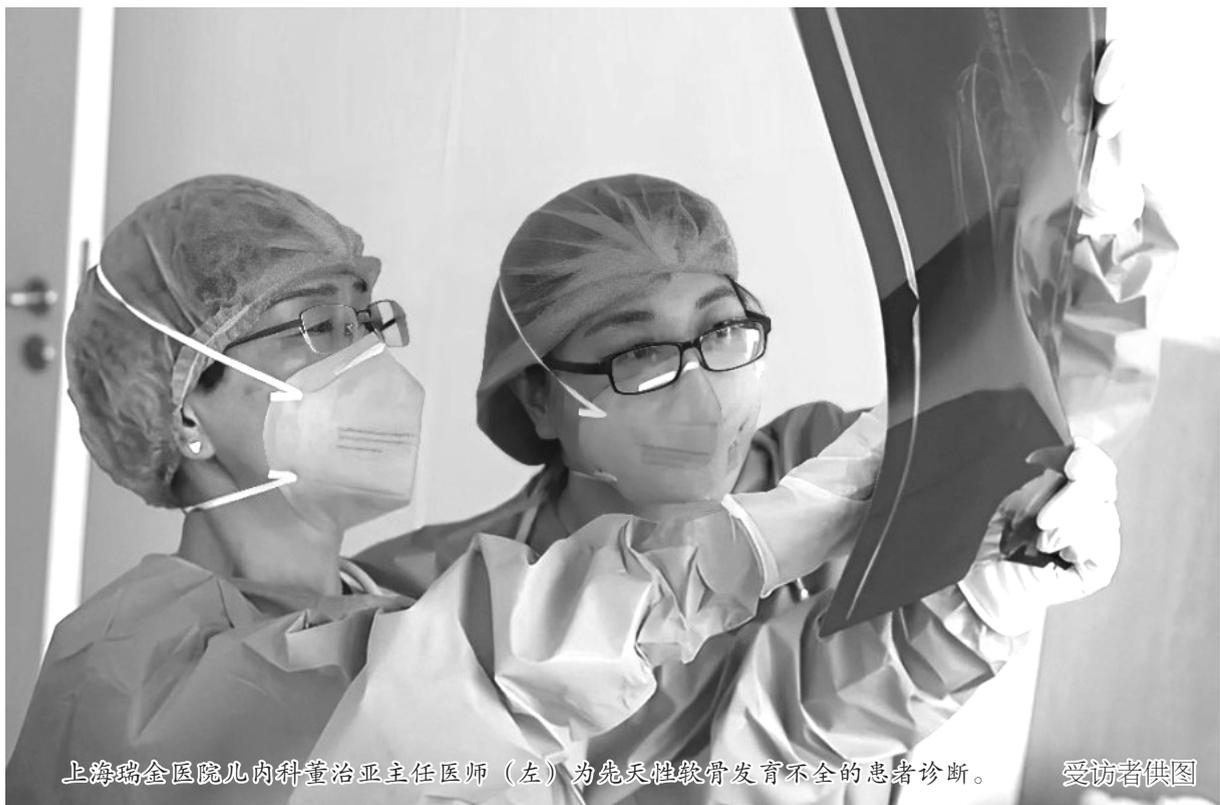
针对这一疾病，国内往往是用生长激素治疗，但长期效果并不好。这样的小孩儿，往往会伴随骨骼畸形，骨科医生会进行骨骼纠正，可能还要进行各种手术“拔高”。这种治疗过程非常痛苦。

“除了这些办法外，现在还有一种新药可以尝试！但目前国

瑞金医院有两个特殊的门诊

帮患者全世界“找药”

健康时报记者 王振雅



上海瑞金医院儿内科董治亚主任医师（左）为先天性软骨发育不全的患者诊断。

受访者供图

内还未上市……”

董治亚所说的新药是一款叫做伏索利肽的药物，它是全球获批的唯一一款用于先天性软骨发育不全儿童患者的药物，也是瑞金海南医院第一个落地的全国首例新药项目。

2021年8月，伏索利肽在欧盟上市，同年11月美国食品药品监督管理局（FDA）完成加速审批并上市。2022年6月21日，该药在日本获批上市，但该药还没有在我国上市。

董治亚向健康时报记者介绍，伏索利肽被越早用于治疗，效果越佳，它可以通过拮抗FGFR3基因变异后信号通路的过度激活，来平衡基因变异带来的影响，尽可能降低对患儿生长发育的影响。

妮妮迫切地需要这款新药。

寻药

全球有药但国内未上市

和妮妮一样有新药需求的患者并不在少数。

患有梗阻性肥厚型心肌病的张达（化名）到上海瑞金医院门诊看病时，已经出现了胸闷、气急、乏力等症状。“不想做手术”是张达唯一的诉求。

梗阻性肥厚型心肌病主要是由于编码肌小节相关蛋白基因致病性变异导致的、或病因不明的以心肌肥厚为特征的心肌病。

“手术是这类疾病患者的常用治疗手法，但手术都有风险，术后还可能有并发症，能吃药治疗，就不要手术治疗，这是很多患者的期盼。”上海瑞金医院心内科主任医师金玮告诉健康时报记者，但目前临床上，不手术患

者又有猝死、心力衰竭、脑卒中的风险。

玛伐凯泰是全球首个也是唯一获批的心肌肌球蛋白抑制剂。研究结果显示，持续治疗30周后，玛伐凯泰显著改善了多个关键指标，且安全性良好。

对于众多药物耐受、无法承受手术的患者，该药是亟盼的创新疗法。

“可以通过瑞金海南医院，申请引进新药试一下。”董治亚和金玮介绍，医院对于国内未上市的药物，可以协调引进至海南分院，患者在海南分院可以用上新药。

2024年5月20日，上海瑞金医院成立临床研究多学科咨询门诊和瑞金-海南特许新药新械咨询门诊。

下转 16版