

《中国地中海贫血蓝皮书(2020)》发布

## 社会力量深度参与地贫防治

5月8日,第28个世界地贫日。由北京师范大学中国公益研究院和北京天使妈妈慈善基金会联合编著的《中国地中海贫血蓝皮书(2020)》在北京发布。

继《中国地中海贫血蓝皮书(2015)》出版5年之后,本书再次总结回顾了我国地中海贫血防治工作方面取得的成绩和进展,分析了当前困难和挑战,提出了未来发展新方向和新路径,继续为我国地贫规范化治疗和救助提供研究参考。

《蓝皮书》显示,五年来,我国地贫防治工作取得很大进展,2015年以来,新出生确诊患者逐年下降。

蓝皮书还显示,开展地贫救助服务工作的社会组织、志愿者队伍等社会力量,立足自身岗位、发挥专业优势和个人优势,在救治救助、政策倡导、心理疏导、资讯互通、知识培训、救助辅导等方面发挥了更加突出的重要作用。

## 取得五大进展

蓝皮书显示,五年来,我国地中海贫血防治工作取得了显著成绩。

一是精准健康扶贫有效地减轻地贫患者医疗经济负担。《中国地中海贫血蓝皮书(2020)》显示,2015年以来,随着我国以人民为中心、以健康为根本的精准健康扶贫工作有序开展,以及一系列政策规划和专项行动的有力实施,地贫患者及家庭在经济负担方面得到显著改善,患者及家庭的获得感、幸福感和安全感得到较大提升。与5年前相比,目前,多地已将输血费用纳入医保报销范围,提高门

诊年度最高支付限额;恩瑞格(地拉罗司)去铁药纳入国家医保药品目录,大幅提高了地贫去铁药物的可及性和可负担性,提升临床治疗的整体水平,延长和改善地贫患者生存周期及生命质量;造血干细胞移植及后续治疗纳入医保报销范围,部分地区还将造血干细胞移植术后观察及治疗纳入医保范围。

二是国家和地方地贫防控体系建设取得新成效。《中国地中海贫血蓝皮书(2020)》显示,“十三五”期间,地贫防控工作纳入健康中国行动计划,为我国建立有效预防控制出生缺陷,进一步提高出生人口素质夯实了基础。地贫高发的10个省(区、市)地方政府设计本地的具体防控措施并加以落实,建立起横向联合机制。此外,随着地贫防控项目的顺利推进,地贫在广东、广西等地得到有效控制,重型地贫患儿出生率显著下降。惠民政策进一步扩展,地贫基因检测逐步纳入婚检、孕前优生健康检查范围,地贫高发地区结合婚检、孕前优生健康检查开展地贫基因检测。

三是地贫治疗技术创新发展,为地贫家庭带来新希望。《中国地中海贫血蓝皮书(2020)》显示,5年来,我国地贫造血干细胞移植技术愈发成熟,现阶段实行的同胞供者移植治疗地贫成功比例已经和国际水平持平,而在非亲缘供者移植治愈方面,甚至已经达到或超过了国际水平。随着造血干细胞移植技术愈发成熟,医学人才队伍不断壮大,可进行干细胞移植的医院也越来越多,各地医院也纷纷增加移植仓位,可供地贫患者选择的资源更加丰富。

四是社会力量深度参与发挥重要作用。《中国地中海贫血蓝皮书(2020)》显示,回首5年,开展地贫救助服务工作的社会组织、志愿者队伍等社会力量,立足自身岗位、发挥专业优势和个人优势,在救治救助、政策倡导、心理疏导、资讯互通、知识培训、救助辅导等方面发挥了更加突出的重要作用。



五是基因疗法政策体系框架不断完善。《中国地中海贫血蓝皮书(2020)》显示,近5年,随着现代基因编辑技术的进步,基因治疗的基础研究和临床实践将地贫的治疗带进了前所未有的层次和水平,使得基于基因编辑的基因治疗有望成为β-地贫患者全新的临床治疗方案。同时,我国细胞与基因治疗相关政策体系框架也不断完善,一系列政策逐步加强细胞与基因疗法行业监管工作。

## 挑战依然紧迫

蓝皮书提出,尽管过去五年来中国在防治地贫工作方面取得显著成绩,但面临的挑战和问题依然紧迫。

首先,我国地贫防控体系建设与经济发展水平不相适应。《中国地中海贫血蓝皮书(2020)》提出,目前我国地贫防控工作仍以补缺型和试点建设为主,而多数国家早在年人均GDP 1000-2000美元时期,已基本实现面向全人群的防控体系建设。

其次,我国地贫帮扶和救助能力与社会需求不相适应。《中国地中海贫血蓝皮书(2020)》提出,地贫患者及家庭依然存在多种迫切需求,包括地贫患者家庭

照料支持缺乏,地贫患者输血治疗保障不足,地贫预防宣传及婚检、孕期保健力度不够,去铁治疗保障力度不足,移植治疗经济负担过重,医保报销后负担仍然较重等。

第三,我国社会组织规模和参与程度与社会需求不相适应。《中国地中海贫血蓝皮书(2020)》提出,我国地贫防治基金会数量世界领先,但我国地贫患者数量较大,这些基金会在地理位置、覆盖人群和工作内容方面,依然难以满足患者及其家庭的迫切需求。

## 构建现代防治体系

想要实现地贫患儿“零出生”这一战略布局,就必须从建立长效体制机制入手,形成有效的动力机制、激励机制、保障机制,加快构筑起与我国经济发展水平相适应的更加完备、更富韧性、更有效率的地贫防治体系。为此,《中国地中海贫血蓝皮书(2020)》建议:

一是进一步加大国家层面政策出台与资金投入力度,将地贫防治体系建设工作纳入国家乡村振兴战略,加大政策出台与资金投入力度,建立与巩固脱贫攻坚成果、推进乡村振兴战略、

健康中国战略等有效衔接的新时代中国特色地贫防治体系。

二是多举措保障血液供应机制,地贫高发地区卫健部门、红十字会、血液中心、医院等相关单位进一步加强地区血液保障工作。

三是注重产前检测服务,探索地贫防控筛查责任机制,通过制度建设与实施,强化医疗机构地贫防控责任。

四是支持鼓励地方开展大规模地贫流行病学调查,妇幼公共卫生系统的框架下,开展对大规模人群的地贫筛查、基因诊断和产前诊断,完善相关流行病学资料库和监测网络。

五是坚持社区防控思路,借助家庭医生系统转介患者。

六是调动社会多方力量,提升社会力量参与地贫防治工作的能力建设,并以多形式、网络化开展地贫防治宣传,整体提升全体公民的地贫防治知识和意识。

七是依靠科技进步,推动地贫防治工作准确、高效降低患儿出生率,减少对孕妇的伤害,探索治疗地贫新疗法,促进地贫医药事业创新发展。

八是拓展国际合作,落实“一带一路”发展战略,加强与沿线国家的地贫防治交流,建立战略合作关系。(张明敏/整理)

