

拟推荐 2024 年中华医学科技奖候选项目/候选人 公示内容

推荐奖种	医学科学技术奖（非基础医学类）
项目名称	儿童血友病个体化预防治疗“中国方案”的建立及临床应用
推荐单位/科学家	中华医学会北京分会秘书处
推荐意见	<p>血友病作为国内罕见病中较为“常见”的遗传性出血性疾病，因缺乏凝血因子Ⅷ或Ⅸ，患者会出现关节、肌肉、内脏和深部组织自发或轻微外伤后出血难止，危及生命，需终身治疗。全球推荐的成熟治疗方法是预防治疗，通过开展预防治疗防范危害身心健康的致死、致残性出血。但中国作为发展中国家，受到经济和医疗资源制约，无法开展预防治疗，导致我国血友病患者饱受出血、残疾困扰，生活质量差，给家庭和社会带来沉重负担。在既有的预防治疗框架内，如何更好地服务患儿，寻找更优治疗方案，提高治疗可及性与渗透性，成为国内血友病治疗的关键。</p> <p>本次推荐的“中国儿童血友病个体化预防治疗‘中国方案’的建立及临床应用”是首都医科大学附属北京儿童医院血友病多学科综合管理团队历经近 20 年探索、紧密结合中国国情，创建的适合中国现状且与国际治疗接轨的儿童血友病治疗“中国方案”，让国内血友病诊疗更本土化、规范化、个体化、精准化，更多患者实现“零出血”治疗目标。</p> <p>该治疗策略创建过程具有原创性，其治疗效果已在广泛临床应用中证实：显著节约治疗成本前提下，疗效与发达国家高剂量预防治疗方案比肩，适合在中国等发展中国家推广应用；且该项目提出的个体化治疗理念更符合儿童药物治疗发展趋势。在项目开展中，通过启动多中心临床研究、举办学术会议及培训班等多种形式，项目团队与全国儿科同道保持密切合作；通过共同探索和分阶段推广，改善和提高了中国儿童血友病诊疗水平，推动中国血友病行业发展，让中国血友病患者实现了“告别轮椅、重返校园”、进一步追求“零出血”的健康生活目标。</p> <p>研究成果已辐射式在全国多家中心推广应用，通过项目实施获得了巨大的社会（血友病儿童生活质量改善与提升）和经济效益（节约治疗费用累计过百亿），造福全国血友病患者和家庭。</p> <p>我单位认真审核项目填报内容，确认全部材料真实有效经公示无异议。同意推荐该项目申报 2024 年中华医学科技奖。</p>
项目简介	<p>血友病是 FVIII/ FIX 缺陷导致的遗传性出血性疾病，以关节致残性出血（重型发生率 100%）和颅内致死性出血（重型发生率约 20%）为主要临床表现。中国预计十万血友病患者，如不正确治疗，将面临夭折或残疾，成为家庭和社会的沉重负担。预防治疗，通过定期凝血因子输注预防出血，是标准治疗。但预防治疗花费巨大（标准预防治疗年人均费用近百万），受到医疗、经济条件制约，与发达国家相比，我国无法开展，导致我国血友病患者饱受死亡威胁及残疾困扰。</p> <p>为让中国患儿治得起、治得好，项目组聚焦临床痛点与难点问题，自 2005 年起，努力探索，用近 20 年时间，成功建立了符合国情的儿童血友病个体化预防治疗方案“中国方案”，首先让中国患儿告别轮椅、重返校园，并逐步实现与正常儿童可比的生活，取得系列创新性研究成果。</p> <p>创新点一：探索“小剂量治疗方案”，解决中国儿童血友病治疗可及性的难题：2005 年起，用比国际方案节约 3/4 费用的小剂量方案，让中国血友病患者治得起，并达到较前减少 80% 出血效果。成果获得国内外指南的认可、推荐在发展中国家使用。</p> <p>创新点二：提出“个性化治疗理念”，突破小剂量无法阻断关节病变进展的困境：基于临床症状个体化调整治疗，不增加总治疗费用，进一步减少关节出血次数，首次实现了中国血友病治疗理念与国际并轨。</p> <p>创新点三：完善和研发“本土化评估工具”，助力血友病个体化方案制定：①完成儿童血友</p>

病预防治疗评价系列量表制定；②创新性提出“综合评价体系”并建立评分系统；③首创中国儿童血友病群体药代动力学模型并自主研发个体化给药软件。

创新点四：开展系列关键性临床研究，成功创建“中国方案”：① 2015-2017年的 CHIPS 研究：通过双中心、前瞻性阶梯个体化预防治疗，证实个体化治疗效果，奠定“中国方案”基础；② 2016-2018 年的首都特色重点项目：在 CHIPS 研究基础上，通过单中心、前瞻性研究，完成“中国方案”建立；研究结果较德国同期同类研究达到了“增效减负”效果；③ 2021 年开始的 LEAPS 研究：通过多中心、前瞻性、推广性研究，证实临床效果、推广“中国方案”。

基于以上研究成果共发表论文 138 篇（SCI 89 篇）；累计牵头及制定指南/共识 15 篇；获批国家级、国际合作等课题 26 项，累计经费 1500 余万；建立全国儿童出血性疾病病人双向转诊体系；牵头举办全国血友病儿科会议 16 次；国际报告交流 80 余次，国内专业学术会议报告 500 余次。研究成果推广应用至全国百余家医院，培训各级医师超过 10 万人次，服务患者超过 100 万人次，累计节约医疗成本过百亿元。项目成果提高了中国血友病防治水平，对助力“健康中国”建设进程具有战略性意义。这一系列成就不仅标志着中国在血友病防治领域迈出了坚实步伐，也生动诠释了如何将新质生产力转化为实际的社会治理效能，为中国式现代化建设贡献了力量，是响应并落实两会精神的典范实践。

代表性论文目录

序号	论文名称	刊名	年,卷(期)及页码	影响因子	全部作者(国内作者须填写中文姓名)	通讯作者(含共同,国内作者须填写中文姓名)	检索数据库	他引总次数	通讯作者单位是否含国外单位
1	Low dose secondary prophylaxis reduces joint bleeding in severe and moderate haemophilic children: a pilot study in China	Haemophilia	2011 Jan;17(1):70-4	3.9	吴润晖, luke KH, Poon MC, 吴心怡, 张宁宁, 赵磊, 苏雁, 张纪水	吴润晖	Web of Science 核心集	59	否
2	Short-term low-dose secondary prophylaxis for severe/moderate haemophilia A children is beneficial to reduce bleed and improve daily activity, but there are obstacle in its execution: a multi-centre pilot study in China	Haemophilia.	2013 Jan;19(1):27-34	3.9	唐凌, 吴润晖, 孙竟, 张心声, 冯晓勤, 张雪芹, Luke KH, Poon MC	吴润晖	Web of Science 核心集	35	否

3	Significant reduction in hemarthrosis in boys with severe hemophilia A: The China hemophilia individualized low-dose secondary prophylaxis study	Res Pract Thromb Haemost.	2021 Sep 18;5(6):e12552	4.6	吴润晖, 李晓静, 姚婉茹, 张庆, 周敏, 张宁宁, 杨胜, 陈振萍, 王岩, 匡洋莹, 唐凌, 甄英姿, Abad A, Doria AS, Hilliard P, Ignas DM, Mathew P, Stephens D, Blanchette VS, Luke KH	吴润晖	Web of Science 核心集	3	否
4	Pharmacokinetic Studies of Factor VIII in Chinese Boys with Severe Hemophilia A: A Single-Center Study	Chin Med J (Engl)	.2018 Aug 5;131(15):1780-1785	6.1	陈振萍, 李培敬, 李刚, 唐凌, 甄英姿, 吴心怡, 成晓玲, Luke KH, Blanchette VS, Poon MC, 丁秋兰, 吴润晖	吴润晖	Web of science 核心集	6	否
5	Pharmacokinetic-guided prophylaxis improved clinical outcomes in paediatric patients with severe haemophilia A	Haemophilia.	2021 Jul;27(4):e450-e457	3.9	黄昆, 甄英姿, 李刚, 吴心怡, 陈振萍, 吴润晖	陈振萍, 吴润晖	Web of Science 核心集	5	否
6	Describing the Quality of Life of Boys with Haemophilia in China: Results of a Multi-Center Study using the CHO-KLAT	Haemophilia.	2018 Jan;24(1):113-119	3.9	唐凌, 徐卫群, 李长刚, 侯芳, 冯晓勤, 王欢, 李晓静, 李婉丽, J P Liu, 孙立荣, 王淑红, 金皎, 房倩, K H Luke, M C Poon, V S Blanchette, K Usuba, N L Young, 吴润晖	N L Young, 吴润晖	Web of Science 核心集	9	是
7	PK-tailored tertiary prophylaxis	Pediatric investigation	2019 Mar; 3(1):	0	李培敬, 陈振萍, 成晓玲, 王岩, 张宁宁,	吴润晖	medline	7	否

	in patients with severe hemophilia A at Beijing Children's Hospital		45-49		甄英姿, 吴心怡, 吴润晖				
8	The Efficacy of Recombinant FVIII Low-Dose Prophylaxis in Chinese Pediatric Patients With Severe Hemophilia A: A Retrospective Analysis From the ReCARE Study.	Clinical and applied thrombosis/hemostasis	2017 Oct;23(7):851-858	2.9	姚婉茹, 肖娟, 成晓玲, 冯国双, 李长刚, 张心声, 胡群, 徐卫群, 孙竞, 杨仁池, 李晓静, 周荣富, 练诗梅, 顾健, 吴君德, 赵永强, 吴润晖	吴润晖	Web of science 核心集	5	否
9	Bleeds and imaging scoring scales in relation to pharmacokinetics of coagulation factor VIII in Chinese pediatric patients with severe hemophilia A.	Thrombosis research	2020 May 28;193:83-85	7.5	黄昆, 陈振萍, 李刚, 甄英姿, 吴心怡, 张宁宁, 吴润晖	吴润晖	Web of science 核心集	1	否
10	血友病患儿长疗程小剂量次级预防治疗的单中心疗效观察	中华血液学杂志,	2013, 34(7):3	1.283	吴润晖, 吴心怡, 张宁宁, 赵磊, 张纪水, 甄英姿, 彭芸	吴润晖	万方数据知识服务平台	11	否

知识产权证明目录

序号	类别	国别	授权号	授权时间	知识产权具体名称	全部发明人
1	中国计算机软件著作权	中国	软著登字第11000217号	2022-09-05	儿童血友病个体化用药指导软件1.0	无

完成人情况表

姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
吴润晖	1	首都医科大学附属北京儿童医院	首都医科大学附属北京儿童医院	主任医师,教授	科室主任
对本项目的贡献	探索小剂量预防治疗“中国方案”, 创新点一, 附件 1-1、1-2、1-8、1-10; 探索升阶梯个体化预防治疗策略, 创新点二; 研发本土化评估工具, 创新点三, 附件 1-4、1-5、1-6、1-7、1-9; 进一步开展临床研究及多项课				

	题, 创新点四, 附件 1-3, 附件 7-10、7-11、7-12、7-13、7-14。最终建立成熟的儿童血友病预防治疗“中国方案”。作为中国血友病治疗协作组儿科组组长, 牵头或参与多部血友病相关指南/共识, 附件 7-1、7-2、7-3、7-4。让中国儿童血友病诊治水平实现了飞跃, 实现了巨大的社会效益和经济效益。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
陈振萍	2	首都医科大学附属北京儿童医院	首都医科大学附属北京儿童医院	研究员,教授	无
对本项目的贡献	带领研究室团队建立血友病凝血因子的药代动力学检测平台, 协助个体化给药指导软件的研发、助力临床进行个体化给药指导治疗, 参与完善和研发本土化评估工具, 开展大样本检测, 明确中国儿童血友病凝血因子药物代谢动力学, 创新点三, 附件 1-4、1-5、1-7、1-9。深度参与相关临床研究、课题, 助力创建儿童血友病预防治疗“中国方案”, 创新点四, 附件 1-3、附件 7-10、7-12。作为主要参与者参与制定血友病相关的指南/共识, 附件 7-2、7-4。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
成晓玲	3	首都医科大学附属北京儿童医院	首都医科大学附属北京儿童医院	副主任药师	无
对本项目的贡献	通过医-药联合门诊及线上线下相结合的方式, 开展血友病患者药学服务包括药物指导及协助制定个体化精准用药方案, 累计服务患儿 5000 余例次, 首建中国儿童血友病群体药代动力学模型并开发“儿童血友病个体化给药软件”, 创新点二、创新点三, 附件 1-4、1-7、1-8。深度参与相关临床研究, 助力创建儿童血友病预防治疗“中国方案”, 创新点四, 附件 1-3。作为主要参与者参与制定血友病相关的指南/共识, 附件 7-3、7-4。深度参与北京市科委首都临床特色诊疗技术研究, 负责药物治疗指导, 创新点四, 附件 7-10。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
张宁宁	4	首都医科大学附属北京儿童医院	首都医科大学附属北京儿童医院	主任医师	无
对本项目的贡献	参与研究血友病小剂量预防治疗方案, 创新点一, 附件 1-1、1-9、1-10。与国际治疗工作组合作, 共同完成儿童血友病“MRI 关节病变评估量表”和“超声关节病变评估量表”制定, 开创了国内儿童血友病关节多种影像评估方法联合评估模式, 参与制定儿童血友病个体化预防治疗策略, 创新点二。结合国内现状出版了血友病超声评估指南, 推广研究结果, 惠及全国患儿, 附件 7-4。参与北京市科委首都临床特色应用研究等课题, 负责入组血友病患者关节影像评估及数据收集, 创新点四, 附件 7-10、7-12。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
王岩	5	首都医科大学附属北京儿童医院	首都医科大学附属北京儿童医院	副主任技师	无
对本项目的贡献	开展血友病患者康复评估及治疗工作, 服务血友病患者千余人次, 深度参与“儿童血友病关节健康评分(HJHS) 2.0”制定, 助力个体化治疗, 帮助解决小剂量预防治疗方案无法阻断关节病变进展问题, 创新点二、创新点三, 附件 1-7。参与制订血友病骨关节病超声诊断应用推荐方案和共识, 附件 7-4。参与北京市科委首都临床特色应用研究等课题, 负责入组血友病患者关节健康评估、治疗及数据收集、随访工作, 创新点四, 附件 1-3、7-10、7-12。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
张纪水	6	首都医科大学附属北京儿童医院	首都医科大学附属北京儿童医院	主任医师	无
对本项目的贡献	在血友病团队负责心理学组工作, 参与血友病生活质量和相关心理学研究, 协助探索血友病小剂量预防治疗方案, 创新点一, 附件 1-1、1-10。成立血液心理联合门诊, 服务广大血友病患者。参与制定中国儿童血友				

	病生活质量评估量表 2.0 中文版, 完善本土化评估工具制定, 助力个体化治疗, 创新点三。参与制订血友病骨关节病超声诊断应用推荐方案和共识, 附件 7-4。参与北京市科委首都临床特色应用研究等课题, 负责入组血友病患者生活质量评估工作, 创新点四, 附件 7-10、7-12。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
王春立	7	首都医科大学附属北京儿童医院	首都医科大学附属北京儿童医院	主任护师	科室副主任
对本项目的贡献	血友病多学科团队成员, 静疗专科护士, 国内首创血友病患者中心静脉置管, 促进血友病预防治疗开展, 创新点一。作为北京儿童医院“王春立儿童中心静脉导管护理工作室”领军人, “王春立儿童中心静脉导管护理工作室”组织管理, 学科建设, 人才发展, 引领专业发展, 为全国血友病护士进行相关培训、指导, 参与制订儿童血友病家庭治疗专家共识, 附件 7-3, 成果惠及全国血友病患者。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
于国霞	8	首都医科大学附属北京儿童医院	首都医科大学附属北京儿童医院	主任医师	无
对本项目的贡献	血友病多学科团队成员, 专业方向口腔颌面外科。发挥个人专业特长, 指导血友病患者口腔护理; 紧密配合团队, 与团队合作完成血友病患者唇腭裂手术、颌面假肿瘤处理等, 提高患儿生活质量, 参与首都卫生发展科研专项自主创新项目, 助力探索个体化预防治疗探索, 创新点一、创新点二, 附件 7-12。参与制订血友病骨关节病超声诊断应用推荐方案和共识, 附件 7-4。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
吴心怡	9	首都医科大学附属北京儿童医院	首都医科大学附属北京儿童医院	主任护师	无
对本项目的贡献	作为中国血友病协作组护理工作核心成员, 参与我国血友病专科护士培训和评价体系构建项目, 具有较丰富的临床护理、护理管理及护理教学经验, 为全国血友病护士进行相关培训、指导, 成果惠及全国血友病患者。参与首都发展基金项目、首都卫生发展科研专项自主创新项目等课题, 协助探索儿童血友病小剂量预防治疗方案制订, 助力方案落地实施, 创新点一, 附件 1-1、1-10、7-11、7-12; 协助探索中国儿童血友病凝血因子药物代谢动力学特征谱, 负责样本采集工作, 助力个体化治疗, 创新点三, 附件 1-4、1-5、1-7、1-9。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
李刚	10	首都医科大学附属北京儿童医院	首都医科大学附属北京儿童医院	副主任技师	无
对本项目的贡献	血友病多学科团队成员, 专业方向为儿童血栓与止血实验室方法学建立和特殊检验项目研究, 在发色底物法检测凝血因子 VIII 方面积累了丰富的经验。发挥个人专业特长, 配合团队工作, 开展了 300 余人次 PK 检测, 参与建立中国儿童血友病 PK 检测平台, 帮助明确中国儿童血友病凝血因子药物代谢动力学特征谱, 参与首都卫生发展科研专项自主创新项目等课题, 协助检测, 帮助制订个体化预防治疗方案, 创新点三, 附件 1-4、1-5、1-9、7-12。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
甄英姿	11	首都医科大学附属北京儿童医院	首都医科大学附属北京儿童医院	主管护师	无
对本项目的贡献	作为团队成员, 积极开展血友病护理工作, 多次参与组织专题讲座, 参与多项国内外药物临床试验, 与实验室的配合为病人准确采集标本, 创新点四, 附件 1-3。协助探索儿童血友病小剂量预防治疗方案制订, 助力方案落地实施, 创新点一, 附件 1-10; 协助探索中国儿童血友病凝血因子药物代谢动力学特征谱, 负责样本采集工作, 助力个体化治疗, 创新点三, 附件 1-4、1-5、1-7、1-9。参与北京市科委首都临床特色应用研究				

	等项目，负责入组血友病患者家庭护理指导，创新点四，附件 7-10、7-12。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
刘婷婷	12	首都医科大学附属北京儿童医院	首都医科大学附属北京儿童医院	主任医师	无
对本项目的贡献	作为项目主要成员、血友病多科学团队成员，发挥个人专业特长，紧密配合团队。在血友病预防治疗“中国方案”创建过程中，与团队合作完成血友病患者手术如腹股沟斜疝、各种外伤等，提高患儿生活质量，创新点四。多次参加血友病患者及家长宣教工作，参与血友病会议，推动项目成果普及，惠及全国血友病患者及其家庭。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
霍爱华	13	首都医科大学附属北京儿童医院	首都医科大学附属北京儿童医院	副主任医师	无
对本项目的贡献	血友病多科学团队成员，发挥个人专业特长，负责血友病患者的关节超声评估，紧密配合团队，参与开创了血友病关节多种影像评估方法联合评估模式，创新点二。结合国内现状出版了血友病超声评估指南，推广研究成果，惠及全国患儿，附件 7-4。参与北京市科委首都临床特色应用研究，负责入组血友病患者关节影像评估及数据收集，创新点四，附件 7-10。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
刘国青	14	首都医科大学附属北京儿童医院	首都医科大学附属北京儿童医院	主治医师	无
对本项目的贡献	血友病多科学团队成员，致力于探索适合中国国情的中国儿童血友病预防治疗方案，创新点一。参与升阶梯个性化预防治疗策略提出、临床应用研究和推广、完善系列与国际接轨的评价指标基础上的预防治疗疗效综合评价体系建立，创新点三。参与北京市科委首都临床特色应用研究，负责入组血友病患者评估、治疗工作，创新点四，附件 7-10。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
姚婉茹	15	首都医科大学附属北京儿童医院	首都医科大学附属北京儿童医院	主治医师	无
对本项目的贡献	血友病多科学团队成员，致力于探索适合中国国情的中国儿童血友病预防治疗方案，创新点一，附件 1-8。参与升阶梯个性化预防治疗策略提出、临床应用研究和推广、完善系列与国际接轨的评价指标基础上的预防治疗疗效综合评价体系建立，创新点三。参与北京市科委首都临床特色应用研究等多项研究，负责入组血友病患者评估、治疗工作，创新点四，附件 1-3、7-10。				
完成单位情况表					
单位名称	首都医科大学附属北京儿童医院			排名	1
对本项目的贡献	本项目凭借首都医科大学附属北京儿童医院及国家儿童医学中心的坚实后盾，依托其庞大的医疗服务规模——年门诊量接近 300 万人次，特别是在血友病领域积累了近 3000 例患者的宝贵数据与经验，针对中国儿童血友病治疗的“痛点、难点”、结合中国实际国情，率先探索了小剂量预防治疗，实现困境突破。在项目实施过程中，建立与国际研究同频的完整评估工具，创新性地确立了综合评价体系，此体系已获得国际学术界的广泛认可。同时，建立了中国血友病儿童群体药代动力学模型，并自主研发了配套的 PK 软件，为精准治疗提供了科学依据和实用工具。在获得了初步成果基础上，持续与国际最前沿的研究动态保持一致，不断探索符合中国实际情况的个性化预防治疗方案，努力建立最优成本效益的“中国方案”。通过与首都医科大学附属北京儿童医院托管下的多中心协作网络，项目成果得以迅速推广至全国，造福全国的血友病儿童和家庭，有				

	<p>效提升了中国血友病儿童的生活质量和福祉。通过项目实施，获得了巨大的社会（中国血友病儿童生活质量改善与提升）和经济效益（节约治疗费用累计过百亿）。</p> <p>同意申报中华医学科技奖。</p>
--	---