

# 三个月接力,巴基斯坦患儿获新生

10月8日上午,在国家儿童医学中心复旦大学附属儿科医院血液科病房,一对来自巴基斯坦的夫妇,分别守候在移植仓内外,共同守护并见证创造生命奇迹的重要时刻! 历经三个月的跨国求医,在上海专家的精心救治下,他们新生小宝的脐带血干细胞当天将输注到2岁女儿体内,为患有罕见神经系统疾病的姐姐带来新生。

## 2岁女儿 患罕见神经系统疾病

安娜(化名)是一位2岁多的巴基斯坦籍女孩,随父母居住在沙特阿拉伯。在1岁半时,安娜开始出现走路不稳、容易摔跤的情况,眼睛有些斜视,手也容易抓不住东西。沙特当地医院经过磁共振和基因检测等检查,诊断安娜患了一种非常罕见的神经系统遗传代谢病: 异染性脑白质营养不良。

当地医生告诉安娜的父母,患这种疾病的孩子会慢慢地发生神经系统的各种损害,最终夭折。安娜的父母焦急万分,四处打听寻求治疗方法。通过中国朋友的热心帮忙,他们了解到在中国的上海,复旦大学附属儿科医院可以通过干细胞移植的方法来治疗这种疾病。

安娜的父母,随即委托中国朋友前往儿科医院,咨询了神经科专家周水珍教授,最终明确在这家医院确实有治疗的方法和途径。随即,安娜的父母第一时间与儿科医院海上国际会诊厅建立起了联系。

据介绍,异染性脑白质营养不良,是一种主要累及神经



系统的罕见的遗传代谢病。安娜的父母通过院方了解到,异基因造血干细胞移植可通过纠正患者基因缺陷导致的代谢异常,从而阻止神经病变的进展,可以有效挽救患者生命。复旦儿科移植团队在中国较早开展此类疾病的干细胞移植治疗,2022年在国际医学期刊上发表了首篇中国的相关临床研究结果,受到国内外同行关注。目前,该团队已完成39例此类疾病患者的干细胞移植治疗,仍有很多患者在配型等待中。

此时,安娜的父母像吃下了一颗“定心丸”,对治疗充满了极大的信心,并迫切地期待前往中国求医。

## 3场跨学科会诊, 绘就最佳救治路线图

在收集和整理完安娜的所有病情和检查报告后,儿科医院海上国际会诊厅于7月11日组织了专家阵容强大的首次线上多学科会诊,包括儿科医院院长、神经科学带头人王艺教授,临床遗传科主任黄涛生教授,血液科学带头人翟晓

文教授及相关临床科室的多位专家,对安娜的病情进行评估、分析和诊断,最后确定了干细胞移植治疗方案和具体计划。

随后,在儿科医院协助下,安娜一家火速办理了来中国就医的签证手续。7月29日,安娜一家跨国来沪,顺利入住儿科医院国际部病房。专家团队随后为安娜进行了完善的检查评估,并做了移植配型。

安娜的母亲同时也是一名孕妇,彼时已临近预产期,治疗团队考虑到这个即将到来的新生儿,也许可以为姐姐安娜提供脐带血干细胞用于移植治疗。海上国际会诊厅遂于8月1日为安娜一家组织了第二次多学科专家会诊,除了儿科的专家外,还邀请了复旦大学附属妇产科医院的徐晨明教授和徐焕教授共同讨论。

专家希望,通过获得羊水来做基因检测和移植配型检测,以确认妈妈肚子里的小宝能不能提供干细胞给安娜用来移植。当天的讨论确定了安娜妈妈的产检和生产计划。次日,安娜妈妈就在妇产科医院

顺利完成了体检评估和羊水穿刺检查。

非常幸运! 基因和配型报告显示,小宝的脐带血干细胞可以移植给姐姐安娜。在所有的评估、配型和基因报告出来后,儿科海上国际会诊厅于8月29日为安娜一家组织了第三次专家团队多学科讨论。这一次,除了复旦儿科和妇产科的专家外,还增加了上海市脐带血库的两位专家,大家进一步详细讨论包括小宝出生,脐带血采集、运送、制备和储存,安娜接受移植的全部安排和计划时间。

2024年9月11日,小宝在妇产科医院顺利分娩。产科医生收集好小宝的脐带血后,等候的上海脐带血库工作人员立即将这份珍贵的“生命种子”运送到脐带血库实验室,进行一系列的检测、制备、程序冷冻和保存,为后续移植做好准备。

10月8日一大早,在儿科医院血液科病房,安娜的妈妈已经在移植仓外等候,与移植仓内的爸爸一起,共同守护并见证为安娜创造生命奇迹的这一重要时刻! 万事俱备之后,上午9:10,小宝的脐带血干细胞开始缓缓输注到安娜的血管里。

这是一场跨国的“生命接力”的救治。飞越万里、历经3个月,在中国的儿科、妇产科等单位的众多专家共同努力下,在患儿家庭的充分信任下,一位外籍妈妈在中国顺利生下小宝,用新生妹妹健康的干细胞,为2岁多的姐姐带来了新生的曙光,也为整个家庭带来了新希望。

来源:附属儿科医院

# 复旦儿科成功救治越南 SMA 宝宝

近日,复旦大学附属儿科医院在国际医疗旅游领域再传佳音,由王艺教授领衔的SMA(脊髓性肌萎缩症)多学科诊疗团队(MDT)成功救治了一名来自越南的1型SMA患儿。经过长达3个月的精心治疗与不懈努力,患儿于2024年9月28日顺利出院,标志着医院在罕见病治疗及国际医疗合作方面开展了新的篇章。

该名越南籍1型SMA患儿的父母,辗转联系上复旦大学附属儿科医院SMA诊治MDT团队。团队第一时间给予了家属积极的反馈。在医院多方协助支持下,国际病患来中国就诊的一系列问题得到了快速稳妥的解决,患儿家属满怀希望踏上前来中国的求医之路。

在患儿抵达医院后,此时患者已3月龄,SMA MDT团队



进行会诊,为患儿制定了个性化的综合治疗方案。然而,患儿的病情远比预期复杂,期间还遭遇了重症肺炎、呼吸衰竭等严重并发症,不得不转入重症监护室(ICU)接受紧急救治。在ICU团队的精心监护与多学科团队的紧密协作下,患儿多次转危为安,最终成功脱离了呼吸机,并转入临床研究型病房进行后续治疗。医生团

队及护理团队继续秉持精细化管理的理念,给予患儿全方位的管理,并组织多学科团队,针对患儿尚存的问题,吸取专家意见,不断优化管理方案,促进患儿疾病恢复。

在患儿治疗期间,医护人员始终保持着高度的责任心与同情心,耐心解答患儿家属的疑问与担忧,赢得了他们的充分信任与配合。这种良好的医

患关系为患儿的康复提供了有力保障。最终,在复旦大学附属儿科医院全体医护人员的共同努力下,这名越南SMA患儿成功战胜了病魔,完成了从无法自主呼吸、四肢瘫痪无力到成功脱离呼吸机、双上肢恢复活力并能自如活动的显著转变。这一成功案例不仅彰显了医院在SMA诊治领域的卓越实力与国际影响力,也为国际医疗旅游模式的发展树立了新的标杆。

此次越南SMA宝宝的成功救治,不仅是对复旦大学附属儿科医院医疗实力的体现,也是国际医疗的成功典范。未来,医院将继续秉承“以患者为中心”的服务理念,加强与国际医疗的合作与交流,共同推动全球SMA治疗技术的发展与进步。

来源:附属儿科医院

## 讲述医学的人文精神

10月10日下午,复旦上医文化讲堂暨2024年中山医院“九月钟林”学生文化艺术节系列活动特邀复旦大学上海医学院教授、复旦大学附属中山医院原院长杨秉辉作“医学的人文精神”主题报告,并发布新书医学科普小说《枫林桥之恋》。中山医院、学校老干部处、医学宣传部相关负责同志出席活动,复旦上医师生、医务人员等近百人参加活动。

医学起源于对人的关怀,所以医学是科学的,也是人文的。杨秉辉表示,医生应该了解医学史,树立起医学人文思想。报告中,杨秉辉谈及当代科学技术的发展对人类生活和思维方式的影响,他提出,虽然科技为人类带来了便利,但也可能偏离人文轨道,甚至与人文精神对立。他呼吁医学界要警惕“重技术”“轻人文”以及“唯科学主义”“技术独尊主义”的倾向,确保科技的发展服务于人类,而不是凌驾于人之上。

复旦上医文化讲堂是在复旦大学上海医学院党委领导下,由复旦大学上海医学院党委宣传部创立的校园文化传播平台。讲堂立足上医历史文化与医学人文精神,以医学领域专家、医务人员和文化领域名家为资源依托,加强医学与人文的交流对话,讲述文化故事,传播文化理念,弘扬医学精神。

来源:医学宣传部、中山医院

## 揭示抗乙肝病毒机制

日前,复旦大学上海医学院医学分子病毒学教育部/卫健委/医科院重点实验室与附属华山医院合作团队在《自然-通讯》(Nature Communications)发表”的研究论文(Featured),探讨了肝脏力学微环境在宿主应对乙肝病毒(HBV)感染中的作用,发现肝细胞通过内在机械力通路感知响应细胞外基质硬度变化进而控制清除HBV,在国际上首次揭示宿主经由机械力感知通路直接抗病毒的全新机制。

来源:基础医学院、华山医院

## 创新胶质瘤治疗策略

近日,复旦大学基础医学院药理学系、教育部/国家卫健委/中国医学科学院医学分子病毒学重点实验室、上海市病原微生物与感染前沿科学研究中心束敏峰团队在Cell Reports上发表研究论文。该研究发现,溶瘤单疱病毒HSV-1在感染早期通过病毒即早蛋白ICPO直接降解胶质瘤细胞中的METTL14蛋白,抑制ISG15驱动的宿主抗病毒作用,从而增强HSV-1的溶瘤活性。这为胶质瘤的治疗提供了一种潜在的策略。

来源:基础医学院