



慢粒简报

CML BRIEF

最新政策解读

- 四川: TKI 药品正式纳入医保

临床研究进展

- 慢粒治疗新进展

病友故事分享

- 活着就是一种修行

患者注意事项

- 格列卫患者援助项目领药注意事项

地址: 北京市海淀区阜外亮甲店1号恩济西园10号楼3316室

邮编: 100142

电话: 010-88121028

传真: 010-88111612

E-mail: sunshine@isun.org

网站: www.isun.org



四川

背景知识

2013年2月,四川省卫生厅已经将慢粒白血病等20种重大疾病纳入新农合重大疾病按病种付费范围,规定限额内发生费用的70%由新农合基金支付。

政策进展

根据四川省人力资源和社会保障厅早在2015年1月18日发布的《关于将酪氨酸激酶抑制剂治疗慢性粒细胞白血病和胃肠间质瘤药品费用纳入医疗保险基金支付范围的通知》,规定从2015年3月1日起,治疗慢性粒细胞白血病的TKI药品正式纳入医保。

政策解读

因为四川省将TKI药物列入了基本医疗保险支付范围,所以包括城乡居民,城镇职工在内的全体基本医保参保人员均可享受到报销的福利。服用瑞士产格列卫的患者在参加中华慈善总会格列卫患者援助项目后一年的总花费为72000元,而按照75%的报销比例,医保

一、支付范围

凡参加我省职工基本医疗保险、城镇居民基本医疗保险和已实现城乡统筹地区的城乡居民基本医疗保险的参保人员,因治疗慢性粒细胞白血病或胃肠间质瘤产生的酪氨酸激酶抑制剂药品费用纳入各统筹地区基本医疗保险基金支付范围。

二、支付比例和限额

参保人员因治疗慢性粒细胞白血病或胃肠间质瘤发生的酪氨酸激酶抑制剂药品费用,基本医疗保险基金按75%的比例支付,对每个病种支付的最高限额为6万元/人/年。

——川人社办发(2015)4号

可以为患者报销约54000元,这样下来患者一年的实际总花费仅为18000元。相当于每个月平均1500元,大幅度降低了服药患者的经济负担。而对于服用国产伊马替尼的患者来说,每年原本的总花费大概在32000元左右,而按照75%的报销比例,医保可以为患者报销24000元左右,这样下来患者一年的实际总花费仅为8000元。相当于每个月平均667元。

对于患者来说,瑞士和国产药都纳入医保后,患者就多了一种可以选择的道路。有些以前无法承担进口格列卫的患者,可能以后就能吃得起;而经济状况相对较差的患者也可以几乎毫无压力地吃得起国产药了。

虽然文件已经出台,但因为具体的实施细则还未公布,新阳光还将继续关注这个政策落地的准确时间。

(资料来源:四川省人力资源和社会保障厅官方网站 <http://sc.hrss.gov.cn/>)

临床研究进展

慢粒治疗新进展

本部分内容来自 2015 年世界慢粒患者组织大会 CML Horizons 医生的报告

青少年慢粒治疗

国际儿童慢粒研究表明,与成年慢粒患者相比,青少年慢粒患者的治疗存在一些临床和生理上的不同。对于年龄较小的慢粒患者来说,目前国际上有两种主流的治疗方法:

第一种是异基因造血干细胞移植。在患者接受非血缘关系的血型匹配的捐赠者移植后,这种潜在性治愈的治疗方法可以使存活率上升到 66%。如果接受的是有血缘关系的血型匹配的捐赠者移植后,则存活率会上升到 73%。

第二种是服用甲磺酸伊马替尼(格列卫),使大部分儿童慢粒患者得到细胞遗传学和分子学缓解。图 1 是目前正在进行的临床研究中,伊马替尼用于儿童慢粒患者的不同剂量,参考剂量为 260mg/m², 340mg/m², 440mg/m², 和 570mg/m²。

然而,伊马替尼能否彻底治愈慢粒当前仍是未知。长期服用伊马替尼会导致生长发育期的年轻患者缺乏生长激素,并可能导致生长板提早闭合,新骨生成减少。在青少年慢粒治疗中,遇到的主要障碍是青少年药物治疗依从性低,不能按照要求定时服药,导致不能获得较好的分子学反应。除此之外,还有动物实验表明,长期使用伊马替尼还有可能降低青少年患者的睾丸质量以及精子活性。

同时,索尔卡(针对接受白消安或羟基脲治疗中的患者)和哈斯福特(针对正在接受干扰素治疗的患者)最近研究出两个独立的分析系统以区分不同的患者人群以及不同的存活率,但儿童和青少年患者的数据并没有在这两个系统中单独进行分析。儿童和青少年患者的预后诊断和检测积分系统对于完善个人治疗的策略来说是必不可少的,还需对这些低龄人群的信息进行完善。

停药试验新进展

很多患者关心停药后能否维持分子学缓解。目前通过 STIM 的研究,缓解期被定义为丧失主要分子反应(65%的发生率)和丧失阴性聚合酶链锁反应(37%的发生率)。但为了提高个人生活质量,部分患者期望可以不用终生服药,

成功停药。据统计,74%的患者希望尽早摆脱药物带来的副作用和长期效果,13%的患者无法承担治疗费用。

通过图 2 至图 5 可以看出,在目前 24 个月的停药临床试验结果中,在获得无治疗缓解的比率方面,男性比女性略高(45%:33%),合并使用干扰素的患者比没有使用干扰素的患者略高(44%:33%),索卡尔评分低的患者比率较高(53%:29%:17%),以及使用伊马替尼时间较长(五年以上)的患者比率较高(50%:29%)。

如图 6 和图 7 所示,服用二代 TKI 药物的患者在停药后,维持 MMR 的概率比服用一代药的患者略低,但目前仍未有严格的试验数据来证明这一点。

临床试验显示,影响患者停药后能否维持无治疗缓解的已经确定的相关因素包括:服用 TKI 的时长,停药前获得缓解的程度,获得深度分子学缓解的时长,索卡尔或哈斯福德的评分定级,以及之前是否有过 TKI 耐药反应等。还有一些未经严格证实的相关因素有可能影响停药后的效果如所服用的 TKI 药物种类、患者性别、是否曾使用过干扰素等等。

当然,成功进入无治疗缓解期并不等于对癌细胞的彻底根除。在缓解期,患者的生理反应不一:轻度的存在关节疼痛、疲倦以及心血管系统的问题,严重的甚至骨头长期疼痛,需要药物继续治疗。然而,进入再一次治疗,患者的分子反应则不会和缓解期前的水平一样。很多健康专业人士认为,缓解期对于大多数病人而言是步入不同阶段的癌症,更加富有挑战。在这种情况下,患者更需要的是心理支持以助其度过难关。同时,医生需在停药前告知患者缓解期的副作用以及复发的风险,并且在缓解期中每月定期给患者做 PCR 检查。

伊马替尼对心血管的副作用

最近,在德国进行的慢粒伊马替尼相关临床研究中,医生们发现在参加实验的 1524 个患者中,有 521 个发生了各种合并症。其中 38 人合并心肌梗死,占全部合并症的 7.3%,位居最常见合并症的第四位。一些美国的研究人员认为,伊

图 1

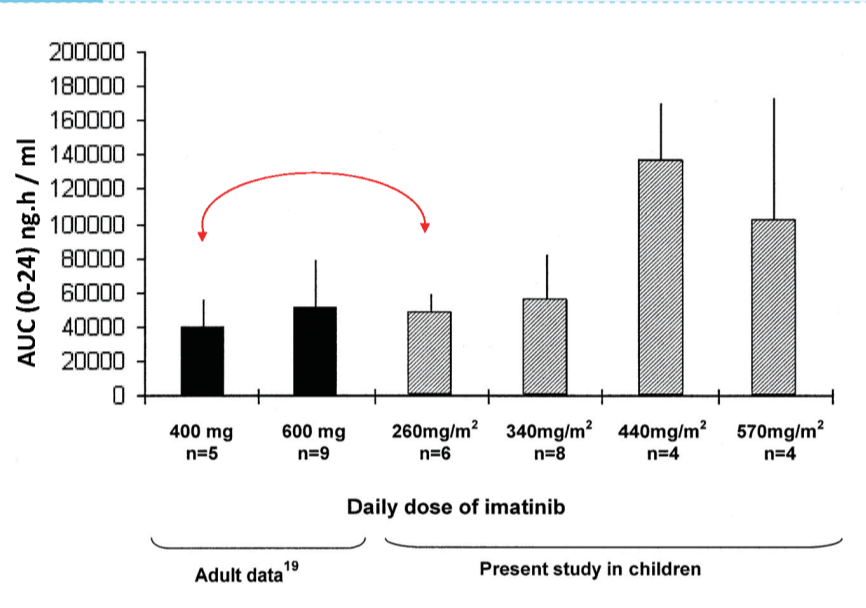
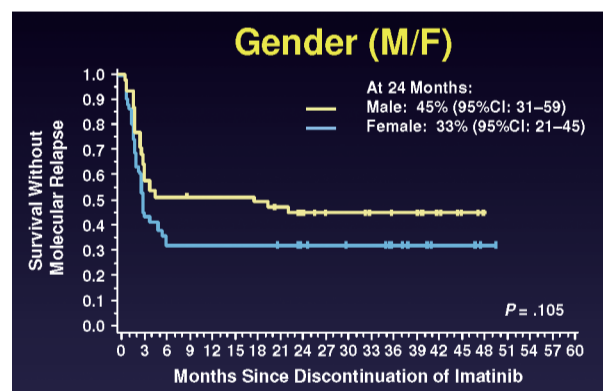
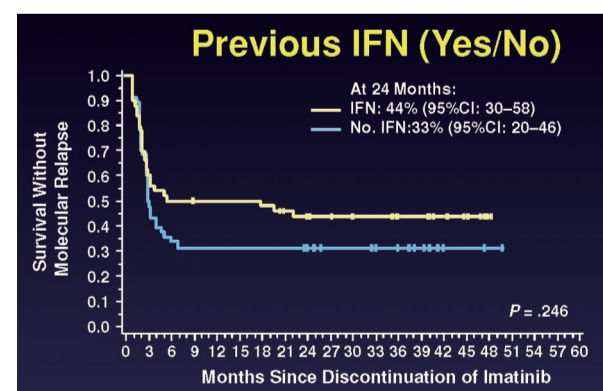


图 2



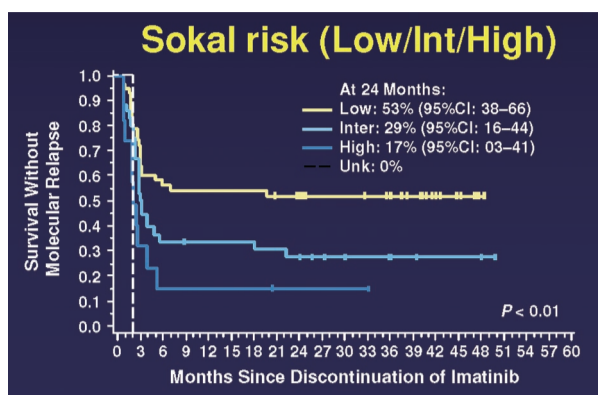
性别对无复发生存率的影响,黄色为男性,蓝色为女性,横轴为停药后的月份。

图 3



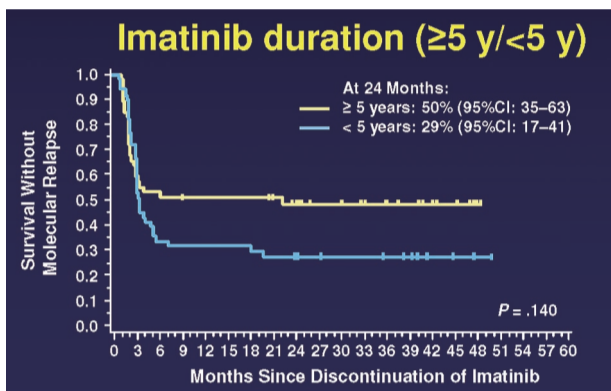
之前是否使用干扰素对无复发生存率的影响,黄色为曾用干扰素,蓝色为未用干扰素。

图 4



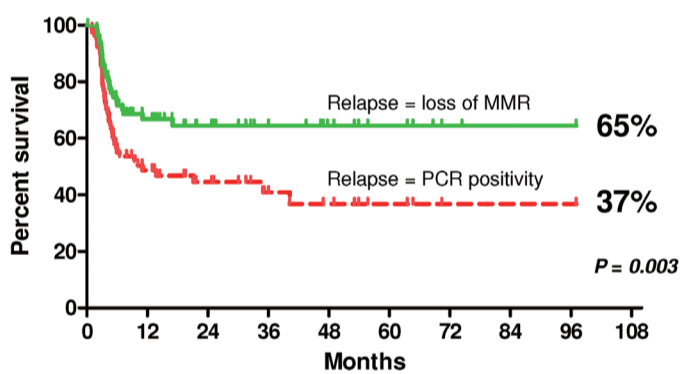
Sokal 危险度对无复发生存率的影响，黄色为低危，浅蓝为中危，深蓝为高危。

图 5



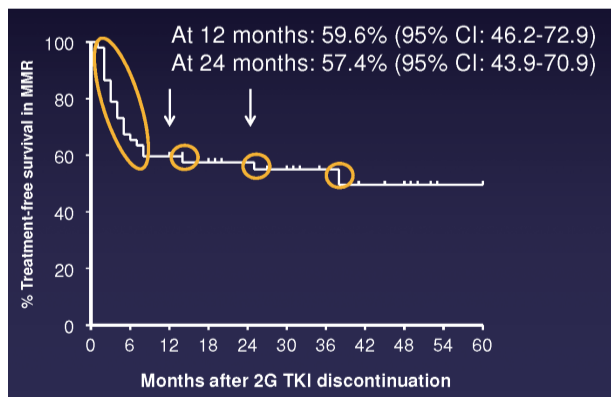
伊马替尼服用时长对无复发生存率的影响，黄色为5年以上，蓝色为不足5年。

图 6



服用伊马替尼的患者停药后的无复发生存率，绿线是以失去 MMR 为复发的标准，红线是以融合基因阳性为复发的标准。横轴为停药后的月数。

图 7



服用二代 TKI 的患者停药后的无复发生存率，以失去 MMR 为复发的标准，横轴为停药后的月数。

马替尼在抑制酪氨酸激酶的同时，刺激了心脏细胞的蛋白处理系统，最终引起心脏细胞死亡。在服用二代和三代药的患者中，达沙替尼会出现胸腔和心包积液的合并症，尼洛替尼会合并外周动脉疾病，而博纳替尼则会导致动脉和静脉血栓的合并症。相对来说，现在对于伊马

替尼可能产生的心血管相关副作用更为了解，而对于二代药，如达沙替尼、尼洛替尼的潜在副作用的了解则少得多。

当出现相关合并症需要就医时，患者应将自己所服药品的种类和自身血液疾病的进展情况告知心血管科的大夫，以便大夫根据病情和药物做出正确判断。

病友故事分享



活着就是一种修行

北京新阳光慈善基金会 奚佳敏

活着就是一种修行，当我对这句话有些领悟时，已经是生病的第三个年头了。混混沌沌地过了生病的头两年，虽然病情得到了控制，却感觉整个人完全是空的，我的世界里只有去医院复查、按时吃药，看着身边的朋友们个个都忙碌着却很充实，自己的心理落差和自卑感越来越严重。

终于有一天，我决定走出去，找个兼职做做。我不想让自己就这样老去，做一个与世隔绝的人。

在找兼职的过程中虽然有些挫折，但渐渐觉得找回了原先的那个自信又臭美的自己。人始终是要有所寄托的，在不知不觉中，我的内心慢慢强大，男票也发现了我身上的小小变化，鼓励我走出去。于是，我们爱上了旅行，只要一有时间就出去让自己放空，就算只是苏州也可以玩出不同的感觉。我们的感情并没有因为我的病而变淡，反而变得更加深厚。

2010年得知上海有个组织叫“根与芽”，一个可以彼此帮助、互相慰藉的地方。那里的志愿者就像亲人，还认识了更多的病友，慢慢觉得自己并不是一个人在战斗。就这样迎来了2011年，在医院结识了同样的病友胡丽芬，一个对我今后这些年深有影响的病友。通过她，我认识了更多的病友，也慢慢

融入了这个大家庭。我们有快乐一起分享，有苦恼一起分担，我的视野渐渐宽广，不再是那个整天宅在家里自怜自艾的小女人了，变得越来越强大了。慢慢地来到了2013年，这对我来说

是注定忙碌的一年。年初

老爸又一次脑梗住

进了医院，我必须

每天医院家里

来回跑，感觉

身心俱疲。

就在这

时，接到了北

京新阳光的电

话，因为胡姐一

直想推荐我成

为新阳光的兼

职员工。

经过了一段时间的考虑，老

爸平安出院后，我也正式成为

了新阳光的兼职工。从一开始

医生和病友对我的误解，到

渐渐换来病友的会心一笑，

从夏天的41度到冬天的零下

5度，一步一步胡姐和我一起

走过。感谢胡姐长久以来对

我的包容和帮助，能与新阳光

这些年轻有朝气的同事一起

工作，我很自豪。从未想过

自己的生活也可以是这样，我

曾是多么娇气的女人，现在

就算晚上从屋顶掉下一只老

鼠，也只会当笑话的讲给别人

听，然后会心一笑，因为我

变得更强大了。

以后的路还很长，看过了身

边的生离死别，分分合合，我

也渐渐学会放下，放下就是

强大，永远不放弃自己，永

永不。只要还有一口气，就不

患者
注意事项格列卫患者援助项目
领药注意事项

自从2001年第四季度批准通过了第一例接受捐赠的患者以来,格列卫全球患者援助项目(以下简称格援项目)已成为目前覆盖面最广、落实最深入的抗肿瘤药物捐赠项目。打破以往药厂直接把药提供给各国政府、再由政府进行选择 and 发放的模式,开创了在第三方监管下、由药厂直接发放给患者的模式。从2003年9月GIPAP在中国正式启动到现在为止已经有将近12年的时间了。截至2014年11月底,项目累计救助患者已经达到38670人,累计接受格列卫捐赠药品总价值约242.37亿元人民币。格列卫援助项目已经在全国设立60个援助药品发放点,合作医疗机构578家,参与项目的注册医生达到1648位。

项目针对不同患者主要分为两种:对于在得病前享受低保补助的适应症患者进行全额免费药品援助;对于格列卫无法报销或部分报销的非低保患者,每年患者自费承担前3个月的药品费用,项目提供9个月的免费药品援助(个别省市自愿承担前6个月的费用,项目提供6个月的免费援助)。

凡符合申请条件的慢粒患者均可到格列卫援助项目认证的注册医生处就诊。在确定就诊医院和主治医生时需要注意:如果在非原籍地就诊,申请下来之后需要每个月亲自到就诊地领药点取药,每次只能领取一个月的量。另外,在选择就医时最好先致电咨询中华慈善总会格列卫患者援助项目管理办公室热线(Tel: 400-606-1022),询问现所就诊的医院是否为指定医院,该医院的注册医生是谁,以防发生无法领药的情况。

注册医生评估申请患者是否符合格列卫药品适应症,并给符合适应症的申请人出具“中华慈善总会格列卫患者援助项目医学评估确认书”。医生为患者开具医疗诊断书、中华慈善总会GIPAP项目申请人经济状况调查表、家庭成员

信息情况调查表。患者需将填写好的如下材料用EMS或挂号信的方式直接寄至中华慈善总会格列卫项目办公室:医疗诊断书、填写好并加盖公章的中华慈善总会GIPAP项目申请人经济状况调查表、格列卫自购药品发票三张、申请人身份证复印件、低保证复印件或县级民政局开据的农村特困户证明(如有)、填写好的家庭成员信息调查表、两张本人照片。

中华慈善总会格列卫项目办公室收到患者材料,经过初审程序后,通知患者的注册医生,由注册医生向MAX基金会递交患者申请,经基金会批准后,注册医生通知患者在指定时间内领取格列卫药品。

建议在复查的时候把处方一次性开好,确保处方字迹清楚,无涂改。患者信息手册每三个月复查的时候让医生在页面下端处签字,如果忘记签字的话最后一次领药将无法领取。领药的时候带齐材料(在有效期内的医生处方,患者信息手册)不需要身份证,不需要病历本。

虽然免费药品援助可以显著减轻患者的经济负担,但是对于服用这款药的患者来说,他们的感受也是不能忽视的。患者们表示,药品发放点太少、要求每个月去领药、且必须本人亲自去是参加格援项目时面临的三个最大的困难。新阳光工作人员就患者常见的这些困扰,特意走访了中华慈善总会并询问了相关的工作人员。其实这些规定并不是为了为难患者,或者故意给患者领药增加门槛,工作人员制定这些制度都是为了更好地保障药物安全和患者自身的权益。

关于药品发放点太少这个问题,工作人员回答,为了安全的储藏、管理、流通格列卫这种特殊药物,保证药物的安全有效与可靠性,必须是在有特殊资格的签约药房内,由专业药师进行发放。这些经过审核评估的药房有适宜的湿度、温度等储存条件,相对一般的环境更适宜储存这类特殊药物。而且药房还

需有合适的库容量来储藏和存放赠品药,过大会造成空间的浪费,提高赠药的成本;过小会导致药物供应不足,有可能让晚去的患者领不到药。另外,多加一个领药点,就会增加更多的物流、管理、场地、人力等成本,相应地会增加患者的经济负担。为了最大限度在有限的成本内服务更多的患者,让患者朋友们能够更经济地用上格列卫,经过综合考量和严格的审批,才确定了目前的这50个领药点。但是不排除随着以后当地患者人数的增加,中华慈善总会在其他地区增设新的领药点的可能性。如果回到家乡,每月取药交通实在困难可以考虑把医疗关系转回家乡,即可在当地取药。原则上只可以转一次。

谈到要求患者每个月领药的问题时,工作人员表示确实会花费部分患者的时间和精力,但是按月发放药物首先

是可以确保药物安全,避免因过量发放储存不当造成的浪费或失效。如果一次发放一年份的药物,患者在家保存方法不当有可能导致药物变质,失效,或导致浪费。同时按月发放药品可以加快领药点库存药物的流动,减少库存药物积压,确保每次发放到患者手里的都是最新批次的药品,最大限度的保证治疗效果。同时每个月在找医生开处方,患者可以和医生交流服药感受与病情,及时关注病情,减少因病情改变可能导致的服药量不符等问题。

相应地,要求必须患者本人亲自领药,也是为了确实保证药物安全的一个必要措施。要求本人亲自领药可以确保药物安全的发放到患者手中,不会因为被冒领、代领造成患者经济损失或导致疾病进展。减少在领取过程中的丢失,替换等风险。

常见问题 Q & A

Q 初次领药要注意什么?

A 初次领药时应携带本人身份证,近期一寸照片两张及有格援项目注册医师签字十日内有效处方,到取药点填写患者领药信息卡并取药。签字时要注意字迹清晰,方便基金会审核,避免出现因签字不清不能通过审核的情况。记得随身带一个空药盒方便装药。

Q 可不可以申请代领?

A 可以代领,提前两周致电格列卫办公室(Tel: 400-606-1022)申请代领。

Q 上次领药多久之后可以再次领药?

A 原则上每月固定时间领药。最早在下次领药25天后来领药,因为早来系统里不会出现患者的名字;最晚在下次领药2个月内来领药,超过时限的系统会自动取消领药资格。如果有特殊原因超过2个月不能来领药的,要及时致电格列卫办公室(Tel: 400-606-1022)申请暂停领药。

Q 什么时间可以来领药?

A 全国各地领药点工作时间各异;北京领药点的工作时间每周三,四,五的上

午9点到下午4点,中午不休。遇节假日会提前通知患者。

Q 为什么取药的时候要把药抠出来?

A 先核对药品板数是否完整后,自行将药片取出,交回包装盒,铝塑板及说明书,经过核对相符后换回患者信息手册方可离开。不得将药品拿到发药点店门外进行取药操作,否则将被停止领药。

Q 什么样的处方才能领药?

A 领药的时候需要使用援助专用处方,一式两联,白联不能复写,以备月底送交中华慈善总会审核。处方上的领药人姓名,药品名称规格,药品数量同中华慈善总会批准援助的信息一致。处方字体笔迹、颜色要求一致。不得擅自涂改,如果有需要只能由注册医师修改,并一定要在修改处盖上医师人名章+亲笔签名。

Q 处方的有效期是多久?

A 医生处方的有效期是10日(含开具当日),过期的处方是不能用来领药的。由于北京领药点的工作时间是每周三,四,五,有条件的患者可以在周二开具处方,这样有两周的时间可以用该处方取药。

北京新阳光慈善基金会
New Sunshine Charity Foundation

关注我们

新浪微博:北京新阳光慈善基金会
公众微信:北京新阳光慈善基金会

支持我们

捐款账号:0200 0809 0920 0122 968
开户行:中国工商银行北京翠微路支行
户名:北京新阳光慈善基金会



扫描二维码
关注新阳光
官方微信



登录支付宝客户端
扫描二维码
直接为新阳光捐款