



# 慢粒简报

## CML BRIEF

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

### 最新政策解读

- 浙江:2015年初 慢粒救命药进医保

### 临床研究进展

- TKI治疗慢粒的热点问题

### 病友故事分享

- 用爱呵护慢粒小花
- 最炫“小苹果”

## 最新政策解读

### 浙江

#### 2015年初 慢粒救命药进医保

##### 背景知识

2015年2月4日,经市人力社保、卫生计生等部门及省市部分医疗机构推荐、专家遴选和准入谈判,浙江省发文将包括“格列卫”在内的共15种抗癌药纳入了大病保险的支付范围,平均药价也降低了19.27%。参保人员可在定点医院或凭外配处方到定点药店购买这些药品,异地发生符合报销规定的该类药品费用,也纳入大病保险支付。

根据浙江省人民政府办公厅《关于加快建立和完善大病保险制度有关问题的通知》(浙政办发〔2014〕122号)的规定,经各设区市人力社保、卫生计生等部门及省市部分医疗机构推荐,专家遴选和准入谈判,现将“格列卫”等15种药品纳入浙江省大病保险支付范围。参保人员在定点医院或凭外配处方到定点药店购买上述药品,以及异地发生符合报销规定的该类药品费用纳入大病保险支付。

——浙人社发〔2015〕11号

##### 政策解读

为了让患者用得起抗癌药,格列卫在浙江全面实施中华慈善总会格列卫患者援助项目的基础上还纳入了大病保险的支付范围。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。此前,杭州市已将格列卫纳入新农村合作医疗保险,在格列卫患者援助项目给予六个月的赠药的基础上新农合报销60%,患者每年自负5.76万元。此政策实施后,全省城乡患者都将受益。舟山市人社局于今年5月份发文(舟人社发〔2015〕100号文),对于起付线8000元以上的部分,大病保险报销50%,患者可以自今年初起享受这一待遇。在格列卫患者援助项目九个月赠药的基础上,患者每年只需自负4万元。其他各地市的具体报销标准也正在制定中。

#### 2014年底 实现大病医疗全覆盖

##### 背景知识

截至2014年10月底,浙江省基本医疗保险参保人数达5069万人,参保率维持在97%,已迈入全民医保时代。由于现行基本医保制度特别是城乡居民医保、新农合保障水平不高,参保人员个人医疗费用负担还比较重,因病致贫、因病返贫问题日益突出,社会各

界要求加强大病医疗保障的呼声比较强烈。由此,浙江全覆盖大病保险应运而生。在2014年11月19日将大病保险覆盖范围从原来的城乡居民拓展到包括职工在内的全体基本医保参保人员,实现大病保险制度人群全覆盖,这在全国尚属首创。

##### 政策解读

以每年花费30万元左右的医疗费为例计算,在实际报销时,浙江省人力社保厅实行分段式报销:第一段是基本医疗保险报销段,按照目前基本医疗保险政策,大致实际报销60%左右医疗费用,也就是18万元;第二段是大病保险起付标准以下自付段,按浙江省2014年城乡居民人均收入水平40393元计,个人大约需要承担4万元左右;第三段就是大病保险报销段,扣除基本医保报销和起付标准后,进入大病保险报销段的合规医疗费用为8万元,按不低于50%报销比例,至少可以报销4万元。

这样一来,每年花费30万元左右的医疗费,患者自己需要支付的费用大概是8万元左右。根据《浙江省人民政府办公厅关于进一步完善医疗救助制度有关问题的通知》,如果这名患者符合民政部门医疗救助的门槛,

按照浙江省政府出台的《关于加快建立和完善大病保险制度有关问题的通知》规定,大病保险按照自然年度进行结算,各设区市要将参保人员一个结算年度内经基本医疗保险报销后,超过起付标准的合规费用,全部纳入大病保险支付范围。起付标准不低于各设区市上一年度城乡居民人均收入水平,大病保险最高补偿限额按起付线的10至15倍设定,支付比例不低于50%,费用越高支付比例越高。大病保险实行市级统筹,以设区市为单位统一组织实施,实行统一政策体系、统一筹资标准、统一待遇水平,基金实行统收统支。浙江省人社厅医保处处长王平洋表示,这意味着报销人员不分户籍,统一标准。

还可以按医疗救助政策至少再报销4万元。经过以上四段报销,最终该患者承担医疗费用约为每年4万元。而对于参保人员来说,每年只需多负担7.5元保险费用。

### 重庆

单病种定额费用分担比例 单位:%

项目	职工医保				居民医保			
	基金支付		参保人员支付		基金支付		参保人员支付	
	在职	退休	一档	二档	在职	退休	一档	二档
一级医院	90	95	10	5	80	85	20	15
二级医院	87	95	13	5	60	65	40	35
三级医院	85	95	15	5	40	45	60	55

##### 背景知识

2014年9月11日,重庆市人力资源和社会保障局与重庆市财政局重庆市卫生和计划生育委员会发布了《关于慢性髓性白血病胃肠道间质瘤实行医疗保险特殊疾病门诊单病种结算的通知》,规定慢性粒细胞白血病和胃肠道间质瘤患者门诊治疗实行医疗保险单病种结算。

##### 政策解读

通知规定,参保人员在本人选定的定点医疗机构门诊治疗所发生与疾病相关的医疗保险目录内的检查、治疗费用和药品费用(限额以内,药品不受医疗保险药品目录限制)。也就是说,门诊费用,检查费用,治疗和

药品费用均在报销范围之内;且因药品不受目录限制,所以原则上讲国产和瑞士原厂格列卫均在报销范围之内。报销限额为6万元。以城镇职工在三级医院治疗为例,参加中华慈善总会格列卫患者援助项目后患者的药物花费为7万2千元,该档次医保支付比例为85%,医保应支付上限6万元。也就是说患者仅需自费1.2万元,与纳入医保前相比降幅达83%。

另外,职工医保限额标准内报销的医疗费用分别由统筹基金和大额基金支付。居民医保限额标准内报销的医疗费用由居民医保基金支付;限额标准内未报销费用计为自付费用,自费费用按规定再享受大额医保待遇。

## 临床 研究进展

### TKI 治疗慢粒的热点问题

本部分内容来自“施新生·展未来”施达赛上市三周年庆会议上医生的报告

#### TKI 治疗慢粒效果的早期评估

长期研究表明对于慢粒慢性期患者,使用 TKI(酪氨酸激酶抑制剂,治疗慢粒的靶向药物,下同)治疗 3 个月时 bcr-abl 融合基因 $\leq 10\%$  的患者的预后要显著好于 3 个月时 bcr-abl $>10\%$  的患者。而对于 3 个月时 bcr-abl 没有降到 10% 的患者,如果能在 6 个月时 bcr-abl 降到 10%,患者的预后也是好的。

那么有没有更早、更有价值的评估预后的指标呢?最近,专家们提出了两个新的标准供临床上参考:

澳大利亚的一项研究显示,对于 3 个月时 bcr-abl 没有降到 10% 以内的患者,bcr-abl 半数下降时间(也就是降到 50% 以内的时间) $\leq 76$  天者预后更佳。

而 CML Study IV 研究则认为,是否在 3 个月时获得 bcr-abl  $\leq 35\%$  (下降 0.5 个对数级),是判断预后如何的

一个更好的标准。

在开始治疗的第 3 个月和第 6 个月时,建议联合采用外周血和骨髓检查进行分子学监测,可以更好地知道后续治疗。通常第 3 个月和第 6 个月时,外周血检查得出的 bcr-abl 结果比骨髓要低;12 个月时,外周血检查结果与骨髓相当;18 个月及以后,外周血检查结果比骨髓要高。

1



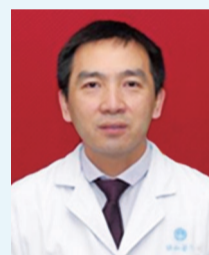
金洁  
浙江大学医学院附属第一医院

#### 分子学缓解对停药研究的临床价值

使用 TKI 治疗慢粒将来是否能够停药是许多病友关心的问题。当然,深层的分子生物学反应是成功停药的基本前提。目前随访时间最长的停药试验(法国的 STIM 研究)对 100 例使用伊马替尼治疗达到完全分子生物学反应(CMR)的患者停止伊马替尼治疗并予以严密监测,其中一部分患者(约 40%)可以安全地停药,而多数(约 60%)出现了分子学复发。多数的复发出现在停药的早期,而出现复发的患者均在重新服药后重新获得了稳定的缓解,没有因停药导致继发性耐药的病例。

日本进行了达沙替尼二线治疗的多中心停药研究,获得 CMR 一年以上的患者中,有 48% 在停药 6 个月以后仍然维持 CMR,失去 CMR 的患者在重新服药后均重新获得了 CMR。

2



游泳  
华中科技大学同济医学院附属协和医院

NK 细胞<sup>1</sup>的数量和活性、sokal 评分<sup>2</sup>、TKI 治疗的时间可能是影响停药成功的几个因素。

<sup>1</sup> NK 细胞: 自然杀伤细胞 (Natural Killer Cell) 是机体中一种与抗肿瘤相关的重要的免疫细胞。  
<sup>2</sup> sokal 评分: Sokal J.E. 等提出的一种慢粒危险程度的评价标准,它主要根据患者年龄、脾脏大小、血小板和幼稚细胞多少将慢粒分为低、中、高危。

#### 从换药底线到早期评估, 不断完善的规范化疗效监测

2009 年的一项 553 名使用伊马替尼一线治疗的患者的随机观察性数据表明,其中 45% 的患者终止了伊马替尼治疗。其中,因安全性(不良反应不耐受)终止使用伊马替尼治疗的占 5.4%,因有效性(疗效不佳或耐药)终止使用伊马替尼治疗的占 13.9%,另外因其他原因换用其他治疗方式或者去世的患者占 26%。

既往的指南通常认为 12 个月没有达到 CCyR(完全细胞遗传学缓解,即染色体转阴)就意味着治疗失败。然而,并不是所有的患者都能够等到 12 个月的时候再做决定。根据早期 bcr-abl 的动态下降水平来预测预后也有很好的效果,比如是否在 76 天之内 bcr-abl 下降

到 50% 以内,或是否在 3 个月内下降 0.5 个对数级(下降至 35% 以内),从而可以尽早决定。一线治疗未达到理想缓解的患者,尽早换用二代药物比继续一线治疗能够获得更好的细胞遗传学及分子学反应。

3



蔡真  
浙江大学医学院附属第一医院

#### 从不同的角度看待二代 TKI 的安全性

TKI 治疗是目前慢粒治疗的基石,然而少数患者因为不耐受或耐药,不能从治疗中获益。对治疗的不耐受已经成为获得有效治疗的障碍之一。TKI 治疗中常见的不良反应包括腹泻、体液潴留、头痛、皮疹、恶心、疲倦、呕吐及血细胞减少等。

不同的 TKI 可能导致不同的不良反应,如二代 TKI 中,达沙替尼引起部分患者的胸腔积液,尼洛替尼引起部分患者的心血管不良事件,值得关注。出现轻度的不良反应时,可以进行处理;不良反应严重时,则应考虑换药。

超过 50% 的慢粒患者会有其他的并存症,一些常见的慢性疾病可能影响到 TKI 的选择。如慢性肺部疾病患者可能不适宜使用达沙替尼,肝脏或内分泌

4



杜新  
深圳市第二人民医院

疾病(包括糖尿病)患者可能不适宜使用达沙替尼,等等。根据并存症选择合适的 TKI 有助于提高疗效、安全性和依从性。

病友  
故事分享5  
对伊马替尼治疗未获理想缓解的进一步解读

导致伊马替尼治疗的慢粒患者没能获得理想缓解的原因有很多种。有非肿瘤细胞相关的影响因素，如服用药物的依从性差、因不耐受而中断治疗导致药物剂量不足药物吸收或代谢途径问题等也有肿瘤细胞相关的影响因素，如 bcr-abl 基因突变、bcr-abl 基因扩增、基因克隆演变、细胞膜出入胞转运酶的影响、与 bcr-abl 无关的旁路传导信号激活(如 SRC 家族激酶等)。规范化的治疗、疗效评估与检测有助于识别、分析治疗失败原因，指导相应的后续治疗。



胡建达  
福建医科大学附属协和医院

6  
通过规范化的突变检测指导后续治疗

有一部分新诊断的慢粒慢性期患者在一线治疗中因耐药的出现而不能获得持久的缓解。而基因突变是伊马替尼耐药的最常见原因(约占 50%)。产生耐药的原因是这些突变导致 BCR-ABL 激酶上与药物结合的部位氨基酸发生改变，从而导致药物敏感性丢失和疾病进展。所以当治疗反应欠佳、治疗失败，或丧失已获得的治疗反应、出现疾病进展时，需要进行突变检测，以根据具体突变的种类，改用合适的二代药或者采取其他合适的治疗方案。



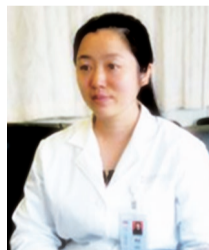
张苏江  
江苏省人民医院

7  
慢粒进展期和围移植期的 TKI 治疗

不可避免地，慢粒也有其进展阶段，即加速期、急变期。对于进展期的患者，伊马替尼治疗失败的可能性更高。如慢粒急变期的患者对伊马替尼的耐药率高达 92%。

很多疾病进展的患者需要考虑造血干细胞移植。对移植前及围移植期的历史数据进行分析可知，移植前使用 TKI 的患者的总体生存率显著要高，并且复发导致的死亡率和复发相关的死亡率(如移植相关死亡等)都会降低。而对照研究的数据表明在异基因造血干细胞移植之后继续使用 TKI 治疗也可以降低复发率、提高无病生存率和总体生存率。移植前使用 TKI 或结合化疗可以使疾病缓解或回到慢性期，减少患者体内的白

血病负荷，为移植创造更有利的条件；移植后使用 TKI 进行预防性维持治疗，可以预防疾病复发，提高长期生存。



靖璇  
中国人民解放军总医院

用爱呵护  
慢粒小花

北京新阳光慈善基金会社工 杨蕾

2015年3月19日我前往昆明市儿童医院住院部血液肿瘤科做新阳光病房学校项目的前期筹备工作，在该科室田主任的介绍下认识了赵建桥的家人，从此和小建桥结下了一段不解之缘……

布依族小女孩赵建桥，2009年6月出生在贵州兴义望谟县元镇里乐村。因父母外出打工，出生后一直由奶奶照顾，是村里众多留守儿童中的一员。2015年3月因巨脾，随奶奶和大伯辗转至昆明求医，由昆明市儿童医院血液肿瘤科收治并确诊为慢性粒细胞性白血病。

小建桥的父亲2014年外出打工至今一直未与家人联系，时至今日与所有亲戚仍处于失联状态，其兄弟姐妹在QQ上发信息告知其女儿病情，要求他回家看看女儿，音讯全无。赵建桥的母亲因为要带家中6个月的小女儿无法照管建桥，听说建桥的父亲在外面有了别的女人，几近崩溃。

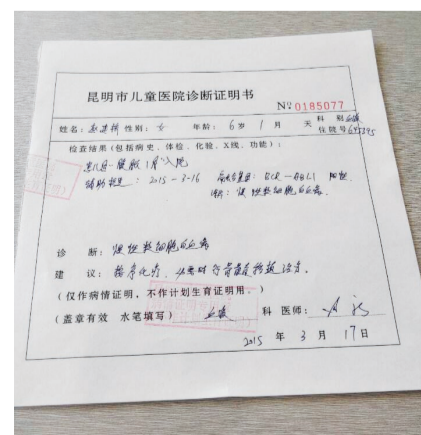
小建桥生病后是在奶奶的强烈要求下，由低保家庭的大伯和有三个子女并不富裕的姑妈凑到6000元赴昆求医，当时决定治疗超出该费用即办理出院手续，因为建桥的不幸遭遇，治疗中医务人员和蓬爱公益援助了7000元医疗费，3月30日小建桥血常规基本正常，由新阳光通过腾讯公益募款援助3900元，才得已顺利办理出院手续。

听说建桥爸爸不负责任的态度时我无比愤慨，同时又真心疼惜这朵风雨中的小花，想买个玩具送给建桥，看到

商场有“爸爸去哪儿”冠名的就毫不犹豫的入手了。城市里同龄的孩子早已不觉新鲜的东西，建桥却喜欢得不得了，6岁了，她还从未上过一天幼儿园，基本不会说汉语。建桥姑妈赵阿美说，因为我的陪伴，小建桥度过了出生至今最痛苦也最幸福的日子。痛苦是因为经受病痛的折磨，幸福是因为我们的援助让她感受到了爱。

小建桥特别喜欢拍照，每次面对镜头，那小眼神里的喜欢、惊喜、渴望、羞涩……真的让人放不下，出院前我特意给她买了新衣服并带她去了医院附近的照相馆，拍照后她亲了我，然后很胆怯的叫了声“妈妈”，见我没有生气，她回头和奶奶用布依族方言说“奶奶，我要妈妈和我们一起回家……”

因为建桥的特殊家庭情况，她现在的暂时监护人是大伯赵先金，和这个个头不高的布依族男子认识一个多月，只有两个字形容他——憨厚。这半个月来



病友  
故事分享

## “小苹果”

云南昭通病友 邹家恩

“你是我的小呀小苹果儿，就像天边最美的云朵，春天又来到了花开满山坡，种下希望就会收获”。我就是这只人见人爱的“小苹果”。

我大名邹家恩，江湖人称“小苹果”，云南昭通人。我的故事要从2009年10月份说起，由于右侧肩关节不明原因的疼痛，我前往昭通市第一人民医院检查，结果意外的发现了白细胞高且肝脾肿大，经骨穿后确诊慢粒，那年我23岁。

患病前，农村家庭的我们经济情况就不太好，2003年初中毕业后未满17岁身为长子的我，为了供家中的一个弟弟和两个妹妹上学，我只身前往温州平阳打工。当时做纯净水厂的生产工人，虽然月工资只有500元，但因为可以包吃住，我非常珍惜这份工作，我的吃苦耐劳让老板对我青睐有加。在我将生产工艺和设备维护都学会后，2004年底老板把厂里的生产承包给了我。为了节省人员费用，我身兼数职：食堂采购、生产线领班、设备维修员……2005年夏天我的月收入已达到了6000元，年复一年辛苦着并快乐着，2008年的又



一个夏天我的月收入已达到了10000元同时收获了爱情，和女友原本打算2009年年底结婚，但10月份的意外患病让我的人生走到了最低点。只有在电视剧里才会发生的事却真实的发生在了我的身上，因昭通医疗条件有限，我的病一直是用羟基脲加干扰素控制。在经历了与女友分手、与家人配型不成功、中华骨髓库无全相合供者后，两年过去了，因为对慢粒的不了解，我也非常困惑我为什么还活着，但这两年让我明白了：人活着，不在乎长短，要珍惜当

下。2011年我决心到省城昆明去看一看，在成都军区昆明总医院我第一次知道了格列卫这种靶向药，但在服格列卫半年后耐药，最终换成了达希纳，当时格列卫和达希纳都还未进云南新农合报销名录，即便接受中华慈善总会的援助，一个月7000多元的药费，对于像我这样祖祖辈辈都在这片红土地上辛苦耕耘的农民来说简直是个天文数字，辛苦几年存下来的钱被我一年吃光了。

既然上天没有让我在得病的前两年死掉，我就应该好好珍惜并努力活下去，

面对药费的压力我想到了我在外打工漂泊时，最爱吃的家乡特产昭通苹果，依赖独特的地理优势，我们昭通的苹果含糖量高，味道甜美，肉质细腻，尤其是每年农历9月收获的“冰糖心”。我一咬牙，把家里老品种的果树全部挖掉，整合了土地，开始了我的“小甜心”种植。农业种植是非常枯燥的，春夏秋冬，田间地头……但“种下希望就会收获”，我的苹果在2014年大丰收啦！同年达希纳也进入了云南新农合报销名录。真可谓双喜临门。

在昆明慈善总会领药的几年，我结识了很多病友，大家在一起相互鼓励，共同抗击病魔。每年中秋病友们也会特别关照我的苹果生意。“小苹果”这个昵称就是病友“小靠垫”给我取的，当时筷子兄弟的《小苹果》正红遍大江南北，她说：“家恩，你的苹果这么好吃，怎么可以不红呢？我们应该让你种的苹果也像这首神曲一样，火火火……”2014年中秋，我的淘宝网“云南昭通团圆生态苹果”也正式开业了，欢迎大家订购哦。（<http://shop112494806.taobao.com>）



患病近六年，从自暴自弃的人生低谷，到种下希望，收获阳光，点亮生命，每一天太阳都为我升起，我的每个明天都格外有意义，我们无权选择自己的人生，但是有权选择自己的未来，就像歌里唱的那样“种下希望就会收获”。小苹果，加油！

我们向中华慈善总会申请格列卫援助项目，准备资料从村里到镇上，再到县城，舟车劳顿。虽然我已经帮他们填写了整套表格，但因建桥家庭情况特殊，第一次资料审核后仍需要补充县级政府开具的监护人、家庭经济情况及低保证明。大伯文化不高，所以都是由我与中华慈善总会联系后，再把相关要求整理成文字发信息给远在贵州的大伯，大伯为了让我再次确认证明是否“合格”，“斥巨资”300元买了一个智能手机，现在已经学会了用QQ发信息和图片。不过拍照水平还有待提高，最终邮寄资料那天

因为找不着镜头的反转按键，只能用牙咬着证明用自拍的方式把证明拍给我看，真心为大伯点赞。

在建桥大伯的辛勤努力下，经过三轮反复的准备、邮寄，我们终于在4月底帮助小建桥完成了中华慈善总会格列卫患者援助项目一期援助的申请手续。

希望社会的爱心助力和大伯的默默辛苦付出能唤回建桥父亲的亲情回归。

有了新阳光的社工关注，即使生命柔弱，飘摇，建桥——这朵风雨中的小花将会努力的绽放，去触摸阳光的温暖。

## 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

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



扫描二维码  
关注官方微信



登录支付宝客户端  
扫描二维码  
直接为新阳光捐款