

2020 年北京市科学技术奖提名公示内容（公告栏）

一、项目名称

脐带造血干细胞移植治疗儿童难治性疾病的治疗技术创新与推广应用

二、候选单位

1、中国人民解放军总医院第七医学中心;2、中山大学孙逸仙纪念医院;3、复旦大学附属儿科医院;4、中国人民解放军总医院第六医学中心

三、候选人

1、唐湘凤;2、方建培;3、钱晓文;4、卢伟;5、栾佐;6、吴南海;7、徐世侠;8、郗晓芹;9、曹秀艳;10、员菡子

四、项目简介.

(一)项目研究的目的意义

在儿童疾病群中，有一组严重威胁儿童生命和生存质量的难治性疾病，包括血液病、原发性免疫缺陷病(PID)、遗传代谢病(IEM)和难治系统性红斑狼疮(SLE)。异基因造血干细胞移植是根治方法。脐血具有获取便捷和移植物抗白血病效应(GVL)的特点，临床应用具有优势。项目组 1999 年开展北京首例脐血移植(UCBT)治疗儿童高危白血病后，陆续探索了 UCBT 治疗儿童难治性疾病的创新治疗技术，以期改善其预后。

(二)主要技术创新点

1. 治疗儿童恶性血液病的创新，1999 年成功开展北京首例 UCBT 治疗儿童高危白血病；成功开展国内首例 UCBT 治疗骨髓增生异常综合征(MDS)；率先根据儿童难治白血病的类型，制定预处理方案，调整免疫抑制药物血药浓度诱导 GVL，起到针对性治疗，提高疗效；率先多中心比较高危 AML 患儿接受无关脐血、同胞和无关供者移植的疗效，证实脐血可作为替代供者，为缺乏同胞供者的高危 AML 患儿提供更多机会。

2. 治疗儿童非恶性难治血液病的创新，成功开展国内首例 UCBT 治疗重型 β -地贫和难治复发噬血细胞综合征。

3. 治疗儿童 PID 的创新，成功开展国内首例 UCBT 治疗慢性肉芽肿 (CGD)、重型先天粒细胞减少症和极早发型炎症性肠病 (VEO-IBD)，填补国内空白。目前 UCBT 治疗的 CGD 和 VEO-IBD 样本量国内最多, 疗效领先。
4. 治疗儿童 IEM 的创新，成功开展国内首例 UCBT 治疗儿童 IEM，包括戈谢病 (GD) 和 I 型粘多糖病，找到适合我国国情根治此病的有效方法，填补国内空白，目前 UCBT 治疗的 GD 样本量国内最多, 疗效领先。
5. 率先比较多中心 UCBT 治疗恶性和非恶性疾病的临床资料，为 UCBT 治疗儿童非恶性疾病提供可循依据，解决了 UCBT 在此领域应用的顾虑。
6. 率先采用 UCBT 减低强度预处理治疗 SLE 的动物研究，为临床采用 UCBT 治疗儿童难治 SLE 提供基础，为治疗提供新思路。

(三) 成果产生的价值

1. 学术价值：共发表论文 48 篇，总他引 183 次。其中，SCI 9 篇，中文核心 39 篇，总影响因子 30.57。1999 年开展北京首例 UCBT，促进脐血库的完善和 UCBT 的发展, 研究成果为卫生部制定中国 UCBT 三类技术管理规范 and 监察中国各地脐血库建设，提高理论依据；牵头制定 UCBT 治疗儿童白血病的专家共识。
2. 推广应用：覆盖 7 省 10 家医院，累积指导 UCBT 治疗儿童难治性疾病达 366 例次，通过学术会议和媒体平台等方式，推广普及儿童难治性疾病相关诊治知识，尤其是罕见病，使患儿获益。
3. 社会效益：通过关键治疗技术创新和推广，解救难治性疾病患儿生命，降低传统治疗带来的医疗资源的消耗。

五、经济效益

5.1 直接经济效益

直接经济效益汇总（金额单位：万元）

年 份	项目收入	项目利润	上缴的税收	节支总额
年				
年				
年				
累 计				
效益产生单位				
第*候选单位	单位名称			

五、经济效益

候选单位经济效益（金额单位：万元）

候选单位排序	单位名称			
年 份	项目收入	项目利润	上缴的税收	节支总额
年				
年				
年				
累 计				
各栏目的计算依据（限 800 字）				
声明：我单位确认以上财务数据真实可靠，同意全力配合后期经济效益数据抽查工作，并愿意承担因此产生的相关责任。				
效益产生单位财务专用章				
年 月 日				

五、经济效益

5.2 经济效益综述

六、主要知识产权支撑材料目录（限 15 个）

序号	知识产权类别	名称	国（区）别	授权号	授权公告日	发明人	权利人	
序号	知识产权类别	名称	标准类别	标准编号	标准发布日期	标准起草单位	标准起草人	
序号	知识产权类别	论文(著作)名称	刊名/出版社	年卷期页码	发表时间(年月日)	通讯作者(含共同)	第一作者(含共同)	论文全部作者
1	论文	Unrelated umbilical cord blood transplantation and unrelated bone marrow	Pediatr Transplant	2009 May;13(3):278-84	2009-05-01	徐世侠	徐世侠	徐世侠, 汤宪华, 唐湘凤

		transplantation in children with hematological disease: A meta-analysis						
2	论文	Similar outcomes of allogeneic hematopoietic cell transplantation from unrelated donor and umbilical	Pediatric Transplantation	2015, 19(4), 413 - 421.	2015-06-01	陈静	唐湘凤	唐湘凤, 陈静, 方建培, 孙新, 朱易萍, 秦茂全, 李军辉, 栾佐

		l cord blood vs. sibling donor for pediatri c acute myeloid leukemia : Multicen ter experien ce in China.						
3	论文	Umbilica l cord blood transpla ntation in Chinese children with beta-tha	J Pediatr Hematol Oncol	2004, 26 (3):185-189	2004-03-01	方建培	方建培	方建培, 黄绍良, 陈纯, 周敦华, 李志光, 黎阳, 黄科

		lassemia						
4	论文	Panel reactive antibody in thalassaemic serum inhibits proliferation and differentiation of cord blood CD34+ cells in vitro	Pediatric hematology and oncology	2009, 26(5):338-44	2009-08-01	方建培	方建培	方建培, 许吕宏, 杨兴鸽, 吴燕峰, 翁文俊, 徐宏贵
5	论文	Umbilical Cord Blood Transplantation Corrects	Inflammatory Bowel Dis	2018 Jun 8;24(7):1416-1427	2018-06-01	翟晓文, 黄瑛	彭凯玥	彭凯玥, 钱晓文, 黄志恒, 芦军萍, 王玉环, 周颖, 王慧君, 吴冰冰, 王颖, 陈伶俐, 翟晓文, 黄瑛

		Very Early-On set Inflamma tory Bowel Disease in Chinese Patients With IL10RA Associat ed Immune Deficien cy						
--	--	--	--	--	--	--	--	--

七、国家法律法规要求的行业批准文件目录（限 5 个）

序号	审批文件名称	产品名称	审批单位	审批时间	批准有效期	申请单位

八、应用情况支撑材料目录（限 10 个）

序号	候选单位	支撑材料种类	名称 (限 20 字)	支付方	应用时间	应用情况和规模
1	中国人民解放军总医院第六医学中心	应用情况说明	复旦大学附属儿科医院	复旦大学附属儿科医院	2014-02-01	我院自 2014 年 2 月开始采用 2009 年解放军总医院第六医学中心儿科主持拟定的“儿科脐血移植推荐方案”治疗小儿高危与复发 ALL、ANLL，免疫缺陷病及遗传代谢病，共进行了 208 例临床应用，取得显著疗效，具有一定社会效益。
2	中国人民解放军总医院第六医学中心	应用情况说明	首都儿科研究所	首都儿科研究所	2018-10-01	我院自 2018 年 10 月开始采用解放军总医院第六医学中心儿科主持拟定的“儿科脐血移植推荐方案”治疗小儿高危与复发 ALL、ANLL，免疫缺陷病及遗传代谢病，共进行了 10 例临床应用，取得显著疗效，具有一定社会效益。
3	中国人民解放军总医院第六医学中心	应用情况说明	苏州大学附属儿童医院	苏州大学附属儿童医院	2009-12-01	自 2009 年 12 月开始采用解放军总医院第六医学中心主持拟定的“儿科脐血移植推荐方案”治疗小儿高危与复发 ALL、ANLL，借鉴该方案治疗免疫缺陷病及遗传代谢病，共进行了 25 例临床应用，取得显著疗效，具有一定社会效益。

4	中国人民解放军总医院第六医学中心	应用情况说明	南方医科大学南方医院	南方医科大学南方医院	2009-12-01	自 2009 年 12 月开始采用解放军总医院第六医学中心主持拟定的“儿科脐血移植推荐方案”治疗小儿高危与复发 ALL、ANLL，借鉴该方案治疗免疫缺陷病及遗传代谢病，共进行了 20 例临床应用，取得显著疗效，具有一定社会效益。
5	中国人民解放军总医院第六医学中心	应用情况说明	京都儿童医院	京都儿童医院	2015-12-01	自 2015 年 12 月开始采用解放军总医院第六医学中心主持拟定的“儿科脐血移植推荐方案”治疗小儿高危与复发 ALL、ANLL，借鉴该方案治疗免疫缺陷病及遗传代谢病，共进行了 35 例临床应用，取得显著疗效，具有一定社会效益。
6	中国人民解放军总医院第六医学中心	应用情况说明	中国医学科学院血液病医院	中国医学科学院血液病医院	2018-01-01	自 2018 年 6 月开始采用解放军总医院第六医学中心主持拟定的“儿科脐血移植推荐方案”治疗小儿高危与复发 ALL、ANLL，共进行了 10 例临床应用，取得显著疗效，具有一定社会效益。
7	中国人民解放军总医院第六医学中心	应用情况说明	青岛大学附属医院	青岛大学附属医院	2009-12-01	自 2009 年 12 月开始采用解放军总医院第六医学中心主持拟定的“儿科脐血移植推荐方案”治疗小儿高危与复发

						ALL、ANLL，共进行了20例临床应用，取得显著疗效，具有一定社会效益。
8	中国人民解放军总医院第六医学中心	应用情况说明	内蒙古自治区人民医院	内蒙古自治区人民医院	2009-12-01	自2009年12月开始采用2009年解放军总医院第六医学中心儿科主持拟定的“儿科脐血移植推荐方案”治疗小儿高危与复发ALL、ANLL，共进行了10例临床应用，取得显著疗效，具有一定社会效益。
9	中国人民解放军总医院第六医学中心	应用情况说明	华北理工大学附属医院	华北理工大学附属医院	2011-12-01	自2011年12月开始采用2009年解放军总医院第六医学中心儿科主持拟定的“儿科脐血移植推荐方案”治疗小儿高危与复发急性淋巴细胞白血病、急性非淋巴细胞白血病，进行了6例临床应用，取得显著疗效，具有一定社会效益。
10	中国人民解放军总医院第六医学中心	应用情况说明	航天中心医院	航天中心医院	2013-12-01	自2013年12月采用2009年解放军总医院第六医学中心儿科主持拟定的“儿科脐血移植推荐方案”治疗小儿高危与复发急性淋巴细胞白血病、急性非淋巴细胞白血病，共进行了22例临床应用，取得显著疗效，具有一定的社会效益。

九、提名意见

异基因造血干细胞移植是血液病、原发免疫缺陷病(PID)、遗传代谢病(IEM)和难治系统性红斑狼疮(SLE)等难治性疾病的根治方法。脐血具有获取便捷和移植物抗白血病效应(GVL)的特点,临床应用具有优势。项目组1999年开展北京首例脐血移植(UCBT)治疗儿童高危白血病后,陆续探索了UCBT治疗儿童难治性疾病的创新治疗技术。率先根据儿童难治白血病的类型,制定预处理方案,调整免疫抑制药物血药浓度诱导GVL。率先采用UCBT治疗重型 β -地贫、难治复发噬血细胞综合征、慢性肉芽肿(CGD)、重型先天粒细胞减少症和极早发型炎症性肠病、儿童IEM等难治性疾病,通过比较多中心UCBT治疗恶性和非恶性疾病的临床资料,为UCBT治疗儿童非恶性疾病提供可循依据。成果在多家医院推广应用,取得了明显的学术效益和社会效益。

提名该项目为北京市科学技术奖科学技术进步奖(类别:社会公益类)(一等奖和二等奖)