



传递八闽福力 唯愿天下无疫

又是一年记者节,看海都采编团队在疫情防控歼灭战中如何传递温暖和力量

A03

罕见病患者急寻救命药

泉州19岁的SMA患者,原本近期需在福州注射诺西那生钠,却被疫情所阻;接到求助信息后,泉州市第一医院紧急采购药物,为患者顺利鞘注救命药

N海都记者 刘薇

11月7日下午4时,在泉州市第一医院,泉州19岁男孩小元(化名),顺利鞘注特效药“诺西那生钠”。这也是泉州首位接受诺西那生钠治疗的脊髓性肌萎缩症(以下简称“SMA”)成人患者。

据了解,诺西那生钠注射液是我国首个获批治疗SMA的进口药物,通过国家医保谈判的方式进入新版国家医保药品目录,价格从69.7万元一针降至约3.3万元一针。此前,泉州小元在福州接受诺西那生钠注射治疗,受疫情影响,第6针转至泉州治疗。

据介绍,目前,全省“脊髓性肌萎缩症(SMA)”疾病患者有300多人。据SMA泉州病友群的数据统计,泉州地区有30多名SMA患者。今年3月1日,在泉州市妇幼保健院·儿童医院,一名2岁多的女童成为泉州首位注射诺西那生钠注射液的患者。



医生为小元注射诺西那生钠



诺西那生钠注射液(本版图片由泉州市第一医院黄小金拍摄)

被疫情所阻后: 泉州医院紧急临时采购

据了解,脊髓性肌萎缩症(SMA)是由于脊髓前角及延髓运动神经元变性,导致近端肢体和躯干进行性、对称性肌无力及肌萎缩的神经变性病,是常染色体隐性遗传病,患有较严重疾病类型(SMA I型)的婴儿在没有呼吸干预的情况下,甚至无法活到两岁。其他类型患者可因疾病进行性加重而最终丧失行走能力,并出现呼吸、吞咽障碍,给家庭和社会带来沉重的负担。

“诺西那生钠注射液是我国首个获批治疗SMA的进口药物,2019年进入中国市场时,每针价格近70万元。罕见病本来就难以医治,有药可治已属难得,但其昂贵的价格让患者家庭难以承受。现在,诺西那生钠等罕见病用药进

入国家医保,造福了很多患者,泉州SMA患者不用再舟车劳顿,在家门口就能够接受注射治疗!”泉州市第一医院神经内科学科带头人蔡江萍博士介绍,上周四,医院接到了小元家人的电话,在了解情况后,医院紧急协调,临时采购诺西那生钠这针救命药。短短两个工作日,医院即备好药物,加强相关医务人员培训,并与福州方面抓紧沟通,将准备工作做得更充分。

7日下午4时,在泉州市第一医院手术室,小元在无菌操作下完成腰椎穿刺,成功鞘注诺西那生钠注射液。下午5时操作结束并密切观察,小元预计第二天出院。

据了解,近期还将有另一位泉州患者接受诺西那生钠注射治疗。

1岁确诊:闭门不出已有五六年

7日上午,在泉州市第一医院,记者见到了小元一家。坐在轮椅上的小元,长着一张圆脸蛋,浓眉大眼,讲话大方,是个外向开朗的大男孩。

“孩子在1岁多时确诊脊髓性肌萎缩症。”小元的妈妈告诉记者,孩子1岁时

想学走路,但双腿没力气,站不了。当时以为营养不够,可后面怎么补都不管用。后来,家人带着孩子辗转多地求医问诊,最终在福州的医院确诊为SMA。“医生说是罕见病,当时也没药能治,只能等着,看以后有没有药。”小

元妈妈说。

在爸妈的帮助下,小元开始在家里做康复训练,走路、游泳,做些简单运动。小学时候,小元能够独立行走,学习、生活都蛮正常,但从小学六年级开始,他经常摔倒,上初一后病情更是急转直下,手脚

肌肉疼痛厉害,走路愈发困难。后来,小元走不了路了,改坐轮椅。除了身体受累,小元还遭到了同学们的嘲笑。初二下学期,他离开了学校,在家休养,自此不再出门。这样的“闭关”生活,他一过就是五六年。

等来“救命药”:诺西那生钠纳入医保

“这些年,我们与医院一直保持联系,我们和孩子一直没放弃。之前,医生告诉我们有一种药可以治疗孩子的病,但价格高昂,我们根本用不起。直到今年这药进了医保目录,我们才等来了这救命药!”小元的爸妈感激道,“我们很感谢国家,感谢党,感谢我们的

医务工作者,也希望跟我们一样的患者能够重拾生活的希望!”

今年1月,小元开始在福州接受诺西那生钠注射治疗,每针医保报销后,自付费用1万多,治疗效果明显。注射前,小元每天坐在床上“一点都不想动”;注射后,他“每天都想

动”。这几个月,小元每天坚持康复训练:站立床、仰卧起坐、举哑铃等。从9月开始,他重拾游泳。虽然现在还不能走,但他明显感觉到自己的身体正在往好的方向变化。

“你们看看,我的手臂现在都练出了肌肉!”小元开心地把两边的衣袖挽起,

露出白皙的手臂给记者看,虽然双臂看着仍旧瘦弱,但确实结实了好些。

按照原计划,这个月小元将接受第6针注射,但受福州疫情影响,计划须推迟。担心治疗受影响,小元的爸妈通过福州当地医院、泉州的朋友以及12345平台,联系上泉州市第一医院。

共签约9批30个项目

进博会福建省重点项目“云签约”

A02

泉州名中医教你 “补冬”怎么补?

A07