

关注罕见病群体 首部聚焦神经纤维瘤病患者调研报告发布

■ 本报记者 皮磊

“罕见病患者面临的不仅仅是治疗需求、经济压力，还有社会融入、社会接纳等方面的挑战，尤其是像神经纤维瘤病这样在外形上有明显差异的疾病，患者及其家庭还面临着社会认知不足、医疗资源分布不均、药物研发不足等问题。”

”

近日，首部聚焦神经纤维瘤病患者的调研报告——《中国 1 型神经纤维瘤病患者诊疗状况及生命质量调研报告 2025》在北京发布。报告由深圳市泡泡家园神经纤维瘤病关爱中心与蔻德罕见病中心携手，经过广泛收集、分析患者数据和真实案例，并深度访谈临床医学专家和医保政策专家后共完成。

报告系统调研和梳理了 NF1 患者群体的人口社会学情况、疾病表现、诊疗经历、经济负担、生命质量、社会融入情况，以及目前比较突出的治疗和保障诉求等内容，有助于医疗机构、专家学者、政府部门和社会组织了解神经纤维瘤病患者的实际需求，为学术研究和政策制定提供

供更加坚实的数据基础，共同推动神经纤维瘤病诊疗水平政策保障水平的提升。

据介绍，神经纤维瘤病(NF)是一种由基因缺陷导致的常染色体显性遗传病，可并发多系统损害。NF1 是最为常见的亚型，临床症状包括咖啡牛奶斑、多发性神经纤维瘤等。该疾病临床症状差异较大，可造成外形损毁及功能障碍，增加肿瘤恶变风险，严重影响患者生活质量，给其带来沉重的心理和经济负担。

2023 年 9 月，神经纤维瘤病被列入我国第二批罕见病目录(第 54 号)。然而，截至目前，市场上仍无针对 NF1 成人患者的药物获批上市。而传统临床治疗主要依靠手术方式开展，存在完



发布仪式

全切除率低、复发率高等问题。

蔻德罕见病中心公共政策研究中心项目负责人李林国对报告做了详细的解读。她表示，通过报告发现，NF1 患者在医疗保障、诊断、治疗、生存质量以及经济负担等方面面临严峻挑战。尽管我国在 NF1 领域已取得进步，但患者仍面临报销比例差异大、药物可及性不足等问题。“加强 NF1 患者教育和社会支持，加强公众科普，加强患者教育，提

升患者的心理健康水平。”

深圳市泡泡家园神经纤维瘤病关爱中心理事长江海波表示，该报告可以为医务人员、患者及家属、科研工作者和社会各界提供权威的参考资料，有助于提升全社会对 NF1 的关注，统一诊疗标准，推动科研发展。他同时呼吁政府、医疗机构、科研院所、企业、公益机构及社会各界共同努力，加大政策支持和资金投入，完善医疗保障体系，开展更多基础研

究和临床实验，加速新药研发，消除对患者的歧视，为患者创造包容友好的社会环境。

复星医药首席发展官徐润红认为，创新医药企业应致力于研发新药，确保患者有药可用，并推动药物纳入医保，提高药物可及性。她表示，“罕见病是大家共同面临的公共健康问题，需要临床专家、政策专家、患者组织、企业方、媒体等多方协力，一起提升公众对罕见病的关注和整个治疗的发展。”同时，她谈道，可以探索创新支付方式，减轻患者经济负担，与政府、患者组织、医疗机构等共同合作建立多层次医疗保障体系。

“我们希望进一步突破，努力将抑制剂从 3 岁儿童适用降低至 2 岁儿童适用。”复星医药执行总裁、全球研发中心 CEO 王兴利博士表示，尽管面临患者分散、支付体系限制等挑战，复星医药仍将坚持创新，推动罕见病治疗技术进步，反哺更广泛疾病领域的研发突破，践行医药行业“以患者为中心”的长期价值追求。

《社会力量救灾物资管理指南》发布 助力应急慈善事业规范化发展

近日，由中国慈善联合会主办，四川大学—香港理工大学灾后重建与管理学院、成都授渔公益发展中心承办的《社会力量救灾物资管理指南》(以下简称《指南》)发布会在四川成都举行。

据介绍，该《指南》是国内首个针对社会力量参与救灾物资管理的团体标准，旨在推动社会力量在应急救援中更加规范、高效地发挥作用，进一步提升应急慈善的专业化水平。政府部门、学术界、社会组织及企业代表等共同见证了这一成果的发布。

中国残疾人福利基金会副秘书长林岗强调，《指南》凝聚了多方智慧，特别关注了残疾人等困境群体的差异化需求，体现了中国慈善事业的精度与温度。未来，基金会将携手各方推动《指南》的落地实施，促进政社协同、能力建设和制度创新。

中国慈善联合会副秘书长陈冬青指出，社会力量已成为我国应对自然灾害和公共卫生事件的重要辅助力量。《指南》的发布，为会员单位提供了救灾物资管理的全流程规范化指引，填补了慈善行业救灾物资制度空白，对提升应急慈善效能具有重要意义。

成都授渔公益发展中心副主任程明理详细介绍了《指南》的编制过程。《指南》历时近一年，通过实地调研、专家访谈、问卷调查、国内外对标研究分析等方式，确立了协调支持、需求为本、透明公开、安全环保四大原则，涵盖物资分类、储备、募集、采购、运输、分配、发放等环节，并附有救灾物资参考目录、物资需求评估调研清单、救灾物资档案管理文件材料清

单和评估改进措施。包括爱德基金会、北京绿舟应急救援促进中心等在内的 15 家单位成为首批标准化建设单位。

四川大学—香港理工大学灾后重建与管理学院副院长卢毅教授分享了《社会力量参与自然灾害和公共卫生事件研究报告》。报告系统梳理了我国社会力量参与救灾的历史脉络，提出“灾害-需求-参与-支持”四层嵌套式参与模式，并针对社会力量在能力建设、网络构建等方面的痛点提出对策建议。

北京师范大学风险治理创新研究中心主任张强教授认为，《指南》的最大价值在于“从经验驱动转向标准驱动”，通过数字化技术助力实现精准预测、资源优化和跨区域协作。

四川省社会科学院原所长、二级研究员郭虹总结指出，从 2008 年汶川地震的“各自为政”到如今的规范化、专业化协作，中国社会力量参与救灾的历程彰显了“政府负责、社会协同”的中国特色模式。《指南》的发布是新的起点，未来需进一步推动标准实施、资源整合和技术创新，为参与全球灾害治理提供中国方案。

记者了解到，该《指南》是“中国社会力量备灾救灾物资管理标准创制及推广项目”的成果，项目由香港赛马会捐赠，中国残疾人福利基金会统筹管理，中国慈善联合会组织实施。《指南》的发布，标志着我国应急慈善事业迈入标准化、协同化新阶段。中国慈善联合会呼吁会员单位以《指南》为行动准则，持续提升救灾物资管理水平，为构建韧性社会贡献力量。

(皮磊)

创新引领，多元赋能 广州市从化区全力打造县域养老服务新标杆

近日，广州市从化区召开县域养老服务体系创新试点项目中期推进会。广东省民政厅、广州市民政局、从化区政府、华南农业大学、广州市社会福利与养老服务协会、30 多个区养老服务工作联席会议成员单位等政校社企各界代表，共同见证了从化区在三级养老服务网络建设、公办养老机构改革、农村互助养老创新等领域取得的突破性成果。

会上，从化区副区长胡香玲对从化区在养老服务体系建设和运营体制改革以及农村互助养老探索等方面所取得的显著成效给予了高度评价。她谈道，此次试点项目是一个重要契机，需充分调动政府、企业、社会组织、志愿者等多元社会力量，构建“党委领导、政府负责、社会协同、公众参与”的全方位养老工作格局，全力以赴推进县域养老体系建设，为全国养老事业发展提供具有借鉴意义的“从化方案”。

从化区民政局党组书记宋鹏对县域养老服务体系创新试点项目的十大工作任务进行了深入解读，并详细汇报了项目推进情况。自成功入选全国县域养老服务体系创新试点以来，从化区紧紧围绕“组织体系建设、管理运营改革、优化服务体系、互助养老创新、支撑保障提升”五大核心方向，扎实推进十大重点任务落地实施。目前，“区—镇街—村居”三级养老服务网络不断完善，独具从化特色的县域养老服务体系模式已初具规模，为老年人带来了更加优质、便捷的养老服务体验。

在经验分享环节，良口镇政府以仙溪村为典型案例，分享了《弱经济村庄的农村互助养老模式探索》经验，通过创新构建“政府引导+社会参与+村民自治”的多元互助养老服务体系，有效整合政府补贴、慈善捐赠以及村庄“自我造血”三大资源渠道，成功实现了养老服务的可持续运营，为农村养老服务发展开辟了全新路径；广州市社会福利与养老服务协会分享了《从化区县域养老服务体系人才培育发展》，以分层分类培养为核心策略，构建起“中高级管理人才—初级护理与社工人才—家庭照护群体”三级人才培养体系，通过精准化培训和系统化提升，夯实了从化农村养老服务人才队伍建设的根基。

现场，从化区民政局与华南农业大学签订“试点项目合作共建协议”，借助高校的专业智慧为养老服务注入强劲动力；与广州市从化区电子商务协会签订“银发经济电商平台”合作协议，以科技创新赋能养老产业发展，凝聚起推动养老服务高质量发展的强大合力。

从化区民政局相关负责人表示，推进县域养老服务体系创新试点工作意义深远。未来，从化区将进一步加强部门间的协作配合，扎实推进各项试点任务落实落地，全力打造群众广泛认可、具有高度可复制性和推广价值的县域养老服务“从化经验”，实现从“试点探索”到“示范引领”的跨越发展，为全国县域养老服务体系贡献更多从化智慧和力量。

(据广州市从化区民政局)