



ANNUAL REPORT OF CHILDHOOD LEUKENMIA IN CHINA (2022)

中国儿童白血病年报 (2022)

主管单位：国家卫生健康委员会医政司

编制单位：国家儿童医学中心

上海交通大学医学院附属上海儿童医学中心



血液·肿瘤中心



中国儿童白血病
诊疗登记管理系统

血液·肿瘤中心

序

当我打开案头上《中国儿童白血病年报(2022)》样稿,一下子被“数读2022”的一连串数据所深深吸引,在册登记病例51070人、发病高峰年龄段1-5岁、男女比例1.35:1、异地就诊比例21.6%,以及不同类型儿童白血病占比、生存率、医疗费用等等。在国家卫生健康委员会的指导、支持和推动下,国家儿童医学中心-上海交通大学医学院附属上海儿童医学中心管理运行的“中国儿童白血病诊疗登记管理系统”能够覆盖全国31个省市、自治区596家定点医疗机构,实属是件了不起的事情。这对于了解我国儿童白血病发生、发展、转归,对不同省域诊治规模与医疗资源配比,相关临床诊疗方案对应的生存率,不同类型白血病诊疗费用区间以及跨省转诊等情况给出了更加全面动态的循证数据,为不断完善基于中国儿童人群特点的白血病诊疗方案,提升同质化医疗管理水平,优化医疗资源配置与医疗保障体系提供了重要参考依据。

儿童白血病是儿童发病率最高的恶性肿瘤,约占所有儿童恶性肿瘤的1/3。党和政府历来对儿童健康高度重视和亲切关怀,尤其改革开放以来,包括儿童白血病、先心病两病“新农合”保障体系在内的儿童医疗保障水平不断完善,儿童白血病总体生存率有了极大提高。2018年,我有幸受邀担任国家卫生健康委员会儿童白血病专家委员会主任委员,让我感到欣喜的是,近年来儿童白血病临床诊疗、科学研究、综合管理等方面取得了新的快速发展。除了“中国儿童白血病诊疗登记管理系统”成功创立并发布外,全国许多医疗机构诞生了一大批原创性研究成果并成功应用于临床,受到国际同行广泛关注。由国家儿童医学中心-上海儿童医学中心牵头20家高水平医院开展的CCCG-ALL-2015全球最大样本量的临床多中心研究取得重大成果,已经发表在*Blood*上的研究结果显示,儿童急性淋巴细胞白血病5年总体生存率为91.1%,无事件生存率为80.3%,单纯中枢神经系统复发率仅为1.9%,达到国际先进水平,此外这两年还分别在*Nature Medicine*, *Nature Genetic*, *Lancet Oncology*, *JAMA Oncology*, *Blood*, *Leukemia*等国际高水平杂志上发表了系列创新性科学研究成果,为深入探究白血病发病机制、完善精细化诊断及个体化治疗等将发挥重要引领作用,这也是整个中国儿科界同行进步与发展的一个重要缩影。

征途漫漫,唯有奋斗。儿童是祖国的未来、民族的希望,我愿与儿科界同行一起,为了孩子的健康、家庭的幸福一路同行。



中国儿童白血病专家委员会主任委员、中国工程院院士

特别鸣谢

国家卫生健康委员会医政司：

焦雅辉司长、张宗久司长（原）、李大川副司长、王毅处长（原）、王斐处长、张文宝处长

国家卫生健康委员会儿童白血病专家委员会：

首席顾问	陈竺	中国科学院院士
	裴正康	中国工程院外籍院士
顾问	顾龙君	国家儿童医学中心
	吴敏媛	国家儿童医学中心
	汤静燕	国家儿童医学中心
	李志光	香港中文大学威尔斯亲王医院
主任委员	陈赛娟	上海交通大学医学院附属瑞金医院 中国工程院院士
副主任委员	陈静	国家儿童医学中心
	王天有	国家儿童医学中心
	翟晓文	国家儿童医学中心
	竺晓凡	中国医学科学院血液病医院
	任瑞宝	上海血液学研究所
秘书长	沈树红	国家儿童医学中心
临床诊疗工作组	组长 郑胡镛	国家儿童医学中心
	副组长 沈树红	国家儿童医学中心
	方建培	中山大学孙逸仙纪念医院
	胡绍燕	苏州大学附属儿童医院
	于洁	重庆医科大学附属儿童医院
成员	师晓东	首都儿科研究所附属儿童医院
	郝良纯	中国医科大学附属盛京医院
	汤永民	浙江大学医学院附属儿童医院
	王宁玲	安徽医科大学第二附属医院

临床诊疗工作组	成员	梁昌达	江西省儿童医院
		鞠秀丽	山东大学齐鲁医院
		刘玉峰	郑州大学第一附属医院
		金润铭	华中科技大学同济医学院附属协和医院
		胡群	华中科技大学同济医学院附属同济医院
		江华	广州市妇女儿童医疗中心
		文飞球	深圳市儿童医院
		高举	四川大学华西第二医院
		何志旭	贵州医科大学附属医院
		田新	昆明市儿童医院
		潘凯丽	西北妇女儿童医院
		刘安生	西安市儿童医院
		严媚	新疆医科大学第一附属医院
临床转化工作组	组长	任瑞宝	上海血液学研究所
	副组长	周斌兵	卫生部儿童血液肿瘤重点实验室
		李志刚	国家儿童医学中心
		李本尚	国家儿童医学中心
	成员	王建祥	中国医学科学院血液病医院
		付晨	上海市疾病预防控制中心
		黄晓军	北京大学人民医院
		黄薇	国家人类基因组南方研究中心

上海医学创新发展基金会、上海医疗质量研究中心：

王波、陈苇伊、袁兴标、苏纯

各省（自治区、直辖市）儿童白血病诊疗登记定点医疗机构及联系单位：

32家联系单位（名单见附表1）；596家定点医疗机构（名单见附表2）

目录

序言

中国儿童白血病诊疗登记工作背景与意义	02
中国儿童白血病诊疗登记工作方法	06
中国儿童白血病诊疗登记定点医疗机构的遴选与设立	07
中国儿童白血病诊疗登记开展方式	07
中国儿童白血病诊疗登记信息收集内容	07
中国儿童白血病诊疗登记工作质量控制	08
2015-2022 年中国儿童白血病诊疗现状	14
儿童白血病诊疗登记数量情况	15
儿童白血病诊疗登记患儿年龄、性别构成	20
儿童白血病诊疗登记患儿病种构成情况	24
儿童白血病年发病率估算	29
儿童白血病诊疗登记患儿治疗情况	30
儿童白血病诊疗登记患儿随访及预后分析	39
儿童白血病异地诊疗及转诊情况	43
儿童白血病医保及费用情况	47
中国儿童白血病诊疗现状分析与讨论	50
中国儿童白血病发病率及特征	51
儿童白血病诊疗登记患儿治疗方案及预后情况	51
儿童白血病无治疗信息及异地诊疗情况	53
儿童白血病治疗费用情况	54
登记系统不足与改进方向	54

中国儿童白血病诊疗登记工作附件

附表 1 各省（自治区、直辖市）儿童白血病定点救治医疗机构联系单位	56
附表 2 各省（自治区、直辖市）儿童白血病定点救治医疗机构推荐名单及其上报例数	57
附表 3 非定点救治机构上报例数 ≥ 20 例的医疗机构名单及其上报例数	79
附表 4 全国各省（自治区、直辖市）0-14 岁儿童白血病年新发病例登记率	80
儿童血液肿瘤科技进展与成果	82
多中心临床研究	99
临床基础研究	100
移植与细胞治疗	100

[重要声明]: 本年度报告尚未依法对外公开的信息或内容, 包括但不限于图表、数据等内容, 未经国家卫生健康委中国儿童白血病诊疗登记管理系统办公室同意不得在公开刊物、媒体引用或发表



中国红十字会会长、全国人大常委会原副委员长陈竺亲切关怀白血病患者

中国儿童白血病诊疗登记工作 背景与意义

儿童白血病是未成年人中最常见的恶性肿瘤，由于诊治难度大，治疗周期长、费用高、负担重，党和政府始终给予高度重视、亲切关怀。为落实国家卫生健康委、国家发展改革委、人力资源社会保障部等6部门联合下发的《关于开展儿童白血病救治管理工作的通知》(国卫医发[2018]16号)文件精神，2018年10月8日国家卫生健康委发文组建国家卫生健康委儿童白血病专家委员会，其主要职责是负责实施修订诊疗规范、临床路径等技术规范，开展医疗质量控制、评价和考核，并委托国家儿童医学中心-上海交通大学医学院附属上海儿童医学中心牵头负责“国家卫生健康委中国儿童白血病诊疗信息登记管理系统”的运行管理。2018年10月20日该登记管理系统在上海医疗质量研究中心等的支持下正式上线。

在各方共同努力下，2022年度最新中国儿童白血病年度报告正式形成。从中我们可以看到自2015年以来各省(自治区、直辖市)及其定点网络医院诊治与数据报送情况，我国儿童白血病发病率、各亚型分布占比、五年生存率、医疗费用以及异地诊疗等情况。

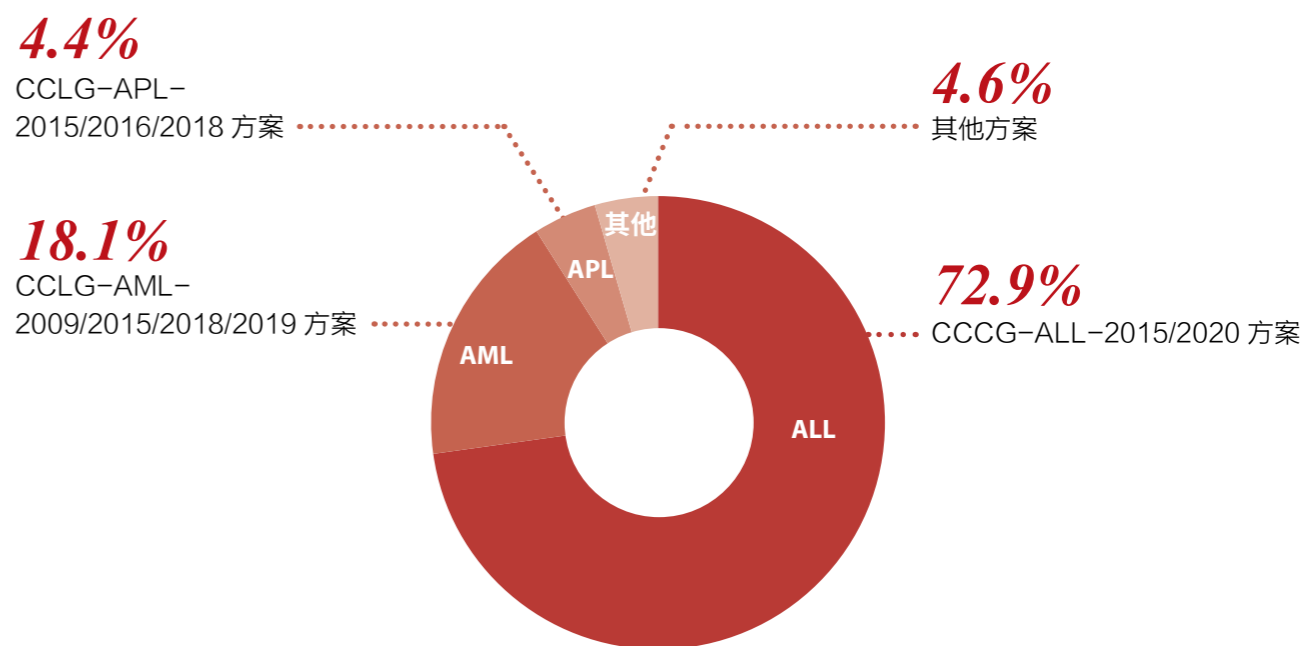
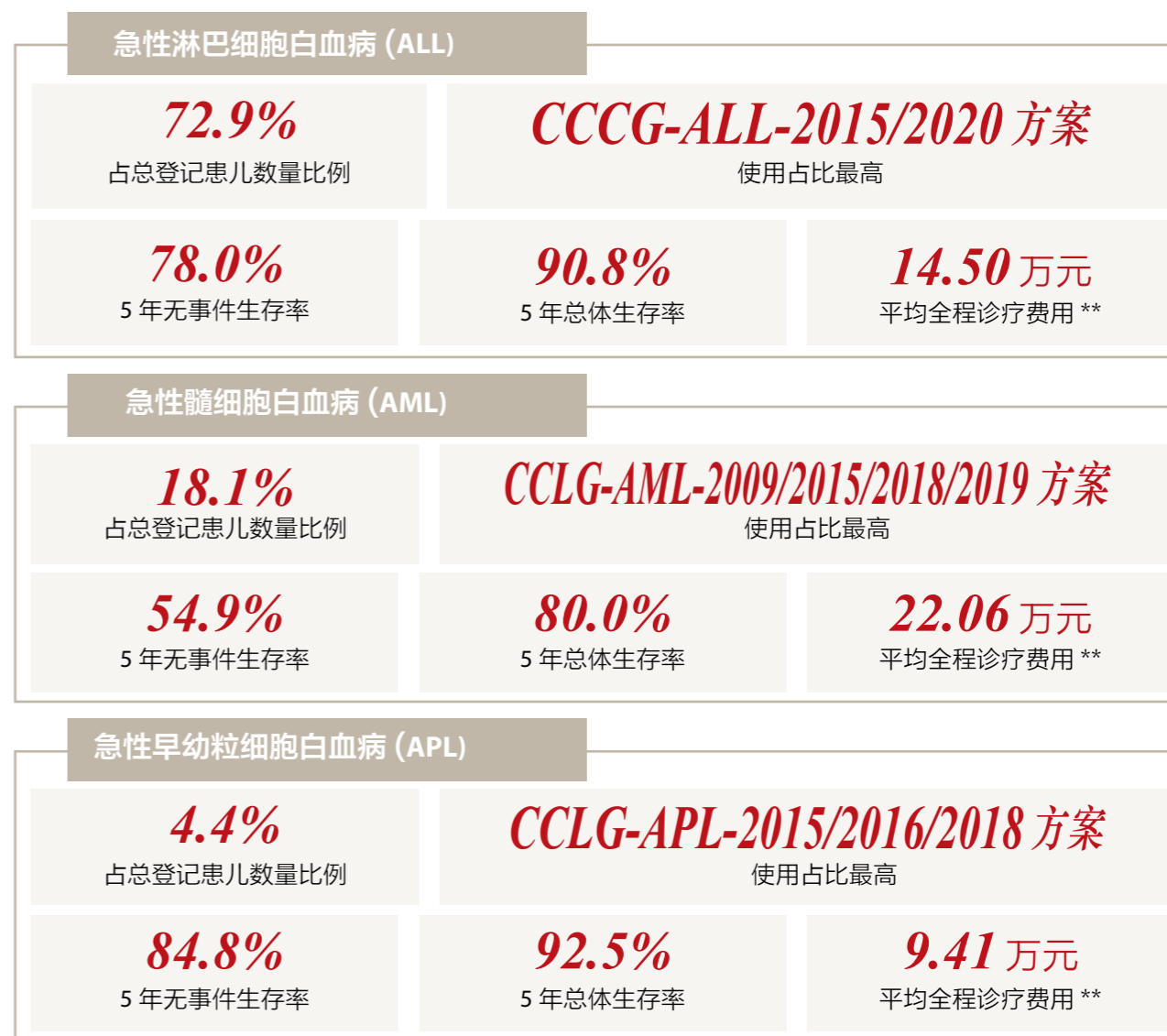
我们由衷希望这一在国家卫生健康委的领导下，在各省(自治区、直辖市)卫生健康委的关心支持下以及各定点医疗机构的辛勤努力下形成的报告可以成为各级政府和专业人员了解我国儿童白血病的发病、治疗、生存及保障情况的重要来源，以便成为合理配置资源、完善政策取向、强化同质化管理、优化基于中国人群诊疗方案等重要参考依据。

数读年报 2015年-2022年



* 根据抽样标准，浙江、上海、福建、天津、江苏及江西六个省(直辖市)被列入发病率估算的样本省(直辖市)，中国0-14岁儿童白血病的发病估算为42.3/百万；

** 费用数据仅来自上海儿童医学中心





中国儿童白血病诊疗登记工作方法与内容

儿童白血病救治管理工作电视电话会议

中国儿童白血病诊疗登记定点医疗机构的遴选与设立

根据国家卫生健康委加强儿童白血病救治区域定点医院布局精神, 国家卫生健康委全国儿童白血病专家委员会讨论建议根据诊疗规模、专科医生配置和设施条件, 由各省(自治区、直辖市)卫生健康委推荐省级和区市级定点医院, 共同组成全国儿童白血病诊疗服务网络。由此共遴选出 178 家省级和 418 家区市级定点医院, 共 596 家定点医院, 其中包括综合医院 541 家, 儿童专科医院 55 家。定点医院主要责任义务是及时上报儿童白血病患者临床诊断、治疗方案、生存状况等信息录入“国家卫生健康委中国儿童白血病诊疗信息登记管理系统”, 以期实行定点集中救治, 改善儿童白血病治疗条件, 推进规范化诊疗方案, 从而提高儿童白血病救治水平。

中国儿童白血病诊疗登记开展方式

国家儿童医学中心-上海儿童医学中心及其儿童血液肿瘤信息登记管理中心 2019 年 3 月 19 日组织全国 31 个省(自治区、直辖市)和新疆生产建设兵团的儿童白血病诊疗信息登记管理联系单位开展了项目培训、系统对接、数据登记、质量监控等工作, 联系单位名单见附表 1。各联系单位陆续完成了本省(自治区、直辖市)的登记管理系统省内培训会。系统要求登记 2015 年 1 月 1 日至今 0-18 岁确诊白血病病例, 并完成每年 2 次(6 月 30 日、12 月 31 日)的随访。管理中心每年 3 月通知各定点医院补充完善上一年登记数据, 每年 6 月及 12 月定期通知随访数据上报, 并常规开展相关线上培训。

中国儿童白血病诊疗登记信息收集内容

1. 纳入标准

0-18 岁, 2015 年 1 月 1 日至今确诊白血病初发病例。

2. 登记变量

包括身份识别信息和医学信息。身份识别信息包括患儿身份证号码、姓名、性别、年龄、血型、监护人身份证号码、监护人电话号码、籍贯、住址。医学信息包括白血病诊断、白血病诊断日期、治疗方案、开始治疗日期、MICM 资料(骨髓细胞形态学、免疫分型、染色体核型、主要融合基因或突变)、状态和转归以及诊疗费用。

中国儿童白血病诊疗登记工作质量控制

1. 质控措施

1) 上报率

诊断病例上报率: 指实报病例占所在医疗机构所有应报病例比例;

治疗病例上报率: 指所在医疗机构住院的实报病例占应报病例的比例。核对标准参照该医疗机构临床实验室细胞生物学检测确诊白血病病例数。

2) 准确完整率

识别信息准确完整率: 指身份识别信息准确完整病例占实报病例的比例。通过积分法确定所填病例的身份识别信息是否准确完整。身份识别信息包括患儿身份证号码、姓名、性别、年龄、血型、监护人身份证号码、监护人电话号码、籍贯、住址。其中患儿身份证号码 2 分, 姓名、监护人身份证号码、监护人电话号码 1 分, 性别、年龄、血型、籍贯、住址 0.5 分, 累计满 5 分为准确完整病例。所在医疗单位治疗超过 2 月的病例都必须有正确的患儿身份证号码, 否则均视为不完整病例。外籍人士用护照号码替代身份证号码。

医学信息准确完整率: 指所填报病例中医学信息准确完整病例的占比。医学信息包括白血病诊断、白血病诊断日期、治疗方案、开始治疗日期、MICM 资料、状态和转归以及诊疗费用。以上所有项目完整准确者为医学信息准确完整病例。其中, MICM 资料包括骨髓细胞形态学(或骨髓病理)(4 分)、免疫分型(2 分)、染色体核型(2 分)、主要融合基因(1 分)或突变(1 分), 满 5 分为 MICM 资料准确完整。诊疗费用应包括住院和门诊费用。

HIS 和 LIS 系统接入并经登记管理中心认证后, 医学信息准确完整率免检。

3) 唯一性和有效性检验

判断年龄、重复信息、首诊日期错误(不在 2015-2021 年范围内)及缺项。

2. 质控结果

1) 各省(自治区、直辖市)定点诊疗机构数据上报率

首诊日期截至 2023 年 10 月 31 日共完成 55348 例病例信息上报。2015 年-2022 年, 全国 596 家儿童白血病定点诊疗机构中 438 家医疗机构参与了数据上报, 其中 2015 年-2022 年定点医疗机构实际数据上报率 73.5%; 2022 年定点医疗机构实际数据上报率为 22.7%, 较之前有大幅下降。不同省份医疗机构数据上报率见表 1。省级、区市级儿童白血病救治定点医院(推荐)名单及其上报情况见附件-附表 2。部分非定点医院参与上报, 上报例数 ≥ 30 例的非定点医院名单见附件-附表 3。

表 1 各省 (自治区、直辖市) 定点诊疗机构数据上报率

省(自治区、直辖市)	定点医院数	2015-2022 年填报医院数	2015-2022 年填报比例 (%)	2022 年填报医院数	2022 年填报比例 (%)
浙江	11	11	100.0	8	72.7
广西	28	28	100.0	14	50.0
陕西	7	7	100.0	4	57.1
上海	7	7	100.0	3	42.9
天津	4	4	100.0	2	50.0
福建	14	14	100.0	3	21.4
江西	6	6	100.0	1	16.7
宁夏	3	3	100.0	2	66.7
北京	7	7	100.0	0	0.0
江苏	28	26	92.9	6	21.4
广东	46	42	91.3	16	34.8
云南	21	20	95.2	2	9.5
湖南	19	17	89.5	2	10.5
山东	36	32	88.9	16	44.4
海南	8	7	87.5	2	25.0
湖北	22	19	86.4	7	31.8
贵州	12	10	83.3	4	33.3
河北	23	19	82.6	8	34.8
四川	34	28	82.4	8	23.5
内蒙古	15	12	80.0	3	20.0
西藏	5	4	80.0	0	0.0
甘肃	22	15	68.2	0	0.0
重庆	18	12	66.7	3	16.7
黑龙江	9	6	66.7	1	11.1
安徽	33	22	66.7	4	12.1
吉林	17	11	64.7	3	17.6
山西	23	13	56.5	2	8.7
辽宁	19	10	52.6	2	10.5
新疆	25	14	56.0	5	20.0
兵团	13	3	23.1	0	0.0
河南	47	7	14.9	3	6.4
青海	14	2	14.3	1	7.1
全国	596	438	73.5	135	22.7

2) 有效病例登记率

发病日期截至 2023 年 10 月 31 日, 共上报儿童白血病病例 55348 例。剔除年龄 ≥ 19 岁病例 9 例、重复录入 / 转诊病例 1711 例、2015 年之前发病病例 705 例、首诊日期错误或缺项 308 例、外籍病例 16 例, 2023 年确诊病例 1529 例后, 2015-2022 年新发儿童白血病有效病例 51070 例。

经统计分析, 全国儿童白血病上报有效病例平均比例为 94.89%(51070/53819), 全国各省 (自治区、直辖市) 病例上报有效率见表 2。

表 2 各省 (自治区、直辖市) 2015-2022 年有效病例数及占比

省(自治区、直辖市)	2015-2022 年上报病例	2015-2022 年有效病例数	有效病例数占比 (%)
海南	348	347	99.7
宁夏	315	310	98.4
江西	1047	1028	98.2
山西	821	805	98.1
福建	1780	1738	97.6
河北	1928	1870	97.0
重庆	2913	2816	96.7
山东	3591	3472	96.7
上海	3165	3050	96.4
天津	2420	2329	96.2
吉林	776	746	96.1
辽宁	917	880	96.0
江苏	2598	2494	96.0
贵州	1397	1340	95.9
浙江	2420	2316	95.7
四川	2679	2546	95.0
黑龙江	518	490	94.6
湖北	2643	2501	94.6
广东	6547	6188	94.5
陕西	1615	1513	93.7

省(自治区、直辖市)	2015-2022 年上报病例	2015-2022 年有效病例数	有效病例数占比 (%)
广西	2228	2086	93.6
河南	3125	2918	93.4
青海	188	175	93.1
安徽	1261	1173	93.0
云南	1115	1034	92.7
内蒙古	330	303	91.8
新疆	1381	1267	91.7
甘肃	307	281	91.5
湖南	1976	1805	91.3
西藏	20	18	90.0
北京	1415	1204	85.1
兵团	35	27	77.1
合计	53819	51070	94.9

3) 身份证登记率

2015-2022 年登记的 51070 份有效病例中有 42306 例登记了身份证号, 身份证号填写完整率 82.8%, 其中 2022 年确诊的 3875 例有效病例中有 3720 例登记了身份证号, 身份证号填写完整率 96.0%, 较 2021 年完整率提升 1.9%。各省(自治区、直辖市)身份证号填写完整率见表 3。宁夏回族自治区、吉林省、黑龙江省、山东省、海南省、西藏自治区、甘肃省、浙江省、福建省、山西省、安徽省、新疆维吾尔自治区、重庆市、内蒙古自治区、广西壮族自治区、天津市、贵州省、上海市、广东省、四川省、新疆生产建设兵团共 21 个省(自治区、直辖市)的身份证号码填写完整率达 80.0% 以上。

表 3 各省(自治区、直辖市)身份证号填写完整率

省(自治区、直辖市)	2015-2022 年有效病例数	填写身份证号例数	身份证号填写完整率 (%)	2022 年有效病例数	2022 填写身份证号例数	2022 身份证号填写完整率 (%)
广东	6188	5178	83.7	545	518	95.0
山东	3472	3335	96.1	337	336	99.7
重庆	2816	2511	89.2	299	298	99.7

省(自治区、直辖市)	2015-2022 年有效病例数	填写身份证号例数	身份证号填写完整率 (%)	2022 年有效病例数	2022 填写身份证号例数	2022 身份证号填写完整率 (%)
广西	2086	1847	88.5	271	271	100.0
四川	2546	2048	80.4	284	217	76.4
河北	1870	1457	77.9	216	216	100.0
陕西	1513	1122	74.2	207	204	98.6
上海	3050	2531	83.0	232	193	83.2
天津	2329	2008	86.2	196	192	98.0
湖北	2501	1983	79.3	173	172	99.4
贵州	1340	1149	85.7	168	164	97.6
浙江	2316	2169	93.7	140	137	97.9
新疆	1267	1128	89.0	118	118	100.0
安徽	1173	1051	89.6	111	110	99.1
山西	805	743	92.3	109	108	99.1
江苏	2494	1328	53.2	94	92	97.9
吉林	746	727	97.5	74	74	100.0
河南	2918	2305	79.0	74	74	100.0
海南	347	330	95.1	36	36	100.0
宁夏	310	306	98.7	34	34	100.0
内蒙古	303	270	89.1	33	33	100.0
黑龙江	490	473	96.5	31	31	100.0
福建	1738	1617	93.0	28	28	100.0
辽宁	880	689	78.3	27	27	100.0
湖南	1805	1256	69.6	20	20	100.0
江西	1028	779	75.8	9	9	100.0
青海	175	126	72.0	4	4	100.0
云南	1034	664	64.2	5	4	80.0
西藏	18	17	94.4	/	/	/
甘肃	281	265	94.3	/	/	/
兵团	27	22	81.5	/	/	/
北京	1204	872	72.4	/	/	/
合计	51070	42306	82.8	3875	3720	96.0



国家卫健委负责人赴上海儿童医学中心调研白血病工作

中国儿童白血病诊疗现状

儿童白血病诊疗登记数量情况

截止 2023 年 10 月 31 日，全国共上报儿童白血病发病病例 55348 例，其中 2015 年 -2022 年诊断的有效病例数为 51070 例。广东省上报例数最多，占总有效病例上报例数的 11.9%，其他各省（市、自治区）儿童白血病发病（登记）数见表 4 及其全国分布见图 1。2015-2022 各年度登记数见图 2。

图 1 2015-2022 年全国各省（自治区、直辖市）儿童白血病发病（登记）有效病例分布

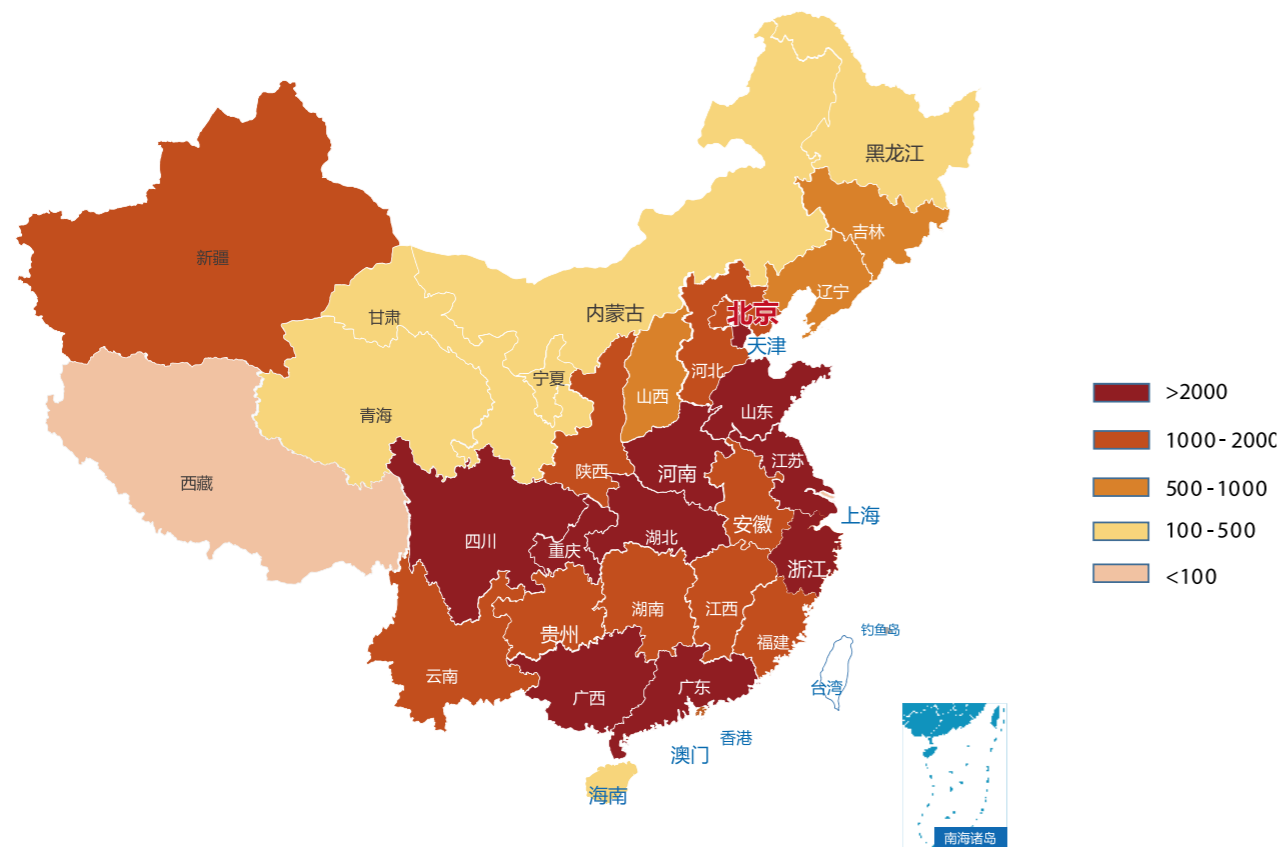
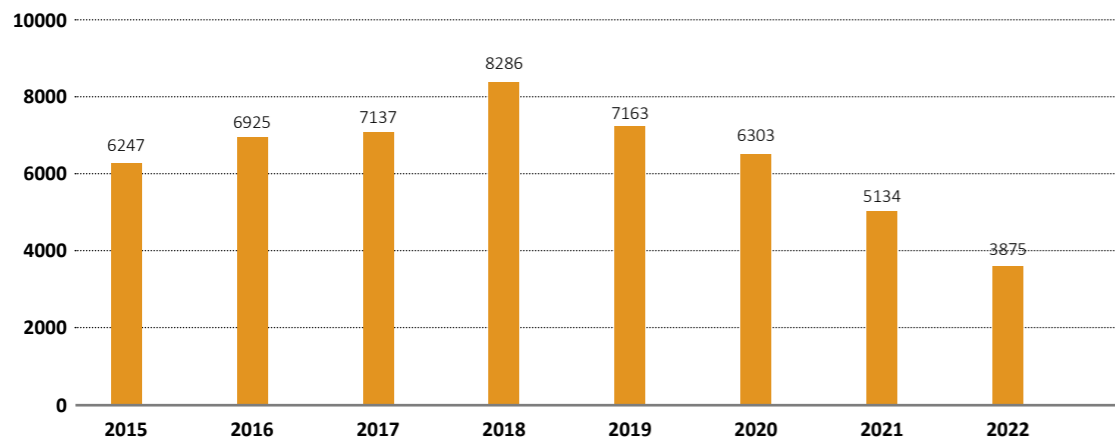


表 4 2015-2022 年各省（自治区、直辖市）儿童白血病发病（登记）有效病例数

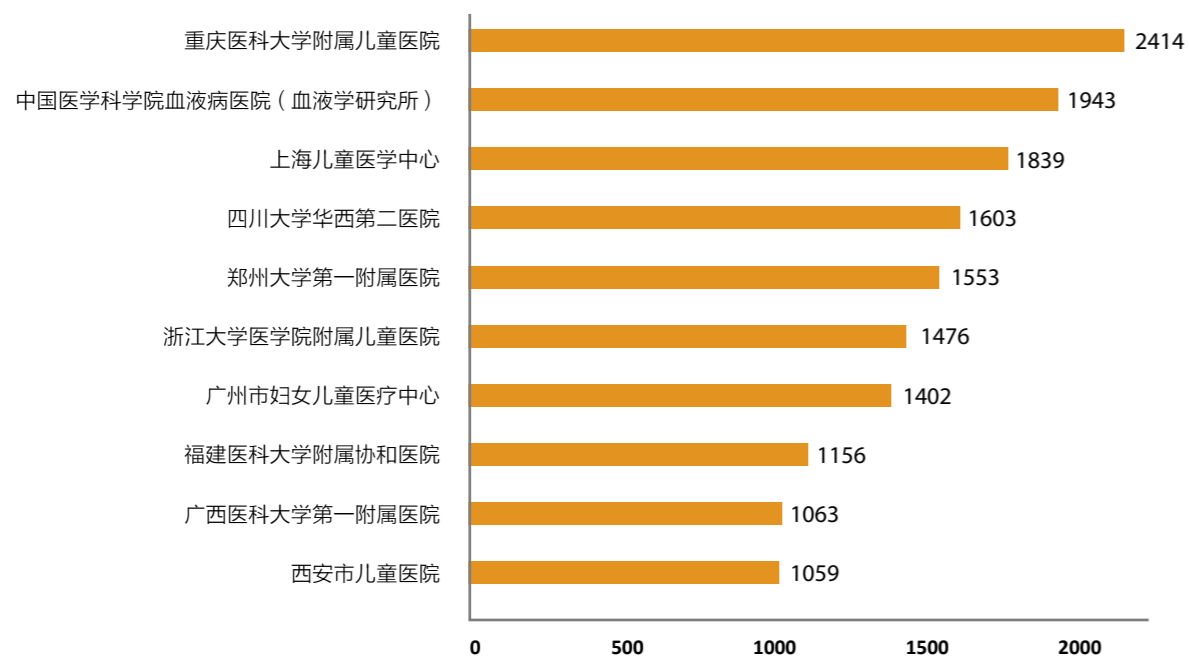
省（自治区、直辖市）	2015-2022 年有效病例数	2022 年有效病例数	2015-2022 占全国上报总数比例（%）	2022 占全国上报总数比例（%）
广东	6188	677	12.1	13.7
山东	3472	435	6.8	8.8
上海	3050	249	6.0	5.0
河南	2918	102	5.7	2.1
重庆	2816	346	5.5	7.0
四川	2546	354	5.0	7.2
湖北	2501	343	4.9	6.9
江苏	2494	190	4.9	3.8
天津	2329	257	4.6	5.2
浙江	2316	162	4.5	3.3
广西	2086	294	4.1	6.0
河北	1870	236	3.7	4.8
湖南	1805	68	3.5	1.4
福建	1738	36	3.4	0.7
陕西	1513	217	3.0	4.4
贵州	1340	191	2.6	3.9
新疆	1267	117	2.5	2.4
北京	1204	76	2.4	1.5
安徽	1173	130	2.3	2.6
云南	1034	46	2.0	0.9
江西	1028	13	2.0	0.3
辽宁	880	30	1.7	0.6
山西	805	121	1.6	2.4
吉林	746	90	1.5	1.8
黑龙江	490	39	1.0	0.8
海南	347	37	0.7	0.7
宁夏	310	34	0.6	0.7
内蒙古	303	42	0.6	0.9
甘肃	281	1	0.6	0.0
青海	175	6	0.3	0.1
兵团	27	0	0.1	0.0
西藏	18	1	0.0	0.0
合计	51070	4940	100	100

图 2 2015-2022 年儿童白血病诊疗登记数量情况



2015-2022 年，儿童白血病诊疗信息上报数量排名前十位的医疗机构是：重庆医科大学附属儿童医院（重庆市）、中国医学科学院血液病医院（天津市）、上海交通大学医学院附属上海儿童医学中心（上海市）、四川大学华西第二医院（四川省）、郑州大学第一附属医院（河南省）、浙江大学医学院附属儿童医院（浙江省）、广州市妇女儿童医疗中心（广东省）、福建医科大学附属协和医院（福建省）、广西医科大学第一附属医院（广西壮族自治区）、西安市儿童医院（陕西省）（图 3）。

图 3 2015-2022 年上报有效白血病病例数排名前 10 位医院



1. 省级 / 市级医疗机构儿童白血病发病 (登记) 数

2015-2022 年，省级医疗机构共计上报有效病例 42160 例 (82.6%)，市级医疗机构共计上报有效病例 8395 例 (16.4%)，非定点医院共计上报有效病例 516 例 (1.0%)，见图 4。2015-2022 年省级及市级医疗机构儿童白血病发病 (登记) 有效病例数见图 5。

图 4 2015-2022 年各类型医疗机构儿童白血病发病 (登记) 有效病例上报分布

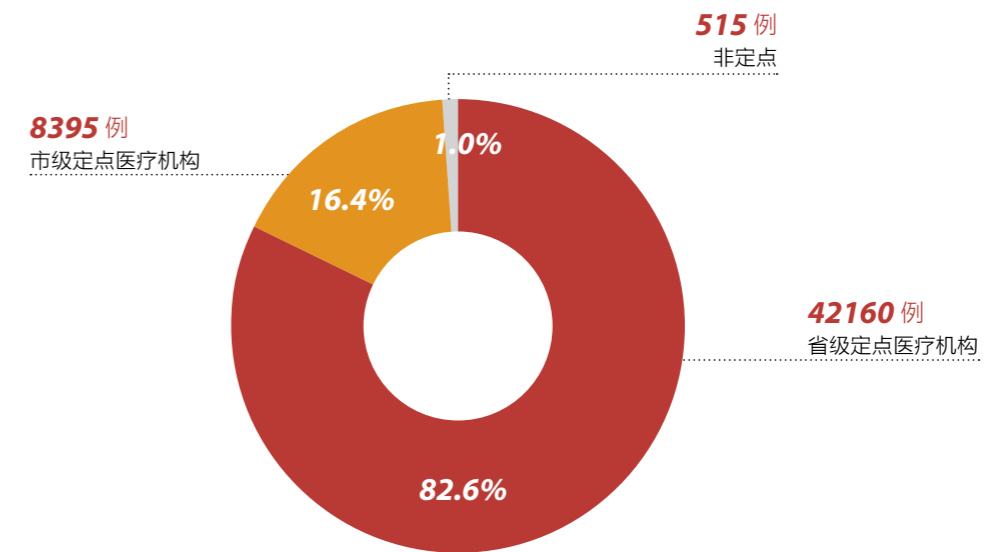
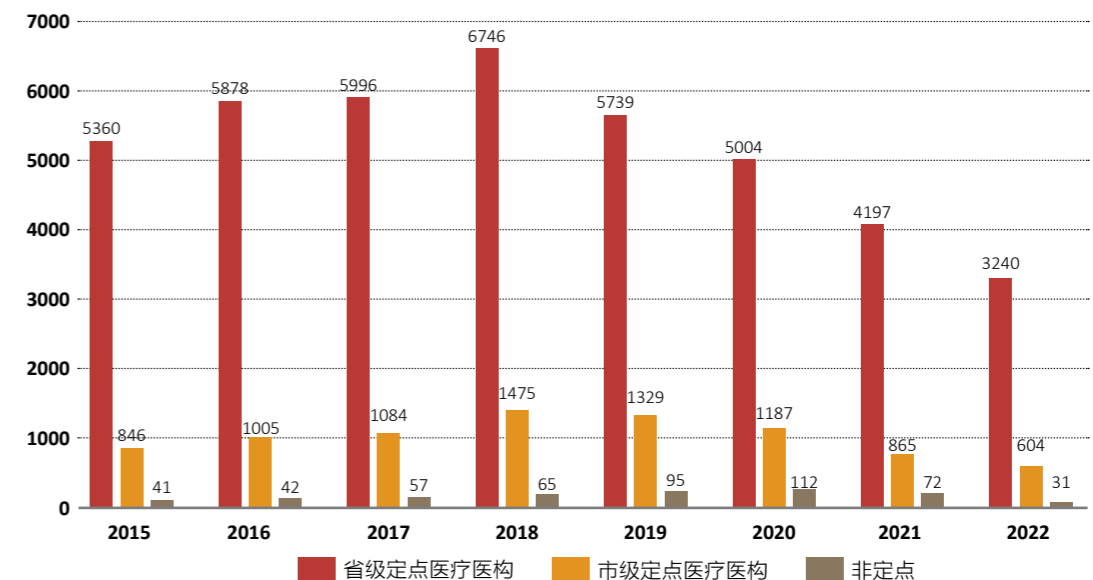


图 5 2015-2022 年省级及市级医疗机构儿童白血病发病 (登记) 有效病例数



2. 综合 / 儿童专科医疗机构儿童白血病发病（登记）数

2015-2022年，综合性医院共计上报病例30560例（59.8%），儿童专科医疗机构共计上报病例20510例（40.2%），见图6。2015-2022年综合及儿童专科医疗机构儿童白血病发病（登记）有效病例数，见图7。

图6 2015-2022年综合及儿童专科医疗机构上报儿童白血病发病（登记）有效病例分布

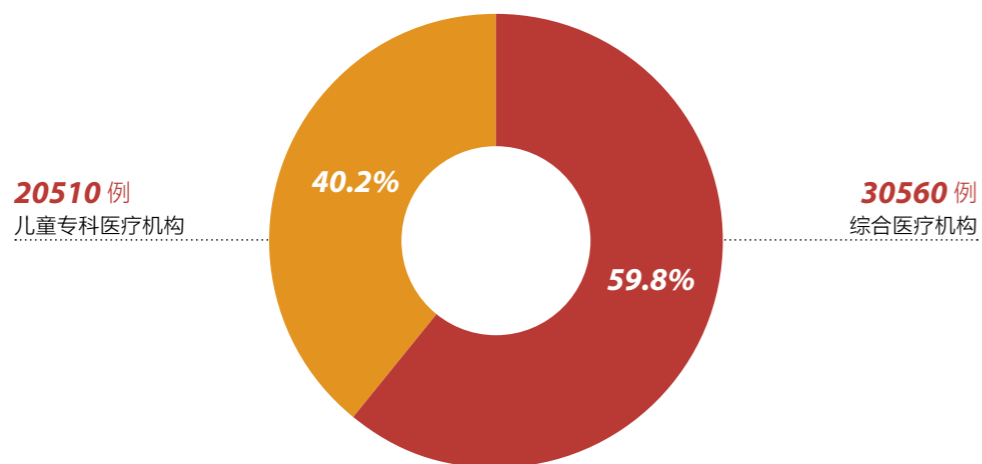
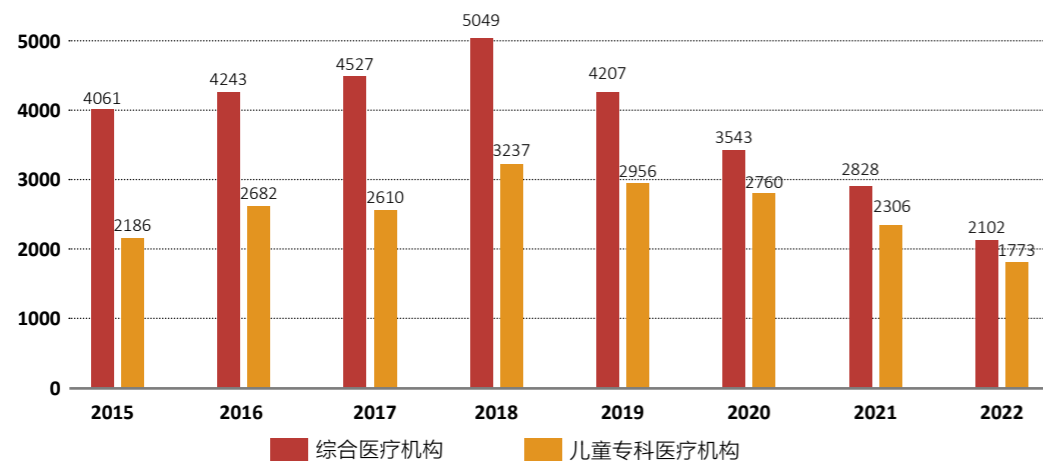


图7 2015-2021年综合及儿童专科医疗机构儿童白血病发病（登记）有效病例数



儿童白血病诊疗登记患儿年龄、性别构成

从发病性别来看，男性占比较女性高，占57.5%；男女比例1.35:1，从发病年龄来看，1-5岁为发病高峰，占42.5%。2015-2022年儿童白血病诊疗登记患儿年龄性别构成见图8-9。儿童白血病诊疗登记患儿分年龄性别数量见图10。

图8 2015-2022年全国儿童白血病诊疗登记患儿性别构成

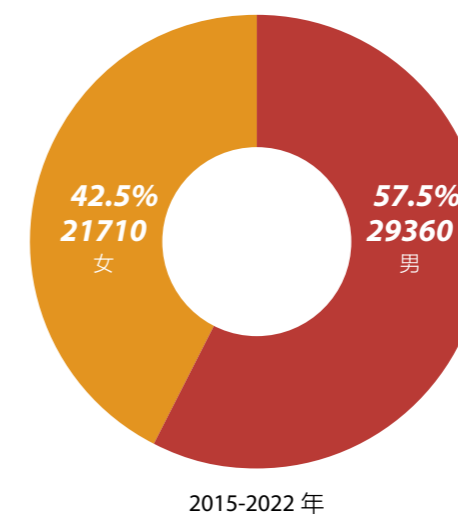


图9 2015-2022年全国儿童白血病诊疗登记患儿年龄构成

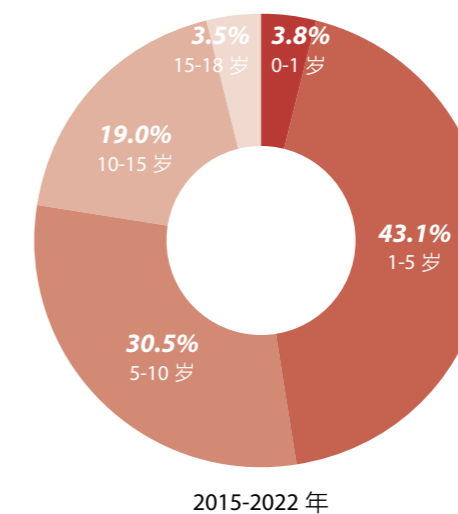
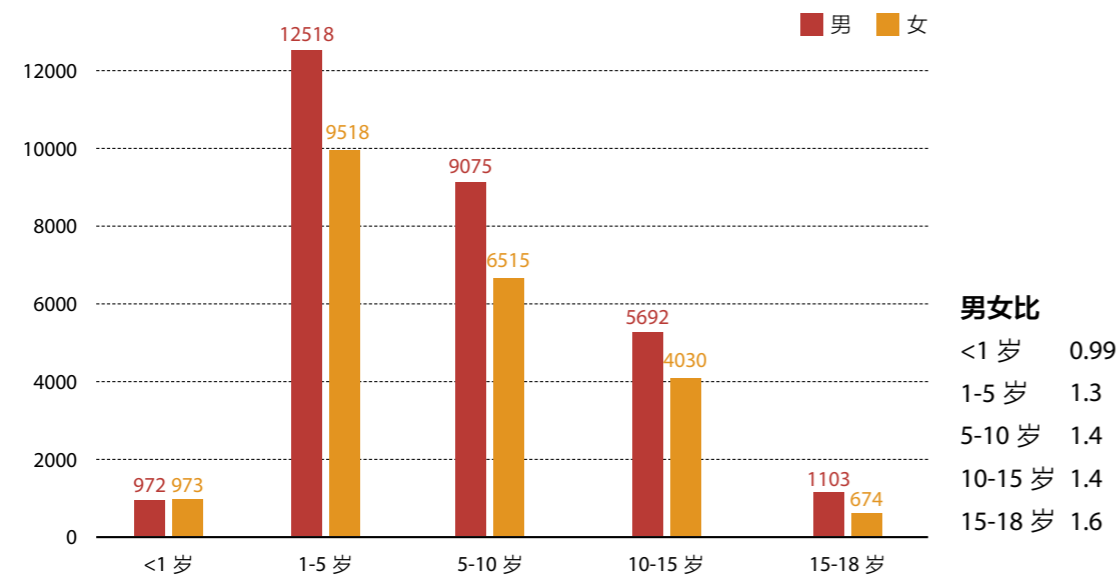


图 10 2015-2022 年儿童白血病诊疗登记患儿分年龄性别数量



在 2015-2022 年上报病例的性别构成上，省级医疗机构上报病例的男性比例（57.9%）稍高于市级医疗机构（55.5%），见图 11-1，图 11-2；综合医疗机构上报病例的男性（58.0%）比例稍高于儿童专科医疗机构（56.8%），见图 11-3，图 11-4。

图 11-3 2015-2022 年综合医疗机构儿童白血病诊疗登记患儿性别构成

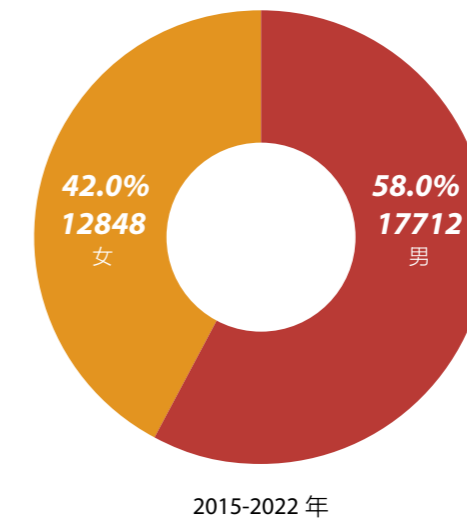
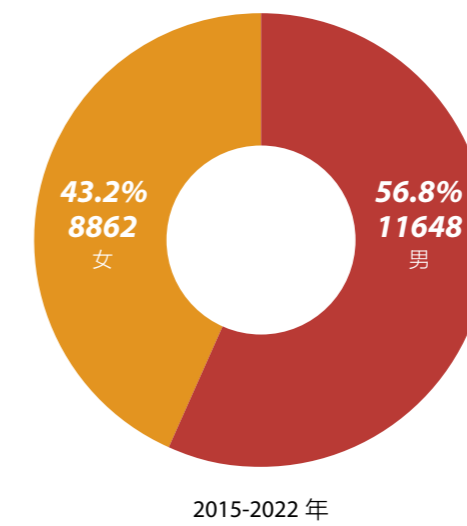
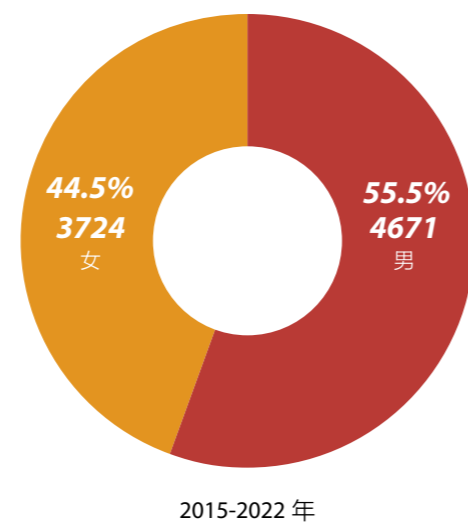
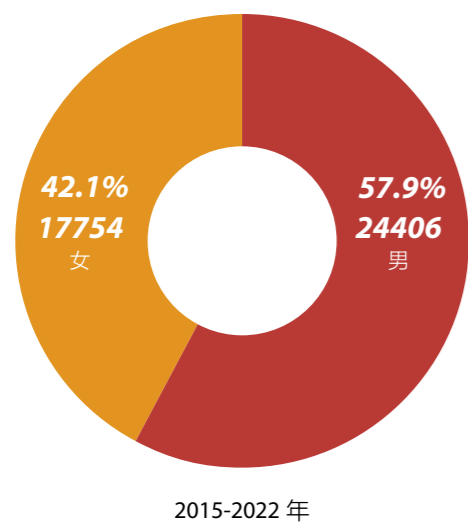


图 11-1 2015-2022 年省级医疗机构儿童白血病诊疗登记患儿性别构成

图 11-2 2015-2022 年市级医疗机构儿童白血病诊疗登记患儿性别构成

图 11-4 2015-2022 年儿童专科医疗机构儿童白血病诊疗登记患儿性别构成



在 2015-2022 年上报年龄构成上, 省级医疗机构与市级医疗机构上报病例的年龄分布比例相差不大 (图 12-1, 12-2)。在综合性医院及儿童专科医院中发病高峰均为 1-5 岁, 但 1-5 岁在综合性医院中占 39.4%, 低于儿童专科医院中 44.8% 的占比; 在综合性医院中 10-15 岁、15-18 岁两个年龄段儿童白血病占比分别为 21.9% 和 5.3%, 高于儿童专科医院中 14.8% (10-15 岁) 和 0.7% (15-18 岁) (图 12-3, 12-4)。

图 12-1 2015-2022 年省级医疗机构儿童白血病诊疗登记患儿年龄构成

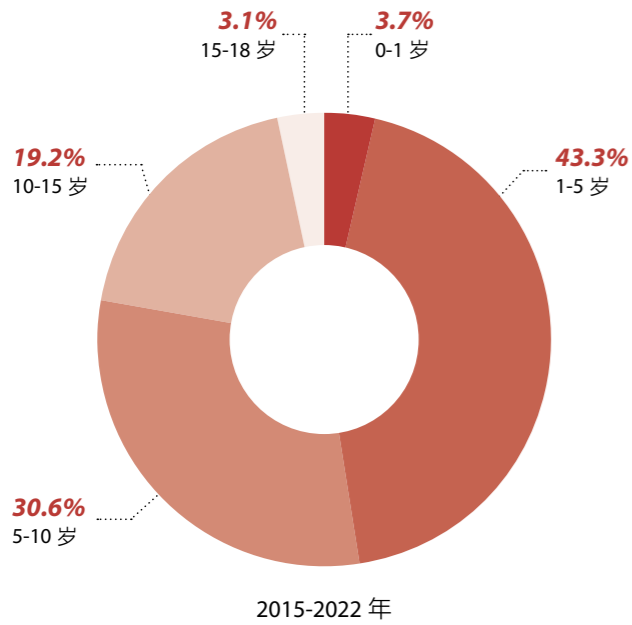


图 12-2 2015-2022 年市级医疗机构儿童白血病诊疗登记患儿年龄构成

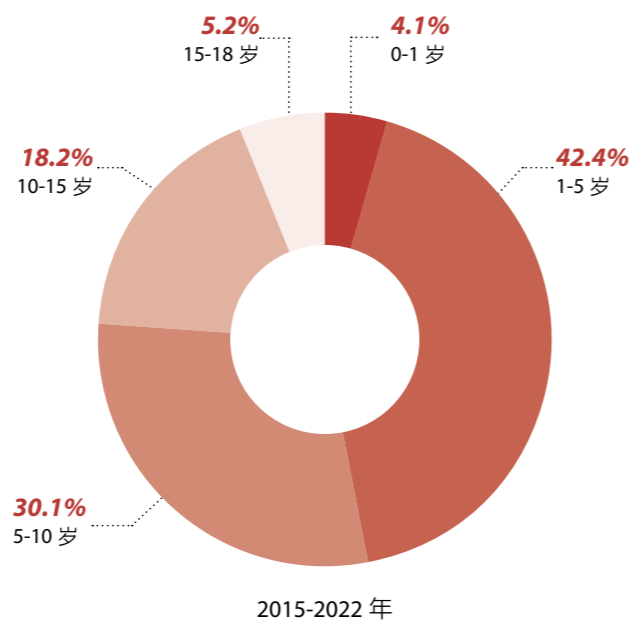


图 12-3 2015-2022 年综合医疗机构儿童白血病诊疗登记患儿年龄构成

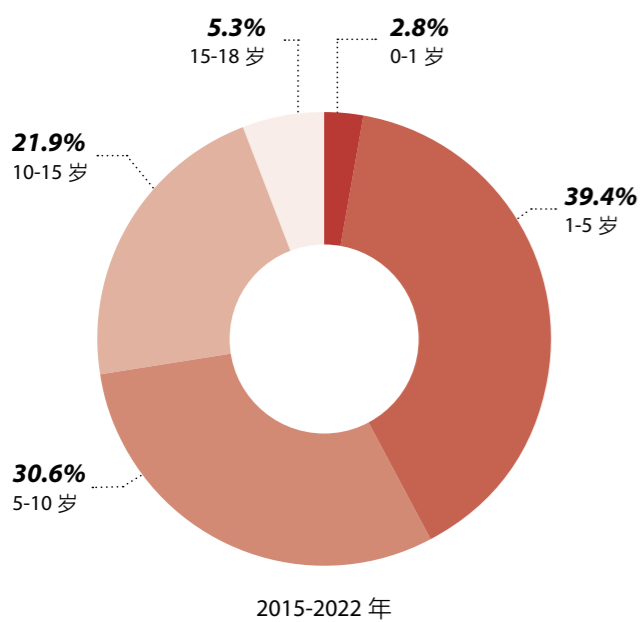
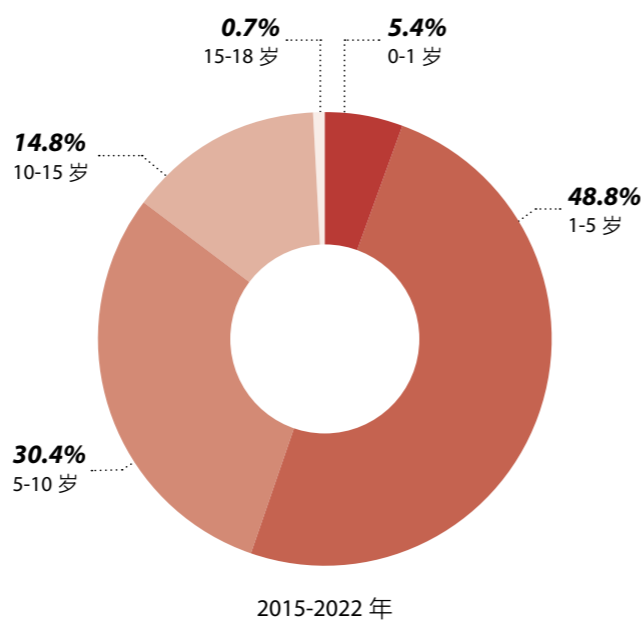


图 12-4 2015-2022 年儿童专科医疗机构儿童白血病诊疗登记患儿年龄构成

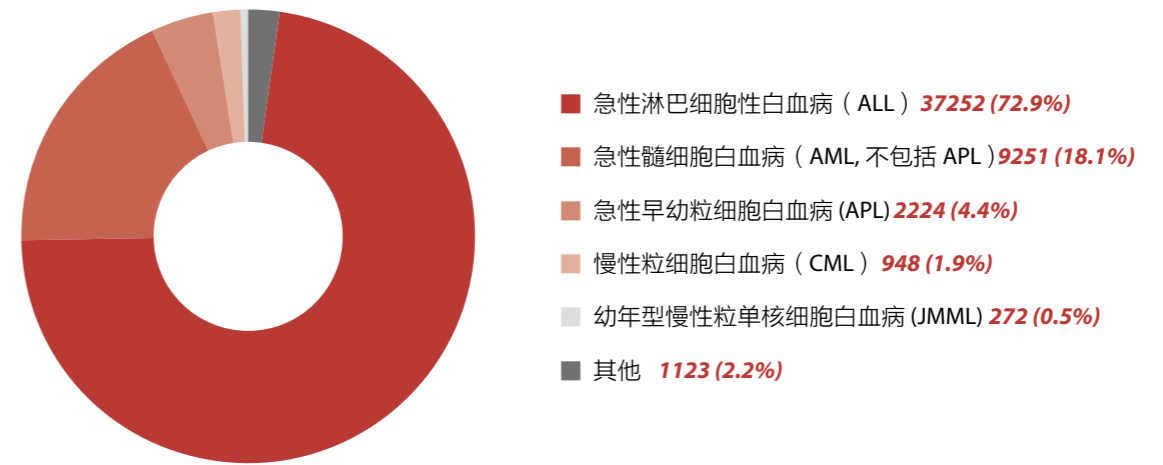


儿童白血病诊疗登记患儿病种构成情况

急性淋巴细胞性白血病 (不包括成熟 B 细胞) 比例最高, 占儿童白血病的 72.9%。2015-2022 年全国儿童白血病类别构成见图 13。



图 13 2015-2022 年全国儿童白血病类别



我国东部、中部、西部、东北部各区域儿童白血病类别构成情况见图 14，各区域 2015-2022 年上报白血病类别构成基本一致。

图 14-1 2015-2022 年东部地区儿童白血病类别

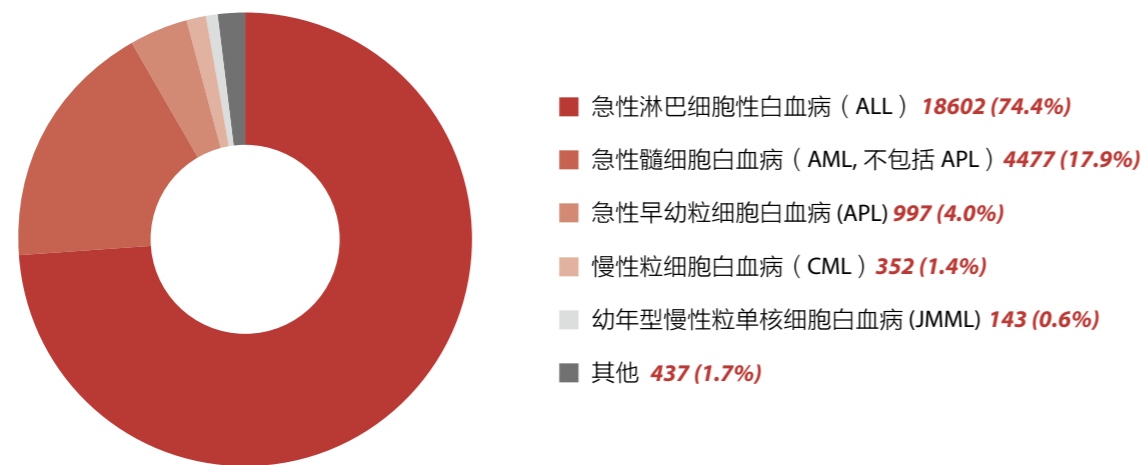


图 14-3 2015-2022 年西部地区儿童白血病类别

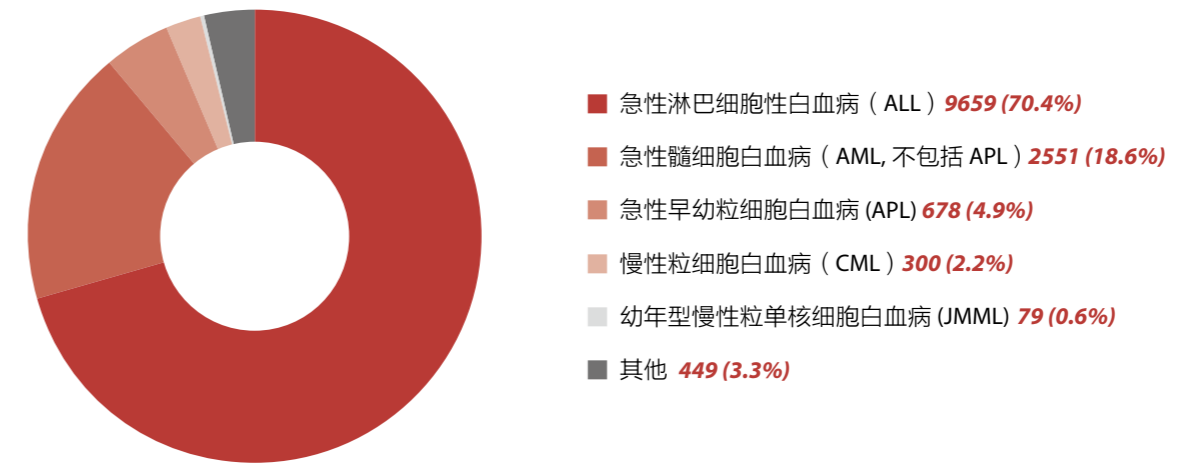


图 14-2 2015-2022 年中部地区儿童白血病类别

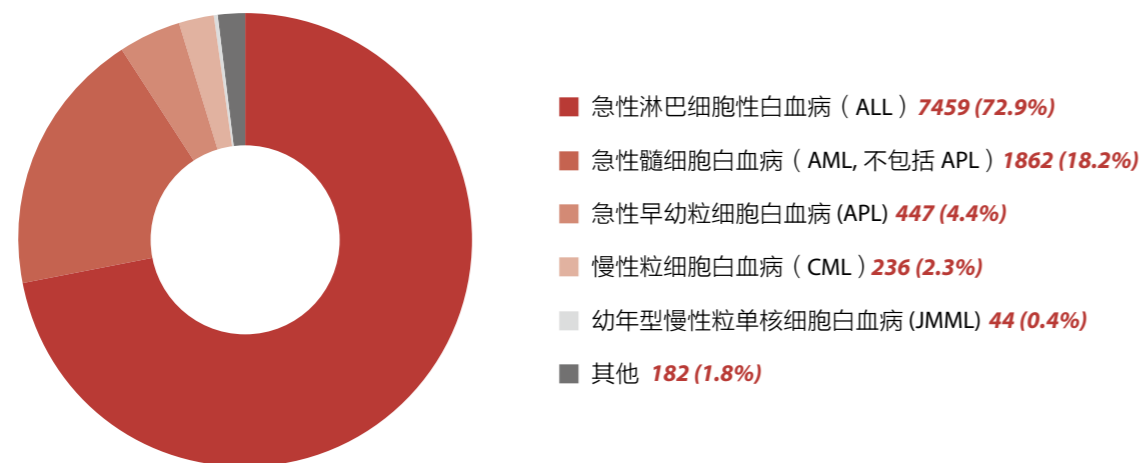
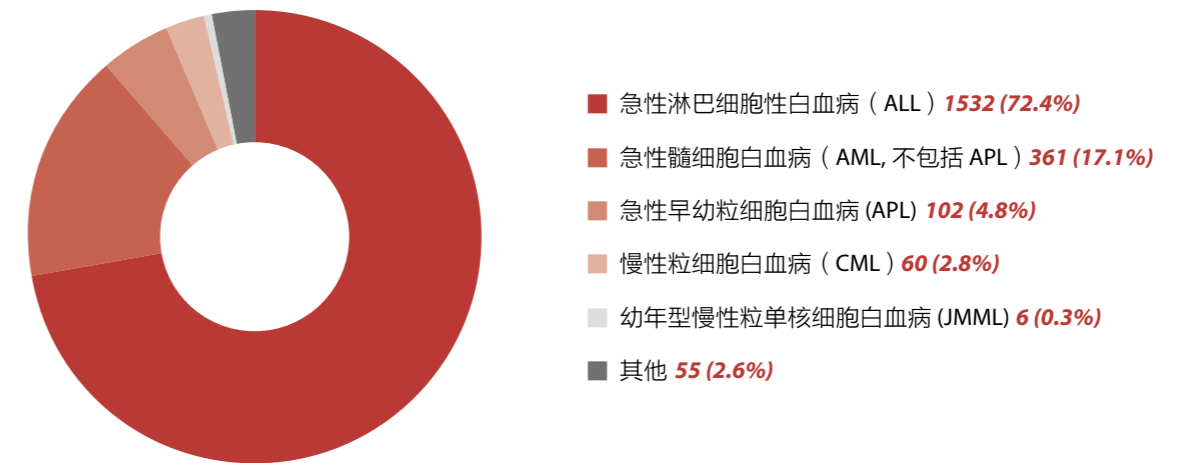


图 14-4 2015-2022 年东北部地区儿童白血病类别



2015-2022 年全国省级及市级医疗机构儿童白血病类别构成情况见图 15。2015-2022 年综合性医院及儿童专科医院儿童白血病类别构成情况见图 16。

图 15-1 2015-2022 年省级医疗机构儿童白血病类别构成

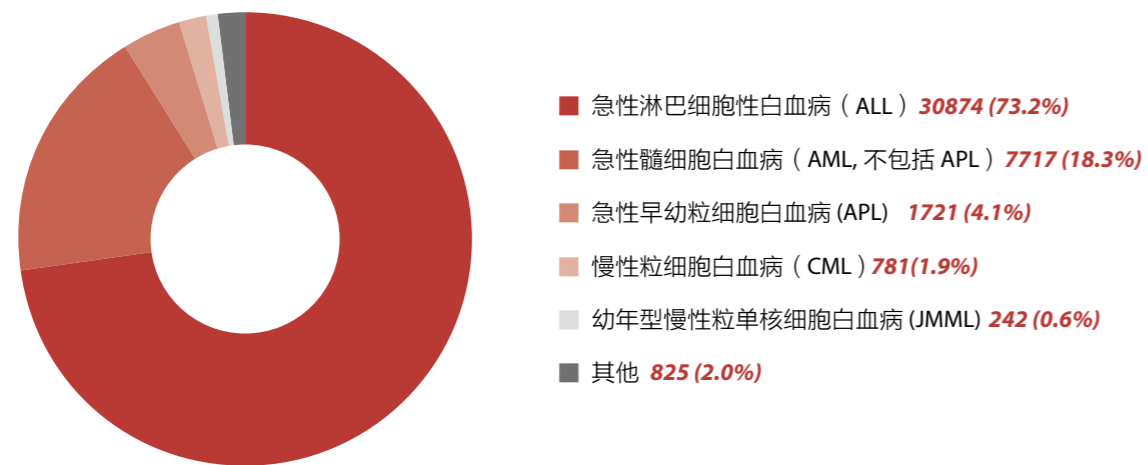


图 16-1 2015-2022 年综合医疗机构儿童白血病类别构成

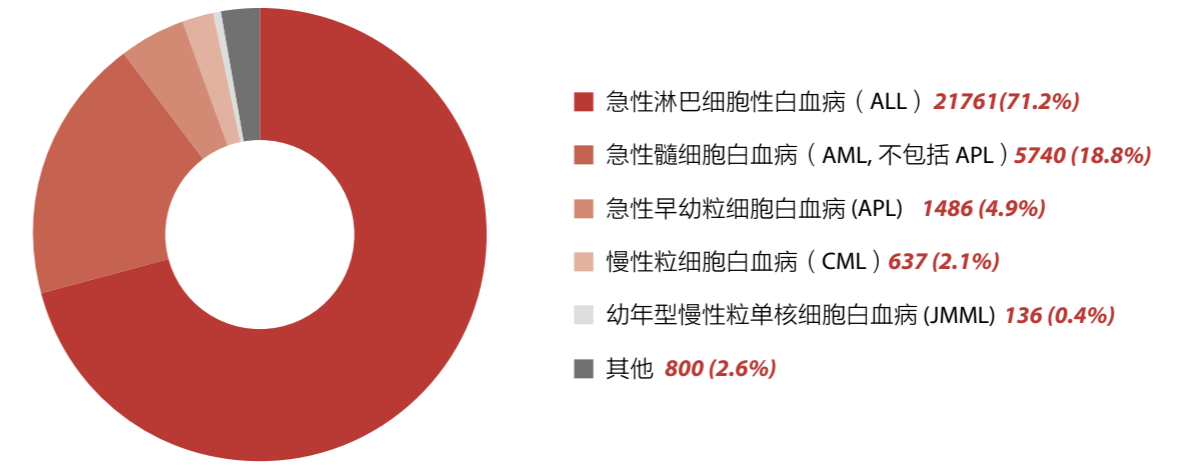


图 15-2 2015-2022 年市级医疗机构儿童白血病类别构成

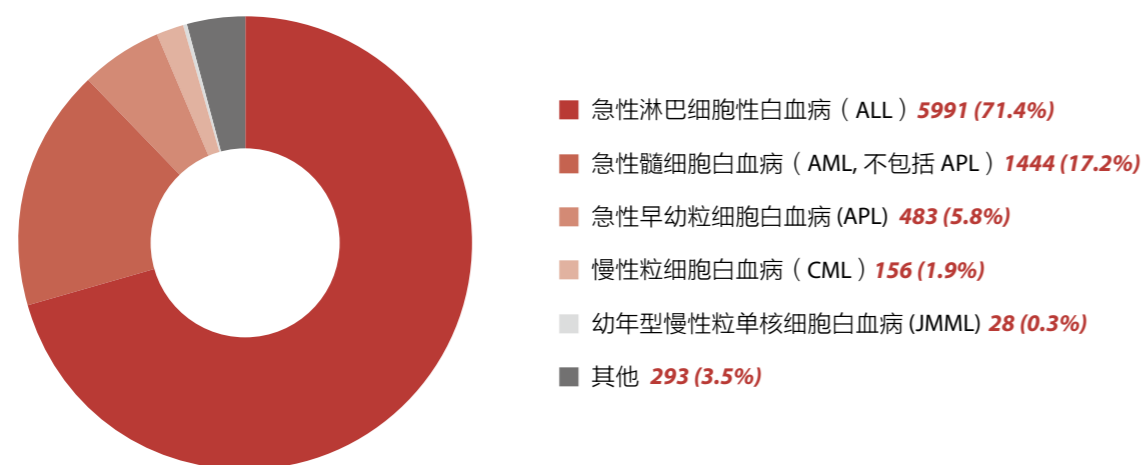
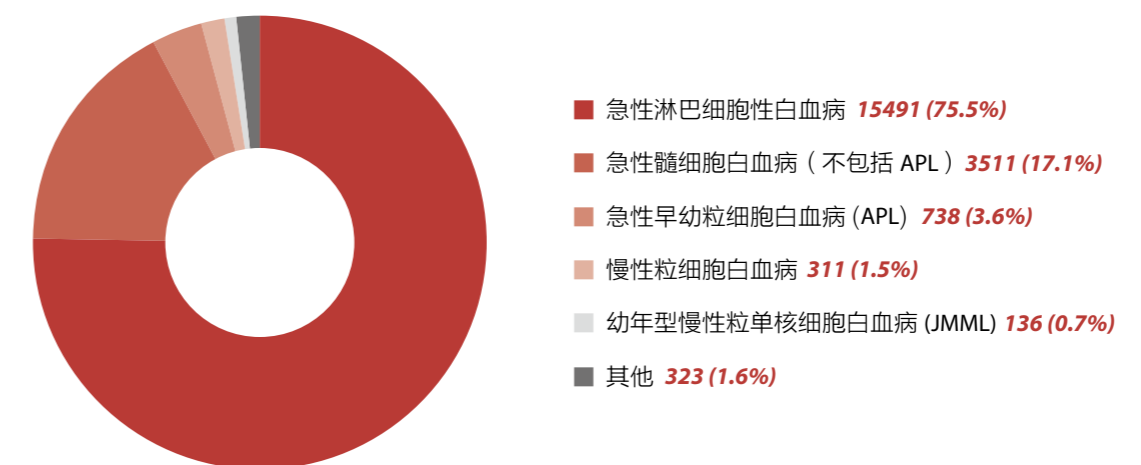


图 16-2 2015-2022 年儿童专科医疗机构儿童白血病类别构成



儿童白血病年发病率估算

根据儿童白血病诊疗信息登记管理系统中全国各省（自治区、直辖市）上报例数，计算得到 2015-2021 年全国各省（自治区、直辖市）0-14 岁儿童白血病年新发病例平均登记率为 28.2/ 百万。因为上报情况差异，各省（自治区、直辖市）间年新发病例登记率差异较大（附表 4），从 11.6/ 百万至 52.8/ 百万不等。为减少上报率差异等因素的影响，对全国儿童白血病发病率以抽样方式开展估算。

发病率估算方法：

（一）抽样省份选择：根据现可获得的指标，在本报告中估算发病率省份的选取标准为：（1）本省医疗机构上报率大于 90%；（2）本省无治疗信息患儿比例少于 10%；（3）最新上报数据时间在 2023 年 6 月 30 日后。根据此标准，浙江、上海、黑龙江、福建、广东、天津及重庆 7 个省（市）被列入发病率估算的样本省（市）。

（二）估算数据年份选择：由于 2022 年数据上报量明显下降，因此平均年发病率估算选择 2015-2021 年 7 年的平均年发病率。

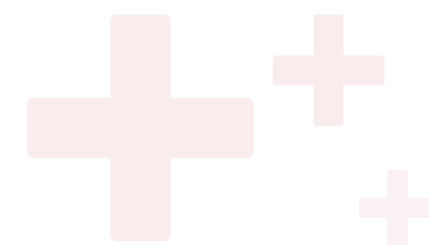
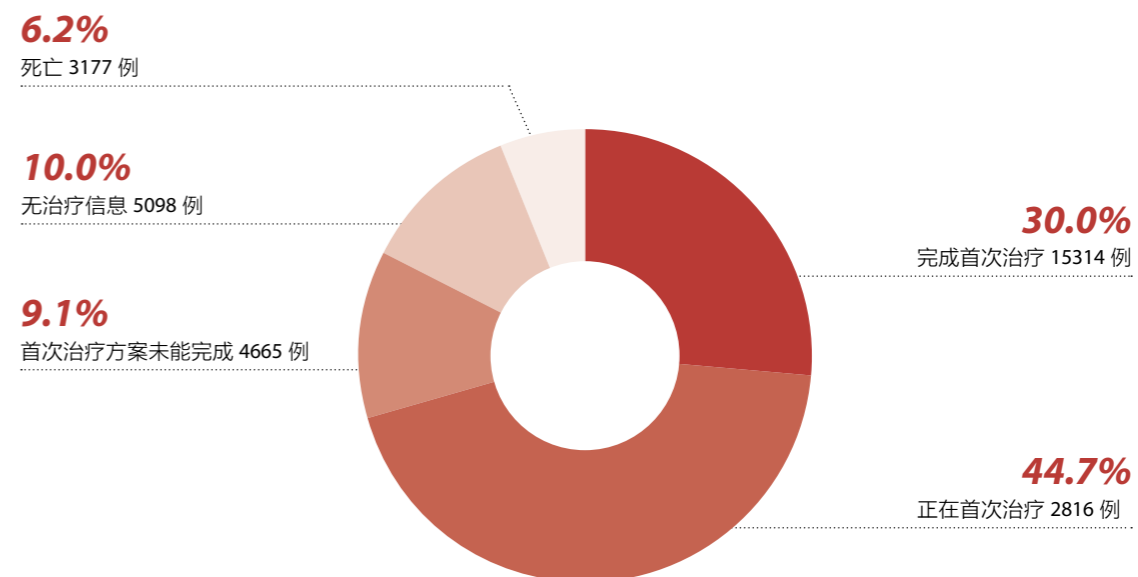
（三）估算年龄确认：在本登记系统中 15-18 岁的儿童白血病患者占比仅为 3.5%，明显低于国际上该年龄段发病占比（15% 左右），提示该年龄段遗漏病例数较多，因此仅估算 0-14 岁年龄段发病率。

儿童白血病诊疗登记患儿治疗情况

1. 儿童白血病患者治疗状态分布

除去 5098 例无治疗信息病人，系统内 45972 例有效病例中有 15314 例（30.0%）完成首次治疗、22816 例（44.7%）正在治疗中、4665 例（9.1%）首次治疗方案开始后未完成（包括终止首治方案、转诊至其他医疗机构未上报、放弃治疗等）、3177 例（6.2%）死亡（图 17）。

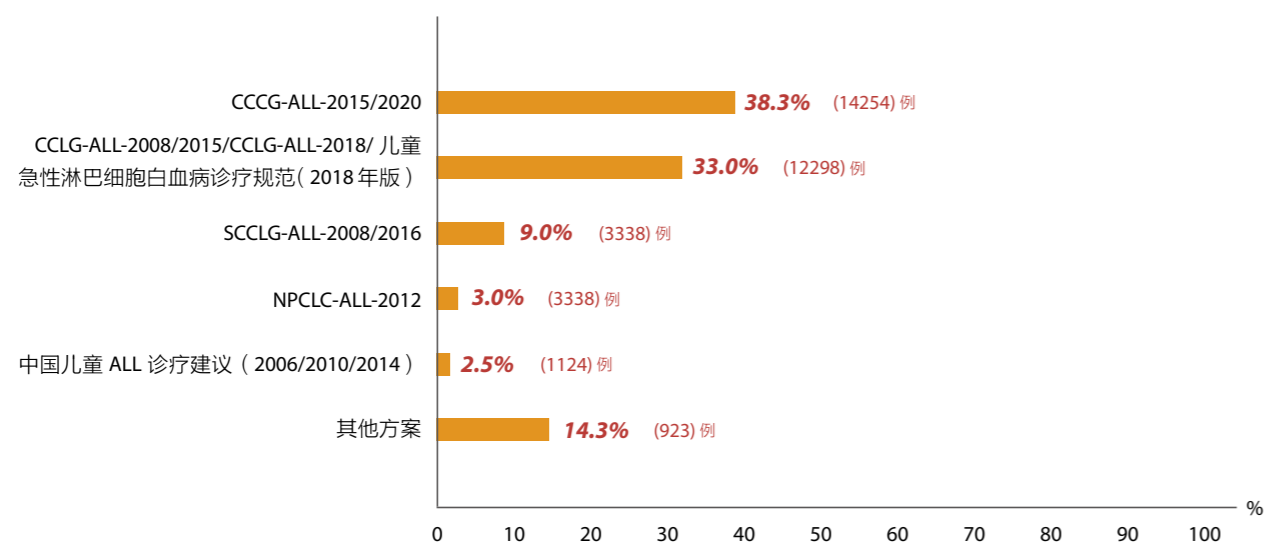
图 17 2015-2021 年儿童白血病患者治疗状态分布



2. 儿童白血病治疗方案

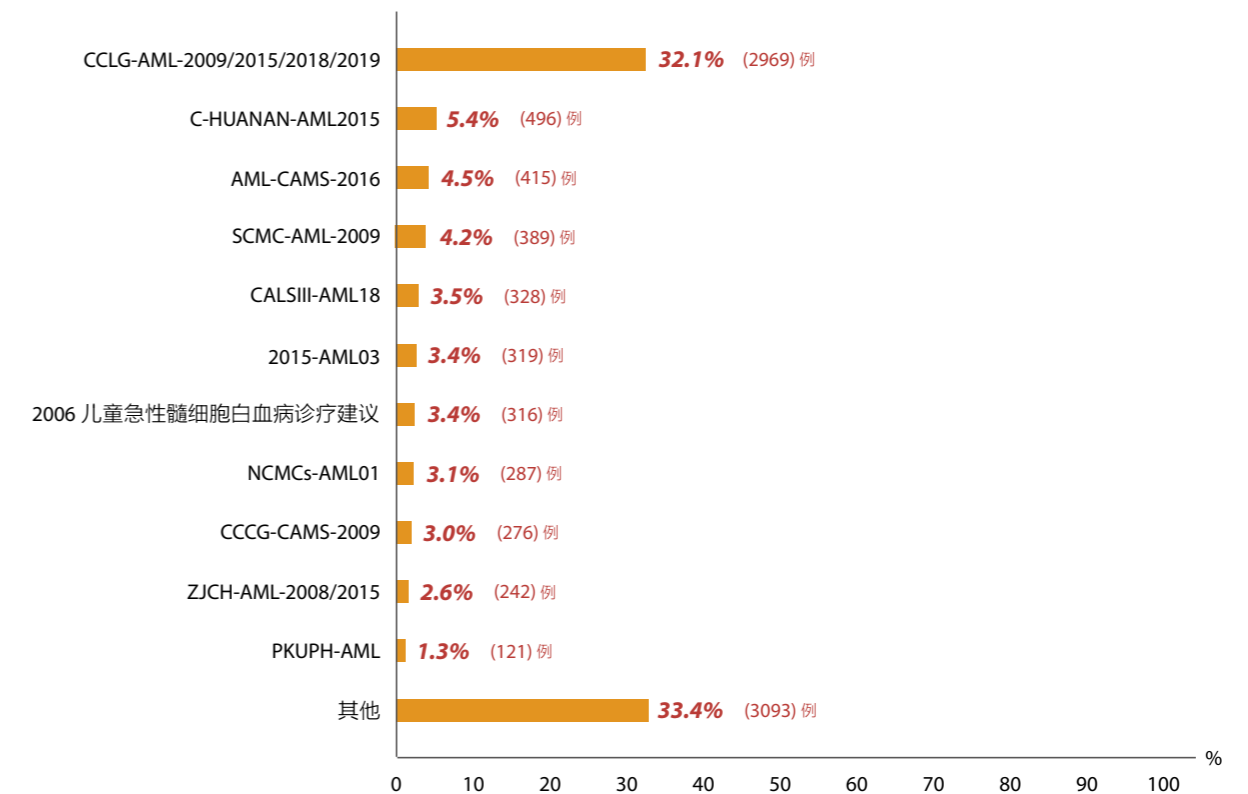
各个类别儿童白血病广泛使用的治疗方案名称及使用占比见图 18。在 2015-2022 年登记的全部有治疗方案的急性淋巴细胞白血病患者中, 使用占比超过 1% 的方案有 CCGG-ALL-2015/2020、CCLG-ALL-2008/2015/2018/ 儿童急性淋巴细胞白血病诊疗规范(2018 年版)、SCCLG-ALL-2008/2016、NPCLC-ALL-2012、中国儿童 ALL 诊疗建议(2006/2010/2014) 5 个方案, 其中 CCGG-ALL-2015/2020 方案占比最高, 占有治疗方案的急性淋巴细胞白血病患儿的 38.3% (图 18-1)。

图 18-1 2015-2022 年全国儿童白血病方案使用情况 -- 急性淋巴细胞白血病



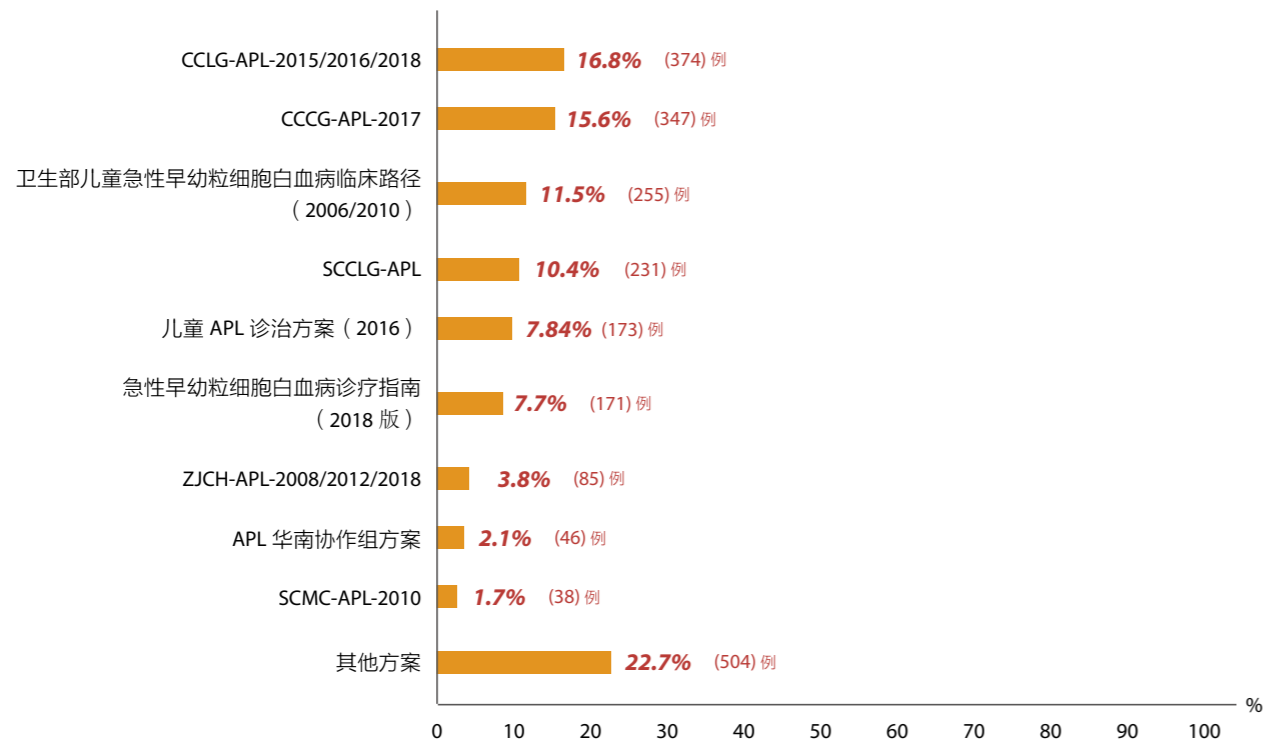
2015-2022 年登记的全部有治疗方案的急性髓细胞白血病 (不包括 APL) 患儿中, 使用占比超过 1% 的方案有 CCLG-AML-2009/2015/2018/2019、C-HUANAN-AML2015、AML-CAMS-2016、SCMC-AML-2009、CALSI-AML18、2015-AML03、2006 儿童急性髓细胞白血病诊疗建议、NCMCs - AML01、CCCG-CAMS-2009、ZJCH-AML-2008/2015、PKUPH-AML 方案, 其中 CCLG-AML-2009/2015/2018/2019 方案占比最高, 占有治疗方案的急性髓细胞白血病登记患儿的 32.1% (图 18-2)。

图 18-2 2015-2022 年全国儿童白血病方案使用情况 -- 急性髓细胞白血病 (不包括 APL)



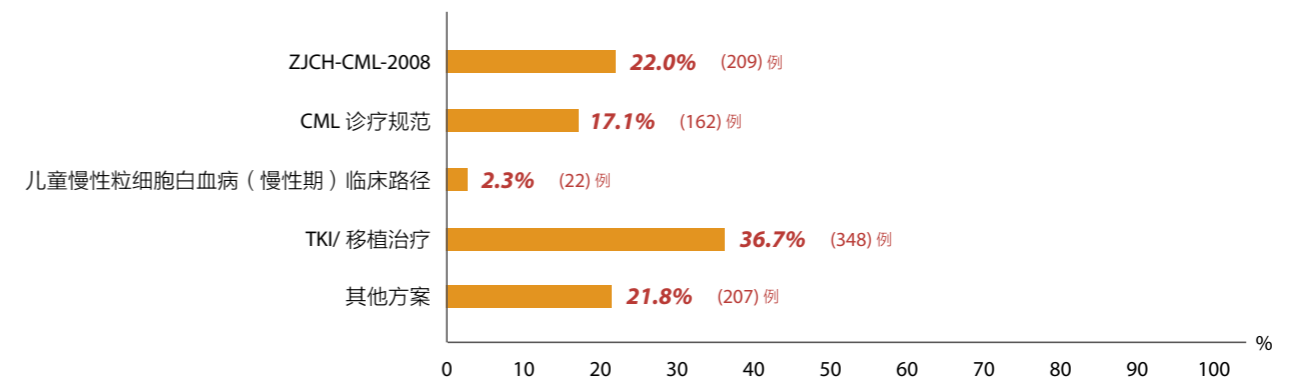
2015-2022 年登记的全部有治疗方案的急性早幼粒细胞白血病 (APL) 患儿中, 使用占比超过 1% 的方案有 CCLG-APL-2015/2016/2018、CCCG-APL-2017、卫生部儿童急性早幼粒细胞白血病临床路径 (2006/2010)、SCCLG-APL、儿童 APL 诊治方案 (2016)、中国急性早幼粒细胞白血病诊疗指南 (2018 版)、ZJCH-APL-2008/2012/2018、APL 华南协作组方案、SCMC-APL-2010 共 9 个方案, 其中 CCLG-APL-2015/2016/2018 方案占比最高, 占有治疗方案的急性早幼粒细胞白血病登记患儿的 16.8% (图 18-3)。

图 18-3 2015-2022 年全国儿童白血病方案使用情况 -- 急性早幼粒细胞白血病 (APL)



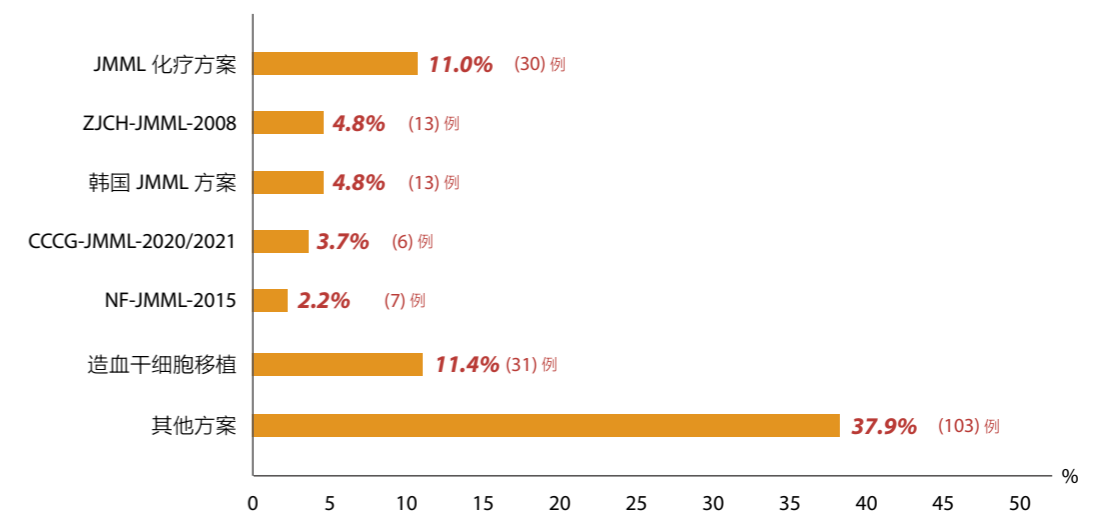
2015-2022 年登记的全部有治疗方案的慢性粒细胞白血病患者中, 使用占比超过 1% 的方案有 ZJCH-CML-2008、CML 诊疗规范、儿童慢性粒细胞白血病 (慢性期) 临床路径共 3 个方案, 其中 ZJCH-CML-2008 方案占比最高, 占有治疗方案的慢性粒细胞白血病登记患儿的 22.0%。另外, 36.7% 的慢性粒细胞白血病仅标注 TKI/ 移植治疗 (图 18-4)

图 18-4 2015-2022 年全国儿童白血病方案使用情况 -- 慢性粒细胞白血病 (CML)



2015-2022 年登记的全部有治疗方案的幼年型慢性粒单核细胞白血病 (JMML) 患儿中, 使用占比较高的方案有以下 5 个: JMML 化疗方案、ZJCH-JMML-2008、韩国 JMML 方案、CCCG-JMML-2020/2021 和 NF-JMML-2015 方案, 其中 JMML 化疗方案占比最高, 占有治疗方案的幼年型慢性粒单核细胞白血病登记患儿的 11.4% (图 18-5)。另外有 11.4% 仅登记造血干细胞移植。

图 18-5 2015-2022 年全国儿童白血病方案使用情况 -- 幼年型慢性粒单核细胞白血病 (JMML)



3. 无治疗信息患儿情况

2015-2022 年有效儿童白血病病例 51070 例中有 5098 例患儿在系统中未查到任何治疗信息, 可能在非定点诊疗机构中接受治疗或在转诊过程中还未开始接受治疗, 占有效病例数的 10.0%。

各不同白血病类别未治疗患儿比例见图 19, 其中幼年型慢性粒单核细胞白血病 (JMML) 未治患儿占该类型患儿总数的 46.3%。在不同类别儿童白血病中未治疗患儿例数见图 20, 急性淋巴细胞白血病未治疗患儿人数最多 (2654 例), 未治患儿占该类型患儿总数的 7.1%。

无治疗信息患儿比例最高的户籍所在地省 (自治区、直辖市) 大于 15% 的省份为: 新疆维吾尔自治区、青海省、云南省、西藏自治区、吉林省和贵州省 (表 6)。2015-2022 年及 2022 年全国省级及市级医疗机构儿童白血病无治疗信息构成情况见图 21。

图 19 2015-2022 年全国各儿童白血病类别中未治疗患儿比例

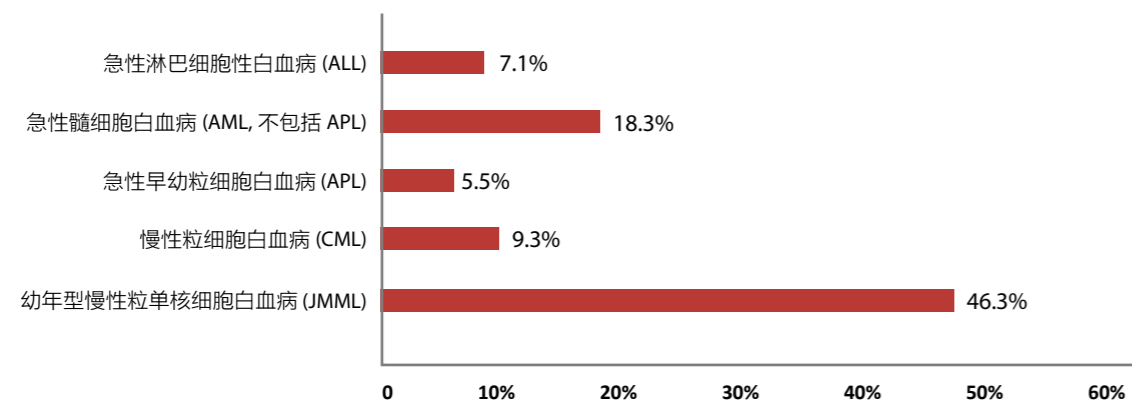


图 20 2015-2022 年全国儿童白血病未治疗患儿疾病类别例数

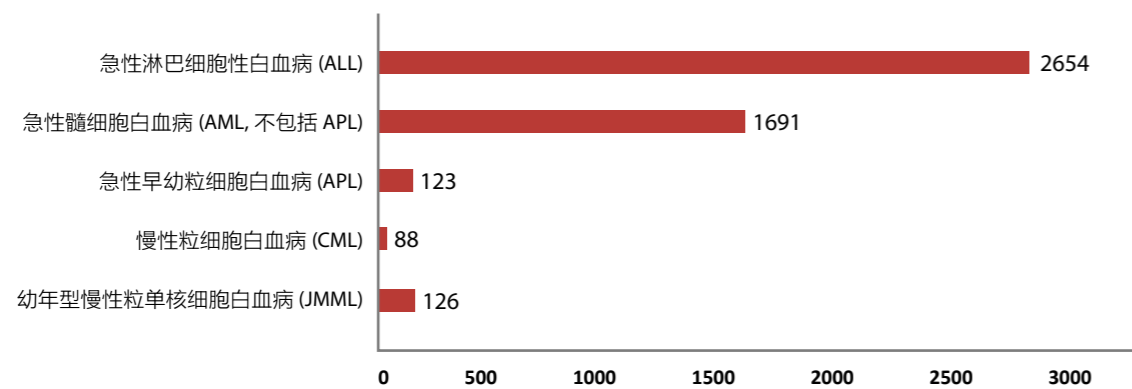


图 21 无治疗信息儿童白血病根据户籍所在地省 (自治区、直辖市) 比例分布情况

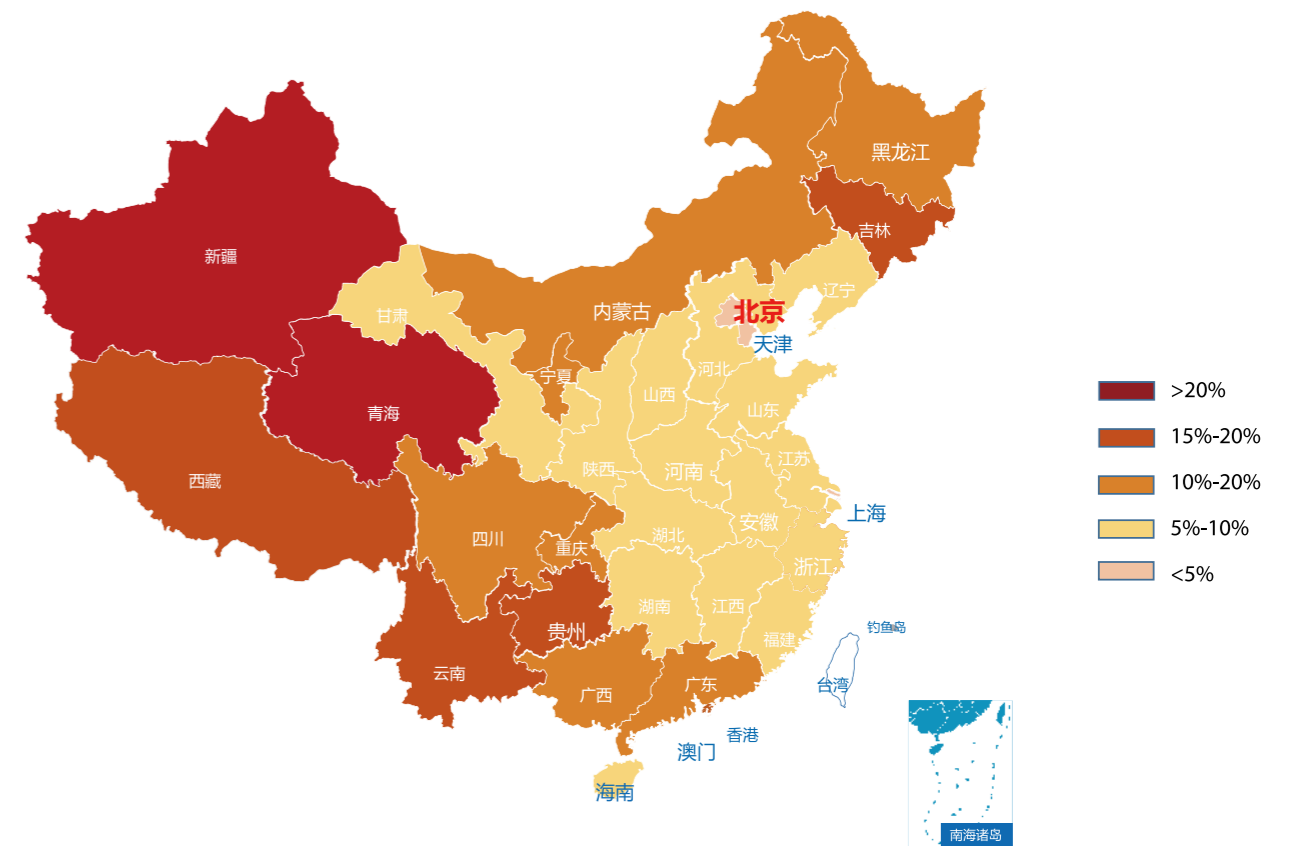


表 6 无治疗信息儿童白血病根据户籍所在地省 (自治区、直辖市) 情况

省 (自治区、直辖市)	2015-2022 年有效病例合计	无治疗信息例数	比例 (%)
新疆	1350	354	26.2
青海	207	43	20.8
云南	1204	226	18.8
西藏	79	14	17.7
吉林	851	135	15.9
贵州	1923	296	15.4
宁夏	328	46	14.0
广西	2349	302	12.9
四川	3412	426	12.5
黑龙江	679	82	12.1
内蒙古	678	80	11.8
广东	4989	537	10.8
重庆	1526	158	10.4
甘肃	594	59	9.9
陕西	1295	124	9.6
湖北	2407	228	9.5
海南	440	38	8.6
江苏	2221	185	8.3
湖南	2201	181	8.2
河北	2763	220	8.0
浙江	2459	191	7.8
山东	4131	314	7.6
河南	3513	260	7.4
安徽	2391	168	7.0
上海	601	39	6.5
福建	1942	125	6.4
江西	1937	124	6.4
辽宁	1008	62	6.2
山西	1074	65	6.1
天津	345	13	3.8
北京	173	3	1.7
合计	51070	5098	10.0

2015-2022 年省级和市级医疗机构综合性医院及儿童专科医院儿童白血病无治疗信息构成情况见图 22。省级和市级医疗机构儿童白血病无治疗信息比例分别为 8.3% 和 18.6%，市级医疗机构儿童白血病无治疗信息比例明显高于省级医疗机构。2015-2022 整体儿童专科医院无治疗信息比例低于综合性医院，分别为 8.2% 和 10.9%。

图 22-1 2015-2022 年全国省级医疗机构上报儿童白血病无治疗病例信息构成情况

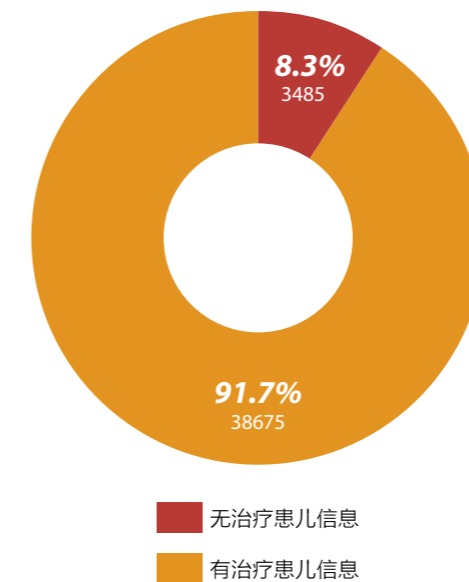


图 22-2 2015-2022 年全国市级医疗机构上报儿童白血病无治疗病例信息构成情况

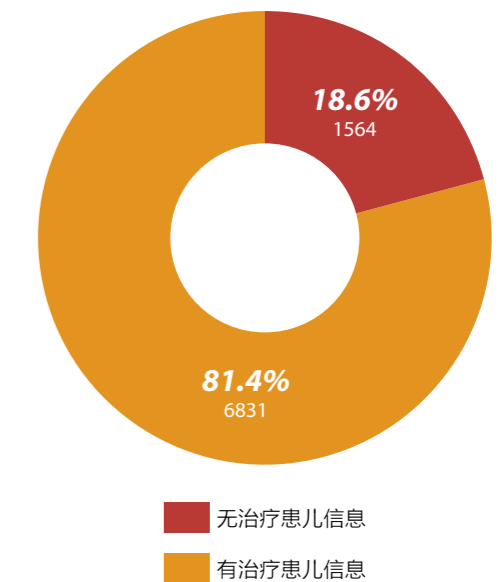


图 22-5 2015-2022 年综合性医疗机构上报儿童白血病无治疗病例信息构成情况

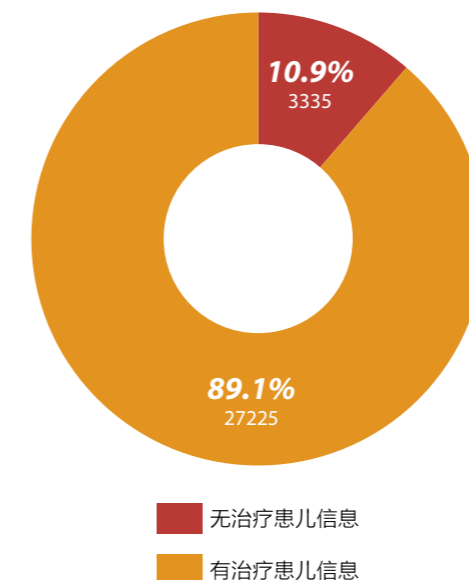
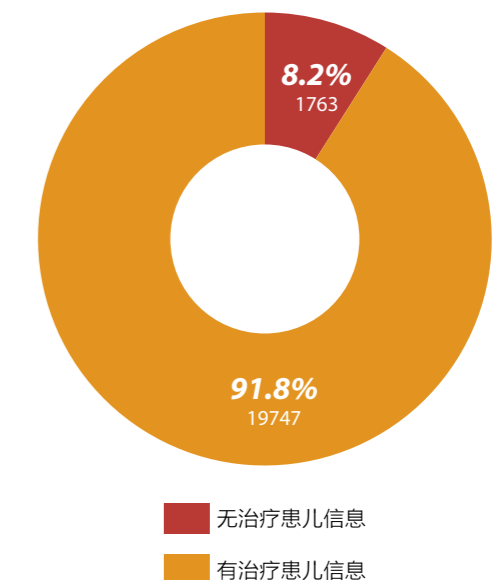


图 22-6 2015-2022 年儿童专科医疗机构上报儿童白血病无治疗病例信息构成情况



儿童白血病诊疗登记患儿随访及预后分析

1. 随访率情况

正在治疗和已经完成治疗的患儿中 14441 例 (37.9%) 在 2022 年 1 月之后有随访记录, 仅 11031 例 (28.9%) 在 2022 年 10 月之后有随访记录, 较 2021 年度随访比例下降。正在治疗和已经完成治疗患儿随访信息登记比例大于 50% 的省份有 7 个上海市、四川省、重庆市、广西壮族自治区、吉林省、湖北省、广东省。以上 7 个省份儿童白血病病例进入预后分析, 总体生存率分析中将死亡定义为不良事件; 无事件生存率分析中将耐药、复发、第二肿瘤、死亡、被动终止治疗、放弃定义为不良事件。

2. 不同类型白血病生存情况

分别分析急性淋巴细胞白血病 (ALL)、急性髓细胞白血病 (AML)、急性早幼粒细胞白血病 (APL) 集中使用统一方案并完成随访的病例进行了生存分析, 结果见表 23。ALL 患儿 5 年总体生存率和无事件生存率分别为 90.8% 和 78.0% (图 23-1); AML 患儿 5 年总体生存率和无事件生存率分别为 80.0% 和 54.9% (图 23-2); APL 患儿 5 年总体生存率和无事件生存率分别为 92.5% 和 84.8% (图 23-3)。以上三种类型白血病生存率与 2021 年报结果相近。

图 23-1 部分省份儿童白血病生存分析——急性淋巴细胞性白血病 (不包括成熟 B 细胞) (ALL)

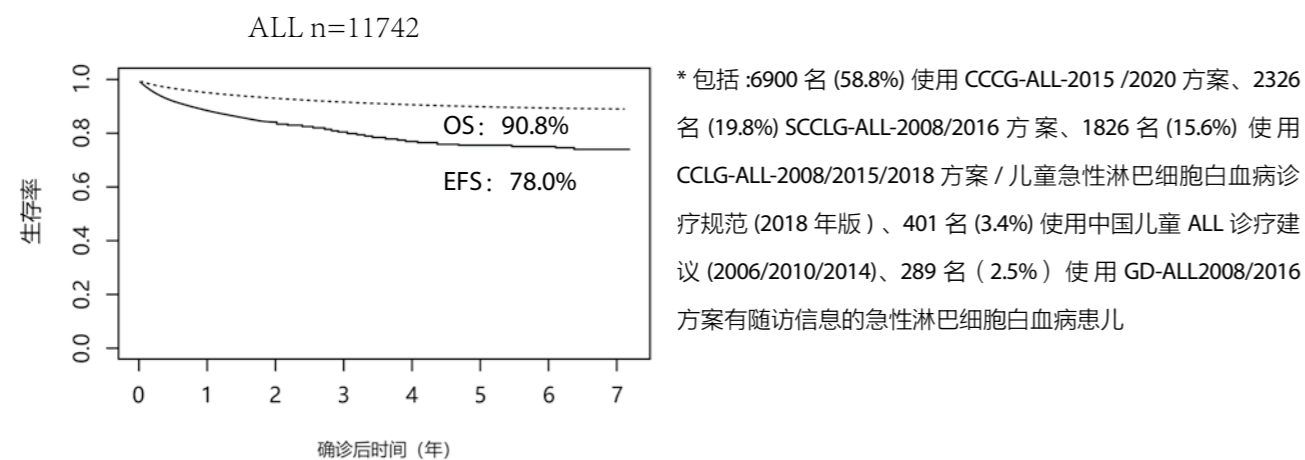


图 23-2 部分省份儿童白血病生存分析——急性髓细胞白血病 (不包括 APL) (AML)

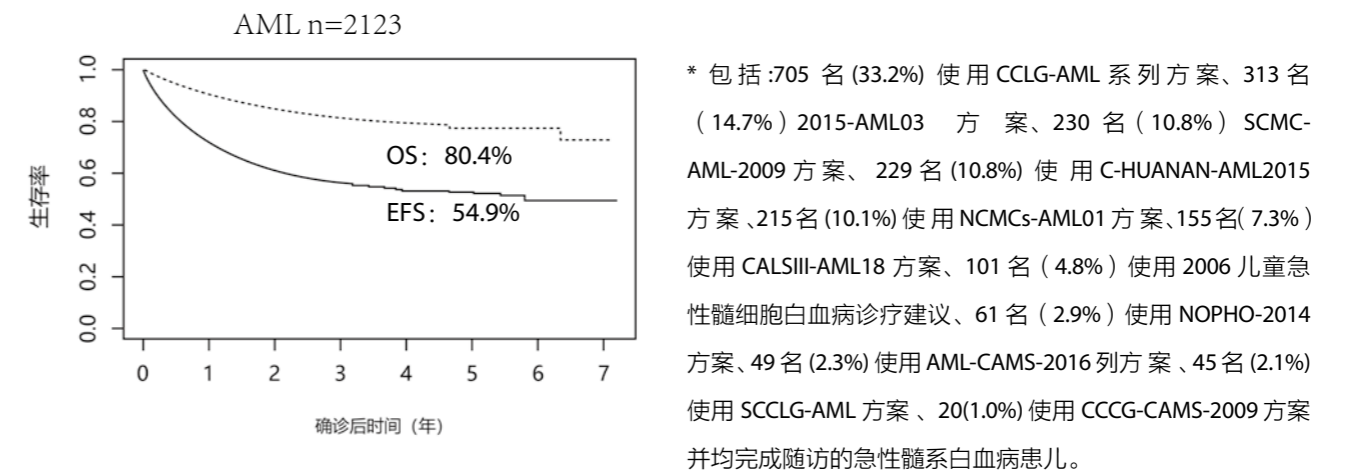
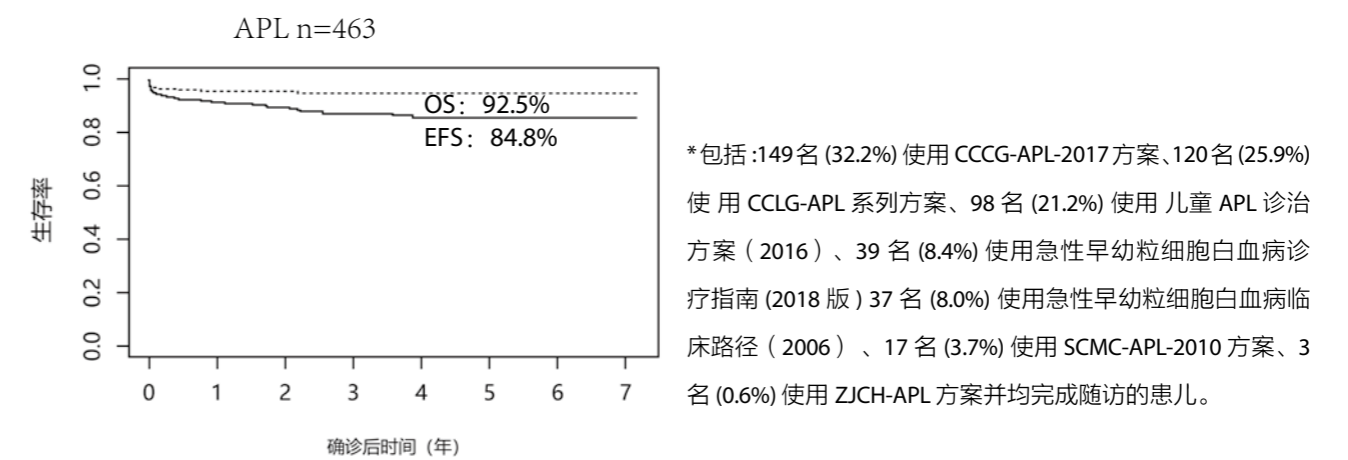


图 23-3 部分省份儿童白血病生存分析——急性早幼粒细胞白血病 (APL)



3. 儿童白血病诊疗登记患儿治疗方案及预后情况

根据登记系统数据显示,目前各个医疗机构在儿童白血病的治疗方案选择上并不统一。其中各类别儿童白血病使用率最高的方案分别是:CCCG-ALL-2015/2020(占急性淋巴细胞性白血病患儿的38.3%)、CCLG-AML(占急性髓细胞白血病患儿(不包括APL)的32.1%)、CCLG-APL(占急性早幼粒细胞白血病患儿的16.8%)、ZJCH-CML-2008(占慢性粒细胞白血病患儿的22.0%)。

近期CCCG-ALL-2015方案最新研究成果在国际知名期刊blood上发表,报告了迄今为止样本量最大的(包括中国20家主要儿童癌症治疗中心)儿童ALL临床研究结果,5年总体生存率为91.1%,无事件生存率为80.3%,单纯中枢神经系统复发率为1.9%,疗效达到国际先进水准。2022年延长随访期后,CCCG-ALL-2015进一步报告了各危险度分组、免疫分型以及常见基因类型的生存率(表6-1),为精细分型指导下的精准治疗提供了循证依据。¹

CCCG-ALL-2015 方案入组病例临床亚型生存率分析⁵

表 6-1

危险度	例数	5年总体生存率(95%CI)	5年无事件生存率(95%CI)
低	3948(51.7%)	96.3(95.7~97.0)	87.6(86.4~88.9)
中	3543(46.3%)	85.7(84.4~87.1)	72.8(71.0~74.6)
高	149(2.0%)	60.6(51.9~70.8)	41.8(33.4~52.3)

表 6-2

免疫表型	例数	5年总体生存率(95%CI)	5年无事件生存率(95%CI)
B-ALL	6916(90.5%)	91.9(91.1~92.6)	80.7(79.6~81.9)
T-ALL	724(9.5%)	81.4(78.1~85.0)	74.1(70.7~77.7)

表 6-3

基因型	例数	5年总体生存率(95%CI)	5年无事件生存率(95%CI)
t(9;22)(BCR-ABL1)	335(4.4%)	76.7(70.3~83.6)	53.0(45.6~61.7)
KMT2A rearrangement	260(3.4%)	69.3(62.9~76.3)	58.3(52.0~65.3)
t(1;19)(TCF3-PBX1)	384(5.0%)	89.3(85.9~92.7)	85.3(81.6~89.1)
t(12;21)(ETV6-RUNX1)	1452(19.0%)	97.2(96.1~98.2)	88.3(86.2~90.5)

参考文献 1: CCCG-ALL-2015 方案多中心临床报告. 中国抗癌协会小儿肿瘤专业委员会急性淋巴细胞白血病 2015 多中心研究协作组. 中华儿科杂志, 2022,60(10): 1002-1010. DOI: 10.3760/cma.j.cn112140-20220719-00895

表 7 CCCG-ALL-2015 协作组医院

CCCG-ALL-2015 协作组医院
上海儿童医学中心
中国医学科学院血液病医院(中国医学科学院血液学研究所)
苏州大学附属儿童医院
华中科技大学同济医学院附属协和医院
安徽医科大学第二附属医院
重庆医科大学附属儿童医院
南京医科大学附属儿童医院
四川大学华西第二医院
华中科技大学同济医学院附属同济医院
山东大学齐鲁医院
上海市儿童医院
复旦大学附属儿科医院
青岛大学附属医院
西北妇女儿童医院
广州市妇女儿童医疗中心
南方医科大学南方医院
江西省儿童医院
中南大学湘雅医院
香港儿童医院
昆明医科大学附属儿童医院

儿童白血病异地诊疗及转诊情况

白血病患者户籍所在地与首治医院不同判断为异地诊疗，2015-2022年有效儿童白血病病例中异地诊疗例数为11017例，平均异地诊疗比例为21.6%。异地诊疗比例最高的户籍所在地省（自治区、直辖市）前5名为：西藏自治区、内蒙古自治区、甘肃省、安徽省和江西省（图24、表7）。接诊非本地户籍患儿的首诊医院视为转诊，平均转诊比例为21.6%，接受转诊比例最高的5个省（自治区、直辖市）为：北京市、天津市、上海市、重庆市和江苏省（图25、表8）。

图24 2015-2022年全国各省（自治区、直辖市）儿童白血病异地诊疗比例

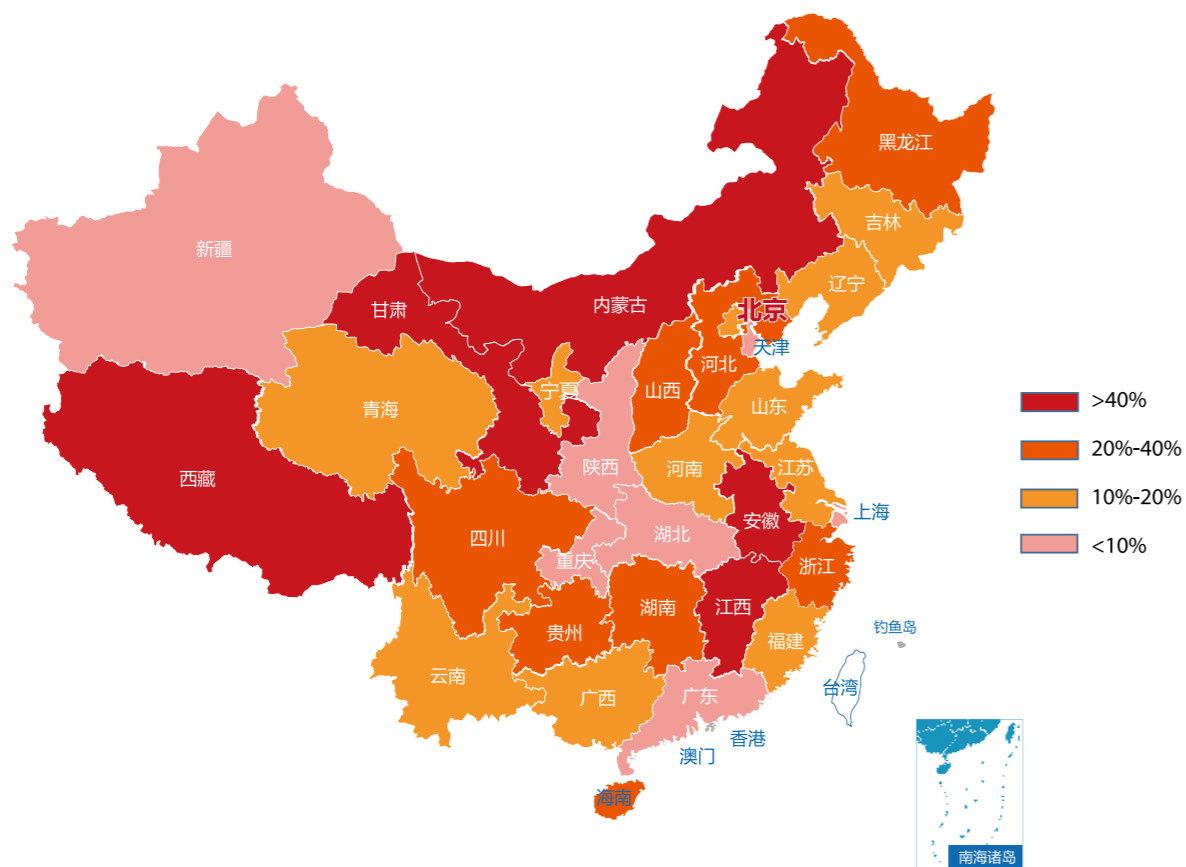


表7 2015-2022年全国各省（自治区、直辖市）儿童白血病异地诊疗数量及比例

省（自治区、直辖市）	2015-2022年有效病例合计	异地诊疗例数	比例（%）
上海	601	3	0.5
广东	4989	88	1.8
天津	345	12	3.5
重庆	1526	83	5.4
新疆	1350	96	7.1
湖北	2407	186	7.7
陕西	1295	116	9
北京	173	25	14.5
广西	2349	343	14.6
福建	1942	311	16
宁夏	328	54	16.5
青海	207	35	16.9
吉林	851	145	17
山东	4131	746	18.1
江苏	2221	416	18.7
云南	1204	230	19.1
河南	3513	675	19.2
辽宁	1008	201	19.9
湖南	2201	454	20.6
浙江	2459	566	23
海南	440	113	25.7
山西	1074	280	26.1
贵州	1923	610	31.7
四川	3412	1090	31.9
黑龙江	679	221	32.5
河北	2763	957	34.6
江西	1937	922	47.6
安徽	2391	1269	53.1
甘肃	594	321	54
内蒙古	678	388	57.2
西藏	79	61	77.2
合计	51070	11017	21.6

图 25 2015-2022 年全国各省 (自治区、直辖市) 接诊外省市患儿比例

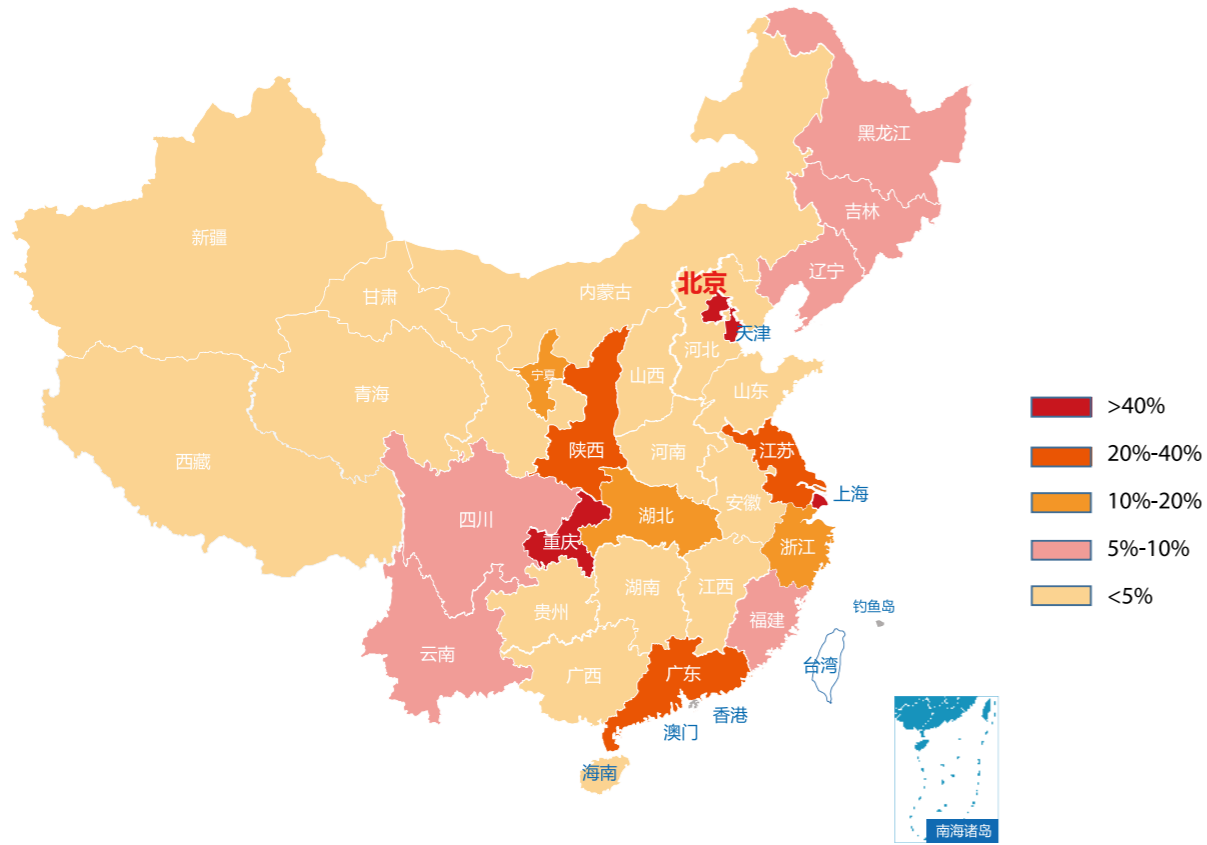


表 8 2015-2022 年全国各省 (自治区、直辖市) 接诊外省市患儿数量及比例

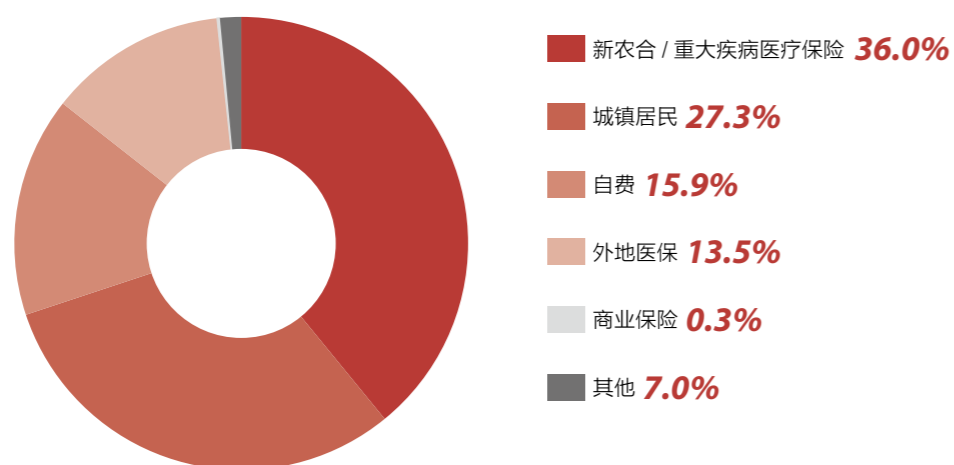
省 (自治区、直辖市)	2015-2022 年首诊例数	接诊异地诊疗例数	比例 (%)
北京	1239	1091	88.1
天津	2293	1960	85.5
上海	3049	2451	80.4
重庆	2816	1373	48.8
江苏	2516	711	28.3
陕西	1514	335	22.1
广东	6181	1280	20.7
浙江	2324	431	18.5

省 (自治区、直辖市)	2015-2021 年首诊例数	接诊异地诊疗例数	比例 (%)
宁夏	311	37	11.9
湖北	2496	275	11
四川	2551	229	9
辽宁	881	74	8.4
黑龙江	495	37	7.5
吉林	751	45	6
云南	1035	61	5.9
福建	1732	101	5.8
海南	343	16	4.7
内蒙古	304	14	4.6
广西	2084	78	3.7
湖南	1813	66	3.6
河北	1872	66	3.5
甘肃	283	10	3.5
河南	2916	78	2.7
山东	3477	92	2.6
新疆	1286	32	2.5
青海	176	4	2.3
安徽	1145	23	2
贵州	1339	26	1.9
江西	1027	12	1.2
山西	803	9	1.1
西藏	18	0	0.0

儿童白血病医保及费用情况

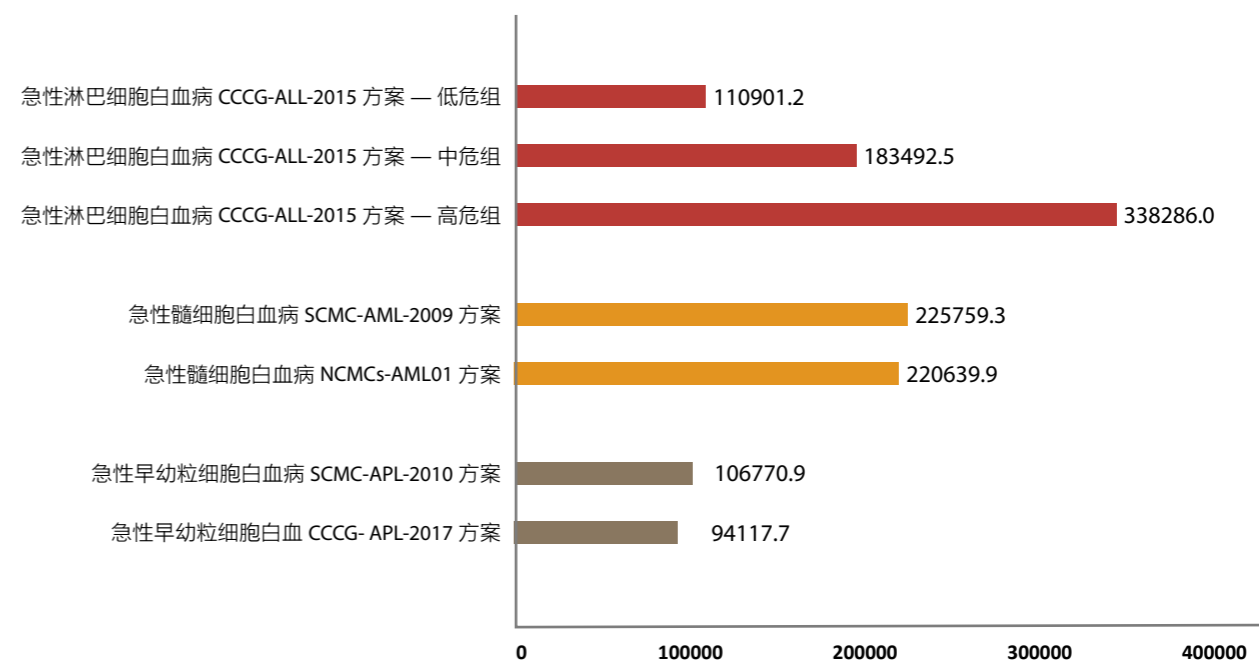
2015-2022 年共 28052 例病例（占有效病例数的 54.9%）填写了医保种类，其中新农合 / 重大疾病医疗保险比例最高，占 36.0%，具体医保种类构成比见图 26。

图 26 2015-2022 全国儿童白血病患者医保种类构成



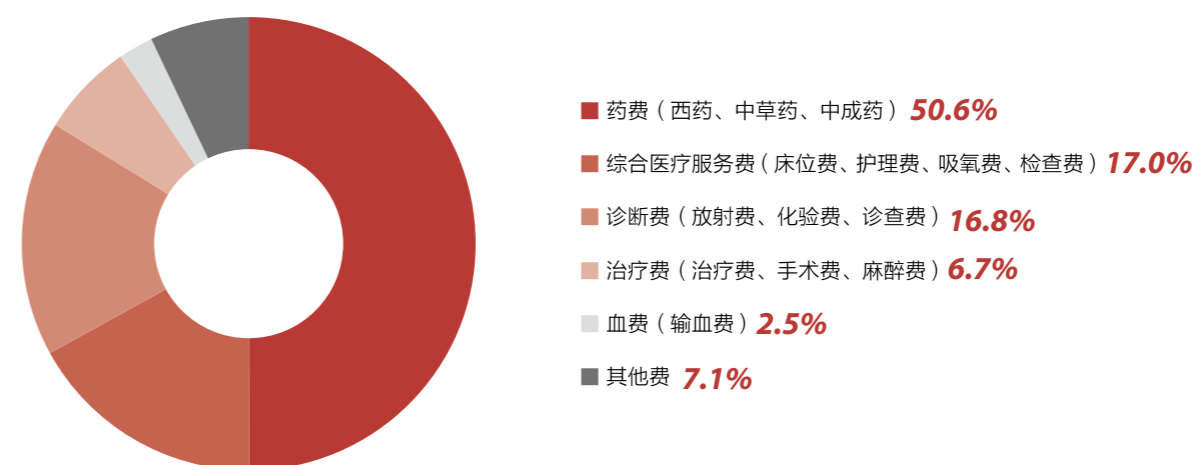
目前 HIS 系统费用信息已在国家儿童医学中心 - 上海交通大学医学院附属上海儿童医学中心进行试点对接。HIS 导出数据分析显示（图 27），儿童急性淋巴细胞白血病 2015 治疗方案（CCCG-ALL-2015 方案）低危组、中危组和高危组患儿完成全程治疗平均总费用分别为 110901.2 元、183492.5 和 338286.0 元，平均费用为 145012.1 元 / 每例 ALL。急性髓细胞白血病患者前后两种治疗方案 SCMC-AML-2009 方案和 NCMCs-AML01 方案的平均治疗总费用分别为 225759.3 元和 220639.9 元。急性早幼粒细胞白血病患儿的两种治疗方案 SCMC-APL-2010 和 CCCG-APL-2017 方案平均治疗总费用分别为 106770.9 元和 94117.7 元。

图 27 上海儿童医学中心儿童白血病治疗费用（元）



儿童白血病治疗总费用占比分析显示药费在各个类型白血病费用占比中均占第一位，平均高达 50.0%，具体费用构成比见图 28。

图 28 上海儿童医学中心儿童白血病治疗费用构成





儿童白血病诊疗信息登记管理工作培训会

中国儿童白血病诊疗现状分析与讨论

中国儿童白血病发病率及特征

中国儿童白血病诊疗管理登记系统是我国除传染病登记制度外的第一个国家层面的儿童重大疾病登记系统。通过该系统的建立，可以首次获取到我国儿童白血病发病率及相关特征首次的基于国家层面登记的循证数据。这对于了解我国儿童白血病发病、转归及治疗的现状及对全国儿童白血病诊疗及保障工作的系统规划具有极其重要的意义。

根据本登记系统数据，全国各省（自治区、直辖市）年新发病例登记率（户籍为该地区的年新发病例登记数/该地区儿童人口数）差异较大：西藏自治区最低（11.6/百万），浙江省最高（52.8/百万），全国平均为28.2/百万。各省（自治区、直辖市）间较大的差异也提示我们登记系统中可能存在的数据漏报问题。

以医疗机构上报率大于90%和无治疗信息比例小于10%作为各省数据上报质量的评价标准，选择浙江、上海、广东、黑龙江、天津、福建及重庆7省进行发病率估算，结果显示我国2015-2021年0-14岁儿童白血病平均年发病率为42.3/百万。总体发病率低于国际癌症研究机构（IARC）公布的1990-2013年中国6个注册机构0-14岁白血病年发病率（49.1/百万）、美国儿童白血病年发病率（54.3/百万）及日本儿童白血病年发病率（44.5/百万）。¹ 鉴于本登记系统暂时无法评估各医疗机构真实上报率，目前无法准确判断估算的发病率较低是中国儿童白血病发病特征确实与其他国家不同，还是由于系统中存在的数据漏报问题所导致。因此下一阶段，工作组将重点开展各医疗机构实地飞行检查，并且对机构上报率进行评估。

由于我国部分儿童专科医院儿童血液疾病收治的年龄限制在14岁，目前已经在本登记管理系统登记在案的病例中，14岁以上患儿有91.6%在综合性医院就诊，而还有很多治疗青少年期白血病的成人医院并不在儿童白血病定点医疗机构名单中。因此本登记系统在15-18岁儿童白血病的发病、诊疗等信息的分析上都存在一定的局限性。未来，应考虑儿童白血病登记系统与成人癌症登记系统的互联互通，实现全人群白血病诊疗信息登记。

儿童白血病诊疗登记患儿治疗方案及预后情况

根据登记系统数据显示，目前各个医疗机构在儿童白血病的治疗方案选择上并不统一。其中各类别儿童白血病使用率最高的方案分别是：CCCG-ALL-2015/2020（占急性淋巴细胞性白血病患儿的38.3%）、CCLG-AML（占急性髓细胞白血病患儿（不包括APL）的32.1%）、CCLG-APL（占急性早幼粒细胞白血病患儿的16.8%）、ZJCH-CML-2008（占慢性粒细胞白血病患儿的22.0%）。

¹<https://www.iarc.who.int/>

上述方案的制定单位分别是：上海儿童医学中心、北京儿童医院及浙江省儿童医院。可见，中国主要的儿童白血病治疗中心都为儿童白血病的诊疗方案做出了积极贡献。但是仍需要重视的是：（1）在某些病种中标准化治疗方案的使用比例仍然很低，如慢性粒细胞白血病，有些特殊类别如幼年型慢性粒单核细胞白血病（JMML）甚至暂无规范化方案推荐，且其未治比例高达该类型患儿的46.3%。（2）除CCCG-ALL-2015/2020方案的疗效经过全国多中心临床研究验证外，现有大多数方案的疗效均未得到实证研究数据的支持。此外，未来需要对主要治疗方案的成本效益进行评估，为不同地区、不同级别的医疗机构选择适宜方案提供循证依据。

登记系统数据显示，正在治疗的病人中随访信息登记率全国平均为37.9%，因此仅对随访信息登记率较高的7个省（区、市）进行了生存分析，选取使用量占绝对多数的规范化治疗方案进行分析，具有一定的代表性。从治疗效果来看，ALL患儿5年总体生存率和无事件生存率分别为90.8%和78.0%；AML患儿5年总体生存率和无事件生存率分别为80.0%和54.9%；APL患儿5年总体生存率和无事件生存率分别为92.5%和84.8%，较2020和2021年分析结果基本一致。

结合相关文献，可以看到中国儿童急性淋巴性白血病的总体生存率在过去30年内有了显著的提升。柳叶刀2015年文章根据通过中国21个登记系统的数据分析发现，中国儿童急性淋巴性白血病5年总体生存率在2000-2004年间为50%，到2005-2009年为61%。² 在SCMC-ALL-2005方案指导下，2005年到2014年上海儿童医学中心单中心的儿童急淋5年总体生存率为80.0%。³ 近期CCCG-ALL-2015方案最新研究成果在国际知名期刊blood上发表，报告了迄今为止样本量最大的（包括中国20家主要儿童癌症治疗中心）儿童ALL临床研究结果，5年总体生存率为91.1%，无事件生存率为80.3%，单纯中枢神经系统复发率为1.9%，疗效达到国际先进水平。⁴

ALL整体生存率的提高得益于近20年通过临床研究不断更新诊疗方案细节，如上文所述发表在blood的研究显示通过延迟的腰椎穿刺可以发挥窗口期地塞米松的治疗对血液中白血病细胞的杀伤作用，减少腰椎穿刺将白血病细胞带入中枢的风险；深度镇静下进行腰椎穿刺术可减少操作损伤并增加鞘内注射效率，从而降低了中枢神经系统复发的风险。此外，首次脑脊液流式细胞术检测，较传统形态学检测更为敏感地检测出脑脊液中肿瘤细胞而得到相应治疗，进而减低中枢神经系统复发的风险。这些研究结果无论对发达国家，还是对医疗资源有限的国家都有借鉴作用。

² Allemani C, Weir HK, Carreira H, Harewood R, Spika D, Wang XS, Bannon F, Ahn JV, Johnson CJ, Bonaventure A, Marcos-Gragera R, Stiller C, Azevedo e Silva G, Chen WQ, Ogundiji OJ, Rachet B, Soeberg MJ, You H, Matsuda T, Bielska-Lasota M, Storm H, Tucker TC, Coleman MP; CONCORD Working Group. Global surveillance of cancer survival 1995-2009: analysis of individual data for 25,676,887 patients from 279 population-based registries in 67 countries (CONCORD-2). *Lancet*. 2015 Mar 14;385(9972):977-1010. doi: 10.1016/S0140-6736(14)62038-9. Epub 2014 Nov 26. Erratum in: *Lancet*. 2015 Mar 14;385(9972):946. PMID: 25467588; PMCID: PMC4588097.

³ Shen S, Cai J, Chen J, Xue H, Pan C, Gao Y, Tang Y, Wang J, Li B, Wang X, Chen J, Gu L, Tang J. Long-term results of the risk-stratified treatment of childhood acute lymphoblastic leukemia in China. *Hematol Oncol*. 2018 Oct;36(4):679-688. doi: 10.1002/hon.2541. Epub 2018 Aug 22. PMID: 30133806.

儿童白血病无治疗信息及异地诊疗情况

登记系统中无治疗信息病例占有效病例数的 10.0%。无治疗信息患儿比例较高的户籍所在地省（区、市）主要为西部地区，如：新疆维吾尔自治区、青海省、西藏自治区、云南省、吉林省和贵州省等。这些患儿在登记系统内缺少治疗方案信息的原因可能有：家长放弃治疗、患儿在确诊后更换机构治疗导致治疗方案信息漏报等。从报告数据可见，无治疗信息比例与其所在地区的经济水平密切相关。经济水平越低的地区无治疗信息患儿比例越高，这一发现与前期文献是一致的。有研究发现，儿童急性淋巴细胞白血病的主要放弃因素中，家庭经济压力是放弃治疗的主要原因（50.6%），其他原因包括对治愈的信心不足、对严重的副作用及并发症的担忧。⁵

我国儿童白血病放弃治疗率在近 20 年内已大幅降低，根据苏州大学的儿童急性淋巴细胞白血病相关研究，2002 年至 2005 年间的放弃率为 50%，2006 年至 2012 年之间下降至 20%，⁶均高于本报告中无治疗信息病例比例（11.3%）。放弃治疗比例的降低主要得益于社会经济水平的提升及医疗保障制度的完善。2003 年中国医改计划推行以来，卫生总支出从 1990 年的 747 亿元增加到 2010 年的 1998 亿元，人均卫生支出从 1990 年的 65.4 元增加至 2010 年的 1490.1 元。根据国家卫生健康委员会 2021 年发布的《全国第六次卫生服务统计调查报告》，我国基本医疗保险覆盖率达到 96.8%，比 2013 年提高 1.7 个百分点，城市地区和农村地区居民基本医保参保率分别为 96.1% 和 97.6%。贫困人口的社会医疗保险覆盖率逐年上升，已经超过了全人口的社会医疗保险覆盖率，达到 97.8%。尤其是 2010 年，卫生部发布《关于开展提高农村儿童重大疾病医疗保障水平试点工作的意见》（卫农卫发〔2010〕53 号），将儿童急性白血病纳入新型农村合作医疗保险儿童重大疾病医疗保障工作，这极大减轻了农村地区儿童白血病家庭的经济负担。

据登记系统，儿童白血病平均异地诊疗比例为 21.6%，异地诊疗比例最高的地区是西藏自治区（77.2%），比例最低的地区是上海（0.5%）。整体上，异地诊疗比例与地区的经济水平及当地白血病诊治能力密切相关。未来需持续追踪这一指标，以此监测各地区儿童白血病诊治能力的均衡化发展。

⁴Tang J, Yu J, Cai J, Zhang L, Hu S, Gao J, Jiang H, Fang Y, Liang C, Ju X, Jin R, Zhai X, Wu X, Tian X, Hu Q, Wang N, Jiang H, Sun L, Leung AWK, Yang M, Pan K, Cheng C, Zhu Y, Zhang H, Li C, Yang JJ, Li CK, Zhu X, Shen S, Pui CH. Prognostic Factors for CNS Control in Children with Acute Lymphoblastic Leukemia Treated Without Cranial Irradiation. *Blood*. 2021 Mar 8; blood.2020010438. doi: 10.1182/blood.2020010438. Epub ahead of print. PMID: 33684941.

⁵Cai J, Yu J, Zhu X, Hu S, Zhu Y, Jiang H, Li C, Fang Y, Liang C, Ju X, Tian X, Zhai X, Hao J, Hu Q, Wang N, Jiang H, Sun L, Li CK, Pan K, Yang M, Shen S, Cheng C, Ribeiro RC, Pui CH, Tang J; Chinese Children's Cancer Group childhood acute lymphoblastic leukaemia (ALL) 2015 study group (CCCCG-ALL-2015). Treatment abandonment in childhood acute lymphoblastic leukaemia in China: a retrospective cohort study of the Chinese Children's Cancer Group. *Arch Dis Child*. 2019 Jun;104(6):522-529. doi: 10.1136/archdischild-2018-316181. Epub 2019 Jan 31. PMID: 30705079.

⁶Zhou Q, Hong D, Lu J, et al. Pediatric medical care system in china has significantly reduced abandonment of acute lymphoblastic leukemia treatment. *J Pediatr Hematol Oncol* 2015;37:181-4.

儿童白血病治疗费用情况

由于本登记系统尚未与各上报单位的 HIS 系统对接，因此报告中仅展示上海儿童医学中心单中心费用数据。我们发现，在社会经济水平上升，儿童白血病生存率提高的同时，治疗费用反而有所降低。以 ALL 全程治疗费用为例，在 2005 年-2015 年间，低危患儿从 13.1 万元降低至 11.1 万元；中危患儿从 21.0 万元降低至 18.3 万元，高危患儿从 35.7 万元降低至 33.8 万元。结合上文治疗效果部分的数据展示，可以发现近十年来，我国儿童白血病患者以更低就医成本获取了更好的治疗效果，真正实现了效高价廉的整体工作目标。

登记系统不足与改进方向

（一）优化数据库系统，包括开放外部系统的端口对接（HIS）

与定点医院的 HIS 系统对接能够实现精准获得更多有价值的数据（包括：儿童白血病诊疗信息及全程治疗费用等相关数据），可提升基础数据准确性，并且可大幅降低上报单位用于基础数据录入的工作量，使上报单位集中精力做好后续治疗方案、随访预后等关键信息的填报。

（二）开展分级质控，获取数据上报率

目前登记系统数据显示，全国定点诊疗机构数据上报率仅为 22.7%，下一步将计划展开全国范围内的统一培训工作，规范并监督数据上报流程，提高儿童白血病诊疗登记系统数据的上报率。此外，可与各省联系单位联合开展数据质控和核查工作，通过飞行检查的方式在上报单位中随机抽取样本进行质控，以此保证数据上报的完整性。

（三）优化儿童白血病定点诊疗机构的设置

从目前上报数据的情况看，有一些定点上报机构的上报病例数量极少，可能是实际诊疗儿童白血病能力不足。同时，也可能有部分具有白血病诊疗资质和接诊规模的医院并未划分在儿童白血病定点诊疗机构之中，导致登记数据遗漏。建议组织专家对不同区域的专科能力进行评估，优化儿童白血病定点医院的设置。

（四）加强对信息采集上报人员的培训

现阶段登记系统中存在数据填报质量问题，未来将通过进一步推进系统完善、组织数据登记培训、实施数据质控等科学管理方法，保障儿童白血病诊疗登记系统的可靠性、安全性和可行性。

（五）提高随访信息登记率

目前登记系统数据显示，正在治疗的病人中随访信息登记率仅为 28.9%，下一步计划每年 2 次定期（6 月 30 日、12 月 31 日）开展重点随访督导工作，并于每年第一季度末（3 月 30 日）在年报中呈现全国不同地区儿童白血病的随访信息登记率和整体生存状况分析结果。

中国儿童白血病诊疗登记工作附件

分析指标计算方法

1. 2017 中国人口和就业统计年鉴人口基数表:

年度	人口总数 (万)	0-14 岁人数 (万) (占比 %)	0-18 岁人数 (万) (占比 %)
2016	139516	23020 (16.5)	27438 (21.1)

2017 中国人口和就业统计年鉴 0-14 岁男女比例 =1.18:1

2. 身份证号码填写完整率 = 填写身份证号码病例数 / 已审核的病例总数 × 100%

3. 随访完成率 = 某时间点之后随访病例数 / 已审核的在治疗中病例总数 × 100%



附表 1 各省（自治区、直辖市）儿童白血病定点救治医疗机构联系单位

省份	联系单位名称
上海	上海儿童医学中心
安徽	安徽省儿童医院
山西	山西省儿童医院（山西省妇幼保健院）
贵州	贵州医科大学附属医院
湖北	武汉儿童医院
天津	中国医学科学院血液病医院
宁夏	宁夏医科大学总医院
重庆	重庆医科大学附属儿童医院
山东	山东大学齐鲁医院
广西	广西医科大学第一附属医院
江苏	苏州大学附属儿童医院
新疆	新疆医科大学第一附属医院
浙江	浙江大学医学院附属儿童医院
河南	郑州大学第一附属医院
辽宁	中国医科大学附属盛京医院
内蒙古	内蒙古自治区人民医院
广东	广州市妇女儿童医疗中心
四川	四川大学华西第二医院
湖南	湖南省儿童医院
青海	青海省妇女儿童医院
福建	福建医科大学附属协和医院
北京	北京儿童医院
陕西	西安市儿童医院
河北	河北省儿童医院
新疆兵团	石河子大学医学院一附院
西藏	西藏自治区人民医院
黑龙江	哈尔滨医科大学附属第一医院
甘肃	兰州大学第一医院
江西	江西省儿童医院
海南	海南省人民医院
云南	昆明市儿童医院
吉林	吉林大学第一医院

附表2 各省（自治区、直辖市）儿童白血病定点救治医疗机构推荐名单及其上报例数（截止2023年11月26日）

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
北京市	北京大学人民医院	594
	首都医科大学附属北京儿童医院	500
	首都儿科研究所附属儿童医院	153
	航天中心医院	112
	首都医科大学附属北京世纪坛医院	46
	北京大学第一医院	6
	首都医科大学附属北京同仁医院	5
	天津市	中国医学科学院血液病医院（血液学研究所）
天津市儿童医院		390
天津市肿瘤医院		28
天津医科大学总医院		12
河北省	河北省儿童医院	643
	河北医科大学第二医院	281
	保定市儿童医院	143
	邢台市人民医院	141
	唐山市妇幼保健院	109
	廊坊市中医医院	102
	承德医学院附属医院	81
	邯郸市中心医院	78
	河北医科大学第四医院	70
	河北北方学院附属第一医院	27
	衡水市人民医院	12
	保定市第一医院	10
	沧州市人民医院	9
	河北省沧州中西医结合医院	8
	河北省人民医院	6

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
河北省	河北省中医院	5
	保定市第一中心医院	3
	邯郸市第一医院	1
	沧州市中心医院	1
	邢台市第三医院	0
	秦皇岛市第一医院	0
	河北工程大学附属医院	0
	保定市第二中心医院	0
	山西省	山西省儿童医院（山西省妇幼保健院）
山西医科大学第二医院		76
运城市第三医院		52
长治医学院附属和平医院		38
山西省肿瘤医院		18
山西医科大学第一医院		8
晋城市人民医院		6
大同市第五人民医院		4
运城市中心医院		3
山西省汾阳医院		2
晋中市第一人民医院		1
太钢总医院		1
临汾市人民医院		1
汾西矿业集团职工总医院		0
山西大医院		0
朔城区人民医院		0
大同市第一人民医院		0
运城市第一医院	0	
山西省人民医院	0	

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
山西省	晋中市第二人民医院	0
	忻州市人民医院	0
	阳泉市第一人民医院	0
	太原市中心医院	0
内蒙古自治区	内蒙古自治区人民医院	125
	赤峰市医院	70
	内蒙古医科大学附属医院	34
	内蒙古自治区妇幼保健院	22
	包头医学院第一附属医院	11
	呼伦贝尔市人民医院	9
	兴安盟人民医院	8
	巴彦淖尔市医院	7
	包头市第四医院	4
	通辽市医院	3
	包头市中心医院	2
	乌兰察布市中心医院	1
	内蒙古北方重工业集团有限公司医院	0
	内蒙古包钢医院	0
	巴彦淖尔市中医院	0
	辽宁省	中国医科大学附属盛京医院
葫芦岛市中心医院		16
大连医科大学附属第二医院		12
中国医科大学附属第一医院		9
本溪市中心医院		7
大连医科大学附属第一医院		4
朝阳市中心医院		4
锦州医科大学附属第一医院		4

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
辽宁省	盘锦市中心医院	1
	鞍山市中心医院	1
	铁岭市中心医院	0
	阜新市中心医院	0
	锦州市中心医院	0
	沈阳医学院附属中心医院	0
	辽阳市第三人民医院	0
	营口市中心医院	0
	丹东市中心医院	0
	抚顺市中心医院	0
吉林省	大连市中心医院	0
	吉林大学第一医院	614
	吉林大学第二医院	16
	吉林大学中日联谊医院	12
	四平市中心医院	8
	松原市中心医院	6
	北华大学附属医院	5
	吉林省人民医院	4
	白山市中心医院	3
	白城市中心医院	1
	延边大学附属医院	1
	通化市中心医院	1
	梅河口市中心医院	0
	吉林市中心医院	0
	公主岭市中心医院	0
	辽源市中心医院	0
延边州第二人民医院	0	

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
吉林省	长春市中心医院	0
黑龙江省	哈尔滨医科大学附属第一医院	308
	哈尔滨市儿童医院	122
	齐齐哈尔附属二院	14
	哈尔滨医科大学附属第三医院	5
	大庆油田总医院	2
	哈尔滨医科大学附属第二医院	1
	黑龙江省医院	0
	佳木斯大学附属第一医院	0
	牡丹江医学院附属二院	0
	上海市	上海儿童医学中心
上海市儿童医院		514
复旦大学附属儿科医院		486
上海交通大学医学院附属新华医院		56
上海交通大学医学院附属瑞金医院		32
同济大学附属同济医院		15
海军军医大学第一附属医院		6
江苏省	南京市儿童医院	826
	苏州大学附属儿童医院	719
	徐州市儿童医院	249
	徐州医科大学附属医院	210
	淮安市第一人民医院	73
	连云港市第一人民医院	46
	南通大学附属医院	44
	无锡市儿童医院	44
	江苏省人民医院	34
	淮安市第二人民医院	34

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数	
江苏省	常州市儿童医院	23	
	盐城市第一人民医院	20	
	苏北人民医院	20	
	南京医科大学第二附属医院	19	
	南京鼓楼医院	18	
	常州市第一人民医院	17	
	东南大学附属中大医院	10	
	徐州市中心医院	9	
	常州市第二人民医院	5	
	淮安市妇幼保健院	4	
	镇江市第一人民医院	3	
	泰州市人民医院	3	
	南通市第一人民医院	2	
	淮安市肿瘤医院	1	
	宿迁市第一人民医院	1	
	徐州市第一人民医院	1	
	宿迁市人民医院	0	
	扬州大学附属医院	0	
	浙江省	浙江大学医学院附属儿童医院	1455
		温州医科大学附属第二医院	337
浙江大学医学院附属第一医院		141	
宁波市妇女儿童医院		85	
金华市中心医院		70	
宁波市鄞州人民医院		67	
浙江省人民医院		22	
台州市中心医院		14	
丽水市中心医院		11	

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
浙江省	浙江省台州医院	11
	嘉兴市第二医院	6
安徽省	安徽医科大学第二附属医院	355
	安徽省儿童医院	295
	安徽省省立医院	230
	安徽医科大学第一附属医院	121
	蚌埠医学院第一附属医院	38
	皖南医学院弋矶山医院	31
	阜阳市人民医院	22
	安庆市立医院	14
	黄山市人民医院	11
	皖北煤电集团总医院	8
	铜陵市人民医院	6
	淮北市人民医院	6
	亳州市人民医院	5
	蚌埠市第三人民医院	4
	池州市人民医院	3
	六安市人民医院	3
	阜阳市第二人民医院	2
	芜湖市第二人民医院	2
	宿州市立医院	2
	马鞍山市人民医院	1
	宣城市人民医院	1
	芜湖市第一人民医院	1
	铜陵市妇幼保健院	0
	合肥市妇幼保健院	0
	合肥市第三人民医院	0

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
安徽省	合肥市滨湖医院	0
	淮南市第一人民医院	0
	宣城市中心医院	0
	蚌埠市第一人民医院	0
	黄山首康医院	0
	安庆第一人民医院	0
	合肥市第二人民医院	0
	合肥市第一人民医院	0
福建省	福建医科大学附属协和医院	1177
	漳州市医院	184
	厦门大学附属第一医院	173
	泉州市第一医院	142
	龙岩市第一医院	19
	南平市第一医院	10
	三明市第一医院	10
	泉州市儿童医院	8
	厦门大学附属中山医院	7
	莆田学院附属医院	5
	龙岩人民医院	2
	宁德市闽东医院	2
	莆田市第一医院	1
	福建省福州儿童医院	1
	江西省	江西省儿童医院
南昌大学第一附属医院		210
赣南医学院第一附属医院		204
南昌大学第二附属医院		35
江西省人民医院		20

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
江西省	南昌市第一医院	4
山东省	山东大学附属齐鲁医院	665
	山东省省立医院	472
	青岛市妇女儿童医院	275
	济南市儿童医院	271
	青岛大学附属医院	260
	济宁医学院附属医院	171
	烟台毓璜顶医院	144
	山东省千佛山医院	130
	临沂市人民医院	122
	泰安市中心医院	115
	聊城市人民医院	115
	潍坊市人民医院	87
	济宁市第一人民医院	64
	滨州医学院附属医院	60
	菏泽市立医院	59
	威海市立医院	55
	滨州市人民医院	17
	潍坊医学院附属医院	12
	日照市人民医院	11
	枣庄市立医院	11
	泰山医学院附属医院	11
	聊城市第二人民医院	9
	德州市人民医院	9
泰安市妇幼保健院	7	
威海市中心医院	6	
东营市人民医院	4	

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
山东省	临沂市肿瘤医院	4
	淄博市中心医院	4
	日照市中医医院	3
	胜利油田中心医院	2
	莱芜钢铁集团有限公司医院	2
	淄博市第一医院	1
	济南市中心医院	0
	莱芜市人民医院	0
	烟台市烟台山医院	0
	青岛市中心医院	0
	河南省	郑州大学第一附属医院
郑州市儿童医院		738
河南省肿瘤医院		325
新乡医学院第一附属医院		156
郑州大学第三附属医院 (河南省妇幼保健院)		131
河南省人民医院		82
河南省中医院 (河南中医学院第二附属医院)		39
中国人民解放军第一五零中心医院		0
南阳医学高等专科学校第一附属医院		0
洛阳东方医院		0
黄河三门峡医院		0
洛阳市中心医院		0
漯河市中医院		0
开封市儿童医院		0
濮阳市人民医院		0
河南大学淮河医院		0
焦作市第二人民医院		0

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
河南省	驻马店市中心医院	0
	中国人民解放军第三七一中心医院	0
	郑州市中心医院	0
	周口市中心医院	0
	新乡市第一人民医院	0
	河南科技大学第一附属医院	0
	商丘市第一人民医院	0
	安阳地区医院	0
	中国人民解放军第一五三中心医院	0
	南阳市第一人民医院	0
	平顶山市第一人民医院	0
	南阳市中心医院	0
	河南科技大学第二附属医院	0
	郑州大学第二附属医院	0
	三门峡市中心医院	0
	开封市中心医院（开封市第一人民医院）	0
	濮阳市油田总医院	0
	中国人民解放军第一五五中心医院	0
	中国人民解放军第九十一中心医院	0
	河南大学第一附属医院	0
	中国人民解放军第一五九中心医院	0
	焦作市人民医院	0
	郑州人民医院	0
	驻马店市第一人民医院	0
新乡市第二人民医院	0	
郑州市第三人民医院	0	
信阳市中心医院	0	

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
河南省	新乡市中心医院	0
	南阳市第二人民医院	0
	安阳市人民医院	0
湖北省	华中科技大学同济医学院附属协和医院	800
	武汉儿童医院	542
	华中科技大学同济医学院附属同济医院	530
	恩施州中心医院	108
	十堰市太和医院	89
	襄阳市中心医院	80
	宜昌市中心人民医院	78
	武汉大学人民医院	30
	襄阳市第一人民医院	19
	湖北民族学院附属民大医院（民大医院）	18
	荆门市第一人民医院	14
	十堰市人民医院	12
	武汉大学中南医院	8
	随州市中心医院	4
	孝感市中心医院	4
	仙桃市第一人民医院	3
	黄石市中心医院	3
	黄冈市中心医院	2
	荆门市第二人民医院	1
	华中科技大学同济医学院附属梨园医院	0
鄂州市中心医院	0	
十堰国药东风总医院	0	
湖南省	湖南省儿童医院	732
	中南大学湘雅医院	443

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
湖南省	中南大学湘雅二医院	428
	湖南省人民医院	198
	南华大学附属第一医院	43
	郴州市儿童医院	32
	益阳市中心医院	10
	长沙市中心医院	9
	怀化市第一人民医院	8
	株洲市中心医院	7
	张家界市人民医院	3
	永州市中心医院	2
	娄底市中心医院	2
	湘潭市中心医院	2
	常德市第一人民医院	1
	衡阳市中心医院	1
	湘西自治州人民医院	1
	邵阳学院第一附属医院	0
	岳阳市二人民医院	0
广东省	广州市妇女儿童医疗中心	1297
	深圳市儿童医院	754
	中山大学孙逸仙纪念医院	741
	南方医科大学珠江医院	597
	南方医科大学南方医院	497
	广东省人民医院	398
	中山大学附属第一医院	388
	中山大学附属第三医院	189
	广东医科大学附属医院	150
	广州医科大学附属第一医院	136

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
广东省	惠州市中心人民医院	124
	广州市第一人民医院	80
	中山大学附属肿瘤医院	76
	梅州市人民医院	72
	汕头大学第一附属医院	47
	江门市中心医院	47
	汕头大学第二附属医院	45
	揭阳市人民医院	37
	茂名市人民医院	37
	佛山市第一人民医院	34
	中山市博爱医院	25
	中山大学附属第七医院（深圳）	24
	深圳市人民医院	18
	广东省中医院	14
	惠州市第一人民医院	13
	粤北人民医院	13
	中山市人民医院	11
	广州市红十字会医院	10
	肇庆市第一人民医院	8
	湛江市中心医院	7
	东莞市第八人民医院（东莞市儿童医院）	6
	香港大学深圳医院	5
	潮州市中心医院	5
	汕头市中心医院	5
阳江市人民医院	4	
河源市人民医院	3	
广州市第十二人民医院	2	

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
广东省	东莞市中医院	1
	珠海市人民医院	1
	深圳市第二人民医院	1
	广州医科大学附属第二医院	1
	南方医科大学深圳医院	1
	汕尾市人民医院	0
	清远市人民医院	0
	广州中医药大学第一附属医院	0
	云浮市人民医院	0
广西壮族自治区	广西医科大学第一附属医院	990
	广西壮族自治区人民医院	178
	柳州市人民医院	110
	广西医科大学附属肿瘤医院	66
	柳州市工人医院	64
	柳州市妇幼保健医院	61
	百色市人民医院	52
	右江民族医学院附属医院	51
	钦州市第一人民医院	36
	桂林医学院附属医院	35
	玉林市红十字会医院	32
	梧州市工人医院	21
	广西医科大学第二附属医院	17
	梧州市人民医院	17
	南宁市第二人民医院	15
	贵港市人民医院	12
	贺州市人民医院	12
	广西壮族自治区妇幼保健院	9

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
广西壮族自治区	南宁市第一人民医院	9
	梧州市红十字会医院	8
	广西中医药大学第一附属医院	7
	来宾市人民医院	5
	桂林市人民医院	3
	防城港市第一人民医院	3
	北海市人民医院	2
	崇左市人民医院	2
	河池市人民医院	2
	广西中医药大学附属瑞康医院	1
	海南省	海南省人民医院
海南省儿童医院		37
海口市人民医院		10
海南省第三人民医院		10
海南医学院第一附属医院		6
解放军第一八七中心医院		3
海南医学院第二附属医院		2
解放军总医院海南分院		0
重庆市		重庆医科大学附属儿童医院
	陆军军医大学附属新桥医院	227
	三峡中心医院	40
	重庆医科大学附属第一医院	39
	重庆医科大学附属永川医院	22
	重庆医科大学附属第二医院	19
	陆军军医大学附属大坪医院	19
	陆军军医大学附属西南医院	8
	涪陵中心医院	6

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
重庆市	黔江中心医院	5
	合川区人民医院	2
	长寿区人民医院	1
	梁平区人民医院	0
	南川区人民医院	0
	江津区人民医院	0
	武隆区人民医院	0
	璧山区人民医院	0
	渝北区人民医院	0
四川省	四川大学华西第二医院	1397
	成都市妇女儿童中心医院	196
	四川省人民医院	189
	西南医科大学附属医院	161
	绵阳市中心医院	110
	宜宾市第二人民医院	75
	凉山州第一人民医院	53
	川北医学院附属医院	27
	自贡市第一人民医院	23
	内江市第二人民医院	19
	遂宁市中心医院	17
	达州市中心医院	13
	攀枝花市中心医院	11
	成都市市第一人民医院	10
	攀枝花市中西医结合医院	8
	巴中市中心医院	6
	德阳市人民医院	5
广元市中心医院	5	

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
四川省	四川省妇幼保健院	4
	眉山市人民医院	4
	绵阳市第三人民医院	4
	成都市第三人民医院	3
	资阳市第一人民医院	2
	阿坝州人民医院	2
	成都市第二人民医院	2
	乐山市人民医院	1
	南充市中心医院	1
	成都中医药大学附属医院	1
	成都大学附属医院	0
	广安市人民医院	0
	雅安市人民医院	0
	甘孜藏族自治州人民医院	0
	成都市第五人民医院	0
	自贡市第四人民医院	0
	贵州省	贵州医科大学附属医院
贵州省人民医院		295
遵义医学院附属医院		274
贵阳市妇幼保健院		242
铜仁市第一人民医院		11
遵义市第一人民医院		8
黔东南州人民医院		6
黔南州人民医院		5
毕节市第一人民医院		2
黔西南州人民医院		1
六盘水市妇幼保健院	0	

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
贵州省	安顺市人民医院	0
云南省	昆明市儿童医院	639
	昆明医科大学第一附属医院	85
	云南省第一人民医院	53
	昭通市人民医院	47
	文山州人民医院	43
	昆明医科大学第二附属医院	33
	大理大学第一附属医院	33
	德宏州人民医院	27
	临沧市人民医院	18
	玉溪市人民医院	15
	曲靖市第一人民医院	15
	大理州人民医院	15
	个旧市人民医院	14
	西双版纳州人民医院	14
	普洱市人民医院	11
	红河州第一人民医院	11
	保山市人民医院	9
	昆明医科大学第三附属医院	9
	楚雄州人民医院	6
	曲靖市妇幼保健院	1
丽江市人民医院	0	
西藏自治区	西藏自治区人民医院	15
	日喀则市人民医院	2
	西藏自治区第二人民医院	2
	昌都市人民医院	1
	那曲市人民医院	0

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
陕西省	西安市儿童医院	970
	西北妇女儿童医院	204
	西安交大一附院	101
	空军军医大学唐都医院	99
	陕西省人民医院	33
	西安交大二附院	27
	西安市中心医院	22
	兰州大学第二医院	125
甘肃省	兰州大学第一医院	94
	甘肃省人民医院	50
	武威市人民医院	8
	陇南市第一人民医院	6
	临夏州人民医院	5
	甘肃省妇幼保健院	4
	天水市第一人民医院	4
	酒钢医院	2
	平凉市人民医院	2
	白银市第一人民医院	2
	甘肃省肿瘤医院	2
	河西学院附属张掖人民医院	1
	兰州市第一人民医院	1
	甘肃省第二人民医院	1
	酒泉市人民医院	0
	金昌市人民医院	0
	甘肃宝石花医院	0
	庆阳市中医医院	0
	甘肃省中医院	0

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
甘肃省	定西市人民医院	0
	甘南州人民医院	0
青海省	青海省妇女儿童医院	167
	青海大学附属医院	21
	海东市人民医院	0
	西宁市第三人民医院	0
	西宁市第一人民医院	0
	果洛州人民医院	0
	海南州人民医院	0
	玉树州人民医院	0
	格尔木市人民医院	0
	青海省妇幼保健院	0
	青海红十字医院	0
	黄南州人民医院	0
	海北州第二人民医院	0
	海西州人民医院	0
宁夏回族自治区	宁夏医科大学总医院	282
	宁夏自治区人民医院	10
	银川市妇幼保健院	2
新疆兵团	石河子大学医学院第一附属医院	26
	新疆生产建设兵团第四师医院	8
	新疆生产建设兵团第十三师红星医院	1
	新疆生产建设兵团石河子市人民医院	0
	新疆生产建设兵团第六师医院	0
	新疆生产建设兵团第一师医院	0
	新疆生产建设兵团第九师医院	0
	新疆生产建设兵团第七师医院	0

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
新疆兵团	新疆生产建设兵团第五师医院	0
	新疆生产建设兵团第三师医院	0
	新疆生产建设兵团医院	0
	新疆生产建设兵团第二师库尔勒医院	0
新疆维吾尔自治区	新疆生产建设兵团第十师医院	0
	新疆医科大学第一附属医院	576
	新疆维吾尔自治区人民医院	293
	喀什地区第一人民医院	187
	和田地区人民医院	72
	乌鲁木齐市第一人民医院	55
	阿克苏地区第一人民医院	30
	博州人民医院	25
	伊犁州友谊医院	20
	伊犁州新华医院	8
	昌吉州人民医院	7
	喀什地区第二人民医院	4
	巴州人民医院	2
	哈密市中心医院	2
	新疆自治区中医医院	0
	中国人民解放军十一医院	0
	兰州军区乌鲁木齐总医院	0
	新疆维吾尔自治区儿童医院	0
	乌鲁木齐市第一人民医院分院	0
	塔城地区人民医院	0
吐鲁番市人民医院	0	
新疆医科大学第二附属医院	0	
新疆维吾尔自治区人民医院米东分院	0	

所在省份	定点医疗机构名称	上报例数
新疆维吾尔自治区	乌鲁木齐市友谊医院	0
	乌鲁木齐市第二人民医院	0
	新疆医科大第五附属医院	0

附表 3 非定点救治机构上报例数 ≥30 例的医疗机构名单及其上报例数

所在省份	非定点医疗机构名称	上报例数
广西	中国人民解放军联勤保障部队第九二三医院 (原中国人民解放军第三〇三医院)	169
辽宁	大连市儿童医院	158
黑龙江	哈尔滨市第一医院	39
辽宁	大连市妇女儿童医疗中心	32
江苏	南京鼓楼医院集团宿迁市人民医院	31
湖南	中南大学湘雅三医院	30

附表 4 全国各省 (自治区、直辖市) 0-14 岁儿童白血病年新发病例登记率 (登记完整时可视为发病率)

省 (自治区、直辖市)	2016-2021 年登记例数	年新发病例登记率 (/百万)
浙江	2205	52.8
上海	529	51.4
广东	4440	41.3
黑龙江	602	41.0
天津	316	39.9
福建	1866	39.8
重庆	1250	34.5
新疆	1165	34.4
吉林	749	33.5
山东	3661	33.1
海南	396	32.6
辽宁	943	31.3
湖北	2147	31.3
宁夏	277	29.5
四川	3000	29.0
江苏	2084	27.8
陕西	1096	26.4
内蒙古	603	26.1
青海	190	25.4
河北	2435	24.3
安徽	2145	24.3
江西	1757	24.2
贵州	1662	24.0
山西	872	23.8
广西	1966	22.9
湖南	2110	22.6
河南	3212	19.3
云南	1082	17.2
北京	166	17.2
甘肃	506	15.9
西藏	65	11.6
全国	45497	28.2

(数据来源: 中国儿童白血病诊疗信息登记管理系统。根据 2017 年中国人口和就业统计年鉴 0-14 岁人口数作为人口基数)



CCCG-ALL 协作组启动会议

儿童血液肿瘤科技进展与成果

为了促进儿童白血病领域最新科研进展的交流,本次白血病年报特增设“科研进展成果”板块,收集儿童白血病定点救治医疗机构联系单位在科学研究方面的成果数据,儿童白血病定点救治医疗机构联系单位近5年(2018年-2022年)共获得国家级奖项1项,省部级奖项5项;国家级课题45项;Q1文章81篇。成果简要汇总如下:

2022年血液肿瘤专科主要治疗病种数

医院	急性淋巴细胞性白血病 (不包括成熟B细胞)	急性髓细胞白血病 (不包括APL)	急性早幼粒细胞白血病(APL)	慢性粒细胞白血病	幼年型慢性粒单核细胞白血病
上海儿童医学中心	355	37	2	0	0
重庆医科大学附属儿童医院	291	65	25	3	12
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	251	53	13	6	2
苏州大学附属儿童医院	237	82	12	11	12
四川大学华西第二医院	160	43	9	6	4
西安市儿童医院	145	49	7	0	0
广州市妇女儿童医疗中心	133	25	4	4	7
江西省儿童医院	132	25	12	3	0
福建医科大学附属协和医院	131	37	7	4	2
山东大学齐鲁医院	109	36	3	3	0
广西医科大学第一附属医院	102	27	10	1	1
华中科技大学同济医学院附属协和医院	89	23	4	6	2
青海省妇女儿童医院	68	23	3	4	2
复旦大学附属儿科医院	61	16	4	3	1
山西省儿童医院	60	120	8	4	3
武汉儿童医院	57	18	3	1	1
吉林大学第一医院	55	8	6	1	0
安徽省儿童医院	53	14	4	3	4
新疆医科大学第一附属医院	40	14	4	2	1
内蒙古自治区妇幼保健院	36	14	0	1	1
贵州医科大学附属儿童医院	28	10	0	2	1
宁夏医科大学总医院	20	5	2	1	0
西北妇女儿童医院	19	19	2	0	0

医院	急性淋巴细胞性白血病 (不包括成熟B细胞)	急性髓细胞白血病 (不包括APL)	急性早幼粒细胞白血病(APL)	慢性粒细胞白血病	幼年型慢性粒单核细胞白血病
青海大学附属医院	17	5	1	4	0
内蒙古自治区人民医院	14	0	1	0	0
西安交通大学第一附属医院	14	6	2	0	0
内蒙古医科大学附属医院	7	3	1	1	0
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	251	53	13	6	2

近五年科技奖励情况(2018—2022年)

第一完成单位	项目名称	奖励类别	获奖等级
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	造血干细胞调控机制与再生策略	国家自然科学基金	二等奖
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	血细胞系列单抗关键技术及产品产业化	天津市科学技术进步奖	一等奖
广西医科大学第一附属医院	造血干细胞移植治疗地中海贫血的基础和临床研究	广西省科学技术进步奖	一等奖
苏州大学附属儿童医院	儿童血液肿瘤临床转化的基础与临床研究	江苏省科学技术奖	一等奖
苏州大学附属儿童医院	儿童血液肿瘤临床转化的基础与临床研究	江苏省科学技术奖	一等奖
上海儿童医学中心	儿童骨髓衰竭性疾病发病机制及造血干细胞移植关键技术优化	上海市科技进步奖	二等奖
上海儿童医学中心	儿童急性淋巴细胞白血病诊治体系综合研究的成效及推广	中华医学会医学科学技术奖	二等奖
上海儿童医学中心	儿童血液肿瘤护理质量评价指标框架的构建及临床应用	上海护理科技奖	二等奖
复旦大学附属儿科医院	原发性免疫缺陷病精准诊治体系的建立和应用	上海医学科技奖	三等奖
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	儿童急性早幼粒细胞白血病家庭治疗模式的建立	宋庆龄儿科医学奖	不分等级

近五年牵头开展国际 / 国内多中心临床研究情况 (2018—2022 年)

单位名称	角色	中心数	研究名称
复旦大学附属儿科医院	国际主持	8	Multi-center Clinical Study of Cord Blood Stem Cell Transplantation in The Treatment of Very Early-Onset Inflammatory Bowel Disease Caused by Interleukin-10 Receptor Gene Deficiency
复旦大学附属儿科医院	国际主持	8	Multi-center Clinical Study of Cord Blood Stem Cell Transplantation for Severe Combined Immunodeficiency Disease
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	国内主持	52	克拉屈滨联合 HAG 方案治疗儿童复发 / 难治急性髓系白血病的单臂, 开放性, 多中心临床研究
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	国内主持	27	含克拉屈滨方案再诱导治疗初治儿童 AML (非 M3) 患者疗效和安全性的多中心、前瞻性、随机对照研究
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	国内主持	15	VEN-ALL: 维奈托克 (VENETOCLAX) 联合化疗治疗儿童复发急性淋巴细胞白血病的随机 II 期临床研究
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	国内主持	9	CNCT19 细胞注射液治疗儿童和青少年 CD19 阳性的复发或难治性急性 B 细胞型淋巴细胞白血病的多中心、开放、单臂、Ib/II 期临床试验
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	国内主持	5	达沙替尼联合强诱导化疗治疗儿童首次复发 T 细胞淋巴细胞白血病的多中心临床研究
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	国内主持	5	以阿扎胞苷为基础化疗方案治疗幼年型粒单核细胞白血病前瞻性、多中心临床研究
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	国内主持	2	JWCAR029 (CD19 靶向嵌合抗原受体 T 细胞) 治疗复发或难治性 B 细胞急性淋巴细胞白血病的 I 期开放、单臂研究
福建医科大学附属协和医院	国内主持	16	静脉免疫球蛋白两种给药方案治疗儿童新诊断免疫性血小板减少症的多中心、随机对照研究
福建医科大学附属协和医院	国内主持	16	"短疗程大剂量强的松和地塞米松治疗儿童免疫性血小板减少症的多中心、随机对照研究"

单位名称	角色	中心数	研究名称
苏州大学附属儿童医院	国内主持	15	儿童和青少年 AML 低剂量化疗联合 G-CSF 治疗临床疗效不劣于标准剂量: 三期随机对照多中心临床试验 (CAL5 III -AML18)
苏州大学附属儿童医院	国内主持	15	地西他滨联合低剂量化疗治疗儿童难治 / 复发 AML 的多中心临床研究
苏州大学附属儿童医院	国内主持	15	低剂量化疗联合 G-CSF 诱导急性巨核细胞白血病缓解的多中心研究
浙江大学医学院附属儿童医院	国内主持	9	重组人血小板生成素 (特比澳) 注射液用于完全缓解的儿童急性淋巴细胞白血病化疗后血小板减少症治疗的疗效和安全性的单中心、单药、随机对照临床研究
浙江大学医学院附属儿童医院	国内主持	7	葱环类药物在儿童 ETV6/RUNX1 阳性的低危组急性淋巴细胞白血病中不同使用剂量的疗效和安全性比较的多中心、随机对照临床研究
广州市妇女儿童医疗中心	国内主持	6	儿童重型再生障碍性贫血 (SAA) 半相合移植方案
广州市妇女儿童医疗中心	国内主持	6	基于 PTCy 方案的预处理方案半相合供者造血干细胞移植治疗高危复发急性髓系白血病 (AML)
四川大学华西第二医院	国内主持	31	中国儿童癌症协作组 —— 结外 NK/T 细胞淋巴瘤 (鼻型) (ENKTL) 治疗方案 2021
华中科技大学同济医学院附属协和医院	国内主持	20	槐杞黄颗粒治疗儿童慢性原发性免疫性血小板减少症疗效和安全性的多中心、随机、双盲、安慰剂平行对照临床研究
贵州医科大学附属医院	国内主持	16	海曲泊帕乙醇胺片预防儿童急性淋巴细胞白血病骨髓抑制期血小板减少的前瞻性、多中心随机对照临床研究
山东大学齐鲁医院	国内主持	13	硼替佐米联合化疗治疗复发儿童急性淋巴细胞白血病的有效性、安全性及群体药代动力学随机对照多中心研究

近五年承担国家级项目 (2018—2022 年)

牵头单位	项目类别	项目名称	经费 (万元)
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	国家科技部重点研发计划	靶向血液系统疾病的离体基因治疗研究	663
苏州大学附属医院	国家科技部重点研发计划	T-ALL 多维度全景式分子分型及预后评价体系的建立	355
上海儿童医学中心	国家科技部重点研发计划	基于高危神经母细胞瘤分子特征的临床转化研究	181
华中科技大学同济医学院附属协和医院	国家科技部重点研发计划	基于大数据管理的 CART 细胞治疗临床研究设计及预后模型探索	220
广州市妇女儿童医疗中心	St.Baldrikck's International Scholar Extended (ISE)	Pharmacogenomics of High Risk Childhood Leukemia in China	23 (美金)
山东大学齐鲁医院	国家科技资源共享服务平台计划	中国人 T 细胞和 B 细胞免疫缺陷病遗传资源库和防控体系建立及应用示范	26
华中科技大学同济医学院附属协和医院	国家自然科学基金 (面上)	IKZF1 缺失通过整合素信号促中枢神经系统白血病的作用及机制研究	56
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	国家自然科学基金 (面上)	单细胞测序技术探索儿童 B-ALL 克隆演化规律和复发机制	60
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	国家自然科学基金 (面上)	通用型造血干细胞基因编辑技术治疗先天性纯红细胞再生障碍性贫血的研究	53
广州市妇女儿童医疗中心	国家自然科学基金 (面上)	circ-MYBL2 通过调控母基因 MYBL2 蛋白表达抑制白血病细胞分化及分子机制研究	60
广州市妇女儿童医疗中心	国家自然科学基金 (面上)	胶质瘤线粒体特异性高表达的 miR-92b-5p 调控细胞衰老的作用机制研究	50
复旦大学附属儿科医院	国家自然科学基金 (面上)	T 淋巴瘤细胞性淋巴瘤的起源及演进的分子机制研究	60
上海儿童医学中心	国家自然科学基金 (面上)	CaN-NFAT-Cpt1a 通路介导 T 细胞脂肪酸氧化在再生障碍性贫血中的机制研究	55
上海儿童医学中心	国家自然科学基金 (面上)	遗传性 GATA3 变异通过增加 B 淋巴细胞 DNA 双链断裂致儿童易感 Ph 样急性淋巴细胞白血病的分子机制研究	55
上海儿童医学中心	国家自然科学基金 (面上)	细胞衰老介导费城染色体阳性急性淋巴细胞白血病酪氨酸激酶抑制剂耐药机制及对策研究	55

牵头单位	项目类别	项目名称	经费 (万元)
苏州大学附属医院	国家自然科学基金 (面上)	组蛋白甲基转移酶 DOT1L 调节异体造血干细胞移植 pDC 重建的机制和 GVHD 防治新策略研究	55
苏州大学附属医院	国家自然科学基金 (面上)	抑制受体相互作用蛋白激酶 1 的激酶活性保护移植抗宿主病的作用机制研究	55
浙江大学医学院附属儿童医院	国家自然科学基金 (面上)	Toll 样受体 9 通路在 EB 病毒相关噬血细胞综合征发病中的作用及机制研究	55
新疆医科大学第一附属医院	国家自然科学基金 (面上)	包虫抗原 B 调控巨噬细胞极化阻滞免疫血小板减少症的机制研究	34
广西医科大学第一附属医院	国家自然科学基金 (地区)	LncRNA NR_120526 结合转录因子 ILF2/3 调控血红蛋白 F 合成的机制研究	35
广西医科大学第一附属医院	国家自然科学基金 (地区)	基于单细胞光镊拉曼光谱技术的血红蛋白病的单细胞识别	34
广西医科大学第一附属医院	国家自然科学基金 (地区)	高凝血活性 FV III Gly710Ala 突变体的功能机制研究	33
贵州医科大学附属医院	国家自然科学基金 (地区)	钙结合蛋白 S100A8 调控 ITGAM 表达在急性髓系白血病髓外浸润中的作用及机制研究	34
广州市妇女儿童医疗中心	国家自然科学基金 (青年)	FOXO1 缺失通过调控 RAG2 基因功能促进难治 / 复发性儿童 B-ALL 细胞对环磷酰胺耐药的作用和机制	30
广州市妇女儿童医疗中心	国家自然科学基金 (青年)	高精度解析 TAL1+51Enh 在红系发育分化中的特异性调控机制	24
广州市妇女儿童医疗中心	国家自然科学基金 (青年)	Rs2824662 遗传变异通过激活自噬促进 B-ALL 细胞对门冬酰胺酶耐药的机制研究	24
广州市妇女儿童医疗中心	国家自然科学基金 (青年)	TRIM13 通过泛素化 HEPTP 促进朗格汉斯组织细胞增生症细胞增殖的机制研究	24
广州市妇女儿童医疗中心	国家自然科学基金 (青年)	AR413 治疗 Ph 阳性急性 B 淋巴细胞白血病的分子机制研究	24
广州市妇女儿童医疗中心	国家自然科学基金 (青年)	ATF3 负调控髓系抑制性细胞氧化应激及其介导 NASH 形成的机制研究	29
广州市妇女儿童医疗中心	国家自然科学基金 (青年)	CDC27 通过 ODC1 接到促进神经母细胞瘤的转移	20

牵头单位	项目类别	项目名称	经费 (万元)
广州市妇女儿童医疗中心	国家自然科学基金 (青年)	环状 RNA hsa_circ_0012152 作为儿童 AML 分子标志物及其功能验证	16
华中科技大学同济医学院附属协和医院	国家自然科学基金 (青年)	MSC 调控巨噬细胞极化在急性淋巴细胞白血病进展中的作用及机制研究	30
华中科技大学同济医学院附属协和医院	国家自然科学基金 (青年)	槐耳双靶点抑制 Akt-FoxO1 通路增敏 Ik6+Ph+ 急性淋巴细胞白血病 TKI 治疗	30
华中科技大学同济医学院附属协和医院	国家自然科学基金 (青年)	PM2.5 通过调控 AhR 介导的线粒体自噬促进肝纤维化的作用机制研究	28
苏州大学附属医院	国家自然科学基金 (青年)	铁饱和乳铁蛋白抑制 PD-L1/PD-1 轴促进 CD8+T 细胞抗肿瘤活性的机制研究	30
苏州大学附属医院	国家自然科学基金 (青年)	靶向抑制 PDE3A 治疗急性巨核细胞白血病的策略及机制研究	30
苏州大学附属医院	国家自然科学基金 (青年)	促红细胞生成素介导儿童急性淋巴细胞白血病骨质破坏的作用及其机制研究	21
山东大学齐鲁医院	国家自然科学基金 (青年)	mTOR/c-Myc 信号轴的 O-GlcNAc 糖基化修饰对儿童急性 B 淋巴细胞白血病耐药的调控机制研究	20
重庆医科大学附属儿童医院	国家自然科学基金 (青年)	AKT2 通过正反馈调控 CD19 磷酸化促进 B 细胞激活和功能的机制研究	25
重庆医科大学附属儿童医院	国家自然科学基金 (青年)	Netrin-1 通过上调 β3 整合素表达激活下游 FAK 信号通路促进 T-ALL 细胞中枢神经系统浸润的研究	20
重庆医科大学附属儿童医院	国家自然科学基金 (青年)	脂筏在人偏肺病毒入胞过程中的作用机制研究	20
重庆医科大学附属儿童医院	国家自然科学基金 (青年)	RSV 感染活化 TLR3/TRIF 信号通路在 HSCT 后闭塞性毛细支气管炎发生及发展中的作用机制研究	17
上海儿童医学中心	国家自然科学基金 (青年)	HLA 抗体阳性再障骨髓微环境区域免疫稳态失调与重建	21
上海儿童医学中心	国家自然科学基金 (青年)	NPM1-CCDC28A 融合基因在 APL 中的致白血病作用及其分子机制研究	21
上海儿童医学中心	国家自然科学基金 (青年)	ARHGEF12 基因在稳态与应激性红系造血中的调控作用及机制研究	20

近五年发表高质量论文 (2018—2022 年)

第一署名单位	论文题目	期刊名称	分区	影响因子
上海儿童医学中心	Effect of Dasatinib vs Imatinib in the Treatment of Pediatric Philadelphia Chromosome Positive Acute Lymphoblastic Leukemia: A Randomized Clinical Trial	JAMA Oncol	Q1	28.4
上海儿童医学中心	The International Collaboration to Save Children With Cancer	JAMA Oncol	Q1	28.4
上海儿童医学中心	Therapy-induced mutations drive the genomic landscape of relapsed acute lymphoblastic leukemia	Blood	Q1	20.3
上海儿童医学中心	Identification of functional cooperative mutations of GNAO1 in human acute lymphoblastic leukemia	Blood	Q1	20.3
上海儿童医学中心	Prognostic factors for CNS control in children with acute lymphoblastic leukemia treated without cranial irradiation	Blood	Q1	20.3
上海儿童医学中心	Distinct genomic landscape of Chinese pediatric acute myeloid leukemia impacts clinical risk classification	Nat Commun	Q1	16.6
上海儿童医学中心	The genetics and clinical characteristics of children morphologically diagnosed as acute promyelocytic leukemia	Leukemia	Q1	11.4
上海儿童医学中心	ARHGEF12 regulates erythropoiesis and is involved in erythroid regeneration after chemotherapy in acute lymphoblastic leukemia patients	Haematologica	Q1	10.1
上海儿童医学中心	Homoharringtonine is a safe and effective substitute for anthracyclines in children younger than 2 years old with acute myeloid leukemia	Front Med	Q1	8.1
上海儿童医学中心	Genome-wide CRISPR/Cas9 screening identifies determinant of panobinostat sensitivity in acute lymphoblastic leukemia	Blood Adv	Q1	7.6

第一署名单位	论文题目	期刊名称	影响因子	分区
上海儿童医学中心	Effects of NT5C2 Germline Variants on 6-Mecaptopurine Metabolism in Children With Acute Lymphoblastic Leukemia	Clin Pharmacol Ther	Q1	6.7
上海儿童医学中心	A novel fusion gene PLEKHA NTRK3 in langerhans cell histiocytosis	Int J Cancer	Q1	6.4
上海儿童医学中心	Adequate asparaginase is important to prevent central nervous system and testicular relapse of pediatric Philadelphia chromosome-negative B-cell acute lymphoblastic leukemia	Int J Cancer	Q1	6.4
上海儿童医学中心	Molecular mechanism of c-Myc and PRPS1/2 against thiopurine resistance in Burkitt's lymphoma	J Cell Mol Med	Q2	5.3
上海儿童医学中心	Human leukocyte antigen disparities reduce relapse after hematopoietic stem cell transplantation in children with juvenile myelomonocytic leukemia: A single-center retrospective study from China	Pediatr Transplant	Q2	5.3
上海儿童医学中心	Treatment abandonment in childhood acute lymphoblastic leukaemia in China: a retrospective cohort study of the Chinese Children's Cancer Group	Arch Dis Child	Q1	5.2
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	Pulse therapy with vincristine and dexamethasone for childhood acute lymphoblastic leukaemia (CCCG-ALL-2015): an open-label, multicentre, randomised, phase 3, non-inferiority trial	The Lancet Oncology	Q1	51.1
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	Decoding the pathogenesis of Diamond-Blackfan anemia using single-cell RNA-seq	Cell Discovery	Q1	33.5
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	Efficacy and safety of CD19 CAR T constructed with a new anti-CD19 chimeric antigen receptor in relapsed or refractory acute lymphoblastic leukemia	Journal of Hematology & Oncology	Q1	28.5
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	Elucidating Minimal Residual Disease of Pediatric B cell Acute Lymphoblastic leukemia by Single Cell Analysis	Nature Cell Biology	Q1	21.3
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	FLT3 pathway is a potential therapeutic target for PRC2-mutated T-cell acute lymphoblastic leukemia	Blood	Q1	20.3

第一署名单位	论文题目	期刊名称	影响因子	分区
中国医学科学院血液病医院 (血液学研究所)	PDGFRB mutation and tyrosine kinase inhibitor resistance in Ph-like acute lymphoblastic leukemia	Blood	Q1	20.3
苏州大学附属儿童医院	Ecological principle meets cancer treatment: treating children with acute myeloid leukemia with low-dose chemotherapy	Nat'l Sci Rev	Q1	20.7
苏州大学附属儿童医院	Super-enhancer profiling identifies novel critical and targetable cancer survival gene LYL1 in pediatric acute myeloid leukemia	J Exp Clin Cancer Res	Q1	11.3
苏州大学附属儿童医院	Dynamic change of variant allele frequency reveals disease status, clonal evolution and survival in pediatric relapsed B-cell acute lymphoblastic leukaemia	Clin Transl Med	Q1	10.6
苏州大学附属儿童医院	Decitabine combined with minimally myelosuppressive therapy for induction of remission in pediatric high-risk acute myeloid leukemia with chromosome 5q deletion: a report of three cases	Int J Hematol	Q1	10.6
苏州大学附属儿童医院	Minimally myelosuppressive regimen for remission induction in pediatric AML: long-term results of an observational study	Blood Adv	Q1	7.6
苏州大学附属儿童医院	Management of ETV6-ABL1-positive childhood acute lymphoblastic leukaemia: report of two cases, a literature review and a call for action	Br J Haematol	Q1	6.5
苏州大学附属儿童医院	BRD4 PROTAC degrader ARV-825 inhibits T-cell acute lymphoblastic leukemia by targeting 'Undruggable' Myc-pathway genes	Cancer Cell Int	Q1	5.8
苏州大学附属儿童医院	A prospective multicenter study on varicella-zoster virus infection in children with acute lymphoblastic leukemia	Front Cell Infect Microbiol	Q1	5.7
苏州大学附属儿童医院	Paris forrestii Saponins From (Takht.) H. Li Display Potent Activity Against Acute Myeloid Leukemia by Suppressing the RNF6/AKT/mTOR Signaling Pathway	Front Pharmacol	Q1	5.6
苏州大学附属儿童医院	The Correlation Between Busulfan Exposure and Clinical Outcomes in Chinese Pediatric Patients: A Population Pharmacokinetic Study	Front Pharmacol	Q1	5.6

第一署名单位	论文题目	期刊名称	影响因子	分区
苏州大学附属儿童医院	HUWE1 Causes an Immune Imbalance in Immune Thrombocytopenic Purpura by Reducing the Number and Function of Treg Cells Through the Ubiquitination Degradation of Ets-1	Front Cell Dev Biol	Q1	5.5
苏州大学附属儿童医院	Extracellular vesicles derived from miR-199a-5p-modified adipose-derived mesenchymal stem cells alleviate immune thrombocytopenia by inhibiting T helper 17 differentiation	Lab Invest	Q1	5.0
广州市妇女儿童医疗中心	DNA methylation markers in the diagnosis and prognosis of common leukemias	SIGNAL TRANSDUCT TAR	Q1	39.3
广州市妇女儿童医疗中心	Anti-CLL1 Chimeric Antigen Receptor T-Cell Therapy in Children with Relapsed/Refractory Acute Myeloid Leukemia	Clin Cancer Res	Q1	11.5
广州市妇女儿童医疗中心	Characteristics of anti-CLL1 based CAR-T therapy for children with relapsed or refractory acute myeloid leukemia: the multi-center efficacy and safety interim analysis	LEUKEMIA	Q1	11.4
广州市妇女儿童医疗中心	Association of GATA3 polymorphisms with minimal residual disease and relapse risk in childhood acute lymphoblastic leukemia	J Natl Cancer Inst	Q1	10.3
广州市妇女儿童医疗中心	Mesenchymal stromal cell treatment improves outcomes in children with pneumonia post hematopoietic stem cell transplantation: a retrospective cohort study	Stem Cell Research & Therapy	Q1	7.5
广州市妇女儿童医疗中心	DNA methylation markers in the diagnosis and prognosis of common leukemias	SIGNAL TRANSDUCT TAR	Q1	7.4
广州市妇女儿童医疗中心	HOTAIR gene polymorphisms contribute to increased neuroblastoma susceptibility in Chinese children	Cancer	Q1	6.2
广州市妇女儿童医疗中心	Dietary carcinogen PhIP activates p53-dependent DNA damage response in the colon of the CYP1A-humanized mice	BioFactors	Q1	6.0
广州市妇女儿童医疗中心	Comprehensive analysis of the novel omicron receptor AXL in cancers	Computational and Structural Biotechnology Journal	Q1	6.0

第一署名单位	论文题目	期刊名称	影响因子	分区
广州市妇女儿童医疗中心	Association Between NR3C1 Mutation and Glucocorticoid Resistance in Children with Acute Lymphoblastic Leukemia	Frontiers in Pharmacology	Q1	5.6
广州市妇女儿童医疗中心	Wedelolactone induces apoptosis and pyroptosis in retinoblastoma through promoting ROS generation	Int Immunopharmacol.	Q1	5.6
广州市妇女儿童医疗中心	A Promising Insight: The Potential Influence and Therapeutic Value of the Gut Microbiota in GI GVHD.	OXID MED CELL LONGEV	Q1	5.5
广州市妇女儿童医疗中心	Effects of NRAS Mutations on Leukemogenesis and Targeting of Children With Acute Lymphoblastic Leukemia	Front Cell Dev Biol.	Q1	5.5
广州市妇女儿童医疗中心	Reduction, Prevention, and Control of Salmonella enterica Viable but Non-culturable Cells in Flour Food	Front Microbiol.	Q2	5.2
广州市妇女儿童医疗中心	Formation and Control of the Viable but Non-culturable State of Foodborne Pathogen Escherichia coli O157:H7	Front Microbiol.	Q2	5.2
广州市妇女儿童医疗中心	Pathogenic and Virulence Factor Detection on Viable but Non-culturable Methicillin-Resistant Staphylococcus aureus	Front Microbiol	Q2	5.2
广州市妇女儿童医疗中心	Metagenomic Next-Generation Sequencing vs. Traditional Pathogen Detection in the Diagnosis of Infection After Allogeneic Hematopoietic Stem Cell Transplantation in Children	Front Microbiol.	Q2	5.2
广州市妇女儿童医疗中心	TMPRSS2 serves as a prognostic biomarker and correlated with immune infiltrates in breast invasive cancer and lung adenocarcinoma	Front Mol Biosci.	Q2	5.0
华中科技大学同济医学院附属协和医院	Haematological characteristics and risk factors in the classification and prognosis evaluation of COVID-19: a retrospective cohort study	Lancet Haematol	Q1	24.7
华中科技大学同济医学院附属协和医院	Exploring the genetics and non-cell autonomous mechanisms underlying ALS/FTLD	Cell Death Differ	Q1	12.4

第一署名单位	论文题目	期刊名称	影响因子	分区
华中科技大学同济医学院附属协和医院	Chemotherapy sensitizes therapy-resistant cells to mild hyperthermia by suppressing heat shock protein 27 expression in triple negative breast cancer	Clin Cancer Res	Q1	11.5
华中科技大学同济医学院附属协和医院	miR-34c-5p promotes eradication of acute myeloid leukemia stem cells by inducing senescence through selective RAB27B targeting to inhibit exosome shedding	Leukemia	Q1	11.4
华中科技大学同济医学院附属协和医院	Collagen Functionalized With Graphene Oxide Enhanced Biomimetic Mineralization and in Situ Bone Defect Repair	ACS Appl Mater Interfaces	Q1	9.5
华中科技大学同济医学院附属协和医院	New attempts for central nervous infiltration of pediatric acute lymphoblastic leukemia	Cancer Metastasis Rev	Q1	9.2
华中科技大学同济医学院附属协和医院	piRNA-823 delivered by multiple myeloma-derived extracellular vesicles promoted tumorigenesis through re-educating endothelial cells in the tumor environment	Oncogene	Q1	8.0
华中科技大学同济医学院附属协和医院	Biocompatible graphene oxide-collagen composite aerogel for enhanced stiffness and in situ bone regeneration	Mater Sci Eng C Mater Biol Appl	Q1	7.9
华中科技大学同济医学院附属协和医院	IRE1 α prevents hepatic steatosis by processing and promoting the degradation of select microRNAs.Sci Signal	Sci Signal	Q1	7.3
华中科技大学同济医学院附属协和医院	Genetic and Epigenetic Targeting Therapy for Pediatric Acute Lymphoblastic Leukemia	Cells	Q2	6.0
华中科技大学同济医学院附属协和医院	How Does Epstein-Barr Virus Interact With Other Microbiomes in EBV-Driven Cancers? Frontiers in Cellular and Infection Microbiology	Front Cell Infect Microbiol	Q1	5.7
华中科技大学同济医学院附属协和医院	Case Report: Diffuse Large B Cell Lymphoma After Cardiac Transplantation due to Anthracycline-Induced Dilated Cardiomyopathy in Pediatric Acute Lymphoblastic Leukemia	Front Pharmacol	Q1	5.6
复旦大学附属儿科医院	Novel susceptibility variants at the ERG locus for childhood acute lymphoblastic leukemia in Hispanics	Blood	Q1	20.3

第一署名单位	论文题目	期刊名称	影响因子	分区
复旦大学附属儿科医院	Identification of four novel associations for B-cell acute lymphoblastic leukaemia risk	Nat Commun	Q1	16.6
复旦大学附属儿科医院	Single-cell RNA-seq reveals clonal diversity and prognostic genes of relapsed multiple myeloma	Clin Transl Med	Q1	10.6
复旦大学附属儿科医院	Molecular Mechanisms of ARID5B-Mediated Genetic Susceptibility to Acute Lymphoblastic Leukemia	J Natl Cancer Inst I	Q1	10.6
复旦大学附属儿科医院	Single-Cell RNA-seq Reveals Characteristics of Malignant Cells and Immune Microenvironment in Subcutaneous Panniculitis-Like T-Cell Lymphoma	Frontiers in Oncology	Q1	10.6
复旦大学附属儿科医院	Genome-Wide Association Study of Susceptibility Loci for T-Cell Acute Lymphoblastic Leukemia in Children	J Natl Cancer Inst	Q1	10.3
复旦大学附属儿科医院	Monocytic myeloid-derived suppressive cells mitigate over-adipogenesis of bone marrow microenvironment in aplastic anemia by inhibiting CD8+ T cells.	Cell Death Dis	Q1	9.0
复旦大学附属儿科医院	Extended vincristine and dexamethasone pulse therapy may not be necessary for children with TCF3-PBX1 positive acute lymphoblastic leukaemia	British Journal of Haematology	Q1	6.5
复旦大学附属儿科医院	Population Pharmacokinetics of High-Dose Methotrexate in Chinese Pediatric Patients With Acute Lymphoblastic Leukemia	Frontiers in pharmacology	Q1	5.6
四川大学华西第二医院	Outcome of children with newly diagnosed acute lymphoblastic leukemia treated with CCLG-ALL 2008 the first nation-wide prospective study in China	Am J Hematol	Q1	12.8
四川大学华西第二医院	Combination of common and novel rare NUDT15 variants improves predictive sensitivity of thiopurine-induced leukopenia in children with acutelymphoblastic leukemia	haematologica	Q1	10.1
四川大学华西第二医院	Lipid Nanoparticles-Encapsulated YF4: A Potential Therapeutic Oral Peptide Delivery System for Hypertension Treatment	Front Pharmacol	Q1	5.6

第一署名单位	论文题目	期刊名称	影响因子	分区
四川大学华西第二医院	Screening of Novel Pharmacogenetic Candidates for Mercaptopurine Induced Toxicity in Patients With Acute Lymphoblastic Leukemia	Front Pharmacol	Q1	5.6
四川大学华西第二医院	Novel Polymeric Hybrid Nanocarrier for Curcumin and Survivin shRNA Co-delivery Augments Tumor Penetration and Promotes Synergistic Tumor Suppression	Front Chem	Q2	5.5
四川大学华西第二医院	Editorial: Metabolic Regulation in the Development of Cardiovascular Diseases	Front Cell Dev Biol	Q1	5.5
重庆医科大学附属儿童医院	Prognostic factors for CNS control in children with acute lymphoblastic leukemia treated without cranial irradiation	Blood	Q1	20.3
重庆医科大学附属儿童医院	The Association of Fetal Thymus Size with Subsequent T Cell Counts in 22q11.2 Deletion Syndrome	Journal Of Clinical Immunology	Q1	9.1
重庆医科大学附属儿童医院	Netrin-1 induces the anti-apoptotic and pro-survival effects of B-ALL cells through the Unc5b-MAPK axis.	Cell Communication and Signaling	Q1	8.4
重庆医科大学附属儿童医院	Role of Serosal TRPV4-Constituted SOCE Mechanism in Secretagogues-Stimulated Intestinal Epithelial Anion Secretion	Frontiers in Pharmacology	Q1	5.6
浙江大学医学院附属儿童医院	Fulminant cytokine release syndrome in a paediatric patient with refractory Epstein-Barr virus-associated haemophagocytic lymphohistiocytosis receiving nivolumab treatment	Clin Microbiol Infect	Q1	14.2
浙江大学医学院附属儿童医院	Effect of ectopic high expression of transcription factor OCT4 on the "stemness" characteristics of human bone marrow derived mesenchymal stromal cells	Stem Cell Res Ther	Q1	7.5
浙江大学医学院附属儿童医院	Simple Evaluation of Clinical Situation and Subtypes of Pediatric Hemophagocytic Lymphohistiocytosis by Cytokine Patterns	Front Immunol	Q1	7.3
浙江大学医学院附属儿童医院	Integration of Interleukin-6 Improves the Diagnostic Precision of Metagenomic Next-Generation Sequencing for Infection in Immunocompromised Children	Front Microbiol	Q2	5.2

第一署名单位	论文题目	期刊名称	影响因子	分区
吉林大学第一医院	Inhibition of Mcl-1 Synergistically Enhances the Antileukemic Activity of Gilteritinib and MRX-2843 in Preclinical Models of FLT3-Mutated Acute Myeloid Leukemia	Cells	Q2	6.0
吉林大学第一医院	Association between high-dose methotrexate-induced toxicity and polymorphisms within methotrexate pathway genes in acute lymphoblastic leukemia	Front Pharmacol	Q1	5.6
山东大学齐鲁医院	Changes in neurocognitive function and central nervous system structure in childhood acute lymphoblastic leukaemia survivors after treatment: a meta-analysis	Br J Haematol	Q1	6.5
江西省儿童医院	Silencing of circTASP1 inhibits proliferation and induces apoptosis of acute myeloid leukaemia cells through modulating miR-515-5p/HMGA2 axis	J Cell Mol Med	Q2	5.3
福建医科大学附属协和医院	Long-term outcome of tyrosine kinase inhibitor treatment in children and adolescents with newly diagnosed chronic myeloid leukemia in chronic phase	Chin Med J	Q1	6.1
广西医科大学第一附属医院	Integrated analysis of proteomics and metabolomics in girls with central precocious puberty	Frontiers in Endocrinology	Q1	5.2
贵州医科大学附属医院	Serum Cytokine Profiling Identifies Axl as a New Biomarker Candidate for Active Eosinophilic Granulomatosis With Polyangiitis	Front Mol Biosci	Q2	5.0



本年报首次尝试以编制单位国家儿童医学中心、上海交通大学医学院附属上海儿童医学中心为案例，对上述重要科研进展撰写成果快报，希望未来抛砖引玉，吸引更多兄弟单位积极供稿。

多中心临床研究

根据中国儿童白血病诊疗登记管理系统数据，ALL 目前使用占比最高的方案 CCCG-ALL-2015/2020 方案，该研究是上海儿童医学中心牵头全国 20 家治疗儿童白血病顶尖医院建立的全球规模最大的儿童 ALL 多中心临床研究，将中国儿童急性淋巴细胞性白血病生存率从 75% 提高到 90% 以上，接近国际先进水平，结果在国际权威杂志《blood》发表。该研究发现窗口期地塞米松的治疗可减少血液和中枢神经系统中的白血病细胞；延迟的腰椎穿刺和鞘内注射减少了将白血病细胞带入中枢的风险；深度镇静下的腰椎穿刺术通过减少操作损伤和增加鞘内注射效果，从而降低了中枢神经系统复发的风险。此外，首次脑脊液流式细胞术检测，较传统形态学检测更为敏感的检测出脑脊液中肿瘤细胞，从而进行不同强度的脑白预防治疗，进而减低中枢神经系统复发的风险。该研究结果对无论是发达国家，还是医疗资源有限的国家的所有 ALL 患者诊治都有借鉴作用。

费城染色体阳性的急性淋巴细胞白血病（Ph+ALL）一直是治疗的难点，新世纪初酪氨酸激酶抑制剂（TKI）的使用，Ph+ALL 疗效有了较大改观。CCCG-ALL-2015 研究通过严谨设计的随机对照方案，在国际上首次报告多中心研究结果，达沙替尼明显优于伊马替尼疗效，并且无需使用颅脑放疗即可很好地控制中枢神经系统白血病，结果发表在国际权威杂志《JAMA Oncology》。通过另一项随机对照研究证实，儿童 ALL 在维持治疗期间，长春新碱和地塞米松可以省去不用，不增加疾病复发率，且降低不良反应发生率。该研究为儿童 ALL 患者常规治疗探索了一种更经济、安全、便捷的治疗方式，2021 年发表在国际权威杂志《LANCET ONCOLOGY》。



临床基础研究

在提高疗效的同时，上海儿童医学中心的研究团队针对非编码调控变异开发了全新的个性化计算生物学分析工具 cis-X。在儿童及成人肿瘤基因组分析中的初步应用，证明 cis-X 能够在小样本量下能够有效的发现新的非编码变异及其调控的原癌基因，补充和扩展了对于肿瘤基因组的认识，并开启了非编码基因组变异分析在个性化精准医疗中应用的可能性，填补了这一领域的空白。研究结果发表在国际权威杂志《Nature Genetics》。

上海儿童医学中心的研究团队通过对中国儿童急性髓细胞白血病（AML）患者的初发肿瘤样本进行基因组分析，详细描绘了中国儿童急性髓系白血病基因组驱动变异特征，揭示了我国 AML 患儿不同于西方人群的特有驱动变异及组合，并进一步根据其预后、临床分层的影响，建立了适合中国儿童 AML 的风险分层模型，为我国儿童 AML 精准医疗的开展奠定了基础。研究结果发表在国际权威杂志《Nature Commun》。

移植与细胞治疗

上海儿童医学中心“儿童骨髓衰竭性疾病发病机制及造血干细胞移植关键技术优化”通过优化移植技术，使儿童获得性再障疗效领先于国际并 2014 年率先全球更新了儿童再障一线治疗的专家共识，首次发现全反式维甲及 NEIL3 分子靶向治疗骨髓衰竭新思路，首次建立儿童骨髓衰竭分子诊断路径。该项成果 2022 年获得上海市科技进步二等奖。

上海儿童医学中心自主研发的嵌合抗原受体 T 细胞（CAR-T）细胞治疗新技术成功跨出临床转化关键步伐，CD19 的 CAR-T 获得了企业转化，旨在构建从临床研究到产品研发的“医院-企业”合作新机制，推动生物医药技术新发展。我院至今已完成 500 多例儿童白血病和恶性淋巴瘤的 CAR-T 细胞治疗，缓解率高达 98.8%，达到国际领先水平，给复发、难治的儿童白血病患者带来了新希望。其中采用 CD19 和 CD22 双靶点 CAR-T 治疗复发、难治 B 系急性淋巴细胞白血病（B-ALL）的研究成果目前已在国际著名医学杂志《Journal of Clinical Oncology》发表，1 年的无病生存率（EFS）为 73.5%，与国际同类报道相比，我院的 CAR-T 技术显示了较好的临床疗效。



门诊部
Outpatient

国家儿童医学中心
National Children's Medical Center



上海儿童医学中心



儿童白血病诊疗登记
工作群

中国儿童白血病年报 (2022)

主管单位：国家卫生健康委员会医政司

编制单位：国家儿童医学中心-上海交通大学医学院附属上海儿童医学中心

责任部门：上海儿童医学中心血液肿瘤大数据分析与管理办公室、上海交通大学中国医院发展研究院儿童健康管理研究所、
国家卫生健康委儿童血液肿瘤重点实验室、上海医疗质量研究中心

总体策划：江忠仪、张浩

文稿统筹：蔡骄阳、董媛媛、吴广益

审校：汤静燕、陈静、沈树红、陆兆辉、张云婷

