



国家儿童医学中心
NATIONAL CHILDREN'S MEDICAL CENTER
复旦大学附属儿科医院
CHILDREN'S HOSPITAL OF FUDAN UNIVERSITY



儿科临床研究中心工作简报

第1期（总第1期）



科研部 / 儿科临床研究中心办公室

2022年1月

卷首语



高水平的临床研究成果是国家儿童医学中心构建医学高峰的重要标志。为了推动我院儿科临床研究中心（CRU）平台建设，促进临床研究高质量发展，增进院内外临床研究同道之间的交流，我院临床研究中心将定期发布“儿科临床研究中心工作简报”。简报分为“本期要闻”、“临

床研究管理”、“临床研究培训”、“临床研究服务”、“儿科前沿临床研究动态”等多元化板块，呈现我院临床研究中心平台建设、项目管理、人员培训等工作进展及临床研究最新成果，同时传递国内外儿科前沿临床研究的最新进展。希望该简报能成为儿科临床研究者分享与交流的“枢纽”，通过大家的共同努力，让儿科临床研究百花齐放，结出累累硕果！

复旦大学附属儿科医院院长

儿科临床研究中心主任 黄国英 教授

【本期要闻】

► 黄国英教授领衔团队荣获上海市科学技术进步奖一等奖



由复旦大学附属儿科医院院长、儿科临床研究中心主任黄国英教授领衔的课题《新生儿先天性心脏病筛查体系和危重症救治关键技术》荣获2020年度上海市科学技术进步奖一等奖。该项目历时10年，研制并推广了新生儿先天性心脏病筛查体系和危重症救治关键技术。在国际上首创准确、简便、无创伤、低成本的“双指标”

（心脏杂音+氧饱和度异常）筛查方案；建立了新生儿危重症先心病手术关键技术体系；建立了分片区负责、全流程管理、基于信息化的筛查-干预体系。成果先后转化为上海市和国家的公共卫生政策，项目团队受国家卫生和健康委员会委托，制定了《新生儿先心病筛查、诊断和治疗机构要求》、《新生儿先心病筛查项目工作方案》、《新生儿先心病筛查项目技术规范》，并被指定为新生儿先心病筛查国家级项目管理办公室，使先心病纳入我国新生儿筛查疾病谱。该项工作使危重症先心病在出生后早期得到及时救治，挽救了成千上万幼小的生命，显著地降低了上海市婴幼儿死亡原因中的先心病占比以及婴幼儿死亡率，取得了很好的社会效益，促进了儿童公共卫生服务的提升。

项目形成知识产权9项；在Lancet、Pediatrics以及《中华儿科杂志》等权威学术期刊发表论文80篇；发表科普文章8篇和科普视频3个，制作了培训教材；主办国际学术研讨会10次，受邀专题报告150次。研究成果写入《实用新生儿学》等权威医学学术专著，促进了医学的进步和学科的发展。新生儿先心病筛查覆盖范围已拓展到28个省，共有筛查机构5,438家、诊断机构975家、治疗机构197家。培训新生儿先心病筛查省级师资160名，地市级师资665名，筛查人员34207名。

▶ 我院新获批7项国家科技部十四五重点专项， 位居全国儿童专科医院首位

近日，科技部2021年度国家重点研发计划项目和国家科技创新2030重大项目立项公示结束，我院黄国英、陆国平、王建设、王磊教授作为首席科学家牵头的4项科技部重点研发计划项目获批，徐虹、张晓波、罗飞宏教授作为课题组长承担的3项科技部重点研发计划和重大专项获批。

项目名称	项目负责人
结构性出生缺陷疾病防控和救助体系的构建	黄国英 (首席科学家)
儿童重症感染性疾病精准诊疗与应用	陆国平 (首席科学家)
出生缺陷基因治疗的临床前研究和产品研发	王建设 (首席科学家)
卵母细胞发育的质量控制 (基础研究类)	王磊 (首席科学家)
慢性肾脏病发生、发展及预后的风险预测体系 (基础研究类)	徐虹 (课题组长)
儿科疾病大数据库与知识图谱构建	张晓波 (课题组长)
儿童肥胖代谢性疾病发生机制及精准防治示范研究	罗飞宏 (课题组长)

【临床研究管理】

▶ 我院顺利完成申康“第二轮临床三年行动计划”项目中期评估和现场核查暨市级医院临床研究体系标准化和创新能力评估



2021年12月10日，上海市申康医院发展中心对我院进行了第二轮《促进市级医院临床技能和临床创新三年行动计划》项目中期评估和现场核查暨市级医院临床研究体系标准化创新能力建设评估。此次申康中心中期评估和现场核查是对我院近年来加强临床研究中心建设和临床研究项目管理的一次大检验。

本轮申康“临床三年行动计划”中，我院共承担了五项临床研究项目，分别是黄国英教授牵头的临床研究关键支撑项目“先心病和川崎病队列数据库和生物样本全息库”，郑珊教授“中国儿童胆道闭锁生物标志物的研发及早期精准无创诊断模型的建立”与饶佳

研究员“先天性肾脏及尿路畸形的出生缺陷预警及早期精准诊断”的疑难疾病精准诊治攻关项目，陈伟明副主任医师“儿童长期机械通气全国多中心临床队列研究”与杨琳副研究员“新生儿惊厥表型基因型相关精准诊疗流程的建立及临床应用研究”的临床研究青年项目。

在中期评估现场，周文浩副院长、陆毅群主任和李智平主任分别就我院临床研究中心（CRU）、伦理委员会（IRB）和药物临床试验机构（GCP）建设情况进行了汇报。



现场核查是此次中期检查的重要组成部分，申康中心质控专家、数据管理专家、财务专家从项目进展、数据溯源、质控实施、经费使用等方面对我院项目进行现场核查，核对财务明细及凭证、检查项目管理制度及记录、追溯信息系统数据，并对医院财务科、信息网络中心、生物样本库、临床研究中心等部门人员进行了现场访谈。

经过此次现场核查，各项目组增强了临床研究质量管理意识，在研究进展、数据溯源、质控实施、经费使用等各方面加强专业化和规范化管理，为临床研究高水平产出做好保障。

► 我院成立基因治疗临床研究科学性审查专家委员会及基因治疗伦理委员会

2021年9月，我院成立基因治疗临床研究科学性审查专家委员会及基因治疗伦理委员会，并同时制定《复旦大学附属儿科医院基因治疗临床研究管理流程（试行）》，推动我院基因治疗相关临床研究项目安全、规范、有序开展，促进我院疑难危重症疾病诊治与防控能力的快速提升。近期，由科研部与临床研究中心办公室牵头顺利启动我院第一个研究者发起的基因治疗临床研究项目的科学性审查与伦理审查。

科学性审查专家委员会组成	基因治疗伦理委员会组成
<p>主任委员：黄国英、徐虹</p> <p>委员：郑珊、周文浩、陈超、贾兵、徐秀、王晓川、许政敏、董岌然、王建设、黄瑛、罗飞宏、徐锦、陆国平、李智平、严卫丽、俞建、乔中伟、周玉峰、钱莉玲、张晓波、李昊、占昌友、仇子龙、卢大儒、马端</p> <p>秘书：朱海涛</p>	<p>主任委员：徐虹、黄国英</p> <p>副主任委员：钱莉玲、陆毅群</p> <p>委员：朱启镕、李智平、柳龚堡、葛琳娟、陈卫文、张瑾、顾莺、朱伟、施晓桦、尹音、伍蓉、卢大儒、仇子龙</p> <p>秘书：朱海涛、吴柳娟</p>



► 儿科临床研究中心完成院内临床研究整合平台（CRIP）部署，实现我院临床研究实施全过程信息化管理



方案讨论



建库指导



数据对接

近日，儿科临床研究中心已在院内成功部署临床研究整合平台（clinical research integrated platform, CRIP），按照国际规范化临床研究管理流程和申康临床研究数据管理要求，对研究者发起的临床研究（Investigator Initiate Trial, IIT）提供全链路、一体化管理。通过临床试验管理系统（Clinical Trial Management System, CTMS）、电子数据采集系统（Electronic Data Capture, EDC）、中央随机化系统（Interactive Web Response System, IWRS）、文档管理系统（Electronic Trial Master File Management System, eTMF）、不良反应警戒系统（Pharmacovigilance, PV）等

模块一体化集成，实现临床研究人员及权限管理、电子文档管理、随机化分配、构建电子病例报告表、数据录入、逻辑核查、质疑管理、稽查轨迹、数据库锁定和数据导出等功能，保证临床研究中获得的各类数据信息真实、准确、完整和可靠。目前，我院申康第二轮“临床三年行动计划”资助项目已在该平台运行，实现了临床研究项目管理、电子数据采集、数据质控、数据上传全过程管理，为临床研究项目高效、规范开展提供有力支撑。



【临床研究培训】

► 儿科临床研究“领航”计划-临床研究整体能力提升培训班开班



2022年1月14日上午，由科研部、兒科臨床研究中心主辦的兒科臨床研究“領航”計劃暨臨床研究整體能力提升培訓班首次培訓在科研樓演講廳正式啟動。兒科臨床研究“領航”計劃，是由我院科研部、兒科臨床研究中心組織，面向院內外各兒科專科中青年臨床骨干實施的一項臨床研究拔尖人才培養和臨床研究項目孵育計劃。本次臨床研究整體能力提升培訓項目是該計劃的第一部分。

此次會議特邀上海市生物醫藥科技發展中心馬璟教授、上海市第一人民醫院臨床研究中心丁雪鷹教授蒞臨指導並做學術講座。兒科臨床研究中心主任、復旦大學附屬兒科醫院院長黃國英教授，兒科醫院黨委書記徐虹教授，上海市申康中心臨促中心錢碧雲主任分別致辭。



会议由周文浩副院长主持。培训班首期学员、我院临床及相关科室主任、临床科研人员等60余人现场参会。厦门、安徽、海南分院临床科研人员近30余人远程在线参会。会上徐虹书记为我院儿科临床研究中心三位特聘顾问钱碧云教授、马璟教授、丁雪鹰教授颁发聘书，并一道正式启动本次培训项目。

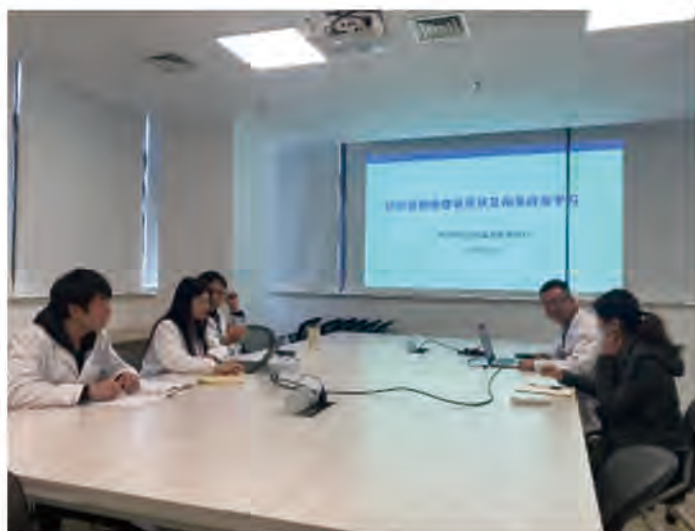


在授课环节中，马璟和丁雪鹰两位教授分别带来《研究者发起的细胞治疗临床研究前应完成的非临床研究》和《研究型病房建设思考》两个精彩的学术讲座。学术讲座后，参会学员与两位专家就IIT项目管理与方案设计、研究型病房建设等方面进行了热烈地讨论。



► 临床研究中心办公室开展首次科内业务学习

为提升临床研究中心管理人员专业水平与工作能力，由临床研究中心办公室定期组织开展科内业务学习。首次业务学习由办公室主任助理施鹏就研究型病房的概念，功能及国内外建设现状进行了详细的介绍。



什么是研究型病房

研究型病房，是指在具备相关条件的医院内，设立的以临床研究为导向的病房，医务人员在其中开展药物和医疗器械的临床试验、生物医学新技术的临床应用观察等研究工作，是重要的科技基础设施，是开展新技术、新方法、新药品和新器械创新研究的策源地和试验田，也是全产业链布局医药健康产业体系的重大举措。

【临床研究服务】

► 临床研究中心开设公众号

近日，临床研究中心公众号正式上线，通过此平台，将推送临床研究相关的政策法规，培训信息、国内外最新动态等内容。



复旦儿科科研部



【儿科前沿临床研究动态】

【本期文献】

中国欠发达地区学龄儿童未被识别的先天性心脏病的高患病率：一项基于人群的超声心动图筛查研究

作者：赵趣鸣（共第一），陈红燕（共第一），张国文，陈伟呈，贾兵，刘芳，马晓静，严卫丽，牛康卫，黄国英

(Zhao Q, Chen H, Zhang G, Chen W, Jia B, Liu F, Ma X, Yan W, Niu C, Huang G. High Prevalence of Unrecognized Congenital Heart Disease in School-Age Children in Rural China: A Population-Based Echocardiographic Screening Study. *Circulation*. 2021 Dec 7;144(23):1896-1898.)

【研究背景】

先天性心脏病（先心病）是最常见的出生缺陷，荟萃分析显示，在活产新生儿中，先心病患病率约为8%；而在学龄儿童中，未治疗的先心病患病率为3.8%，首次诊断的先心病患病率为1.4%。目前学龄儿童的先心病筛查方式都是先进行体格检查，对于体检异常的对象再进行心脏超声确诊，这种模式可以发现一部分先心病患儿，但会遗漏许多病例而低估先心病的真实患病率，因此国内外均缺少学龄儿童先心病的真实流行病学资料。

【研究方法 with 结果】

通过5个乡镇全部21861名学龄儿童（平均年龄11.9岁）的心脏超声检查发现，学龄儿童总体先心病患病率为13%，其中首次诊断的先心病患病率高达11.5%，均远远高于既往的报道数据；其中有治疗指征的先心病占72.6%。分析发现贫困地区和贫困户是先心病未被及时发现的独立危险因素。

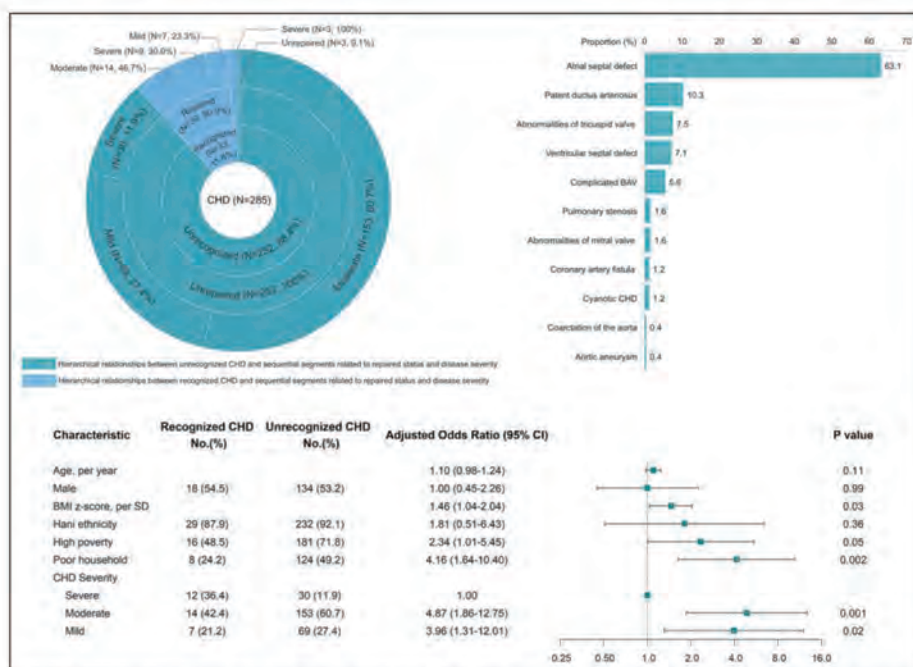


Figure. Diagnosis, severity, and repaired conditions of the 285 patients with CHD; spectrum of unrecognized CHD and its associated risk factors.

【研究意义】

该研究首次揭示了国内欠发达地区儿童先天性心脏病患病率及未得到及时诊治的严峻状况，研究结果对我国今后相关公共卫生政策的制定提供了一定的参考，提示在实施乡村振兴计划、不断加强欠发达地区医疗可及性的同时，应着重提高医务人员对儿童心脏病的认知和筛查识别能力，并广泛开展医学科学知识普及教育提高民众健康意识。



【联系我们】

**国家儿童医学中心、复旦大学附属儿科医院
科研部/儿科临床研究中心办公室**

地址：上海市闵行区万源路399号8号楼8803、8804室

电话：021-64933512

邮箱：chfu_cru@163.com