

罕见病多元保障里的“上海温度”

从先行走向先进,多方托举让生命不再孤单

今天是第19个国际罕见病日。提及罕见病,人们常联想到患者被疾病困于孤岛,而在这个属于全球罕见病群体的日子里,无数鲜活故事正在重塑生命叙事。

“我希望大家在患者身上看到的不仅是陌生的罕见病本身,而是每个具体鲜活的生命。”在2026年“万分之一的遇见”罕见病公益科普视频展启动仪式上,这句呼吁掷地有声。每一幅画作、每一段影像,都见证着罕见病群体从未因身体羁绊放弃对自我价值的探索。今年国际罕见病日主题是“不止罕见”(More than you can imagine),这些蓬勃生命力,推动更多人看见、理解并帮助他们回归社会。

随着国家医保目录动态调整和首版商保创新药目录落地,我国罕见病防治事业迈入快车道。但在普惠保障之外,仍有部分患者面临“有药难用”困境,难以跨越从生存到生活的鸿沟。如何以更完善的制度和多方支付机制,护航患者稳定治疗、真正回归社会,成为当下核心议题。

罕见病进展不可逆

“不止罕见”亟需多方托举

罕见病患者仍需跨越医学与经济双重险滩。与常见病不同,罕见病多具有不可逆性,以戈谢病等溶酶体贮积症为例,药物治疗需终身维持且不可替代,一旦因经济压力断药,将造成不可逆的身体损伤,前期治疗投入也将付诸东流。建立稳定、可持续的资金来源,是临床治疗持续有效的前提。

罕见病更是家庭的“经济黑洞”。患者家庭难以承担高额药费,不少家长为照顾患儿被迫放弃工作,陷入医疗支出激增、家庭收入中断的双重困境。

上海市罕见病防治基金会理事长、中华医学会罕见病分会副主任委员黄国英指出:“罕见病不只是诊疗问题,更是深度社会民生问题,需要全社会多方托举。我们的终极目



为患儿和家长提供罕见病和遗传学疾病相关的免费咨询和看诊服务 本报记者 徐程 摄

申城三甲医院牵头 启动DeepRare 万例临床验证

本报讯(记者 郟阳 实习生 唐敏)今天上午,上海交通大学医学院附属新华医院在国际罕见病日系列活动现场,正式启动DeepRare 真实世界临床验证全国多中心研究。

记者获悉,这款今年2月19日登上《自然》的全球首个可溯源智能体罕见病诊断系统,将开启大规模真实世界应用研究,通过逾18000例回顾性病例和逾2000例前瞻性、多层次病例研究,验证AI在罕见病临床诊断中的实际价值,推动这一“中国方案”从

实验室走向临床一线,为破解罕见病“诊断难、诊断慢”的全球困境提供循证支撑。

DeepRare由上海交通大学医学院附属新华医院与上海交通大学人工智能研究院联合研发,首创“中枢一分身”可溯源Agentic AI架构,实现了实时知识整合、类医生慢思考推理、全流程可溯源论证三大核心突破,表型诊断首位准确率达57.18%,引入基因数据后综合准确率突破70.6%,远超国际同类工具,其可溯源的推理链条更让AI诊断从“黑盒”变成了“透明诊室”。

标,是帮助他们打破隔离,真正回归社会,成为社会大家庭的一员。”

探索建立专项基金

解决用药保障“最后一公里”

近年来,国家医保药品目录常态化调整,

一批高值罕见病药通过谈判纳入医保,普惠型商业保险也构筑起第二道防线。但对部分需长期、终身用药的高额治疗费用患者而言,支付痛点依然存在。黄国英以戈谢病举例:“目前医保内药物有明确适应症限制,依赖酶替代治疗的患者若因支付断药,将面临不可

逆骨畸形与多脏器损伤。

面对“有药难用”“支付难”,上海始终先行探索。早在2013年,上海便以“多方共担”模式,为破解罕见病高值用药保障提供最早“上海方案”,也为长三角等地政策实践提供范本。

站在新起点,业内普遍认为,应整合政府支持、商业保险与慈善救助,建立罕见病专项基金,填补普惠保障之外的“真空带”,解决用药保障“最后一公里”。

市政协原常委、市政协提案委员会原常务副主任黄鸣认为,专项基金核心价值是提供制度性稳定保障:“上海已有不少救助机制,但缺乏整体性协调,单靠企业、慈善或单个部门难以形成长效。设立专项基金,能从制度上解决筹资不确定性问题。”

她还提出“一窗式”服务构想,让患者快速申请、无缝衔接。更关键的是,专项基金可作为核心枢纽,整合沪惠保、基本医保等分散资源,形成保障合力。

让“上海温度”持续升温

法治为多元化保障体系护航

“万分之一的遇见”公益科普活动,已经是上海市罕见病防治基金会连续举办的第五届罕见病主题活动。这份温度背后,是上海在制度层面的先行先试。

作为全国医保排头兵,上海坚持“制度先行”。2025年3月1日《上海市医疗保障条例》正式实施,明确将“鼓励社会力量参与罕见病的诊治、研究和用药保障”写入法条,为多元保障体系筑牢法理根基。

目前,上海浦东新区人大正开展相关立法调研。黄鸣介绍,立法建议围绕两条主线:一是以患者为中心,梳理预防、诊断、治疗、护理全生命周期权益;二是强化“物”的保障,畅通器械进口、鼓励药企研发。

黄国英表示:“政府牵头、多方参与的合力,是解决罕见病民生问题的根本路径。上海正依托生物医药产业优势,在诊疗、研究、立法、保障等方面加快布局,打造罕见病创新药‘走得起、付得起’的上海特色路径。”

本报记者 左妍

华二金山实验学校高中部今秋招生

本报讯(记者 赵菊玲)昨天,金山区人民政府与华东师范大学举行合作签约仪式,正式启动共建华东师范大学第二附属中学金山实验学校(高中部)。学校计划于今年9月招收首届高一新生。

此次签约标志着金山区在基础教育领域与华东师范大学的合作迈入新阶段。2023年9月,华东师范大学第二附属中学金山实验学校成功开办。目前学校共有小学部、初中部共17个班级,在校生近600人。学校依托华东师范大学、华东师范大学第二附属中学的专家管理团队和名师团队,全面引领办学方向、学校管理以及课程建设,办学两年来赢得区域社会广泛认可。

多年来,金山区与华东师范大学持续深化合作,围绕基础教育改革、师资培养、教育科研等方面展开深度合作,已共建三所附属学校。其中,华东师范大学第三附属中学为上海市实验性示范性高中,华东师范大学附属枫泾中学也成功创建为上海市特色普通高中,办学成果显著。

华二金山实验学校高中部的设立,是回应民生关切、提升区域教育服务水平的重要举措,也是推动金山城市功能完善与发展能级提升的关键一环。金山区将坚持高起点规划、高标准办学,全面保障师资队伍与办学条件,依托华东师大和华二附中的优质资源,努力将学校打造为上海南部高中教育的标杆。



开学前,让老师先“玩嗨了”

体育馆上演纸质过山车挑战,老师们在“边玩边学”中迎接新学期

寒假尾声,昨天,上海交通大学附属小学的体育馆里重新热闹起来。

大屏幕上的倒计时不断跳跃,小组成员们或趴或站,围绕着一组由管道、转盘等组成的纸质材料忙碌着。他们的任务是在规定时间内设计制作出一座至少包含3种轨道结构的纸质过山车模型。设计的关卡越多,弹珠滚落的时间越长,得分越高。“这里要高一点,对,再高一点试试!”“你来,你贴得比我好,对,就这样,调整一下角度,完美!”讨论声、欢呼声、呼朋唤友寻求帮助声,不绝于耳。

有点特别的是,在这里玩“嗨”了的不是孩子,而是老师们。返校开工第一天,上海交通大学附属小学为老师们举办了一场“马力全开”STEM+科学与工程挑战活动,让老师们先感受玩的乐趣。

“云端逐梦”“马上顺滑”“赤兔追风”……各组名称各不相同,也通过不同的结构展示出不同的创意。球速太快怎么办?用胶带制作成“减速条”。小球过弯容易飞出轨道怎么办?加块挡板,或者干脆做成一小截密闭轨道,就能增加通过的稳定性。

“自己会玩,才会给更多的学生创造出机会玩,让孩子们在玩中学。”在和伙伴们齐心协力搭成了一座全场最高的过山车后,数学老师袁亚敏由衷感叹。同组伙伴、语文老师郑

重则觉得,这场游戏让她更加坚信,老师要懂得生活,才能从生活中获得灵感,启发孩子的思维。他们小组的作品“纸电喇叭”灵感来自刚刚闭幕的米兰冬奥会。为了让小球顺利通过“大回环”结构,他们想到,一定要把起点抬高,让小球拥有从“大跳台”出发的动力势能。轨道的起伏和弯道的设计,则是受到了钢架雪车赛道的启发。

校科学教研组长侯玉丽介绍,工作坊想给老师的是一座“SE”教学模型(Engagement投入、Exploration探索、Explanation解释、Elaboration阐述、Evaluation评估),也是一条清晰的可迁移的教学路径,希望老师们也能同样给孩子们带来更多像这样“没有标准答案”的挑战。例如,在“简单机械”单元,不急讲原理,而是给学生设置一个“移重物”的真实任务,让他们自己去发现机械的奥秘;在“潜水艇制作”“物体的重心”等单元,让学生先理解潜水艇、不倒翁等要解决什么问题,再通过完整的工程实践,经历从想法到作品的每一步。新学期,学校还将开设“未来船舶工程师”和“校园池塘水质监



交大附小的老师们在参加STEM+科学与工程挑战活动 本报记者 陶磊 摄

测”两项STEM+课程。“我们会借鉴今天活动中‘试错被包容’的氛围,让学生多尝试多总结,不急给答案。让科学课堂成为学生敢于探索、不怕失败的地方。”侯玉丽说。

“积蓄势能”“释放动能”“协同前进”,在校长顾文眼中,这是过山车传递给老师们的“能量”,“希望老师们也能在新的一年里,元气满满地引领我们的孩子们,冲向更高、更远的未来!” 本报记者 陆梓华