LAM 治疗联盟 (LTA) 全球 LAM 患者峰会

[2008 年 1 月 11-13 日, 英国牛津]

会议报告及下一步行动计划

患者如何促进研究？

57 名研究人员，临床医师、和来自 17 个国家的患者及患者家属代表聚集英国牛津，在探寻 LAM 治疗方面取得重要进展。会议的目的是确立患者如何支持和促进 LAM 研究。

限制 LAM 研究的最大因素不是研究者缺乏兴趣，也不是经费问题，而是很难获得 LAM 患者的组织标本及相应的临床资料。为了使研究持续开展，研究者正等待着 LAM 患者的任何组织标本，包括体液。 另外，全球各地的科学家常常因为病例少而被迫停止研究，这已成为 LAM 研究最大的障碍。在牛津的会议上，确定了这两个主要问题并提出了以下的解决方法。

1、欧洲组织标本协调网

LAM 研究最大的限制因素是组织标本的获得途径。组织标本指的是任何可能会有 LAM 细胞的标本：包括乳糜液、血、尿、肺组织、肾组织及支气管肺泡灌洗液等。

组织标本是LAM研究所迫切需要的

自去年 3 月份起，美国国际疾病研究交换中心（NDRI）依靠卓越的标本收集和承诺，协调着 LAM 组织标本的获得及分配工作。NDRI 希望能把服务拓展至欧洲，获得、处理并及时把标本分送到研究者手中。

会议特别讨论了组织标本的短缺问题，并决定 NDRI 不仅在美国、并且在全球其他地区管理 LAM 组织标本，建立有效的全球研究网络。因为 NDRI 在此领域经验丰富，与 NDRI 合作成为提供研究者所急需标本的最快捷途径。在会议的投票上，以绝对票数支持立即展开与 NDRI 的合作，NDRI 将提供迅速、低廉、透明及中立的方法解决组织短缺问题，对研究者的需求有广泛的理解并对获取和分配标本采取积极的措施。

NDRI 不仅是个标本库，同时他们也积极满足研究者对 LAM 标本的要求，在组织标本与研究者中间建立快速通道。这对于新鲜组织标本至关重要。他们还

帮助注册捐献的患者，确保迅速处理。NDRI 将尽最大努力展开在欧洲的工作。NDRI 还将考察帮助世界其他地方的组织获得及分配的方法。

你能做什么？

如果你愿意捐献你的组织或体液给 LAM 研究者，第一步是提供你的联系地址并签署知情同意书。同意书现正在更新并翻译成多国语言。即使患者英语已很流利，但如其所在国家英语是非官方语言的话，他们仍需要用本国语言签字。现在你可以点击以下的连接，并留下你的联系方法给 NDRI，他们会尽快发出同意书给您。如果你的国家使用英语，你能立即注册和填写。

打开以下网站并点击“捐献注册”：

http://www.ndriresource.org/Donor_Programs/Individual_Donors/37/

如果你知道你将要进行活检、胸穿、移植、胸膜粘连、支气管灌洗，或者任何其他侵入性治疗，请发邮件通知 NDRI 作什么治疗、地点及时间（当然，等待移植不能提供具体手术时间，但如果所有文书已就绪，早点通知也能节省时间）。

对于其他的治疗，提早一天预先通知总比没有预先通知好。通知越早，NDRI 就有越多的机会及时获取标本，我们将很快把详细的标本清单传递给研究者，这些标本对于他们很重要。血与尿液也有可能有更多研究价值，所以请随时留意！

以下连接是 2007 年 12 月 NDRI 有关 LAM 组织标本的简讯：

http://www.ndriresource.org/SiteData/docs/ARareinsight12_07/0bc3e8212189efed253bd5109c43aed3/ARarelnsight12_07.pdf

2、全球 LAM 数据库：LAMSight

美国麻省理工学院（MIT）传播媒体实验室最近正在设计一个数据库，使全球 LAM 患者能注册他们的详细资料。经此研究者可以了解各国有多少患者及他们的综合信息。这将有利于临床实验的设计，并能使研究者及其他患者能及时把新的研究进展及临床试验信息带给您。

数据库将会严格防止未被授予的进入，患者的隐私是数据库设计上优先考虑的问题。作为已注册的使用者，患者可看到集合的数据。由于有更大的患者群体，LAMSight 将有助于医生处理疾病，并帮助现有的和新的 LAM 研究者更好地理解疾病。目前，初步的数据库版本正在试用中。一经开放注册能在整个 LAM 社区实行，其通知将会张贴在 LTA 的首页及其他尽可能多的 LAM 病友网页上。我

们期待在 3－6 月内开始开放注册。

数据库将最终给患者更多的机会全面回答他们的问题。目前在区域邮件组上交流的问题将有效地传达到更多的患者。

会上的临床医生及研究者都相信：这是把病例数少的 LAM 患者联合起来，使得研究者能接触较多的病例资料，获得更多想要的信息，并能邀请患者加入临床实验中的最好的方法。我们将紧密地为研究工作服务，确保所设计的网络能被最有效地运作并保持其科学性和符合法规。

3．临床试验和非适应证药物的使用

Costabel 医生强调临床试验的重要性，并提出有充足病例数才能得出有意义的统计结果。药物试验只有在特定时间内有充足的病例参加才有可能完成。没有设计合理的临床试验及足够的病例参加，就很难发现 LAM 的有效治疗方法，并确认治疗的有效性及安全性。临床医生也提出病情发展迅速的患者不一定能等待临床试验。为此， LTA 将把马上与科学家一起开始建立一种使用非适应证治疗的草案。

我们只有怀着合作的热情才有可能最快地探索到 LAM 的治疗方法。捐献我们的组织标本，参与注册全球 LAM 数据库的初级和最终版本。这样，我们才能为帮助我们的科学家提供最大的我们能做的努力。

原始文件提供：全球 LAM 患者峰会协调委员会

翻译者：王海英

中文版发布日期：2008-2-14