

中文翻译版

转化医学的研究与探索

——解读NIH-CTSA 2.0

The CTSA Program at NIH: Opportunities for Advancing
Clinical and Translational Research

Alan I. Leshner
Sharon F. Terry
Andrea M. Schultz
Catharyn T. Liverman

主编
时占祥 译



科学出版社

中文翻译版

转化医学的研究与探索

——解读NIH-CTSA 2.0

The CTSA Program at NIH: Opportunities for Advancing
Clinical and Translational Research

Alan I. Leshner

Sharon F. Terry

主编

Andrea M. Schultz

Catharyn T. Liverman

时占祥 译

科学出版社

北京

图字:01-2014-1522 号

内 容 简 介

本书详细介绍了 NIH-CTSA 项目的愿景、架构、基金资助情况及 CTSA 联盟委员会的调研报告,并对美国公共卫生与医疗保健模式变革的大环境、转化医学发展历程及转化医学研究案例进行了阐述;重点介绍了 CTSA 项目的管理模式与运行机制、战略合作、评估机制及最佳转化医学研究实践;简述了转化医学教育、社区参与转化医学研究的机遇与挑战等。同时,为方便读者理解,译者还增加了相关知识的注释内容。

本书适合转化医学中心建设者、转化医学研究领域的管理者及从事转化医学研究相关的学者参阅。

图书在版编目(CIP)数据

转化医学的研究与探索:解读 NIH-CTSA 2.0/(美)莱什纳
(Leshner, A. I.)等主编.时占祥译. —北京:科学出版社,2014.6
书名原文:The CTSA Program at NIH:Opportunities for Advancing
Clinical and Translational Research
ISBN 978-7-03-040805-1
I. 转… II. ①莱… ②时… III. 医学-研究 IV. R
中国版本图书馆 CIP 数据核字(2014)第 113327 号

责任编辑:王 丽 杨小玲/责任校对:郑金红
责任印制:肖 兴/封面设计:范璧合

This is the translation of *The CTSA Program at NIH:Opptunities for Advancing Clinical and Translational Research* by Committee to Review the Clinical and Translational Science Awards Program at the National Center for Advancing Translational Sciences, Board on Health Sciences Policy and Institute of Medicine.

2013. First Published in English by Natioal Academies Press. All rights reserved.
This edition published under agreement with the National Academy of Sciences.

科学出版社出版

北京东黄城根北街 16 号

邮政编码:100717

<http://www.sciencep.com>

三河市骏杰印刷厂印刷

科学出版社发行 各地新华书店经销

*

2014 年 6 月第 一 版 开本:787×1092 1/16

2014 年 6 月第一次印刷 印张:10 1/2

字数:248 000

定价:46.00 元

(如有印装质量问题,我社负责调换)

CTSA 基金项目评审专家委员会成员

- ALAN I. LESHNER 美国科学促进协会(AAAS),华盛顿特区
SHARON F. TERRY 遗传疾病联盟,华盛顿特区
SUSAN AXELROD 美国癫痫疾病研究中心,芝加哥,依利诺伊州
ENRIQUETA C. BOND 宝来惠康基金会,马歇尔市,弗吉尼亚州
ANN C. BONHAM 美国医学院校协会,华盛顿特区
SUSAN J. CURRY 依阿华大学,依阿华州
PHYLLIS A. DENNERY 宾夕法尼亚大学,费城,宾夕法尼亚州
RALPH I. HORWITZ GlaxoSmithKline 制药公司,普鲁士国王郡市,宾夕法尼亚州
JEFFREY P. KAHN 约翰·霍普金斯大学,巴尔地摩市,马里兰州
ROBIN T. KELLEY 美国国家少数民族艾滋病委员会,华盛顿特区
MARGARET MCCABE 波士顿儿童医院,马赛诸塞州
EDITH A. PEREZ 梅奥诊所,杰克逊维尔市,佛罗里达州
CLIFFORD J. ROSEN 缅因州医疗中心研究所,士嘉堡市,缅因州

美国医学科学院(IOM)健康科学政策咨询委员会成员

- CATHARYN T. LIVERMAN 项目总监
ANDREA M. SCHULTZ 项目总监
MARGARET A. MCCOY 项目主任
CLAIRE F. GIAMMARIA 副研究员
JUDITH L. ESTEP 助理研究员
ANDREW M. POPE 健康科学政策委员会成员

撰写顾问

- VICTORIA WEISFELD 编辑

译者序

子曰：“温故而知新，可以为师矣。”

——《论语·为政篇》

近年来,随着美国国立卫生研究院(NIH)倡导建立并推进临床与转化医学学科领域的发展,国内医学界对此前沿领域的关注也在不断升温。通过各种交流活动,国内专家学者增进了对美国临床与转化医学中心的了解,对NIH 临床与转化医学基金项目(NIH Clinical and Translational Science Awards Program,NIH-CTSA 项目)已经不再陌生了。

20 世纪末,由于临床研究仍未能解决某些疾病的诊疗问题,而基础研究的成果又无法被有效地转化成为有益于患者疾病诊治的手段,因此,政府及医学界都开始质疑现行的医学研究模式并思考未来的发展导向。NIH 适时地提出了临床与转化医学实践,并成立CTSA 基金项目,通过该基金项目在全美资助建立了61 家临床与转化医学科学中心或研究院。在CTSA 项目进入升级阶段(CTSA 2.0),NIH 再次意识到这是总结过去、思考未来的关键时刻。

为此,NIH 邀请美国医学科学院(Institute of Medicine,IOM)调研和评估NIH-CTSA 项目。IOM 是美国公共卫生与生物医学领域中独立的、最权威的咨询机构,专家咨询委员会确立的CTSA 项目调研目标简明扼要,即“做了什么、做得怎样? 今后的发展导向是什么?CTSA 项目是否有必要存在或如何完善?”因此,IOM-CTSA 调研报告既是对这些内容的具体描述和分析,又是对转化医学科学实践的更高层次的研究与探索。

IOM-CTSA 调研报告归纳和总结了CTSA 项目7 年来的整体指导思想与实践,包括CTSA 项目自身的发展与完善、各具特色的临床与转化医学中心现状等。具体地讲,第2 章回顾了NIH 提出临床与转化医学的发展历程,包括CTSA 项目与NIH 资助长达40 年之久的临床研究中心项目(GCRC 项目)的相关性,以及明确了临床与转化医学研究的定义和范畴等。第3 章介绍了临床与转化医学研究的相关背景与案例,包括目前美国公共卫生与医疗保健模式的变革,开展临床与转化医学研究应当以循证公共卫生与医疗保健系统(learning health care system)为导向,这对全面理解转化医学研究有着重要的现实意义。第4 章探讨了CTSA 项目管理模式与运行机制,特别强调了NIH 促进转化科学发展中心(National Center for Advancing Translational Sciences,NCATS)的领导作用。第5 章总结并建议在统一和优先发展领域中,各个CTSA 中心应发挥的优势,建立更广泛的联盟合作,特别支持社区参与转化医学研究的全程,阐明了转化医学研究只有关注并研究社区健康和患者疾病

问题,才可能真正、有效地促进科学成果的转化,最终解答医学科学命题。

回顾生命科学前沿领域在21世纪第一个10年的发展时,IOM-CTSA 调研报告认为,NIH 倡导临床与转化医学研究是在尝试改革生命科学研究的运行模式、拓展生命科学的内涵与外延,树立协同合作的新规则,特别强调“转化医学是以团队为基础的科学实践(team-based science),必须建立合作、共享资源;重点关注领域应包括培养交叉学科的研究型人才;以社区参与转化医学研究为支柱;加强儿童健康的转化医学研究等”。

至此,我们也领悟到了开展临床与转化医学研究也许是解决当前基础研究与临床医学实践衔接不紧密、科研成果转化不畅的一剂“良药”。但在实践中,由于触及现存科研管理体制和运行机制的“桎梏”或障碍,在中国建立和发展转化医学科学领域不可能一蹴而就。因此,我们衷心地期望读者能从IOM-CTSA 调研报告中有所领悟、有所发展。根据自身需求,拓展甚至创新符合中国国情的临床与转化医学研究的理论和实践。诚然,不同的社会制度有着不同的公共卫生与医疗保健体制、不同的科研环境和教育方式。但是,我们都面临着同样的人类疾病,都期盼着通过严谨的科学研究转化成果,找出更好、更有效的诊疗与预防措施。

在翻译此书的过程中,除了忠实地翻译原文,译者还对其中一些重要内容的背景做了注释,并通过与NIH-NCRR 原主任Dr. Barbara Alving 的访谈交流了有关见解。限于经验有限,肯定有误解和不妥之处。希望读者在阅读过程中提出宝贵意见,共同推动中国临床与转化医学事业的健康发展。最后,也对参与本书翻译和文稿整理工作的杨颖老师(海军总医院)和李英丽老师(全球医生组织北京代表处)表示衷心的感谢。

时占祥

全球医生组织(GlobalMD)中国总代表

中华国际医学交流基金会“临床与转化医学专项基金”负责人

2013年12月25日

前 言

美国政府与私营企业在公共卫生和医疗保健领域已经分别投入了巨资,以保障社会民众更好地享有公平的、高质量的医疗保健服务,但各界还是一致认为在许多方面急需改革以降低医疗成本,提高服务质量。与此同时,由于美国历来重视投资生物与医药领域的科学研究与创新探索,这也为社会获得先进技术、新的预防和诊疗方案提供了可能性。美国国立卫生研究院(National Institutes of Health,NIH)倡导临床与转化医学研究也正是为了承诺和保障转化有效的研究成果与方法,以期提高国民的医疗服务水平和改善公共卫生大环境。事实证明投资科学研究,开发创新工具和研究方法(例如,信息学技术、科研基础设施建设、专业教育和培训等)是必不可少的,这也是将基础研究中的创新、有希望的成果和发现转化进入临床验证与应用,以及保障医院医疗服务和家庭健康保健的必需环节。

2006年,NIH打破了原有资助临床研究项目的模式(NIH-General Clinical Research Center Project,NIH-GCRC 临床研究中心项目),正式设立了临床与转化科学基金项目(Clinical and Translational Science Awards,CTSA),旨在促进和加快临床与转化医学研究实践。NIH深知废除陈旧的模式,开拓崭新举措,实现崇高而又具有挑战的目标,不是那么轻而易举的。

2012年,美国医学科学院(IOM)领导的专家咨询委员会对NIH-CTSA项目及其进展进行调研评估,目的是为使国家能够更好地、更有效地利用这项重要的研究资源,为继续推进CTSA项目而铺平道路,同时,也是为了辅助临床和转化科学领域的发展而提出建设性意见。关于CTSA项目的现状,IOM专家委员会从CTSA项目重要性与未来发展机遇这两个核心方面提出了宝贵建议。IOM专家咨询委员会得出结论是:在初步完成的阶段中,CTSA项目成功地营造了临床与转化医学“家园”的协作氛围,建立了转化医学的教育与培训机制,为发展临床和转化医学研究开发了必要的辅助工具,并且形成了诸多战略合作伙伴关系。与此同时,根据NIH要求,IOM专家咨询委员会也为CTSA项目下一阶段——CTSA 2.0的工作提出了建议,针对应当改进和需要完善的重点领域。

CTSA项目的发展愿景的确令人兴奋,同时也责任重大。可以肯定地讲,实现CTSA项目的战略目标,将为转化预防与诊疗的创新方法、验证和应用于临床实践带来巨大的影响和发展潜力。我们也清醒地意识到现存科研机构的体制、辅助研究与资源保障,以及研究方法等诸多方面的改革,依然是阻碍重重。因此,为推动临床和转化医学事业向前发展,我们必须建立强势的领导决策机制,形成具有开创性的战略合作伙伴关系,努力完成各CTSA中心对CTSA项目预期目标所做出的

承诺。

能带领这个由众多顶级专家所组成的审评专家委员会以及出色的工作人员团队是我们医学科学院(IOM)的殊荣。正是因为各位专家们的辛勤工作,使得我们能够全面客观地了解 and 认知这个庞大而又复杂的项目;探讨如何更好地发挥其潜力,使该项目发展得更好。基于各位专家们精湛的专业知识和无私奉献,我们尽可能地用既深刻又明确的言语表达出了我们共同的信念。

在此,我们非常感谢所有参加访谈调研的专家,感谢他们参加评审专家委员会所召集的各项研讨活动,提供真实案例和演讲内容等。我们也非常感谢NIH 国家促进转化科学中心(NCATS)工作人员所给予的积极支持和配合。最后,IOM 专家委员会诚挚地感谢众多科研人员为完成此调研活动所给予的各种形式支持和建议。

时至今日,NIH-CTSA 项目已初见成效,并展示了巨大潜力。我们坚信NIH-CTSA 项目能够进一步促进临床和转化医学的发展,最终影响和完善人类社会健康事业的发展。在未来几年内,我们期待着这种潜力和理想早日得以实现。

Alan I. Leshner 主席

AAAS/Science 首席执行官

Science 总编辑

Sharon F. Terry 副主席

临床和转化科学基金(CTSA)项目评审专家委员会

NIH 附属国家促进转化科学发展中心(NCATS)

目 录

译者序
前言

第1章 概述 1
 注释 10
第2章 NIH-CTSA 基金项目简介 14
 一、调研项目范围与程序 15
 二、临床与转化医学概念 17
 三、NIH-CTSA 项目概述 19
 四、调研报告形式 25
 注释 26
 参考文献 36
第3章 CTSA 项目的愿景 39
 一、美国公共卫生与医疗保健的大环境 39
 二、发展中的临床与转化医学生态系统 42
 三、应对不断变化的临床与转化医学生态系统 43
 四、CTSA 项目的愿景——CTSA 2.0 46
 注释 48
 参考文献 54
第4章 CTSA 项目的领导力 58
 一、CTSA 项目的管理策略 58
 二、CTSA 项目架构 65
 三、战略合作与合作伙伴关系 68
 四、CTSA 中心的建设 75
 五、建立CTSA 项目的评估机制 78
 六、CTSA 项目中的沟通与交流 85
 七、结论与建议 88
 注释 90
 参考文献 94

第5章 临床与转化医学的交叉领域..... 99

 一、临床与转化医学的教育与培训 99

 二、社区参与转化医学研究领域 106

 三、儿童健康的转化研究 115

 注释 119

 参考文献 126

第6章 结语:CTSA 项目的机遇与未来 132

 注释 134

附录1 信息收集和文件审阅 136

附录2 CTSA 项目资助建立61 所临床与转化医学中心/研究院名单 138

附录3 临床与转化研究的辅助工具和技术 147

附录4 NCATS 咨询委员会工作报告——如何评估转化医学基金项目
 是否成功(How to succeed in Translational Science) 153

第 1 章 概 述

在过去的半个世纪里,生物医学研究领域迅猛、倍增式拓展,许多的新发现和新知识被用于保障和不断提高人类的健康水平。然而将基础与临床研究成果转化到临床应用和社区保健服务实践一直是一个漫长而又复杂的过程,呈现在患者面前的和社区民众获益的科研成果可能已是多年前的成果了。正因为如此,NIH 深刻地意识到需要新的动力来推动临床与转化医学研究,为此,NIH 在2006 年正式建立了临床与转化科学基金(CTSA)项目。

NIH 建立CTSA 项目旨在“为开展原创性的临床与转化医学研究实践提供所有可能的、有形和无形的综合资源支持”,而CTSA 基金项目资助建立的临床与转化医学中心(CTSA 中心)则是作为“催化临床与转化医学的政策,鼓励担负起开展临床与转化医学研究的实验基地,最终,将最佳经验推广应用到全美各地区的临床与转化医学研究实践中去”。CTSA 项目实施7 年至今,从最初资助建立的12 所临床与转化医学中心,已扩增到覆盖全美的61 所临床与转化医学中心,这些CTSA 中心分别隶属于各个大学院校的医学健康研究中心等。由此可见,该项目已经取得了初步成效,实现了最初的预期目标:重塑美国医学院校以及科研机构的临床与转化医学研究,逐步形成全国范围的转化科学协作网络。

2012 年,NIH 邀请美国医学科学院(IOM)并组成特别专家委员会开展一项关于CTSA 项目的调研活动,以期达成共识^[1~3]。该调研项目旨在根据其进展现状评估CTSA 项目的使命与战略发展目标,以及其改变的必要性,为今后工作提出建议。

IOM 专家委员会还审议了NIH 国家促进转化科学发展中心(NIH-NCATS)提出的CTSA 项目建议和实施方案,包括如何加快研发疾病的创新疗法、促进以疾病为目标的个体化诊疗方案、开展儿童健康与疾病的医学研究等,建立CTSA 中心与NIH 附属院所或中心开展更紧密的协作关系,提高NIH 其他资助项目资源的综合利用等。

为完成此调研工作,IOM 邀请了13 位专家组成调研项目专家委员会^[4],这些专家们各自拥有不同领域的丰富实践经验,包括社区医疗健康服务、公共卫生与政策法规、生物医学研究伦理、教育与培训、医药研发、科研项目审评管理、生物基础研究与临床医学,以及儿童健康相关的研究等。可以说,各位专家的丰富阅历与实践经验涵盖了临床与转化医学研究的整个范畴。

IOM 专家委员会结合CTSA 项目现状和进展得出的总体结论是:为推动临床与转化医学学科进展,CTSA 项目发挥了其显著的作用。因此,NIH 对该项目的投

资不仅物有所值,而且在不断完善的基础上,该项目还会更有实效地促进临床与转化科学的全面发展。

(一)CTSA 项目

事实上,CTSA 项目起源于NIH 资助建立的临床研究中心项目(NIH's General Clinical Research Center,GCRC 项目)。在过去的40 年里,NIH-GCRC 项目为建设临床研究基础设施提供了必要的资金支持。2004 年,NIH 提出了现代医学研究发展的路线图,作为其中的核心部分,NIH 领导层倡导并建立了促进转化医学领域发展的CTSA 基金项目。2006~2011 年,由NIH 附属国家研究资源中心(NCRR)负责管理CTSA 基金项目。2012 年财政年度伊始,NIH 又创建了国家促进转化科学发展中心(NCATS)取代了NCRR 的职能,由此,CTSA 项目成了NCATS 的核心组成部分和首要工作。

NIH-CTSA 项目基金资助建立临床与转化医学中心是按照合作协议模式,5 年为一期给予资金支持。各个中心获得年度CTSA 基金400 万~2300 万美元。在2012 年财政年度中,CTSA 项目总预算基金为4.61 亿美元。事实上,建立既具有活力又朝气蓬勃的临床与转化医学中心不仅需要CTSA 项目的资金支持,还需要其所属大学院校或科研机构提供的人力、物力甚至财力的支持与承诺,尽管NIH 并没有要求上级主管部门或院校承诺对该项目给予配比资金支持。在本调研中,专家委员会也无法归纳任何可量化的数据来佐证主管院校所给予的资金支持或实际贡献,但在访谈中,许多专家学者列举了所在科研机构 and 大学院校的高层主管对CTSA 项目的大力支持^[5]。

在全美范围内,NIH-CTSA 项目共资助建立了61 所临床与转化医学中心和(或)研究院,每个中心设立了广泛而又丰富的专业培训课程和辅助科研活动,以协助研究人员找寻有前途的临床诊疗方案,并且迅速地向前推进临床实践应用。支持科研的辅助项目包括了建设核心设施和生物医学信息技术;给予预试验的资金支持,提供政策法规咨询服务;提供生物统计学、流行病学、试验方案设计,以及职业道德和医学研究伦理的咨询服务;招募参与临床试验的受试者;与社区建立合作关系并邀请社区参加和提供研究参与者的资源并开展和交流互动。

从CTSA 项目启动伊始,NIH 提出CTSA 项目的目标是建立全美范围的协作联盟,筛选并积极推荐最佳转化研究经验。为此,CTSA 项目经过自身的发展以及各方面的共同努力,已成立了不同形式和各种规模的CTSA 联盟机构,负责和督导众多委员会的研究合作等。CTSA 联盟则接受3 个执行委员会的督导和咨询,即CTSA 项目执行委员会、督导委员会,以及儿童健康研究监督委员会。此外,随着CTSA 项目整体的推进与拓展,又组成了5 个战略目标委员会,其成员是由那些临床与转化医学中心的核心负责人(PIs)、研究人员和其他科研人员等组成,旨在共同探讨跨学科领域的研究合作问题。此外,CTSA 联盟机构还包括了14 个核心研究项目委员

会(即一些专题研究兴趣小组、探索试验小组、工作项目小组等),他们彼此之间相互促进,共同研究并确定最佳转化研究的实践方法。

2011年11月,通过项目申请公开竞标方式,范德堡大学(Vanderbilt University)又获得了NIH-CTSA项目的专项资助负责组建CTSA协调中心。该CTSA协调中心通过执行一系列工作来规范和协调CTSA联盟成员之间的交流活动,努力推广最佳实践经验,提供各种方便保障共享获取科研工具和研究资源等,最终目的是促进和加强CTSA中心之间的协作,其中CTSA协调中心的部分工作是利用www.CTSA-Central.org平台来完成的。

(二)CTSA项目的背景与期望

实际上,CTSA项目并非独立而行的,它不仅依托于泛化的临床与转化医学生态系统,同时,还在日趋复杂和不断变化的公共卫生与医疗保健体制中起着也至关重要的作用。数十年来,美国积累的创新与技术进步、生物基础科学与医学研究成果、临床医学与公共卫生健康领域的发展和进步,为延长人类预期寿命、改善个人与社会群体的健康水平做出了卓越贡献。然而,科学发现步伐的加速也成了美国公共卫生和医疗保健体制日益复杂化的原因之一,并且,客观上造成医疗质量参差不齐和服务成本不断地攀升。

在美国社会中,各界人士参与公共卫生科研事业和支持医疗服务体制改革的热情不断高涨,医疗服务保险机构与研究人员共同设计和尝试更好的医疗服务方案,评估现行标准和管理模式,或根据社区和特殊群体的需求开展具有针对性的临床研究活动。诸如此类的研究结果不断地影响着目前临床诊疗实践和科研模式,最终改善和提高社会整体的医疗健康水平,建立一个务实的、不断完善的公共卫生与医疗保健系统。而这一系统工程概念正是建立在转化“我们知道什么”成为“我们应当做什么”的实践中。该医疗服务系统承诺了转化更多的科技成果与应用,包括创新科技研究能力、市场机遇和政策导向等。因此,临床与转化医学实践是存在于、并为之所服务的公共卫生与医疗保健大系统之中。

CTSA项目已成功地使CTSA中心成为了其所在大学或院校开展临床与转化医学研究的焦点。而CTSA项目下一阶段所面临的挑战就是NCATS所定义CTSA 2.0的目标:为全国61家临床与转化医学中心确定其未来发展目标,并且建立全面的激励机制。使它们彼此相互之间形成一个全国性的协作网,包括各自内部或与其他研究机构之间开展持续性的合作;包括与NIH附属院所和研究中心,以及社区机构、企业和其他生物医药机构的合作伙伴关系等。IOM专家委员会期望:应将目前依然比较松散的CTSA项目协作架构升级成为一种更紧密的协同网络式架构,这种升级模式的进一步完善将促进发展一种转化通道模式,实现共享最新诊疗方法与疾病预防干预方案,共享创新转化研究方法和最佳实践经验;通过提高领导者信息化管理标准和政策执行力度而促进研究资源的合理化利用等。

为此,专家委员会拟定了针对4个关键领域的改革建议:

(1)积极执行与维护CTSA项目的领导力:进一步强化NCATS领导地位,根据NIH-CTSA合作协议规定,加强对CTSA项目总体方案和布局规划的管理。而体现NCATS领导力的具体方式,应当包括NCATS领导者积极参与CTSA中心的监管;参与建立社区合作伙伴关系,以及确保在CTSA项目总体设计中其他方案的有效实施,最大程度地发挥各自的优势,为其他合作伙伴和CTSA项目协调中心的未来发展方向提供指导和参考。

(2)开展务实、有成效的合作:CTSA项目应把握和评估CTSA中心彼此之间,以及各自内部有建设性意义和富有成效的合作。继续支持建立真正的科研合作伙伴关系,包括与NIH附属院所和研究中心;与其他科研机构 and 中心或实体组织机构,例如,患者团体组织、社区、公共卫生和医疗保险机构、企业及政策法规监管机构等。

(3)开发并提倡广泛共享创新研究资源:在拓展临床与转化医学领域过程中,全面发挥CTSA项目加速器的作用,支持科研人员与其他辅助人员的合作,共同开发科研项目、优化研究方法、共享最佳实践经验、应用医疗健康信息技术、辅助研究工具、政策规范及其他任何研究资源等。

(4)在初步成功基础上,继续加强培训与教育、社区合作建设以及儿童健康的研究:在这些领域中,CTSA项目需要继续保持其强劲的发展与合作态势。因此,建立一支强大而又多元化的科研队伍,培养团队科学精神(team science)是必不可少的,而且是极为重要的。通过一系列转化研究创新活动,重点关注社区参与整个转化医学研究领域,解决社区与患者一系列的需求,由此也可以获得更多民众对开展转化医学研究的支持。CTSA项目的职能还应解决和克服针对儿童健康研究重视不足的现象。

(三)CTSA项目的领导力

CTSA项目发展至今已具有了一个多层次、复杂的组织管理架构。项目的综合管理与监督机制包括了NCATS、CTSA资助建立的CTSA中心、各种形式的CTSA联盟委员会、各种不同研究目标的工作小组以及CTSA项目协调中心等。由于CTSA项目自身的管理架构和基金资助范围,使其从根本上就面临着巨大挑战,包括如何平衡自上而下(top-down)和草根(grass-root)两种截然不同的领导理念和管理模式。至今为止,在大部分情况下,该项目的管理模式仍然是依靠各自CTSA中心自发的精神和努力,以及他们的核心领导者的管理理念和经验。IOM专家委员会认为,随着CTSA项目的不断向前发展,今后的工作必须强化集中领导力,NCATS应承担此任,并且更加积极地督导CTSA项目的发展。

IOM专家委员会期望CTSA项目的核心管理应由新成立的NCATS-CTSA项目督导委员会来承担。该督导委员会应负责CTSA项目的整体策划与监督指导;协调

CTSA 中心之间的交叉协作活动;与外部研究机构的协同合作等。促进和鼓励 CTSA 中心与NIH 附属院所和研究中心,以及NIH 之外的科研机构开展协作;为传播和推广最佳实践,拟定设置新的CTSA 创新基金的资助支持。

CTSA 项目下一步的战略规划需要明确NCATS 的督导和引领地位,其使命也应当更新、明确其最终目标,并且与NCATS 的使命保持一致。为塑造CTSA 项目的最佳形象和实现未来发展愿景,应确定并传递更加清晰的、可评估的战略性目标。而这些可评估的战略性目标,将作为更高层、共同发展的指标和实施方案的基础,也可以作为公共宣传和展示项目进展的内容。目前,在NCATS-CTSA 项目规划中,对评估各个CTSA 中心的具体工作、CTSA 项目整体计划的实施与进展及如何实现最终目标还不十分清晰。尽管CTSA 中心在开展转化医学项目的自我评估过程中,各个CTSA 中心都分别取得了初步进展,但目前关于这些内容的报告还缺乏透明度、在更高层次上尚无共识评估标准,因此,在评估CTSA 项目总体方案的实施情况就更加困难重重。

目前,改革CTSA 项目的组织管理和整顿联盟机构应是未来一两年内战略规划中的一个重要工作。CTSA 联盟机构迫切需要精简,建议只保留那些与CTSA 项目目标密切相关和优先等级的组织机构或联盟委员会。

建议 1:进一步强化 NCATS 对 CTSA 项目的领导力

应进一步加强NCATS 对CTSA 项目的领导力,在拓展临床与转化医学领域过程中,努力创新和推进改革。在实现CTSA 2.0 升级过程中,NCATS 应当:

遵照和执行NIH-CTSA 合作协议,积极参与CTSA 联盟的活动;参与战略规划全过程,全面促进临床与转化医学的发展,制订可行的、可评估的整体发展目标及实现这些目标的具体方案;

作为整体规划与实践活动者,CTSA 项目支持所有阶段的临床与转化研究项目;同时,积极鼓励和提倡各院校根据自身的优势制订既灵活、又独特的临床与转化医学中心的管理运行模式;

加强与NIH 附属院所和研究中心及其他科研协作网和企业的密切合作,形成战略伙伴关系;

建立CTSA 创新基金支持试点研究课题,支持各个CTSA 中心之间、CTSA 中心与NIH 附属机构之间,和(或)其他公立或私营科研机构之间(如企业、政府其他机构、私募基金会及社区机构等)开展广泛协作;

将CTSA 项目作为一个整体项目进行评估,寻找差距、弱点及其发展机遇,为实现这些发展机遇,健全合理化机制;

从CTSA 项目中提炼出最佳实践和经验,并且广泛地宣传已取得的成果及其核心价值,为进一步合作寻求更多机会。

建议 2:重新配置和简化 CTSA 联盟机构

由NCATS 和CTSA 中心联盟机构联合组成一个CTSA 项目督导委员会,该委员会承担责任,重新配置和精简CTSA 联盟结构;

由NCATS 核心领导人员出任该督导委员会主席;CTSA 中心主要负责人出任副主席;为CTSA 协调中心规划未来发展方向,促进资源共享。

建议 3:在临床与转化研究全部范畴内,鼓励发展 CTSA 中心各自特色和优势

在NCATS 领导之下,遵循CTSA 项目的使命和既定目标,同时,各自CTSA 中心也应依据自身的特殊优势而发展,因此,在整个临床与转化医学领域中,CTSA 中心应推动创新协作和研究方法、完善工作流程、开发辅助研究工具和合理化应用资源;

在教育、培训和科学研究方面,强调培养跨学科团队为基础的合作;

邀请患者及其家属、医疗服务保险机构和其他社区伙伴共同参与CTSA 项目全过程;

加强与大学院校及其所属科研机构之间的交叉学术合作;

与企业、科研协作网、社区团体和其他科研机构之间建立合作伙伴关系;通过CTSA 项目的合作交流,共享研究资源。

建议 4:建立项目规范化的审评机制与标准

为配合CTSA 项目的任务与目标,评估CTSA 项目与CTSA 中心现状和发展,NCATS 应为CTSA 项目与CTSA 中心建立审评机制的规范与标准。

使评审机制有清晰一致的标准,并且评估创新指标具有可衡量性。因此,评估CTSA 整体项目以及各CTSA 中心的工作进展与成果,不能仅以发表学术论文数量和获得科研基金的多少作为标准。

(四)临床与转化医学的交叉领域

IOM 专家委员会认为在3 个交叉领域中CTSA 项目取得了初步成绩,并且有效地推进了临床与转化医学学科领域的发展。这3 个领域是:培训与教育、社区参与和儿童健康的研究。上述这些努力与CTSA 项目对科研基础设施建设的投入及所研究资源一起构成了在转化科学领域中美国国家的一项独特资源。我们将详细探讨这些内容,所有取得的进展仍需要进一步加强和巩固。

(五)临床与转化医学的培训与教育

能否保持临床与转化医学事业充满活力,这将取决于能否建立一支知识多元

化的科研团队。因此,临床与转化医学的培训与教育是CTSA 项目中优先资助的重中之重。所有CTSA 中心都已设立了转化医学学科研究生培训课程,并且设有各种类型短期培训班,包括本科生和博士前培训及研究人员与社区合作者的培训等。NIH 资助的KL2 和TL1 培训基金项目也成了CTSA 项目培训计划的一个重要组成部分。在2011 财政年度中,有501 名学员获得了KL2 培训基金资助,有469 名学员通过CTSA 项目参加了TL1 培训计划。专家委员会期望并敦促增加更多的培训方法和内容、更具有灵活性,使培训与教育内容更加多选化和个性化,突出培训与教育的个性化需求和目标。

在吸引和留住研究学者和学员、特别是临床研究人员方面,采取个性化的培训内容与灵活的教育方式是非常有价值的,也是必不可少的。NCATS 与部分CTSA 中心应当引领培训与教育项目的革新:在临床与转化研究实践中,强调团队合作为基础的培训。在院校层面上,开发针对临床和转化研究培训计划的评估机制,奖励并且肯定那些推广最佳实践的研究人员。评估团队合作的新标准和基线是对传统学业成功评价基准的补充,而传统模式更重视评估的个人科研成果和产品(例如论文发表、获得新的科研基金资助等)。

建议 5:促进教育与培训的创新

作为CTSA 项目的核心重点内容,NCATS 应指导、提供培训和教育内容。为更好地培育具备综合科研能力的临床与转化科学研究新一代人力资源,CTSA 项目应该:

应用教育与培训的创新模式和方法,包括培养科学团队合作、领导力、社区参与和企业化管理理念;

- 在CTSA 中心与其他协作机构合作中,共享优质量在线教育与培训课程;
- 鼓励并为研究人员提供一流的临床与转化医学职业化发展路径;
- 提供灵活与个性化的培训经验,为学员准备更适当的学位教育机会。

(六)社区参与转化医学研究

转化医学研究的最终目标是改善和提高人类健康水平。因此,转化医学研究的全过程需要社区有意义和实质性的参与,包括从基础研究到社会学和人口健康问题的转化研究等。至于社区是否能够全方位地助力临床与转化医学研究实践,并且成为重要的途径,这点并非被所有人认可。但在社区参与过程中,与具有代表性和发言权的成员建立合作伙伴关系,可以协助确定社区公共卫生需求和医疗服务的优先项目等方面提供临床研究相关的数据信息。在制订临床试验方案时,更能尊重文化习俗,提高招募参加研究项目参与者的成功率,最终能更有效地将研究成果转化应用到和传播于社区公共卫生与医疗健康事业发展中。