# 促进基因治疗科技创新和产业发展

上海发布《行动方案》,推动基因治疗创新产品上市,拓宽疾病治疗"第三条路'

据文汇报细胞和基因治疗是全球科技与产业竞争的新赛道。继去年11月发布《上海市促进细胞治疗科技创新与产业发展行动方案(2022-2024年)》后,本市近日再次围绕这一生物医药产业新赛道布局,发布《上海市促进基因治疗科技创新与产业发展行动方案》),希望由此全面激活创新链、产业链、资金链和人才链,提升产业发展能级。

什么是基因治疗?上海在这一领域基础和优势如何?最新发布的《行动方案》将在哪些方面为这一前沿领域发展赋能?记者就此采访了相关专家。

#### 发挥上海优势,把握未 来新机遇

基因治疗是指将外源基因或基因编辑工具导入靶细胞、对由基因异常(通常是指基因缺失或基因突变)引起的疾病进行治疗的方法,具有成药性好、特异性强、疗效显著等特点,是继药物、手术后的第三种医学治疗方式。

上海市生物医药科技发展中心主任李积宗介绍:"就像汽车轮胎坏了可以打补丁或换新胎,基因缺失可以修复,基因突变可以替代,基因治疗是人类对抗疾病的一种全新手段。"

基因治疗与细胞治疗联系紧密 且部分产品分类存在重合,如嵌合 抗原受体 T(CAR-T)细胞治疗产 品、诱导性多能干细胞(iPSC)治疗 产品等既属于基因治疗产品又属于 细胞治疗产品。

上海是我国基因治疗领域的领跑者之一,具体表现在研发实力和人才两方面。目前,上海在病毒载体类、核酸类等基因治疗产品研发领域处于全国领先地位。截至今年6月,我国已有79个基因治疗药物进入临床试验阶段,其中上海19个,数量位居全国前列。

根据《上海生物医药产业人才发展白皮书(2022版)》,截至2021年底,本市累计拥有隶属生命科学和医学学部的中国科学院院士64位,医药卫生学部的中国工程院院士36位。在生命科学相关基因研究、新靶标研究、组织工程、干细胞、转基因技术等科研领域,以及生产制造、外包服务等领域聚集了一批优秀人才队伍,各类高水平人才占全国1/5。

#### 推动基础研究和产业 应用"齐步走"

基因编辑工具、递送载体等底层技术的创新突破是基因治疗产品研发的限速步骤之一。当前,基因编辑的最核心专利仍然是作为2020年诺贝尔化学奖获得者主要科学贡献的CRISP/CAS9基因剪刀。

针对基础和底层技术,两年前, 华东师范大学组建了多个基因编辑 和细胞治疗实验室,并开展相关研 究。其中,李大力教授团队用基因 编辑方法治疗β地中海贫血已申请 了临床批件,临床一期试验已基本 完成。试验结果表明,十几例受试 患者全部摆脱了输血依赖,疗效非 當明显

作为一个极具前景的未来产业前沿领域,基因治疗学科交叉范围广、技术开发壁垒高、临床应用挑战多、产业发展潜力大。对此,本市将设立重大科技专项,建设上海市前沿生物技术研究院和基因治疗特色研究型医院,推动该领域基础研究、临床转化和产品开发。

《行动方案》将给参与基因治疗产品研发的机构和企业带来"真金白银"。李大力表示,在保证安全的情况下,研究者发起的临床研究(IIT)能让基因治疗产品在临床上快速看到是否有效,加快迭代创新治疗方法,缩短产品开发周期,降低成本,"对IIT项目的资助,体现出政府的前瞻眼光和创新策略"。

用两年时间推动1-2个基因治疗创新产品申请上市——针对这一目标、《行动方案》给予了相关财税支持,对已在国内开展临床试验,由本市注册企业获得上市许可并在本市生产的基因治疗产品,给予最高3000万元的资金支持,并推动本市基因治疗产品进入相关抗癌药品和罕见病药品清单,切实保障患者用药需求。

#### 抓住市场和人才,加速 产品落地

基因治疗产品前期技术研发投入大,售价也高。比如,诺华公司一款治疗脊髓性肌萎缩症的基因治疗药物定价超过200万美元,美国蓝鸟生物推出的治疗β地中海贫血的药物定价280万美元。尽管药物疗效显著,但高昂的产品售价让许多患者望而却步。

如何提高基因治疗产品的可及性?《行动方案》提出完善保险支持举措。其中包括,积极推荐符合条件的上市基因治疗创新产品进入国家医保药品目录,探索多元复合的支付方式;支持罕见病等领域基因治疗药物纳入"沪惠保"等惠民型商业医疗保险范围;推动本市企业、商业保险公司及医疗机构等探索分期付费、按疗效付费等创新支付模式等。

另一个制约基因治疗产业发展的因素是人才。信念医药集团首席运营官郑浩表示,我国基因治疗产业蓬勃发展期至今只有短短十年,产业人才相当匮乏。他说:"目前,我们已拥有12条研发管线,广泛布局基因治疗的常见病与罕见病,人才需求如饥似渴。"此次《行动方案》提出,在基因治疗领域试点设置工程硕博士培养项目,探索驻企培养新模式,让郑浩觉得很"解渴","还在读书的硕博提觉得很"解渴","还在读书的硕博提前进驻企业,可以第一时间知道产业痛点在哪里,这样的人才更契合市场需要。"



# 让牙齿"延年益寿"

本报讯每年9月20日为"全国爱牙日"。为提升群众口腔健康素养,促进百姓形成良好的口腔健康行为,9月16日,第35个"全国爱牙日"口腔专家健康咨询暨上海市口腔医学会会员日活动在杨浦滨江举行。

现场,12名专家为居民们进行口腔健康咨询和义诊。杨浦区卫生健康工作党委为同济大学附属口腔医院、上海交通大学医学院附属第九人民医院等12名专家颁发聘书。

许多居民对口腔健康存在一些 误区和疑惑,专家们耐心解答问题, 并给予专业的建议和治疗方案。在进行口腔检查的同时,专家们还向居民讲解正确的口腔护理知识,发放口腔健康手册,帮助大家预防口腔疾病,掌握正确的刷牙和使用口腔护理用品的方法。

今年"全国爱牙日"的主题是"口腔健康全身健康",副主题为"关爱老年口腔乐享健康生活"。中国正步人老龄化社会,随着年龄的增长,口腔疾病越来越突出,65-74岁老年人群患龋率为98%。

上海市口腔医学会会长梁景平

表示,学会将积极搭建平台,致力于 提升百姓的口腔健康获得感。杨浦 区卫生健康委员会主任陈风华表 示,为提高市民的口腔健康意识,在 9·20"全国爱牙日"之际,杨浦通过 组织宣传、义诊活动,向社区居民普 及正确的口腔保健知识,推广口腔 健康生活方式,助力居民的牙齿"延 年益寿"。

本次活动由上海市口腔医学会、 上海市杨浦区卫生健康委员会主办, 上海市杨浦区牙病防治所承办。

■记者 **毛信慧 朱良城** 文/摄

### 秋季爱国卫生运动全面启动

据文汇报记者日前从市爱卫卫办获悉,为期三个月的秋季爱国已生运动已全面启动,将通过市民健康生活方式宣传行动、以灭鼠市民健康生活方式宣传行动、以灭鼠中军点的病媒生物防制集中行动,推动全市以良好健康卫生环境迎接中秋与国庆佳节,更好会接第六届中国国际进口博览会召开。

9月是"全民健康生活方式宣传月",市爱卫办介绍,今年秋季爱国卫生运动将结合《上海市民健康公约》,深入推进实施以"三减三

健"(减盐、减油、减糖,健康口腔、健康体重、健康骨骼)为主题的全民健康生活方式行动,营造市民共同践行健康生活方式的社会氛围。全市控烟集中执法周活动也同期推进,重点对进博会场馆、餐饮场所、文化娱乐场所、宾(旅)馆、商务楼宇、公交站点和群众投诉较多的其他问题场所开展统一执法,并加强控烟宣传教育、督促整改、跟踪复查。

同时,结合国家卫生区镇创建巩 固和城市精细化管理要求,今年秋季 爱国卫生运动将大力开展城乡卫生 环境清洁行动。青浦、长宁、闵行3 个区加强对进博会核心区域及其周 治环境的卫生教治

边环境的卫生整治。 市爱卫办要求各级爱国卫生和健康促进部门发挥综合协调作用,确保秋季爱国卫生运动持续深入开展,各区、街镇畅通社会监督渠道,及时回应并整改群众反映的问题。与此同时,市爱卫办呼吁全社会行动起来,践行健康生活方式,打造干净整洁环境,共同迎接中秋国庆佳节与第六届进博会的到来

■唐闻佳

## 发热患儿增多以甲型流感等病原微生物感染为主

据文汇报正值开学季,上海部分儿童专科医院感染性发热患儿增多。记者13日从复旦大学附属儿科医院获悉,该院日门急诊总量逐日增长,近日较月初增加约30%。

儿科医院病原学监测数据显示,这 波患儿以甲型流感、支原体等病原微生 物感染为主。根据就诊情况,儿科医院 正通过增人手、增号源、扩容诊疗区等方 式动态调整服务,满足患儿就诊需求。

"进入秋冬后,孩子的呼吸道疾病、 传染性疾病多发。"复旦大学附属儿科 医院感染传染科副主任曾玫介绍,发病初期的孩子,如有轻微感冒、发烧39℃以下,精神状态尚可,可以先居家观察,不必急于送医。如果发现孩子精神状态越来越差,服药后病情仍不能缓解,应及时就医。

目前,各级医疗机构纷纷开展流感等呼吸道传染病抗原检测,医生也建议患者可前往就近医院或社区卫生服务中心进行检测并配药。

复旦大学附属儿科医院重症医学 科主任陆国平告诉记者,近段时间急诊 日均诊疗量约为1700人次,以小年龄段 患儿为主,急诊就诊高峰集中在傍晚6 点后。对此,儿科医院已根据每日监测 的病例数变化情况启动应急预案。

"根据患儿多以晚上就诊的趋势, 我们调动全院内科医生力量成立中青 年突击队,充实中班急诊和发热门诊 工作,增加中班夜门诊数量。"复旦大 学附属儿科医院副院长翟晓文表示, 医院还同时增加了感染、呼吸、消化等 相关专科专家门诊的号源数量,增开 输液复诊门诊。 采访中,复旦大学附属儿科医院呼吸科主任王立波特别提到,支原体感染在开学后也有增加趋势,"本轮儿童支原体感染易导致肺炎,部分症状重的患儿需要静脉补液,因此每天输液病例数也有增加。"基于此,儿科医院已扩大发热门诊和输液区域空间。

传染性疾病易引起患儿发烧,医生提醒,2月龄以下儿童可采用物理降温,如减少衣物,降低周围环境温度,温水擦身等;2月龄以上儿童,可根据医嘱服用退热药。如果孩子发生

高热惊厥,立刻将患儿放到平坦处,侧卧或头偏向一侧,松开衣领,保持呼吸通畅,及时清理口腔内呕吐物,之后立刻来医院。如有患儿有鼻翼煽动、皮肤苍白花纹、喂养困难、尿量减少等症状,要及时就医。

上海各区已陆续启动流感疫苗接种工作。曾玫建议,6月龄及以上儿童应及时接种流感疫苗。随着幼儿园开学,手足口病患儿也可能有增加,6月龄至5岁儿童都可以接种EV71疫苗,早接种、早保护。 ■季晨琰