

上海国有资本直投,全球首款癫痫细胞药物获中美双批 跑出细胞治疗“中国路径”

据解放日报 近日,上海跃赛生物科技有限公司研发的癫痫细胞治疗药物UX-GIP001注射液获中国国家药监局药品审评中心批准,将进入临床试验阶段。前不久,这款创新药已获美国食品药品监督管理局(FDA)临床试验批准,成为全球首款进入临床的iPSC(诱导性多能干细胞)来源异体癫痫细胞治疗药物。这也是上海国投先导生物医药母基金在细胞治疗领域的首个直投项目。

此前,凭借国际领先的干细胞定向分化技术,跃赛生物研发的帕金森病细胞治疗药物也已获得“中美双批”,目前在临床试验中显示出良好的安全性和积极疗效。这种新疗法突破了传统对症治疗的局限,向疾病修复型根治目标迈进。

基础研究奠定领先技术

诱导性多能干细胞是指通过导入特定的转录因子,将终末分化的体细

胞重编程为多能干细胞,实现“返老还童”。它们在基因和蛋白表达、表观遗传修饰状态、倍增和分化能力等方面都与胚胎干细胞相似,但与胚胎干细胞治疗相比,不存在伦理争议,其来源细胞(如外周血细胞、皮肤细胞)更易获取,所以近年来已成为多能干细胞治疗产品研发的主要方向。

能否用诱导性多能干细胞治疗神经系统疾病?这是跃赛生物创始人、中国科学院脑科学与智能技术卓越创新中心高级研究员陈跃军研究的课题。经过多年基础研究,他带领团队研发出新的高通量单克隆谱系示踪技术,在业内首次解析了神经分化过程的“黑匣子”。

在癫痫患者脑内,抑制性GABA(γ -氨基丁酸)能中间神经元功能缺失,导致神经网络过度兴奋,是癫痫发作的核心病理。跃赛生物凭借特有的人多能干细胞创新技术平台,定向分化出抑制性神经祖细胞。将它们移植

到患者脑内,有望重建局部抑制性神经环路,减少癫痫发作。

两大临床试验令人期待

正在进行的临床试验,已显示出国产细胞药物令人期待的前景。2025年国际帕金森和运动障碍协会年会上,跃赛生物研发的全球首款“中美双批”自体细胞治疗产品UX-DA001以“最新突破性研究”入选了大会口头报告。上海交大医学院附属瑞金医院在年会上发布了首例帕金森病患者治疗后6个月的随访数据:患者运动功能显著改善,MDS-UPDRS-III评分在“关期”改善21分,在“开期”改善9分,改善比例均超过45%;每天“关期”时间平均减少3.6小时,无烦人异动症的“开期”时间增加3.3小时;医学影像显示,双侧壳核移植区的多巴胺转运体信号持续增强。

国产细胞药物治疗癫痫的前景,也值得期待。跃赛生物CEO吴岚林

表示,公司已为UX-GIP001治疗癫痫的临床试验做好准备,即将启动患者入组工作。

“与小分子药物不同,诱导性多能干细胞药物具有一次注射、长期有效的特点,它们定向分化成目的细胞后,理论上能在患者大脑中终生存活。”吴岚林说。这种细胞疗法分为自体、异体两类技术。前者的优势,是细胞移植后患者不需要接受为期一年的抗排斥免疫治疗;后者的优势是可批量化生产,使产品价格远低于自体疗法,未来产品获批上市后,有望实现医保覆盖。跃赛生物聚焦临床未满足的需求,已布局帕金森病与癫痫“双赛道”,同步推进自体与异体“双路径”的治疗策略。

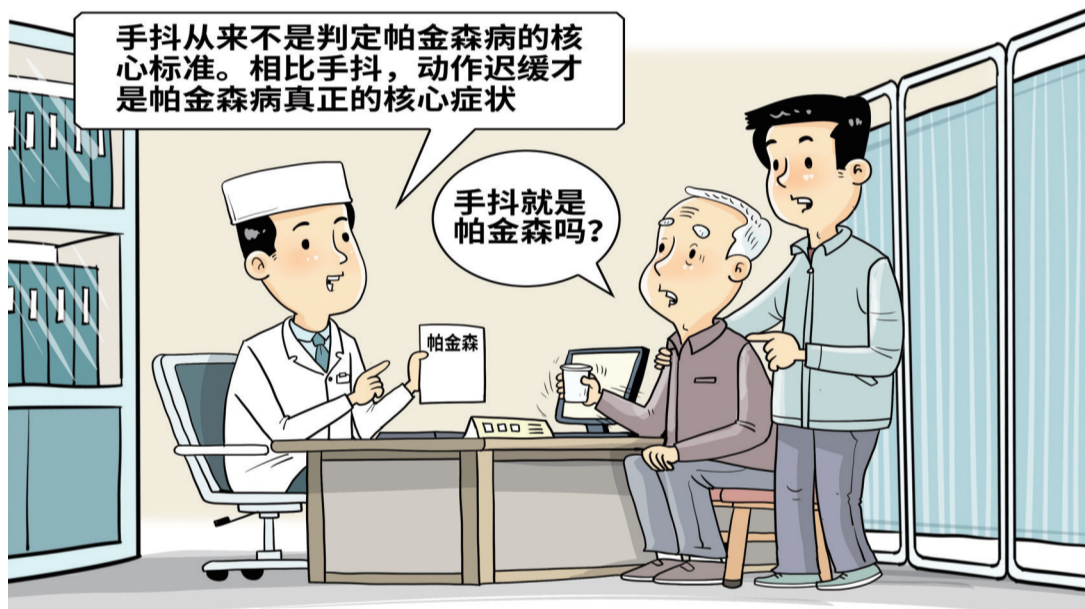
“耐心资本”扮演重要角色

跃赛生物的“全球首款”成果,是上海近年来细胞和基因治疗产业快速发展的一个缩影。市科委介绍,在

这一生物医药前沿赛道,上海着力打造张江细胞与基因产业园、浦江基因未来谷,已集聚200家以上企业,占我国细胞和基因治疗产业链企业的三分之一。

在跃赛生物成长过程中,国有资本和社会资本都扮演了重要角色。上海国投先导生物医药母基金、浦东引领区产业发展基金已联合投资这家企业近亿元,上海外高桥私募投资基金也参与了A+轮融资。今年2月,跃赛生物宣布完成总额达3亿元的A轮和A+轮融资,除了国资基金,还引入了磐霖资本等风投机构以及来自天士力医药的产业资本。

国投先导负责人介绍,上海国投先导生物医药母基金将发挥国有资本的战略引领和“耐心资本”作用,陪伴跃赛生物等创新企业成长,协助企业在各个发展阶段拓展融资渠道,推动更多的沪研国产创新药早日惠及广大患者。 ■俞陶然



帕金森病的核心症状

“手抖从来不是判定帕金森的核心标准。”专家表示,帕金森病的病根藏在大脑黑质区域,是分泌多巴胺调控身体运动的关键“功能区”,“产能”下降会引发一系列运动异常。相比手抖,动作迟缓才是帕金森病真正的核心症状。“即便未出现手抖,但出现日常翻身、起床费力、走路步子细碎拖沓、脸上表情减少变成‘面具脸’,穿衣系扣、切菜做家务等小动作笨拙吃力,都要高度警惕患病可能。”

端水杯时指尖颤动,伸手取物时双手莫名发抖,生活里不少人遇到这样的情况,心里都会忍不住暗自担心:是不是患上帕金森病了?

■新华社发 朱慧卿 作

疼痛已不是肿瘤的必然产物

以前口服300毫克药镇痛 如今鞘内注射仅需1毫克

据文汇报 近日举行的上海交通大学医学院附属仁济医院“肿瘤疼痛全程高质量多学科论坛”上,医学专家谈到,国内外统计数据显示,近六成的肿瘤患者会出现疼痛。但受制于观念与认识,当前寻求止痛干预的患者还是“来得太晚了”,殊不知,“痛不欲生”的疼痛感不仅带来痛苦体验,更影响心理与全身免疫状态,对肿瘤治疗与康复效果都带来“负作用”。规范癌痛综合管理、助力提升肿瘤患者生活质量是亟需科普的重要理念。

新技术镇痛,告别每日服药300毫克

论坛上,仁济医院包括疼痛科、肿瘤科在内的多学科专家,围绕肿瘤疼痛诊疗临床路径与全程管理开展前瞻探讨,多项国际前沿微创镇痛技术的临床应用成为研讨焦点。

“大众对止痛的传统认知是吃止痛片,问题是,有些患者吃到很大剂量,依然痛。其实我们临床上已有很多止痛新手段。”仁济医院疼痛科主任范颖晖以鞘内持续镇痛给药系统为例谈到,该技术通过精密的芯片,将微克级别的小量药物持续递送到人体椎管内的蛛网膜下腔,药物随着脑脊液直接分布到中枢镇痛靶点,“患者通常需要每天口服300毫克的阿片类镇痛药物,转换为‘鞘内’则只需要1毫克”。

范颖晖说,这既发挥了强效持续的镇痛作用,又避免了大量用药导致的副作用。65岁的胰腺癌术后转移患者徐先生正是该技术受益者。随着徐先生胰腺肿瘤术后腹腔转移病灶的进展,腹部、背部出现持续疼痛,开始吃镇痛药。但阿片类药物抑制肠道蠕动,使徐先生面临排便困难、肠梗阻风险。面对两难选择,范颖晖团队为他在全麻下植入鞘内持续镇痛泵,术后,徐先生即能躺平、睡好。

对局部骨转移引发的顽疾,骨肿瘤射频消融镇痛技术也带来新解法。78岁的泌尿系统肿瘤患者秦先生,因为肿瘤腰椎转移导致腰部持续疼痛,疼痛科团队采用带有内循环冷却系统的射频消融技术,在局部麻醉影像引导下微创穿刺,通过热能灭活肿瘤组织,随后填充骨水泥从而稳固椎体结构。该技术不仅完成了传统的因肿瘤转移所致压缩性骨折的椎体成形术,还在灭活局部肿瘤同时,发挥镇痛效果,秦先生手术后次日就出院,且正常行走。 ■唐闻佳

数月疼痛“一针”解决,患者别再“忍痛”

值得注意的是,肿瘤疼痛的治疗,除了临床医生普遍掌握的“三阶梯”药物镇痛方案,还有很多疑难疼痛病症,需要转至疼痛科进行专门诊治。

42岁的多发性骨髓瘤患者钱先生在仁济医院首席专家、血液科主任医师侯健及其团队的照料下病情转危为安,但右侧会阴部刀割般的疼痛让他无法正常坐下、夜不能寐。血液科团队邀请多学科专家会诊。疼痛科判断疼痛区域由阴部神经负责传导,随即在超声引导下利用细针穿刺到达神经,进行神经阻滞和射频治疗。右侧阴部神经射频镇痛术后当天,钱先生就出院了,痛感大大减轻,“没想到折腾我数月的难题,‘一针’就解决了”。

“疼痛已不是肿瘤的必然产物,如果发生疼痛,通过科学的疼痛综合管理,选择合理的镇痛方案,大多数癌痛可以得到有效控制。”范颖晖告诉记者,长久以来,患者或家属往往在肿瘤终末期才寻求止痛干预,其实随着技术进步,临床上已经有不少新手段,不仅能改善患者体验,甚至利于整体治疗与康复结局,“我们有晚期肿瘤患者使用镇痛系统七年后后来医院更新系统的,七年对晚期肿瘤患者来说可能是个案,但临床上我们遇到越来越多的患者逐渐改变观念,来寻求止痛之后的舒适体验,如果生存期难以改变,至少生存质量是可以大大提升的”。

在仁济医院,已有多名外科医生直接邀请疼痛科加入肿瘤诊疗全程,为患者设计止痛解决方案,多名专家关注到止痛对整体手术、康复效果的益处。

当前,依托仁济医院互联网医院智慧系统,该医院开设了线上“肿瘤疼痛”特色专病门诊,患者和家属能随时在线挂号,找到擅长肿瘤疼痛治疗的医生团队,实现咨询、住院、出院随访“一站式”解决。

不仅如此,由仁济医院疼痛科牵头的“仁济疼痛专科联盟”如今已覆盖全国40多家成员单位,这使得在仁济医院完成疼痛科手术的患者回家后也能在当地联盟单位实现不间断治疗,减轻了患者的奔波之苦,促进基层疼痛诊疗水平提升。

长期护理保险制度迈向全国建制新阶段 引导人形机器人前瞻布局

据文汇报 社保“第六险”正式迈向全国落地。中共中央办公厅、国务院办公厅发布《关于加快建立长期护理保险制度的意见》,标志着这项被称为社保“第六险”的制度正式结束十年试点,迈向全国建制新阶段。上海是全国首个省级层面全面试点的城市,记者近日从上海医保部门获悉,截至目前,本市已发展长护险护理服务机构近1200家,已引导人形机器人等前沿科技在长护险领域前瞻性布局。

上海市医疗保障局待遇保障处处长姚红介绍,自2017年起本市便积极开展长期护理保险制度试点,截至目前,本市已发展长护险护理服务机构近1200家,培育了一支6万人的职业化、专业化护理服务人员队伍。每年累计服务失能老人50多万人,入户服务达6000万次,基金支付近40亿元。

在保障失能群众长期护理保险待遇的同时,上海探索形成的实践经

验为与国家层面制度衔接打下了扎实基础。在家庭医生评估、护理机构专业化品牌化发展、护理人员培育、全过程信息化管理以及推动人形机器人等养老科技创新领域,上海都形成了特色做法,持续向全国建制地区输出经验与服务模式。

姚红介绍,本市探索建立老年照护统一需求评估体系,创设社区家庭医生评估师制,建立5000多名家庭医生组成的评估员队伍,构建社会化评估体系,持续优化完善评估环节措施。

针对长护险“人群多、地点散、入户难”的特点以及监管人力不足的问题,上海因地制宜探索智慧监管的新模式,综合运用人脸识别、声纹识别、射频识别、蓝牙测距、NFC签到、GPS定位等数字移动技术,织密信息监管网络,让评估和护理服务“看得见”,长护险基金在“阳光下”运行。

通过制度化的长护险服务和稳定的基金支付,本市已支持培育27

个护理服务品牌,以上海优质资源向长三角及全国辐射输出。上海还构建“服务+科技”体制机制,建立长护险服务机构与大零湾养老科技产业园、张江机器人谷等科创领域面对面交流机制,引导人形机器人等前沿科技在长护险领域前瞻性布局,推动银发经济高质量发展。

我国从十年前组织15个城市启动长护险试点,目前已扩大到49个城市,各试点城市多方面探索建立健全失能老人照护体系。当前的长期护理保险制度已覆盖约3亿人,累计惠及超330万失能群众,基金支出超千亿元。眼下,长期护理保险制度将正式从局部试点转向全国推行。姚红表示,上海正积极跟进,在原有制度试点基础上,将从建立筹资缴费体系,扩大人群范围、优化管理运行机制等方面,深化研究制度衔接,进一步完善符合国家要求、适应上海实际、造福失能群众的长护险制度。 ■李晨球