

科技创新·学者领航

罗敏敏：基因疗法打破脑疾治疗天花板

□本报记者 吴倩 张可心

打一针有望重见光明，无需损毁脑组织就能控制难治性癫痫，无药可解的慢性剧痛迎来破解良方。近日，在北京市卫生健康委主办的2026年北京医学科技创新院士、北京学者“领航”系列讲座第四期活动中，北京脑科学与类脑研究所所长罗敏敏以3个鲜活临床案例，展现了基因治疗正以全新生命科学视角打破重大脑疾病的治疗天花板。

“大脑很神奇，只有不到1500克的重量，能耗低得如同冰箱里的小灯泡。人类的感知觉、喜怒哀乐、肢体运动等，归根结底依靠的是大脑中神经细胞的电活动。”罗敏敏介绍，过去20年，科学家们在神经科学领域不断深耕，对大脑的认知实现跨越式突破，逐步厘清600多个脑区的专属功能，锁定各类脑病与病变脑区的关联。这些深刻认知，为脑疾病治疗技术发展打下了坚实基础。罗敏敏潜心探索的基因治疗，便是当下的前沿领域。

何为基因治疗？罗敏敏打了一个形象的比喻。“如果把人体细胞比作一间屋子，基因就是维持屋子正常运转

的关键部件。一旦细胞内的基因出现异常、发生故障，屋子就会出问题。这就需要借助一台安全的‘小推车’，把修复屋子所需的基因‘物资’精准送入屋内，这便是基因治疗——通过载体将正常基因递送到目标细胞，改变细胞的基因表达，从而取得治疗效果。”罗敏敏介绍，基因治疗有3种路径，分别为矫正或替换受损基因、补充缺失的正常基因、抑制清除多余的致病基因。

基因治疗的关键，在于选对安全可靠基因递送载体。在罗敏敏看来，在众多技术路径中，重组腺相关病毒是脑疾病基因治疗的理想“搬运工”。它生物安全性极高，不会在人体内自主复制，不会损伤神经细胞；尤其适配大脑中不再分裂的成熟神经细胞，导入后能长期稳定发挥基因表达作用。更重要的是，它进入细胞后，不会随意嵌入人体染色体基因组，大幅降低致病、致癌风险。

慢性疼痛、难治性癫痫、恶性胶质瘤等重大脑疾病，是困扰医学界的顽疾，不仅令患者饱受病痛折磨，也给社会带来巨大疾病负担。数十年来，传统药物与常规诊疗技术在这一领域始终未有实质性突破，基因治疗成为被业界寄予厚望的前沿突破口。罗敏敏

分享的3项探索，让人们看到了基因治疗为治疗重大脑疾病带来的广阔前景。失明曾是无数视网膜色素变性患者的结局，而基因治疗让“一针复明”从想象变为现实。罗敏敏介绍，人眼依靠感光细胞捕捉光线，再由神经节细胞将光信号转化为电信号并传递至大脑。视网膜色素变性患者的感光细胞会逐步凋亡、丧失功能，最终导致患者彻底失明。

罗敏敏团队在研究中发现了一种新型光敏蛋白。他们通过重组腺相关病毒基因载体将制造光敏蛋白的基因指令送入视网膜的神经节细胞，使这些神经节细胞获得感光能力，从而实现视力重建。整个手术过程不到半小时，只需用一根细针把药水注射到患者眼球玻璃体内即可。

罗敏敏介绍，一名50多岁的患者接受基因治疗后能看到视力表上的3行字母，佩戴特定眼镜后，可以独立行走、做家务。目前，该技术已进入多中心临床试验阶段，有望为全国约50万视网膜色素变性患者带去复明希望。

在难治性癫痫的传统治疗方案中，或通过手术切除致痫灶，或在患者脑部植入电极精准定位致痫灶后，通过局部高温破坏致痫灶。然而，若致

痫灶位于某些功能区域，如运动控制区，这些手段就面临一损俱损的风险。从发病机理来看，癫痫的本质是神经细胞过度兴奋、异常放电。如果在神经细胞中表达抑制性神经受体，便有可能让癫痫不再发作。沿着这个思路，罗敏敏团队与首都医科大学宣武医院联手探索，依托术中核磁精准定位大脑致痫灶，靶向注射基因药物。患者口服激活药物后，即可启动病灶神经细胞表达抑制性神经受体，从而阻断癫痫发作。

“一名20岁的女孩，此前服用5种药物也难以控制病情。接受这项治疗后，她的癫痫发作频率、发作强度都得到了极大控制，生活重回正轨，既能帮助家人打理店铺，也能外出旅游。”罗敏敏兴奋地说。

基因治疗同样为无解的慢性疼痛带来新解法。中国约有3亿慢性疼痛患者，其中1500万人遭受难治性神经病理性疼痛折磨，例如三叉神经痛、丘脑痛、中枢痛，这类慢性疼痛几乎无药可治。

“感受疼痛有两个维度，一是感觉，二是情绪。如果可以控制情绪，虽然有感觉，但不一定会感到疼痛严重到无法忍受。”罗敏敏介绍，大脑前扣

带回是调控疼痛情绪的核心脑区，基因治疗可精准靶向该区域，从神经环路层面抑制疼痛情绪。

当前研究已取得积极进展。罗敏敏透露，一名男性患者在脑出血后出现丘脑痛，对疼痛极度敏感，双脚触地时感觉就像踩在玻璃碴上。经基因治疗精准调控疼痛脑区后，患者可连续步行2~5公里，疼痛指数大幅下降，睡眠恢复正常，由慢性疼痛引发的焦虑、抑郁情绪也明显缓解。

这3个案例仅仅是基因疗法治疗脑疾病的一隅。在罗敏敏看来，未来10年，脑疾病基因治疗将迎来革命性发展。“毫不怀疑，10年后会涌现出多款全新基因药物，为当下诸多束手无策的脑疾病带来治愈希望。”罗敏敏表示，研发的重点将集中于3个方面：强迫症、抑郁症、药物成瘾、癫痫等功能性脑疾病；脑肿瘤，尤其是胶质瘤；阿尔茨海默病等神经退行性疾病。



扫码看视频报道

国际肿瘤生育力保护联盟成立

本报讯（特约记者钟艳宇 记者崔芳）近日，第38届国际妇科内镜学会年会在阿尔及利亚首都阿尔及尔召开。由北京大学人民医院王建六教授牵头、联合多国顶尖专家发起的国际肿瘤生育力保护联盟在会上成立，王建六为首任主席。据悉，国际肿瘤生育力保护联盟是国际妇科内镜学会框架下首个聚焦肿瘤生育力保护的官方学术联盟。

据了解，随着医学技术的进步，癌症患者生存率显著提升，但年轻患者面临的生育力丧失风险日益凸显。数据显示，1975—2021年，全球生育年龄段妇科恶性肿瘤患者发病率日益增长，死亡率呈下降趋势。与此同时，66%的年轻患者担忧生育能力受损，其中仅20%获得专业咨询服务、仅4%接受了干预。

“肿瘤患者生育力保护是时代与患者赋予我们的使命。”王建六表示，“肿瘤生育力保护联盟的成立，旨在守护患者生命并守护生育希望。”据介绍，国际肿瘤生育力保护联盟汇聚了来自20余个国家妇科肿瘤、生殖医学、妇科内镜及微创外科领域的专家力量。联盟将聚焦三大核心任务，即：开展生育力保护及微创技术培训，助力国际肿瘤生殖学发展；制定国际指南与标准，推动诊疗规范化开展；开展国际多中心临床研究，为生育力保护提供循证医学证据。

医科院药物所携手同仁堂 推进珍稀濒危药材替代研究

本报讯（记者崔芳）近日，中国医学科学院药物研究所与北京同仁堂股份有限公司签署战略合作协议。双方将整合科研与产业资源，聚焦生物制造前沿技术，探索破解珍稀濒危药材资源替代难题的关键技术。

当天，在双方共同举办的“珍稀濒危药材替代创新研究与合作”专题研讨会上，中国工程院院士、著名药学家庚石山介绍，当前，珍稀濒危药材替代研究迫在眉睫，创制珍稀濒危药材高质量替代品是国家战略需求，必须创建多学科前沿交叉的新技术体系，创制有效成分一致且药效等的高质量替代品，推动供给模式由资源依赖转向现代生物制造。

中国工程院院士、中国医学科学院北京协和医学院院长吉训明指出，珍稀濒危药材替代是关乎中医药传承、生态安全与生物产业布局的基础性工作。院校将发挥科研平台与人才优势，与同仁堂深化协同联动，集中力量攻关关键核心技术，持续产出原创性成果。同时，推动现代生物科技与中医药传统资源结合，探索重构中药材供给体系，助力中医药产业向现代化、绿色方向转型。

福建中医药文化惠民活动启动

本报讯（特约记者陈静 通讯员邓小燕 陈鹏飞）5月23日，2026年福建省中医药文化惠民活动在福州市中医院启动。本次活动由福建省中医药局主办，以“活力中医药 健康惠万家”为主题，旨在普及中医药科学知识、传承弘扬传统中医药文化。据介绍，活动将持续至今年10月，实现福建省全覆盖。

福建省卫生健康委二级巡视员钱新春在致辞中表示，要推动中医药文化下沉基层、贴近民生，把中医药健康服务实实在在地送到百姓身边。活动现场发布了富有八闽特色的中医药原创主题曲《闽山闽水本草吟》，该歌曲融合福建省道地药材、山水人文与中医药文化意象，通过音乐短片与现场演绎，展现八闽大地深厚的中医药底蕴。活动现场设置4个主题展区，涵盖名医义诊、非药物疗法体验、药食同源品鉴及文化互动等内容，并首次推出非遗角色扮演的沉浸式体验区，让中医药文化以更年轻、更潮流的方式走进大众生活。

江苏健康科普专家能力建设培训班举办

本报讯（特约记者程守勤 通讯员张宇蕾）近日，江苏省首期健康科普专家能力建设培训班在苏州市举办。此次培训班由江苏省医学会、江苏省医学学会科学普及分会主办，苏州市立医院协办。江苏省近200名省级健康科普专家库成员参加培训。

据介绍，此次培训班聚焦健康科普工作的实际需求与前沿发展，课程涵盖健康科普政策解读、内容策划、传播技巧、人工智能应用及媒体沟通等多方面内容。培训班还设置了圆桌论坛，江苏省医学会科学普及分会多位副主任委员及秘书围绕“科普主理人眼中的好科普”展开讨论，并与学员进行现场互动，交流经验，答疑解惑。

牙周健康与认知功能 深度关联

本报讯（特约记者徐英）我国学者的一项最新研究证实，牙周健康、口腔微生物与认知功能存在深层关联。该研究明确口腔微生物是口—脑轴的核心媒介，为靶向口腔菌群调节、优化口腔护理、延缓认知衰退提供了全新研究方向与干预思路。

该研究由上海交通大学医学院附属第九人民医院陆海霞主任医师团队联合复旦大学人类表型组研究院蒋艳峰团队共同完成。研究团队依托泰州脑影像精细化社区队列，首次在自然人群中证实牙周健康、口腔微生物与认知功能的深层关联，填补了该领域的证据空白。相关研究论文近日发表在《柳叶刀》子刊《电子生物医学》上。

随着人口老龄化加剧，认知障碍已成为不容忽视的重大健康问题。除血管、代谢等传统危险因素外，牙周健康被视为认知功能的可调控靶点，但口—脑轴关联认知衰退的人群实证研究仍较匮乏。

该研究针对1157名社区老年人开展牙周筛查与唾液微生物组深度分析，构建牙周炎—认知功能的微生物关联图谱。结果显示，多项牙周病指标与认知衰退显著相关，其中嗜血杆菌属等硝酸盐还原菌可正向保护认知，以密螺旋体属为主的促炎菌群则会加剧认知受损。中介分析证实，11个核心口腔微生物特征是牙周健康影响认知的关键媒介，促炎密螺旋体模块介导了18.8%的牙周炎认知损伤效应，有益硝酸盐还原菌模块则介导了15.3%的保护作用。

在机制层面，该研究发现，牙周病会破坏口腔菌群稳态，诱发致病菌增殖、有益菌减少，进而通过全身炎症、氮代谢紊乱等通路损伤大脑认知功能。

急性高原病救治中心 建设规范发布

本报讯（特约记者高列）近日，由中国工程院院士、高原医学专家吴天一指导，青海省卫生健康委牵头制定的《急性高原病救治中心建设规范》发布。

《建设规范》构建了急性高原病“基层救治站—一级救治中心—二级救治中心—三级救治中心—四级救治网络，建立了上下联动的标准化救治工作体系。其中，基层救治站负责高危筛查、初步处置与快速转诊；一级救治中心承担区域枢纽职能，负责规范处置轻症患者、有序上转重症患者；二级救治中心作为危重症救治主力，配备高压氧舱等核心设备；三级救治中心集聚多学科力量，统筹调度资源，开展疑难会诊与科研攻关。

《建设规范》提出，成立专项管理与救治专业委员会，组建由吴天一领衔的高水平专家团队，常态化开展基层医务人员全覆盖专项培训，搭建全省高原病医疗数据共享、信息互通、资源互补的一体化服务平台。

据悉，目前，青海省卫生健康委已成立急性高原病救治中心联盟，依托联盟开展2026年度急性高原病救治培训工作，逐步形成“联盟统筹、中心支撑、基层联动、全域覆盖”的高原急救工作新格局。

医学精彩时光

为遗传病患者儿疏通“淤堵”的心脏

□特约记者 齐璐璐 通讯员 张欣迪

心脏血管的3条“主干道”中，两条严重拥堵、一条彻底断行，心脏随时可能因供血不足而坏死。近日，13岁新疆少年小拜在复旦大学附属中山医院植入心脏支架，重获新生。针对这名少年的病情，中山医院还为其制订了长期守护计划。

2025年初，小拜因剧烈运动后胸闷胸痛，全身出现黄色瘤，在当地医院确诊为纯合子型家族性高胆固醇血症，他的哥哥此前已不幸因此离世。

经中山医院与复旦大学附属儿科医院专家联合会诊，小拜被紧急转入中山医院心内科。检查结果显示：右冠状动脉近端狭窄95%且伴有钙化，左主干远端狭窄80%，前降支中段完全闭塞伴严重扭曲钙化，回旋支开口及近端狭窄80%。更为危急的是，小拜入院前已在静息状态下反复发生长时间心绞痛，心电图频频亮起“高危红灯”，大面积心肌梗死甚至猝死一触即发，手术刻不容缓。

中国科学院院士、中山医院心内科主任葛均波进一步指出，小拜年仅

13岁，对手术的耐受力远弱于成人。术中极易出现血流动力学剧烈波动，术者如同在悬崖边行走，任何细微的失误都可能危及小拜的生命。

打通生命通道迫在眉睫。经过充分的术前准备，葛均波带领心内科戴宇翔主任医师、黄嘉主治医师走上手术台。在血管内超声的精准引导下，团队先攻克右冠状动脉，以精细操作植入支架、恢复血流。随后，面对最棘手的左主干真性分叉病变，专家们巧妙采用“Culotte双支架”，为主支与分支血管同时铺好两条并行的生命通道。术中，面对小拜因缺血发生的生

命体征波动，医护团队默契配合、沉着应对。历时1小时28分钟，3枚支架精准落位，闭塞血管全线贯通。术后第3天，小拜便顺利出院。

手术只是这场生命救治的上半场。纯合子型家族性高胆固醇血症这一遗传病，若不从根源干预，患者血管可能再次“淤堵”。为此，中山医院心内科团队启动了长期守护计划：一方面，积极对接相关部门，申请尚未在国内上市的新型降脂药物；另一方面，依托医院先进基因治疗研发平台，探索通过基因编辑技术修复缺陷基因的可能。

团队默契配合，护士长全程守护，为手术安全保驾护航。手术的核心难题是如何安全取出支架，避免损伤血管和神经，并对深长且污染严重的创道进行彻底冲洗清创和稳妥引流。主刀医生、骨科高鹏主任医师在脑海中飞速推演钢筋在体内的轨迹，一个清晰的破路路径随之成型。彻底消毒后，高鹏严密探查，确认钢筋符合拔除条件。他将一根输液管牢牢缠在钢筋上，团队顺着钢筋原有方向，将钢筋缓缓拔出。随着钢筋离体，输液管顺势导入深部创道，让血肉模糊的创伤通路瞬间呈现。

借助输液管指引的通路，骨科团

队默契配合，护士长全程守护，为手术安全保驾护航。

手术的核心难题是如何安全取出支架，避免损伤血管和神经，并对深长且污染严重的创道进行彻底冲洗清创和稳妥引流。主刀医生、骨科高鹏主任医师在脑海中飞速推演钢筋在体内的轨迹，一个清晰的破路路径随之成型。彻底消毒后，高鹏严密探查，确认钢筋符合拔除条件。他将一根输液管牢牢缠在钢筋上，团队顺着钢筋原有方向，将钢筋缓缓拔出。随着钢筋离体，输液管顺势导入深部创道，让血肉模糊的创伤通路瞬间呈现。

借助输液管指引的通路，骨科团

队默契配合，护士长全程守护，为手术安全保驾护航。

巧用输液管“引路” 治疗复杂贯通伤

□通讯员 李春旭 尹相杰 干玎竹 特约记者 段文利

近日，凌晨1时30分，北京协和医院急诊科内，建筑工人张先生俯倒在平车上，无法动弹。一根粗长的钢筋贯穿了他的身体，伤口持续渗血。一场针对复杂贯通伤的紧急救治当即启动。

因钢筋两端外露，普通CT扫描孔径无法容纳，该院急诊与放射团队迅速将张先生转运至大孔径CT室。经检查发现，钢筋从张先生右大腿后

内侧穿入，沿髂白及股骨颈后方向斜行向上，从侧腰部穿出。钢筋未损伤其重要脏器，但与直肠、髂血管、坐骨神经等重要组织仅有毫厘之隔。

创伤救治分秒必争，各项术前检查在6时前全部完成。无影灯亮起，团队又遇到难题：张先生无法平卧位接受气管插管，大体重进一步压缩了气道操作空间，给插管带来极大挑战。麻醉团队采用经鼻高流量氧疗技术，延长了张先生呼吸暂停的耐受时间，并顺利完成高难度侧卧位气管插管操作，为手术的顺利开展奠定了基础。为预防拔除钢筋可能引发的大出血，血库提前备足血液。手术室护理

团队默契配合，护士长全程守护，为手术安全保驾护航。

手术的核心难题是如何安全取出支架，避免损伤血管和神经，并对深长且污染严重的创道进行彻底冲洗清创和稳妥引流。主刀医生、骨科高鹏主任医师在脑海中飞速推演钢筋在体内的轨迹，一个清晰的破路路径随之成型。彻底消毒后，高鹏严密探查，确认钢筋符合拔除条件。他将一根输液管牢牢缠在钢筋上，团队顺着钢筋原有方向，将钢筋缓缓拔出。随着钢筋离体，输液管顺势导入深部创道，让血肉模糊的创伤通路瞬间呈现。

队默契配合，护士长全程守护，为手术安全保驾护航。

手术的核心难题是如何安全取出支架，避免损伤血管和神经，并对深长且污染严重的创道进行彻底冲洗清创和稳妥引流。主刀医生、骨科高鹏主任医师在脑海中飞速推演钢筋在体内的轨迹，一个清晰的破路路径随之成型。彻底消毒后，高鹏严密探查，确认钢筋符合拔除条件。他将一根输液管牢牢缠在钢筋上，团队顺着钢筋原有方向，将钢筋缓缓拔出。随着钢筋离体，输液管顺势导入深部创道，让血肉模糊的创伤通路瞬间呈现。



控烟宣传 碰撞国风游园

5月24日，河北省秦皇岛市海港区秦皇植物园，汉服爱好者体验禁烟趣味游戏“一投清明 烟消云散”。当日，由秦皇岛市卫生健康委、市旅游和文化广电局主办的“hello 无烟秦皇岛”国风游园暨秦皇植物园第三届百人百日戒烟大赛启动仪式在秦皇植物园举行。植物园部分区域打造控烟主题国风健康集市，以趣味互动形式进行控烟宣传。曹建雄摄