



15年前,基因疗法遭遇了一系列挫折,使得科学家开始对其进行严格的重新评估;时至今日,基因疗法已经做好准备,即将进入临床。据预测,美国将于明年批准首个商业化的基因疗法。

# 基因疗法,你准备好了吗?

在很多人看来,基因疗法的转折点发生在6年前一位名叫科里·哈斯的8岁男孩身上。哈斯患有的一种退行性眼病,视力因此受到损害。医生采用基因疗法,使哈斯有缺陷的左眼视网膜产生了一种原本无法合成的蛋白质。接受治疗后不到4天,哈斯去动物园游玩,让他惊喜万分的是,他终于看到了太阳和红色的气球。3年后,他的右眼也接受了同样的治疗。到今天,哈斯的视力已经足够让他和祖父一起参加感恩节的火鸡狩猎了。

## 心碎时刻

对比基因疗法曾经的绝境,今天的这些正面成效尤其令人振奋。15年前,一位名叫杰·杰西·辛格的少年的意外死亡,使得整个基因疗法研究陷入停顿。杰西辛格患有罕见的一种罕见的遗传病,在接受基因疗法的过程中,他的免疫系统发动了一场预料之外的凶残反击,夺去了他的生命。

## 重新寻找

鉴于腺病毒可能引起致命的免疫反应,而逆转录病毒可能诱发癌症,研究人员开始在其他病毒上投入更多精力,寻找更好的基因载体。他们很快就把目光聚集在了两种应用范围更广的候选病毒上。

取得的空前疗效,部分患者甚至在治疗结束3年后,仍然保持着无癌状态。运用基因疗法,研究人员还帮助了一些血友病患者,延长他们的生存时间。

尽管时至今日,基因疗法仍未在医院和诊所开展起来,但这一情况有望在接下来的10年发生改变。2012年,欧洲批准了首个基因疗法,用以治疗家族性脂蛋白酶缺乏症——一种罕见但极为痛苦的遗传疾病。2013年底,美国国立卫生研究院也取消了对基因疗法的部分非必要管制。

一些行业观察家预测,美国将于2016年批准首个商业化的基因疗法。在彷徨了十余年之后,基因疗法终于开始了它革新医疗的重要使命。

随后,研究人员将约1万亿个携带治疗基因的腺病毒直接注入杰西辛格的肝脏。然而,其中一些病毒踏上了悲剧性的歧途。病毒既按原计划进入了肝脏,同时也感染了大量巨噬细胞。这些体型巨大的树突状细胞执行着免疫哨兵的功能,游荡在人体内的各个地方。被病毒感染后,巨噬细胞向机体发出异物入侵的信号,免疫系统随即作出反应,开始消灭所有被感染的细胞。这一狂暴的过程最终从内部摧毁了杰西辛格的身体。

杰西辛格的死亡并非基因疗法的唯一悲剧。此后不久,20名儿童参与了一项针对X-连锁重度复合免疫缺陷的基因疗法,然而其中5例受试者患上了白血病,1例因此死亡。基因的传递系统再度成为了悲剧的源头——此项试验中充当微型注射枪的是逆转录病毒,它能直接将治疗基因插入宿主细胞的DNA。

## 点击名词

基因疗法,就是利用健康的基因来填补或替代人体中某些缺失或病变的基因,或人为的修改有缺陷的基因达到治病的目的。

## 国家科技支撑计划发力认证认可评价分析

科技日报(记者林莉君)近日,“十二五”国家科技支撑计划“支撑认证认可的评价分析、检测验证与有效性保障技术研究”项目在科技部组织的专家验收。该项目为建立和实施我国司法鉴定、法庭科学专项认可制度提供了技术保障。

据介绍,该项目是认证认可领域在科技部获得立项的四个“十二五”科技支撑计划项目之一。实施三年来,国家质检总局、认监委组织系统内外44家单位400多人直接参与研究工作,推动了我国认证认可技术能力提升。

## 四季沐歌签约意大利设计师

科技日报(记者申明)5月13日,四季沐歌在意大利驻华大使馆举行签约意大利设计师发布会暨米兰世博浪漫之旅启动仪式。

程度地减少副反应的发生:它具有若干个变体(或称“血清型”),这些变体可以分别对特定的细胞或组织表现出亲和性。研究人员能根据特定的人体部位,选择最佳的AAV血清型,从而减少病毒的注射量,以降低发生大规模免疫反应以及其他不良反应的可能性。

## 新的目标

在以上成果的鼓励下,医学研究人员开始扩大研究范围。他们不再只关心遗传病的治疗,而开始着手通过基因技术,逆转生命过程中自然发生的基因损伤。

安全的传递系统已经掌握在基因疗法专家的手中了,现在,他们正面临着所有新药都必须面对的终极挑战:通过美国食品及药品管理局(FDA)的审批。

## 进入临床

这一漫长的过程包括了所谓的“Ⅲ期临床试验”。Ⅲ期临床试验专门用于评估药物或疗法在大规模受试者中的效果,一般需要1—5年的时间。截至2013年底,近2000项基因疗法试验中,有大约5%到达了Ⅲ期临床阶段。

项目边研究边应用,部分成果在提升公共服务能力及支撑产业发展中发挥了技术支持作用。如研究建立的司法鉴定/法庭科学专项认可制度,解决了单独依据一种认可标准难以对司法鉴定进行准确评价和国际认可标准不一致的问题。

据介绍,该项目是认证认可领域在科技部获得立项的四个“十二五”科技支撑计划项目之一。实施三年来,国家质检总局、认监委组织系统内外44家单位400多人直接参与研究工作,推动了我国认证认可技术能力提升。

杭州海关破获特大武器弹药走私案。科技日报(记者陈瑜)杭州海关21日对外宣布,历经一年多的缜密侦办,成功破获1起特大走私武器弹药案,抓获境内外犯罪嫌疑人9名,查获、查证各类违法枪支112支、铅弹、子弹3000余发,打掉了一个跨境走私武器弹药的犯罪团伙。

## 苍蝇大脑内藏“罗盘”与哺乳动物类似

据国外媒体报道,神经科学家借助一台显微镜观察了一只果蝇的大脑。他们在观察一个甜甜圈型的大脑区域中的神经元活动时,发现神经活动与苍蝇的朝向是相匹配的。

更令人称奇的是第二种病毒载体:去除了致病基因的人类免疫缺陷病毒(HIV)。HIV是引发艾滋病的病毒,然而,一旦不去计较它“杀手”的恶名,你就会发现它在基因疗法上的优势。HIV是逆转录病毒中慢病毒属(Lentivirus)家族的成员之一,它能够避开免疫系统——这一点对逆转录病毒至关重要,并且一般不会干扰原癌基因的偶发性。

## 瑞典艺术家作画展示火星移居地

瑞典概念艺术家Ville Ericsson就通过画作向世人展示出了未来人类火星殖民的景象。在他的画作中,城市被穹顶式的透明罩所包围,火星的地表生长着植物和草。

## 英研制坦克无人机上天入地能力超强

据国外媒体20日报道,英国伦敦的发明家维特奥尔德·米尔尼泽克研制了一款跨界机器,将无人机与坦克结合在一起。这个混血儿名为“B-Unstoppable”,是世界上第一个坦克——四旋翼飞机混合体。

与许多医疗技术的发展历程类似,基因疗法历经了数十年的迂回与曲折,还远未达到成功的终点。然而,随着越来越多的科里·哈斯和埃米莉·怀特黑德的出现,基因疗法将逐渐成为一些疾病的主流疗法,同时,它也会为另一些疾病的治疗提供新的选择。

科技日报(记者林莉君)近日,“十二五”国家科技支撑计划“支撑认证认可的评价分析、检测验证与有效性保障技术研究”项目在科技部组织的专家验收。

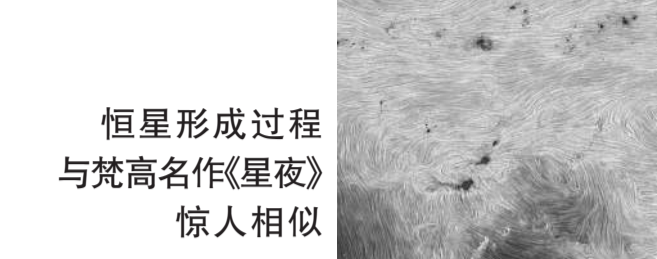
项目边研究边应用,部分成果在提升公共服务能力及支撑产业发展中发挥了技术支持作用。如研究建立的司法鉴定/法庭科学专项认可制度,解决了单独依据一种认可标准难以对司法鉴定进行准确评价和国际认可标准不一致的问题。

据介绍,该项目是认证认可领域在科技部获得立项的四个“十二五”科技支撑计划项目之一。实施三年来,国家质检总局、认监委组织系统内外44家单位400多人直接参与研究工作,推动了我国认证认可技术能力提升。

## 杭州海关破获特大武器弹药走私案

科技日报(记者陈瑜)杭州海关21日对外宣布,历经一年多的缜密侦办,成功破获1起特大走私武器弹药案,抓获境内外犯罪嫌疑人9名,查获、查证各类违法枪支112支、铅弹、子弹3000余发,打掉了一个跨境走私武器弹药的犯罪团伙。

## 趣图



欧洲航天局近日发布了一幅根据“普朗克”卫星所探测到的数据绘制的星空图。图片显示,在宇宙狂躁的气体和尘埃巨浪中,无数恒星正在形成。更为神奇的是,这幅图片与荷兰著名画家文森特·梵高的名作《星夜》有惊人的相似之处。

1889年6月16日到18日,荷兰著名画家梵高在一家精神病院仰望夜空,创作出了他最著名的画作《星夜》。从此,关于其画作中的“漩涡”的意义,引起了人们永不休止的争论。



尽管截至目前人类尚未踏上火星,火星殖民更是一个遥不可及的梦,但这并不妨碍人们对火星殖民抱有无尽的幻想。

在他的画作中,城市被穹顶式的透明罩所包围,火星的地表生长着植物和草。穹顶式罩能够让人们与火星的低压环境隔离开来,在穹顶内部,人们不需身穿宇航服即可随意活动。



米尔尼泽克表示B-Unstoppable很容易操控,只需按一下遥控器上的按钮便可在坦克和四旋翼飞机之间进行切换。

米尔尼泽克表示B-Unstoppable很容易操控,只需按一下遥控器上的按钮便可在坦克和四旋翼飞机之间进行切换。



但研究发现,苍蝇与哺乳动物的状况有所不同,哺乳动物大脑的这种方向辨识细胞似乎相当分散,而苍蝇的大脑罗盘似乎集中在一个被称为椭圆体的特定区域。

在苍蝇大脑中新发现的“罗盘”,其工作方式更像哺乳动物中的方向辨识细胞,方向辨识细胞会根据周围环境中的地标为动物快速建立一种方向系统。

但研究发现,苍蝇与哺乳动物的状况有所不同,哺乳动物大脑的这种方向辨识细胞似乎相当分散,而苍蝇的大脑罗盘似乎集中在一个被称为椭圆体的特定区域。

在苍蝇大脑中新发现的“罗盘”,其工作方式更像哺乳动物中的方向辨识细胞,方向辨识细胞会根据周围环境中的地标为动物快速建立一种方向系统。