

# 美首款基因治疗产品有望明年上市

## 可治疗致失明的罕见遗传性视网膜疾病

科技日报北京10月20日电(记者姜靖)据麻省理工学院《技术评论》网站18日报道,美国一家生物技术公司研发出一种可治疗“失明”的基因治疗产品“SPK-RPE65”,如果明年完成审批程序,有望成为在美国上市的首个基因疗法产品。

这家名为“火花医疗”的公司联合创始人凯瑟琳·海在麻省理工学院演讲时说,该产品可治疗由

RPE65基因突变引起的一种遗传性视网膜疾病(IRD),患者视网膜感光细胞(色素细胞)会逐渐失去功能并坏死,最终导致完全失明。该疾病极为罕见,目前在美国和欧洲仅有几千名患者,尚无治疗这一疾病的有效药物。

研究人员将RPE65基因序列编码到腺相关病毒或非致病流感病毒载体中,再注射到患者视网膜内,以促

进视网膜感光细胞的存活和功能,从而帮助患者恢复视觉感光能力。在麻醉条件下,该手术治疗过程约45分钟,30天内患者可感觉到视力改善。

该公司公布的Ⅲ期临床试验数据显示,经过一年多的治疗,93%的IRD受试患者功能性视力有所改善,且没有出现任何不良事件。

按照计划,该公司明年初将完成向美国食品

与药物管理局(FDA)的应用申请,如果获批,将是在美上市的首个用于治疗遗传性疾病的基因治疗产品。

据悉,目前已有其他两家公司开发的基因治疗产品在欧洲获批。其中一种是可治疗脂蛋白脂酶缺乏症(LPLD)的产品“Glybera”,其制造商也曾向美国FDA提出申请,但FDA以要求增加更多临床试验以证



明产品有效性为由驳回,2015年12月该公司放弃了申请计划。

不过,这不会影响“火花医疗”公司获得FDA批准的信心。凯瑟琳·海表示,临床测试已结束,在FDA批准之前,不会开展额外的测试。此外,该公司还在开发针对血液系统疾病和神经退行性疾病等的基因疗法。

科技日报北京10月20日电(记者刘震)据俄罗斯卫星网10月19日报道,俄罗斯、法国、瑞典和希腊科学家合作开发一种工业技术来提纯石墨烯,新方法让石墨烯更稳定,即使接触臭氧10分钟之久也“毫发无伤”。

研究人员表示,该成果是纳米电子学技术领域的一项重要进步,将大力促进该领域的发展。

石墨烯是一种比头发丝细100万倍的材料,由排列成蜂巢结构的单层碳原子组成,具有超高的导电性、耐用性和延展性等,可用于制造多种纳米电子学设备。在生产过程中,聚合物涂层残渣会“污染”石墨烯,降低其内部载流子的流动性。热退火、等离子去胶以及化学溶剂等方法能去除聚合物残渣,但同时会削弱石墨烯的纯度。其中,最常用的一种提纯方法是使用臭氧,这一方法虽然反应性很高,但臭氧在破坏聚合物残余的同时,会在石墨烯内造成缺陷,导致其性能弱化。

鉴于此,俄罗斯国立核能研究大学莫斯科工程物理学院(MEPHI)的科学家使用高温碳化硅(SiC)的升华物,成功得到了拥有高度稳定性的石墨烯,这种石墨烯与臭氧接触超过10分钟性能不变;而普通石墨烯在同样的环境下三到四分钟就会性能受损。

为了进一步核查试验结果,希腊、法国和瑞典的科学家,通过计算机建模厘清了为碳化硅-石墨烯在暴烈的氧自由基的作用下仍能“毫发无伤”,且更加稳定;新石墨烯非比寻常的稳定性显然与碳化硅基座上外延石墨烯的粗糙度较低有关。

最新发现有助于更好地提纯石墨烯,从而获得拥有稳定电学属性的高质量工业石墨烯。

### ■中外石墨烯动态⑩

# 创新研究让石墨烯更有“魔力”

## ——“石墨烯之父”谈相关基础研究思路

本报记者 华凌

石墨烯发现者之一、英国曼彻斯特大学教授安德烈·海姆不久前在2016中国国际石墨烯创新大会上,向公众讲述自己获得2010年诺贝尔物理学奖之后,仍投入90%的时间在实验室做基础研究的情况。他演讲所迸发的创新思维,令人耳目一新,脑洞大开。

### 开启二维材料新世界

长期以来,人们对二维结构的晶体了解不多。二维晶体以平面形式存在,犹如将三维晶体减薄至一个原子层厚。传统理论认为,二维晶体结构因其热力学不稳定性在自然界中根本不可能找到。直到2004年,安德烈·海姆与其同事康斯坦丁·诺沃肖洛夫首次从高位向热解石墨上成功分离出单层石墨片——石墨烯,用事实证明二维材料可在常温常压下稳定存在。

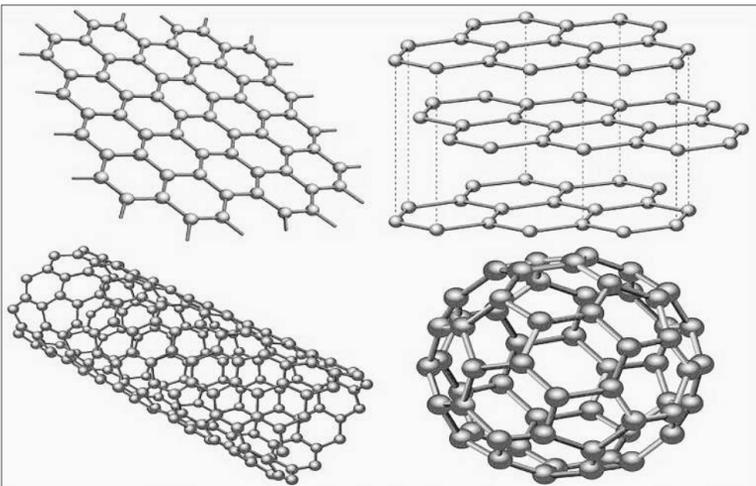
可以说,石墨烯的发现开启了二维材料的世界之门。海姆指出:“石墨烯并非独一无二的二维材料,还有很多二维材料具有特殊性能,可能在某些应用中表现更好。除石墨烯外,还有很多同石墨烯相似的材料值得探究。”

例如,磷烯是一种从黑磷剥离出来的有序磷原子构成的单片材料。它的一些特性可被应用于多个领域。而且,黑磷的非线性光学特性已被多家机构证实可用于产生超快激光。预计不久的将来,它将成为“第二个石墨烯”。

硅烯是一种只有单层原子厚,同时可在银表面生长的材料,拥有一些和石墨烯类似的材料属性,但同时还有一些更加优秀的特征,包括更低的对称性组、更强的自旋-轨道耦合。研究人员正在探究,它也许更适合与硅基电子器件集成,成为石墨烯的竞争对手。

### 原子层上做乐高拼接

对石墨烯而言,研究人员可在其原子层上做各种拼接,仿佛儿童在玩乐高积木。如将石墨烯以堆垛方



石墨烯富有可塑性,可卷曲成圆筒状,变成一维碳纳米管;也可制成球状或椭球状,得到零维的富勒烯。

式一层一层叠加,生成三维石墨;把石墨烯卷曲成圆筒状,变成一维碳纳米管;将石墨烯制成球状或椭球状,得到零维的富勒烯。由此,石墨烯可作为组成其他碳材料的结构基础。

海姆指出:“把石墨烯与其他材料进行人为整合,花费几周时间将原子搭配设计出一个复杂的结构,会让石墨烯更加有‘魔力’,并在此基础上对这些物质的不同特性展开深入研究。这类研究成果可称为石墨烯3.0。”

例如,以石墨烯为基体制备纳米复合材料的研发拓展了石墨烯的应用。目前对于石墨烯的复合方

法主要有三种:一是进行表面修饰或元素掺杂,使其能在不同的溶剂中形成稳定分散体系;二是让其负载金属或金属氧化物等无机纳米颗粒,这类复合材料在催化、生物传感、电池、超级电容器等方面有着广泛应用;石墨烯与高聚物复合可在机械性能、光伏电池、超级电容器等方面展现出较为优异的性能。

当然,目前石墨烯复合材料的研究还面临许多问题和挑战,如石墨烯与无机纳米颗粒的相互作用机理、与高聚物的相容性、复合材料应用的拓展与深入等,仍亟待进一步深入研究。

### 废弃物中的惊人发现

在制备石墨烯时,人们往往把注意力集中在石墨烯上,而海姆团队却不放过研究剥离单层石墨烯后通常被丢弃的材料。

海姆说:“放大剩下的石墨烯晶体是一个二维真空区,里面有许多像超细毛细管的结构形状,约有15纳米。当我们对其做水的运输测试时惊奇地发现,水流通过这种超窄毛细管时,几乎无阻碍和没有摩擦,达到1米/秒的流速,而且管壁非常平滑,水的滑移距离比较长。”

海姆团队解释说,这是一种全新的纳米尺度系统,其毛细管道的精密程度无法想象。更重要的是,这些超微毛细管可制备多种材料,不仅可以控制毛细管尺寸,还可调变毛细管壁的性能。这些材料未来有望用于新型过滤、海水淡化和气体分离技术等。

海姆补充道:“在石墨烯基础研究中很多的科学发现让人吃惊,而让新发现的材料变得有用是非常酷的,其中将有无数个研究和开发的可能性有待探索。这样的研究深深地影响到我们。”

无疑,石墨烯的发现为研究者提供了一个充满魅力和想象空间的研究对象,而跟着“石墨烯之父”学习如何做基础研究,可谓不断刷新着创新视野。相信不久的将来,“多面手”的石墨烯定会在很多领域带来颠覆性的变革。

CGIA 中外石墨烯 本栏目由石墨烯创新联盟支持 电话:4001103655 网址:www.c-gia.org

# 功能正常的小鼠卵细胞可人工培养

## 能产下健康且有生育能力的后代

科技日报北京10月20日电(记者张梦然)英国《自然》杂志近日发表的一项研究表明,日本科学家成功在培养皿中生成了完全由细胞培养产生且功能正常的小鼠卵子,这些由多能干细胞产生的卵子能产下健康的、具有生育能力的后代。这是小鼠的人造卵细胞首次无需植入母鼠体内进行培养,其成果被视为干细胞领域鲜有的成就。

细胞全能性是指细胞经分裂和分化后,仍具有形

成完整有机体的能力或特性,而卵细胞是唯一一类具有全能性的细胞,但迄今人们尚未完全理解其具体机制。雌性生殖细胞是卵细胞的前身,经过一系列分化过程才能发育为功能完全的卵子。长期以来,使用多能干细胞重建可产生有功能卵子的卵细胞发育过程,正是发育生物学中最重要的目标之一。此前,研究人员曾对皮肤细胞重编程,将其转化为类干细胞,再转化为原始生殖细胞,但获得的原始生殖细胞必须植入活

母鼠的卵巢内才能变成成熟卵细胞。

此次,日本九州大学分子生物学家林克彦及其同事通过细胞培养的方法,成功在培养皿中将小鼠胚胎和成体细胞制成的诱导多能干细胞,转化成了功能完备的成熟卵细胞。论文作者对新生成的卵细胞进行了体外受精,并将形成的胚胎植入代孕小鼠体内,其中一些小鼠产下了健康后代。

研究人员进一步发现,诱导多能干细胞生成的卵细胞受精后的雄性和雌性幼崽,也能产下后代,且都具有生育能力。此外,这些由细胞培养产生并经过体外受精的卵细胞,还能再重新生成胚胎干细胞。

这项研究成果有望为科学家们开发不孕不育疗法提供重要工具,但如何安全而合乎道德地利用该技术,也成为下一个亟待讨论的问题。

# 外洽会聚焦中外企业产能合作

科技日报北京10月20日电(记者李剑)首届国际产能合作论坛暨第八届中国对外投资合作洽谈会(以下简称外洽会)20日在北京展览馆举行。本届外洽会的主题是“产能合作 发展共赢”。

外洽会目的是推动“一带一路”建设和国际产能合作,服务钢铁、有色、建材、铁路、电力、化工、轻工纺织、汽车、通讯、工程机械、航空航天、船舶和海洋工程等12大领域向沿线重点国家“走出去”,受众覆盖全国重点省市及企业。论坛同期举办核电、智能交通、新能源汽车、中欧班列、农业、线缆、太阳能、风能、文化产业等一系列专题行业论坛,及“一带一路”、中俄、中哈、中阿、

投资拉美等专题区域论坛。

国际产能合作是促进全球发展和世界经济的重要引擎。为应对国际金融危机以来经济低迷,采取有效措施增强跨国投资活力,增加跨国产能合作,提振投资合作信心是国际合作的共同使命。

外洽会作为中国对外投资领域的重要平台,每年都吸引着全球多个国家和地区的近万家企业踊跃参展参会,众多中外企业和产业机构借助外洽会这一国际平台获得了“走出去”和“引进来”的发展机遇。俄罗斯今年派出了近100多家企业组成的强大代表团参展,充分体现了俄方欢迎中国企业投资的真诚意愿。

# “三父母”婴儿20年后或司空见惯

## ——访全球首个细胞核移植“三父母”婴儿主治医生张进

新华社记者 林小春

“再过10年到20年,大家就会对‘三父母’婴儿习以为常。”全球首个细胞核移植“三父母”婴儿主治医生、美籍华人张进在接受新华社记者专访时说。他认为,他们的受精前细胞核移植是一项“革命性重大突破”,是继第一代体外受精、精子注射、胚胎移植前诊断、胚胎冷冻之后的新一代试管婴儿技术。

张进领导的美国新希望生殖医学中心研究团队19日在盐湖城举行的美国生殖医学学会会议上正式宣布,世界首个细胞核移植“三父母”婴儿于今年4月在纽约诞生,目前孩子健康状况良好。这一消息于9月底被英国《新科学家》杂志独家提前曝出,引起了巨大争议。有人怀疑张进团队的目的,也有人质疑是否存在伦理问题。

张进在会议期间接受新华社记者电话采访时说,任何新科技的发展,都有个接受过程,“这是两个妈妈、三个父母,从科学上,它是跨时代的一个里程碑。但我觉得根本不用怕,只要对人类发展有利的,最终都会发展起来,不可能一个东西出来,百分之百全是赞成,那才有问题”。

但他承认,这个技术确实有太多争议,而且太过强大,需要接受更多监管和很好的规范、指导,应采取谨慎、负责、积极的态度对待它,而不是采取消极、压制的态度。

张进介绍,每个人都从父母那里继承三份遗传物质,分别是来自父亲精子的细胞核DNA(脱氧核糖核

酸)、母亲卵子的细胞核DNA以及母亲卵子中独立于细胞核的线粒体DNA。线粒体DNA只能通过母系遗传。线粒体疾病就是细胞核是好的,但线粒体出了问题,细胞核就不能正常工作,尤其是最需要能量的脑细胞与肌肉细胞。除了治疗线粒体疾病外,线粒体移植更大的价值在于治疗中年女性不孕症。女性卵子的细胞核不会随着年龄增加而变坏,所以只需置换年轻女性的线粒体,就能用来治疗中年女性不孕症。

他说,目前他们已在动物身上证明了这种技术治疗不孕的可行性。接下来他们将从下个月开始做第一期人体临床试验,具体实施地点暂时不能透露,但已招募了30多个病人。

张进还表示,这种技术也能帮助研究癌症、衰老以及许多遗传病的机理。团队接下来将进一步完善这些技术,并尽快在全球推广,“只有不断进行临床应用,才能证明这个技术到底是不是对大家有用”。

“这个技术从人类生殖技术角度说是一个新的突破,”他说,“我们从1996年开始做这个工作,在这20年中,有的同行诊所关掉了,有的换‘跑道’了,有的在继续做。科学不是竞争,也不是竞赛,但是我可以毫不掩饰地说,我们很高兴能够第一个做出来。”

(新华社华盛顿10月19日电)



## “反光日”

10月20日,在挪威首都奥斯陆,“反光日”活动工作人员展示反光腕带。当天,挪威道路安全部门在全国举行“反光日”活动,倡导冬季安全出行。挪威地处北欧,冬季漫长且日照时间短,人们在夜色中出行较多。因此,人们需要借用各种反光工具安全出行,如反光背心、反光腕带、反光饰物、反光头盔等等。挪威今年“反光日”活动的口号是“亮光时刻”。

新华社记者 张淑惠摄