

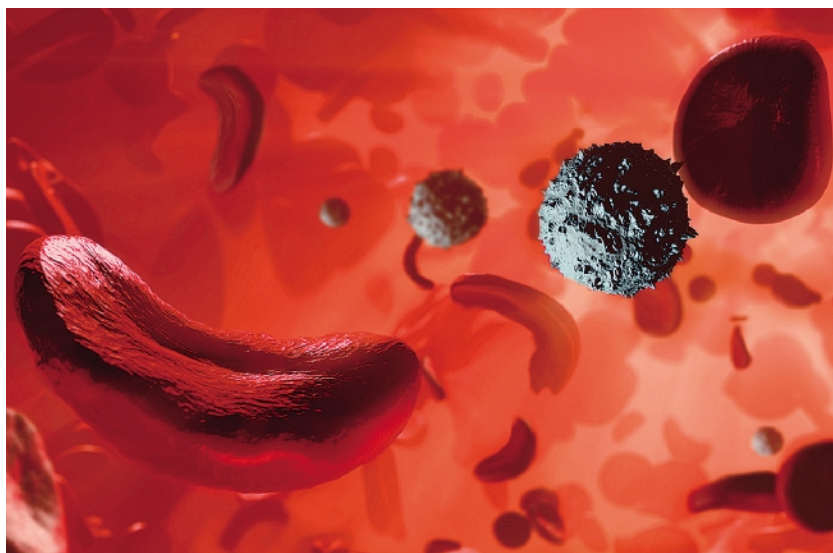
# 英国批准全球首个 CRISPR 基因编辑疗法

**本报讯** 近日,英国批准了一种基于 CRISPR 基因编辑技术的疗法,用于治疗两种遗传性血液疾病——镰状细胞病和输血依赖型  $\beta$  地中海贫血。这在全球尚属首例。

据《科学》报道,这种名为 Casgevy 的疗法由美国福泰制药公司与瑞士 CRISPR 治疗公司共同开发。该疗法通过从患者的骨髓中提取干细胞,然后在实验室中对细胞中的基因进行编辑,最后再将其输回患者体内,从而产生功能性血红蛋白。

镰状细胞病患者红细胞中携带氧气的血红蛋白存在缺陷,导致细胞形成镰状,堵塞血管。患者通常会经历剧烈疼痛、严重且危及生命的感染,以及贫血。该病常见于非洲或加勒比族裔人群。输血依赖型  $\beta$  地中海贫血则主要影响地中海、南亚、东南亚和中东地区的人群,可能导致严重贫血,患者通常需要每 3 至 5 周输血一次。

临床试验显示,接受 Casgevy 疗法的 29 名镰状细胞病患者中,有 28 人不再有剧烈的疼痛发作;接受 Casgevy 疗法的 42 名输血依赖型  $\beta$  地中海贫血患者中,有 39 人至少 12 个月不需要输血以避免严重贫血。



CRISPR 基因编辑疗法将用于治疗镰状细胞病。 图片来源:MARK GARLICK

此前,骨髓移植是这两类患者唯一的永久性治疗选择,但移植的骨髓必须来自匹配的捐赠者,并存在排异风险。与骨髓移植不同,输注编辑过的、患者自己的细胞,没有上述限制和风险。

英国药品与保健品管理局称,这种疗法“有可能显著改善许多人的生活质量”。该机构批准这一疗法用于 12 岁及以上镰状细胞病或输血依赖型  $\beta$  地中海贫血的患者。

其他国家的监管机构可能很快会效仿英国。上个月,美国食品药品监督管理局(FDA)的一个顾问小组

得出结论,认为使用该疗法治疗镰状细胞病利大于弊。FDA 预计将于 12 月 8 日批准其用于该病的治疗。不过,欧洲监管机构对此尚未作出决定。

一个随之而来的问题是,英国国家医疗服务体系和美国保险公司是否会支付相关治疗的费用,因为这笔费用预计将达数百万美元。另外,大多数镰状细胞病患者生活在非洲,而那里几乎没有医疗机构能提供治疗所需的复杂护理,这也让 Casgevy 疗法的进一步应用蒙上阴影。

(文乐乐)

**本报讯** 美国加州理工学院 Whitney S. Griggs 等人使用闭环超声脑机接口(BMI)来解码运动计划。相关研究近日在线发表于《自然-神经科学》。

据介绍,BMI 使患有慢性瘫痪的人仅凭思想就能够控制计算机、机器人等。现有的 BMI 在入侵性、性能、空间覆盖率和时空分辨率方面进行了平衡。功能性超声(fUS)神经成像是一种新兴技术,可以平衡这些属性,并能补充现有的 BMI 记录技术。

研究人员使用 fUS 来证明闭环超声 BMI 的成功实施。研究人员从两只恒河猴的后顶叶皮层流式传输 fUS 数据,它们同时进行眼睛和手的运动。训练后,猴子使用 BMI 控制多达 8 个运动方向。研究人员还开发了一种使用以前的数据对 BMI 进行预训练的方法,这样就能在之后的日子里立即进行控制,即使相隔数月,也无须进行大量的重新校准。

研究确立了超声 BMI 的可行性,其可以在较长的时间内推广,并有望恢复神经损伤患者的功能。(柯讯)

相关论文信息:<https://doi.org/10.1038/s41593-023-01500-7>

## 用闭环超声脑机接口解码运动计划

(上接第 7 版)

# 张浩:加强全周期管理,让先心病儿童“长大成人”

## 3 《柳叶刀》是展示中国科研成果的舞台

**记者:**作为《柳叶刀-儿童青少年健康》期刊的编委,您如何评价《柳叶刀》系列期刊在向全球传播中国医学研究方面的作用?

**张浩:**我觉得《柳叶刀》不仅是一本期刊,还承载了很多的情怀。《柳叶刀》以及它的系列期刊给中国学者提供了一个展示中国成就的广阔舞台,是中国研究影响世界的桥梁。过去几十年,尤其是改革开放以来,中国医学取得了飞速进展,这背后离不开以《柳叶

刀》为主的知名期刊推动的国际交流。初期我们学习、模仿,现在我们创新、突破,在《柳叶刀》上已经能看到越来越多的中国原创研究。

**记者:**在和《柳叶刀》的合作中,您有什么印象深刻的事情?

**张浩:**2018年,我在《柳叶刀-儿童青少年健康》发表了一篇文章。那个时候这个期刊还没有影响因子,但是我们看了它之前发表的几篇文章,认为这是一本非常棒的期刊,于是决定

向它投稿。大约三周后,我收到了第一轮审稿意见,接下来是四轮评审,但只用三个月文章就通过了审核并发表,整个评审过程都非常专业,也很顺利。后来编辑告诉我,我们的文章是这个期刊创刊以来发表的第一个来自中国大陆作者的原创新著。我非常荣幸,这对我的学术生涯具有重要意义。

**记者:**今年是《柳叶刀》创刊 200 周年,您有什么寄语要送给《柳叶刀》?

**张浩:**英国作家威廉·莎士比亚在著

名的轻喜剧《第十二夜》中曾说,不要惧怕伟大,有些人是生而伟大,有些人是因为努力而伟大,有些人是因为担负责任而伟大。我觉得这句话和《柳叶刀》非常契合,《柳叶刀》的创始人托马斯·威克利先生当初可能并不知道自己创办了一个伟大的杂志,但凭借 200 年来作出的成绩,《柳叶刀》赢得了大家的尊重,成为了伟大的杂志,现在又肩负着推动全球医疗卫生可及性和公平性,提升医学品质,推动医学创新的使命和职责。作为一名儿童心血管外科大夫,我非常荣幸能与《柳叶刀》同行。