

2024 年科学突破奖揭晓

11 位科学突破奖得主中, 生命科学领域占 8 位

● 本报见习记者 陈祎琪

近日, 2024 年科学突破奖 (Breakthrough Prize) 的获奖者名单公布, 全球共 11 名生命科学、基础物理学以及数学领域的顶尖科学家获得表彰, 其中, Carl June 和 Michel Sadelain, Sabine Hadida, Paul Negulescu 和 Fredrick Van Goor, Thomas Gasser, Ellen Sidransky 和 Andrew Singleton 8 位科学家获得生命科学突破奖, 以表彰他们分别在癌症、囊性纤维化和帕金森病研究中取得的突破性进展。

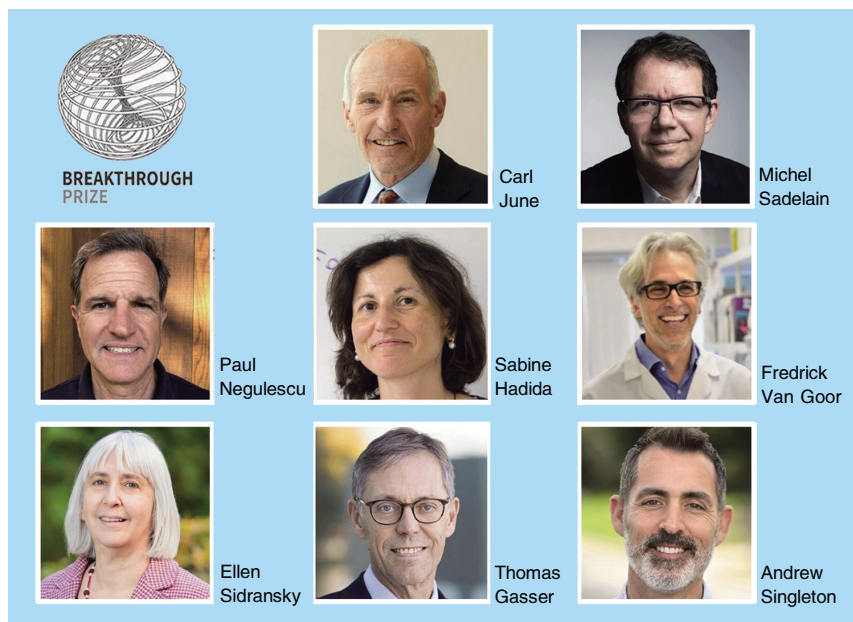
开发 CAR-T 细胞免疫疗法

美国宾夕法尼亚大学的免疫学家 Carl June 和美国纪念斯隆 - 凯特琳癌症中心的 Michel Sadelain 对人体免疫系统中的关键角色 T 细胞进行了基因工程改造, 使其携带一种称为嵌合抗原受体 (CARs) 的合成受体, 以指导 T 细胞识别患者个体的癌细胞。这些 CAR-T 细胞对包括白血病、淋巴瘤和骨髓瘤在内的液体癌症治疗有显著的成功率。对部分患者来说, 经过多年治疗, 肿瘤已经根除, 而且没有复发。

研发囊性纤维化治疗药物

Sabine Hadida, Paul Negulescu 和 Fredrick Van Goor 发明了第一种治疗囊性纤维化根本病因的有效药物 Trikafta, 能让 90% 的囊性纤维化患者重获新生。

囊性纤维化是一种囊性纤维化跨膜传导调节因子 (CFTR) 的突变导致的多系统功能障碍疾病, 是一种可侵



袭肺部和其他器官的致命性罕见遗传病。该病困扰着全球约 10 万人, 多年来一直严重影响人类寿命。

研究发现, 该疾病由 CFTR 蛋白质引起, 该蛋白通常横跨几个器官的细胞膜, 并参与黏液、汗液和其他液体的产生。在囊性纤维化患者中, 这些蛋白质被错误折叠, 不能正常发挥作用, 导致异常黏稠的分泌物堆积, 包括肺部的黏液, 从而导致严重的健康问题。

上述三位科学家发现了四种囊性纤维化的治疗药物, 其中最新的一种是三联药, 可以帮助 CFTR 蛋白质发挥作用, 大大提高囊性纤维化患者的生活质量和寿命。Hadida 回忆说, “药物发现过程需要马拉松式的努力, 他们测试了 100 多万种化合物的效果, 以确定用于临床试验的候选药物。”

今年的一项研究预测, 使用 2019 年

美国食品和药物管理局批准的 Trikafta 等药物进行治疗, 可以将患者的预期寿命从 30 岁左右提高到 80 岁以上。

“Trikafta 的开发是过去 30 年来生物医学研究领域最非凡的成就之一。”美国国家人类基因组研究所 (NHGRI) 的遗传学家兼医生 Francis Collins 说, 他于 1989 年参与发现了囊性纤维化基因。

发现帕金森病遗传病因

德国图宾根大学的神经科学家 Thomas Gasser、遗传学家 Ellen Sidransky 和美国国家老龄化研究所神经遗传学家 Andrew Singleton 发现了帕金森病最常见的遗传原因。

Sidransky 发现基因 GBA1 的突变是帕金森病的遗传风险因素, GBA1 编码一种分解细胞中脂肪物质的酶; Gasser 和 Singleton 的研究分别表明,

LRRK2 基因的突变会导致一种蛋白质的活性增加, 这种蛋白质被认为会导致帕金森病中的神经元损伤。以上发现为帕金森病的机制研究提供了线索, 提示了溶酶体的作用——溶酶体是降解和回收细胞成分的细胞器。

科学是一场无止境的革命

据悉, 科学突破奖由 Facebook 公司创始人 Mark Zuckerberg 和 Priscilla Chan、Google 公司创始人 Sergey Brin 及俄罗斯互联网投资公司 DST 创始人 Yuri Milner 和 Julia, 23andMe 共同创始人 Anne Wojcicki 共同设立, 用于表彰在生命科学、基础物理学以及数学领域做出杰出贡献的人, 素有“科学界的奥斯卡”和“豪华版诺贝尔奖”之称。

Priscilla Chan 和 Mark Zuckerberg 表示: “无论是探索抽象的概念, 还是揭示人类疾病的原因, 以及研发影响数百万人生命的有效治疗方法, 这些获奖者的工作都令人印象深刻。”

Yuri Milner 表示: “人类的集体智慧是我们最重要的成就。伟大的科学家, 其中包括科学突破奖的获得者, 都站在宇宙中这些令人难以置信的现象的最前沿。”

Anne Wojcicki 表示: “每年, 我都被科学突破奖得主的想法、发现和进步做出的贡献所鼓舞。”

科学是一场无止境的革命, 科学突破奖最新的获奖者正在推动这场革命向前发展。

提升日间手术科学管理水平

本报讯 近日, 第十届全国日间手术学术年会在京召开。会上, 国家卫生健康委副主任李斌强调, 要始终围绕安全和质量开展日间手术工作。开展日间手术的医疗机构应严格落实日间手术安全管理相关要求, 加强日间手术安全管理, 规范日间手术服务行为, 提升日间

手术科学管理水平。

李斌表示, 我国一直非常重视医疗机构的内涵建设和高质量发展。近年来, 全国开展日间手术的医疗机构数量、病种数量逐渐增加, 日间手术患者比例大幅度提升, 越来越多的手术从普通住院模式向日间手术模式转

型, 引领了公立医院高质量发展的新趋势。政府与有关部门要加强对医疗机构日间手术质量管理情况的监督和考核评价, 积极促进国内外日间手术的合作与交流, 有序建立日间手术规范化培训体系。

同时, 日间手术的发展也需要医

保、医药的支持, 科学、合理的支付和报销政策有利于激发医疗机构开展日间手术的积极性, 提高患者日间手术的可及性。

此次会议由国家卫生健康委卫生发展研究中心、中国卫生经济学会、中国日间手术合作联盟联合主办。(丁思月)