

中国科学家博物馆首开展展

本报讯 5月30日是第八个“全国科技工作者日”。作为今年全国科技工作者日系列重点活动之一，中国科学家博物馆当日在京举行首展仪式，正式面向社会公众免费开放。

中国科学家博物馆集“采集、馆藏、研究、展示、教育、宣传”功能为一体，致力于展示中国科学家形象、弘扬科学家精神、打造科技工作者的精神殿堂。

2009年，经国务院批准，中国科协联合中组部等11部委共同组织实施“老科学家学术成长资料采集工程”。15年来，已先后启动674位科学家的学术成长资料采集，获得实物原件资料14.7万件、数字化资料34.5万件、视频资料47万分钟、音频资料56万分钟，涵盖了中国科学家在学术成长过程中的书信、手稿、科学仪器、著作、音视频和记录中国科技发展重大事件的相关文物、文献等珍贵史料，为中国科学家博物馆建设提供了丰富藏品资源。

首展包括1个主展和5个专题展。主展为“共和国脊梁——中国



部分展品。

张双虎 / 摄

科学家博物馆馆藏精品展”，展出了190余位科学家的采集资料、400余件(套)实物，充分体现新中国成立以来广大科技工作者取得的科技成就。5个专题展包括“许身国威壮河山——邓稼先百年诞辰生平事迹展”“归来——20世纪50年代留美归国科学家展”“选择——钱学森的初心与信仰展”“原本山川 极命草木——《中国植物志》编纂史展览”“工师于国——工业遗产背后的中国工程师主题展”，总展览面积为5000平方米。

本次首展展出了大量鲜为人知的历史故事、珍贵影像资料和历史“老物件”。特别是“糖丸爷爷”、我国病毒学家顾方舟以身试药，研发脊髓灰质炎活疫苗的故事，给不少

学生留下了深刻的印象。

2023年12月，上海交通大学钱学森图书馆首批12件(套)文物被鉴定为国家一级文物，包括国立交通大学颁发给钱学森的毕业证书，中国科学院科学奖金一等奖奖状和奖章，国务院、中央军委授予钱学森“国家杰出贡献科学家”荣誉称号的荣誉证书、纯金“两弹一星”功勋奖章等。这套文物中的一大半由专人运送而来，在此次首展亮相。此外，“许身国威壮河山——邓稼先百年诞辰生平事迹展”以邓稼先从小立志科技报国并投身核武器事业的初心选择为主线，展出历史图片150余幅、各类展品40件(组)，其中不少文物是首次面向公众展出。

(张双虎 高雅丽)

李建兴当选健科会泌尿系结石防治专委会主委

本报讯 近日，中国人体健康科技促进会泌尿系结石防治专业委员会换届大会在北京召开。经过无记名投票民主选举，清华大学附属北京清华长庚医院李建兴教授当选泌尿系结石防治专业委员会主任委员。选举工作由中国人体健康科技促进会副秘书长、会员组织部主任沈根兴主持。

会议伊始，中国人体健康科技促进会党支部书记、秘书长夏岑灿代表党支部宣读任命厦门大学附属第一医院陈斌同志为党的工作小组组长的通知。

当选泌尿系结石防治专业委员会副主任委员的有：厦门大学附属第一医院教授陈斌、华中科技大学医学院附属同济医院教授陈志强、海军军医大学第一附属医院教



夏岑灿为主任委员李建兴(左一)颁发聘书。

授高小峰、浙江省人民医院教授何翔、浙江大学医学院附属第一医院教授沈柏华、四川大学华西临床医学院/华西医院教授王坤杰、中山大学孙逸仙纪念医院教授许可慰、武汉大学人民医院教授杨嗣星、广州医科大学第一医院教授曾国华。上海市东方医院杨国胜教授当选专委会秘书长。

随后，李建兴做了泌尿系结石

防治专业委员会第一届工作总结及第二届工作计划报告。他表示，未来专委会将以党建为引领，提供学术交流的平台，积极组织制定团体标准和专家共识，推动科研课题、继续教育、医疗科普多点开花。在全体委员的共同努力下，专委会将不断推动泌尿系结石防治领域的学术水平和临床实践达到新高度。

(陈祎琪)

本报讯 近日，国家儿童医学中心(上海)、上海交通大学医学院附属上海儿童医学中心血液肿瘤科移植团队对一名患有丙酮酸激酶缺乏症(PKD)的16岁青少年成功实施了精准大片段基因替换治疗。这也是全球首例接受基因替换治疗的PKD患儿，有望开启PKD的治疗新纪元。

小凌(化名)生后即出现重度贫血，2022年被诊断为PKD。2023年，家长得知上海儿童医学中心正在开展一项相关临床研究后报名加入。自2024年1月起，临床研究组开始按计划进行治疗，包括生育力保护(卵巢及卵泡冻存)、自体造血干细胞采集及干细胞体外基因编辑。最近两个月，小凌接受了预处理、经体外编辑的自体造血干细胞回输，目前造血重建良好，已于近日顺利出院。

PKD是一种罕见的常染色体隐性遗传病，患者体内红细胞寿命显著缩短，临床上表现为不同程度的慢性溶血性贫血。重症PKD患者出生后就出现贫血(甚至胎儿期即死亡)，依赖输血生存。迄今为止，国际公认的治疗策略为红细胞输注、脾切除等，但对于很多患者而言并无效果，很难维持生命。

该临床研究由上海儿童医学中心主导，与国内生物技术企业合作开展，利用新一代体外CRISPR精准基因替换技术平台，通过同源重组实现大片段基因的精准替换，将携带正常基因的自体造血干细胞重新回输患者体内，让患者获得正常造血功能，达到疾病治愈效果，且不存在异基因造血干细胞移植相关风险。因其为内源性启动子驱动，精准敲除突变基因，并在原位完整插入正常基因，避免了潜在癌症事件的发生，更为安全、高效，是最接近于理想化基因治疗的一种方式。

该临床研究的主导者之一、上海交通大学医学院附属上海儿童医学中心血液肿瘤科教授陈静表示，基因治疗为PKD治疗提供了新方向，其基因编辑技术的高效性和安全性为治疗提供了新机遇。从此次治疗结果来看，患儿接受基因治疗后的恢复情况理想，也增加了研究组继续向前探索的信心。

近年来，作为国家儿童医学中心和上海市基因治疗临床医学研究中心，医院积极致力于国产创新药械的开发与应用，特别是罕见病基因治疗的相关临床研究。开展的世界首次用于人体的治疗芳香族L-氨基酸脱羧酶缺乏症基因治疗项目已完成前期IIT研究并进入注册临床阶段。目前，包括针对戈谢I型、杜氏肌营养不良、MECP2重复综合征和急性髓系白血病等疾病的多个基因治疗项目正在进行中。

(江庆龄)

全球首例丙酮酸激酶缺乏症基因替换治疗完成