

用基因“搭桥”，他跨越脑病治疗“雷区”

■本报记者 陈彬

“有时候想想，生命真的挺脆弱的，说没就没了。”

在医学研究领域浸淫 30 年后，深圳理工大学合成生物学院教授连祺周由衷地发出这句感慨。

这种感受，连祺周在 20 世纪 90 年代就曾有过。彼时，他还是一名正在进修读博的临床医生，立志于通过学习心脏移植技术，挽救更多的心脏病患者。

然而，命运并没有让连祺周实现这个夙愿，而是让他进入了另一片此前从未有人跨越的“雷区”——攻克“异染性脑白质营养不良症（MLD）”这一世界性医疗难题。

如今的连祺周，不仅凭借基因和干细胞技术成功实现了突破，还在不久前将相关成果进行了产业转化，涉及合同金额超过 3 亿元。

“医疗技术本身就具有产业化基因，其终极目的就是让生命不再那么脆弱。”连祺周说。

几经“转行”，只为救人

作为一种发病率仅有五万分之一的罕见病，MLD 的致病原理并不复杂。“简单说，就是由于基因缺陷等原因，导致人体内缺乏某种可以分解特定脂肪物质的酶。”连祺周告诉《中国科学报》，这会导致此类脂肪物质大量堆积在人体的神经系统中，特别是脑部，并不断压迫、侵蚀神经组织，进而引起脱髓鞘、神经炎症和神经变性，表现出进展迅速的神经退行性疾病临床症状，直至危及生命。

即便是在当下，MLD 也是一种极难治愈的疾病，甚至可以说，一旦进入发病期，患者几乎没有生还的可能。而在 20 世纪 90 年代，准备读博深造的连祺周，压根儿没想到自己将来会和这个世界难题来一场“正面对决”。

事实上，促使连祺周读博的原因，是身为心血管科临床医生的他，曾亲眼目睹身边朋友乃至家人因为心脏问题猝然离世。这让他有感之余，产生了学习心脏移植等先进技术的想法。

当时，连祺周在哈尔滨医科大学附属医院一边读博，一边钻研技艺。然而，他很快发现心脏移植在当时面临一个很大的问题——严重缺乏器官提供者。

这是一个单凭个人努力无法克服的困难。无奈之下，连祺周将科研重点转向了当时刚刚兴起的心脏介入治疗，并以此挽救了很



连祺周在进行模拟生产流程验证。受访者供图

多病人的生命。

慢慢地，连祺周又发现了一些问题。

“以心肌梗塞为例，通过治疗，患者的急性死亡率大大下降，但心梗过程中死掉的心肌没办法再生，使得很多病人慢慢发展为心衰，患者在 5 年内死亡的比例甚至达到 50%。”连祺周说。

又一道难题摆在他的面前。

恰在此时，他得知国外有科研人员利用基因和干细胞技术培植老鼠的心肌组织再移植进其体内，从而规避排异性等一系列问题，完美替换“死”掉的原组织。这项技术给了连祺周很大的“刺激”。然而，作为一名临床医生，搞心肌再生的尝试很难。“你的手术必须完全按照医疗指南操作，很难有大胆的创新研究。”

此时，连祺周觉得自己要去学一点新东西，“否则救不了更多人”。

被中国科学家攻克的“绝症”

在博士毕业并做了两年主治医生后，连祺周在 2001 年前往新加坡从事博士后研究。此后近 20 年间，他在荷兰、英国以及我国香港地区辗转多家科研机构，持续进行基因以及干细胞治疗的研究，从一开始连如何培养干细胞都很生疏的科研新人，慢慢成长为细胞治疗以及基因治疗领域的“大咖”。

在这一过程中，他的研究重点慢慢从“心脏”转移到“大脑”。

“两者看似差别巨大，但底层逻辑是一样的。”连祺周告诉《中国科学报》，MLD 之所以发生，其根本原因在于人体缺乏分解脂肪组织的酶。“既然如此，我们通过干细胞进行基因修复及基因编辑，再将可以产生这种酶的干细胞植入人体内部，使其能自发性分解多余脂肪组织，不就可以起到治疗效果吗？”

原理看似简单，但将原理变成实际，连祺周却用了整整 15 年。在此期间他取得了一系列重要成果，但知道的人并不多。直到 2024 年，一个两岁瑞典小女孩的到来，才让更多人注意到了他。

这个小女孩名叫爱玛，一岁便被诊断为 MLD，两岁时因 MLD 造成视神经受损，双脚内翻且不能自行站立。她的父母在欧美各国四处求医问药，均以失败告终，这意味着爱玛几乎没有了生存希望。

然而，一个偶然的机会，爱玛从事医务工作的父亲看到了连祺周相关研究的论文。抱着试试看的心里，他们一家来到连祺周合作的多中心临床研究单位之一——广州妇女儿童医疗中心。

2024 年 8 月 30 日，爱玛第一次住院。在经历采集自体造血干细胞、中心静脉置管术、骨髓预处理后，10 月 9 日，医院成功将基因功能修复后的自体造血干细胞回输到爱玛体内。



潘庆民向草场参观者介绍快速恢复技术。沈春蕾摄

例，实现天然草地生产与生态功能的合理配置，是我们对天然草场的修复目标。”

2015 年 3 月，中国科学院与呼伦贝尔农垦集团合作在呼伦贝尔建设“生态畜牧业试验区”。该试验区的建设初衷是希望利用不足 10% 水热条件适宜的耕地，建立集约化人工草地，使优质饲草产量提高 10 倍以上，让 90% 以上的天然草地得到保护和恢复，从根本上化解草畜矛盾。

在中国科学院生态畜牧业工程实验室位于呼伦贝尔农垦集团谢尔塔拉农牧场的天然草地恢复实验平台，潘庆民指着四周郁郁葱葱的草场向《中国科学报》介绍，利用快速修复技术，优质牧草比例由 20.1% 提高到 57.8%，羊草密度提高 2.9 倍，在 1~2 年内草场可以恢复到接近未退化的状态。

呼伦贝尔农垦集团党委书记、董事长郭平指出，退化草原快速恢复技术成功使垦区牧草产量由每亩 110 公斤增加到 260 公斤，产量增加 1.38 倍。

让牛羊更健康更强壮

在呼伦贝尔，每年 7 至 9 月份是最忙碌的时候，收割饲草、切段粉碎、喷洒菌剂、裹包加工、发酵贮藏……青贮饲料制作的每个环节都不容忽视。

中国科学院微生物研究所研究员钟瑾介绍，青贮是把收割下来的牧草或作物秸秆，在厌氧条件下发酵保存的一种方式。这

样不仅能让草料保存得更久，也能提高营养利用效率。

然而，青贮饲料的制作过程有时候并不顺利。“若发酵条件不好，饲料容易腐败、发霉，甚至产生对牲畜有害的毒素。”钟瑾说，尤其是在保存时间长、温度高或密封不严的情况下，有害微生物可能大量繁殖，导致饲料变质、营养流失，影响牲畜健康。

为了让青贮饲料更安全、更有营养，钟瑾带领团队研发了高效复合青贮菌剂。这是一种由多种有益菌组成的复合制剂，专门用于改善青贮饲料的发酵过程。

2016 年，钟瑾与呼伦贝尔农垦集团特尼河农场合作，在当地尝试采用团队研发的青贮菌剂加工技术来青贮苜蓿。特尼河农场相关负责人介绍，2021 年至今已累计加工苜蓿、燕麦青贮裹包近 4 万吨，累计减少损失 1300 余万元。

与畜牧业发达国家的优质肉羊相比，呼伦贝尔肉羊生产存在体重轻、生长速度慢、繁殖率低、优质种羊短缺等“卡脖子”问题。为此，中国科学院亚热带农业生态研究所研究员贺志雄带领团队在当地以优质呼伦贝尔种公羊及引进蒙古国羊胚胎生产的公羊作为父本，开展呼伦贝尔羊的提纯复壮工作，形成了红头短尾呼伦贝尔羊新品系。

“我们培育的 6 月龄羔羊每只体重增加 2 千克至 4 千克。”贺志雄介绍，团队还以澳洲白羊等优质种羊为供体开展胚胎移植，进一步促进呼伦贝尔羊群体的改良进程，为养

2024 年 10 月 25 日，曾被宣判“死刑”的爱玛顺利出院。该案例经媒体报道后，人们才意识到，曾经被认为是“绝症”的 MLD 在中国科学家帮助下，患者可以重获新生。

“爱玛并不是我们治疗的第一例病人。我们曾治愈了数名已经发病的 MLD 青少年患者，而且进行了最长近 10 年的安全性和有效性随访研究。”连祺周的语气颇为自豪，“可以说，我们跨越了一个前人不曾跨越的脑病治疗‘雷区’。”

医疗行业不能只靠“砸钱”

直到今天，连祺周还和爱玛一家及当地医生保持着密切沟通。随着人们对其研究关注度的提升，越来越多的企业找到连祺周，希望能推动相关成果的落地转化。

对于这件事，连祺周有自己的打算。

“医疗技术成果的转移转化是理所应当的，否则便背离了救死扶伤的科研初衷。”他说。但也正因为医疗技术“事关人命”的特殊性，使得挑选合适的合作伙伴成为一件更重要的事情。

连祺周坦言，这些年有很多企业愿意出巨资换取技术，但其中一些并不是“圈内人”，甚至与医疗行业完全不沾边。对于这些企业，他都一一婉拒。

“在挑选合作伙伴方面，我最看重的是对方的诚意，也就是他们是否真的将该技术的产业化作为一项事业，而不是仅仅玩一场资本‘游戏’。”连祺周说，此外，医疗行业并非单纯靠“砸钱”就能搞好，“我希望对方能对这一行业有深入理解，毕竟技术转移之后，我们仍希望与企业共同合作，持续进行技术的优化与改进”。

秉持着这样的理念，连祺周在一番“精挑细选”之后，终于找到了“意中人”，并在不久前将全套技术进行了产业化转移，涉及合同金额超过 3 亿元。

连祺周告诉记者，MLD 作为代表性的遗传性脑白质罕见病，目前市场需求缺口庞大。预计至 2029 年，MLD 治疗市场规模将达到 49.2 亿美元，年复合增长率 6.2%。

“巨大的市场空间下，我们越发需要保持冷静。医疗技术的产业化除了要看市场前景和企业发展外，更要看技术能不能最大限度发挥治病救人的价值。这才是作为一名医学科学工作者最应该考虑的事情。”连祺周说。

殖户带来了丰厚的回报。当前，呼伦贝尔羊经济杂交示范规模 1 万只，每只杂交羊平均出栏体重 5 千克。

此外，来自中国科学院计算机网络信息中心的科研团队利用数字化放牧轨迹追踪技术、放牧行为感知技术，结合气象数据精确计算草场的承载能力，科学规划放牧量和放牧路线，确保羊群在享受天然草场的同时，不会因过度放牧破坏植被，实现经济效益与生态保护双赢。

技术得到了认可和接受

2021 年，中国科学院启动 A 类战略性先导科技专项“创建生态畜牧业科技体系”（以下简称专项），60 多家院内外单位的科研团队围绕生态畜牧业开展系统集成性研究。

“我算过一笔账，使用青贮苜蓿替代部分苜蓿干草，可使当地的三河牛每头每年增加效益 3600 元。”专项首席科学家、中国科学院院士钟康告诉《中国科学报》，“专项在呼伦贝尔地区实施以来，我们科研团队的技术得到了认可和接受。”

郭平认为，专项给呼伦贝尔带来“真金白银”的改观——研发的退化草原快速恢复技术在呼伦贝尔累计示范推广 100 余万亩，被呼伦贝尔市确定为重点推广技术；培育的饲用燕麦、苜蓿、羊草等多个牧草新品累计年推广 15 万至 20 万亩；红头短尾呼伦贝尔羊新品系显著提高了养殖效益；相关饲养技术标准提升了家畜的生产性能。

种草、制草、养畜、深加工、粪污利用……在专项的指导下，呼伦贝尔农垦集团将草业纳入其“十四五”规划。

郭平介绍，呼伦贝尔农垦集团在方精云提出的“以小保大、生态生产协调发展”生态畜牧业理念指导下，建立 4 个科技支撑平台，推进 6 项重点任务，建成 2 个全程可追溯体系，打造 4 条产业链。

围绕呼伦贝尔草原过牧和退化问题，郭平希望进一步建立问题导向的联合攻关机制，科研团队可以针对性设计课题，形成“需求—研发—应用”的正向循环。

“我们将搭建好田间实验室交流平台，欢迎更多科研团队走进牧场、草场，在实践中发现问题、验证技术，推动‘标准互认’与‘成果互通’，让更多的技术成果能跨区域落地。”郭平说。

资讯

科技创新与产业创新融合研讨会举行

本报讯(记者刘如楠)7 月 16 日，由中国科学院科技创新发展中心(以下简称科创中心)主办的 2025 中关村论坛系列重点活动之一——科技创新与产业创新融合研讨会在北京举行。

会议以“培育发展新质生产力”为主题，汇聚政府部门代表、科学家、企业家及智库学者，研讨融合发展的新理念、新机制与新路径；发布融合发展的平台新工具；试点“先使用后付费”成果转化新模式。科创中心致力于搭建多方协同的融合实践平台，推动科技创新与产业创新无缝对接。

本次会议设置了主题报告、圆桌对话、信息发布、生命健康专题对接四大板块，兼具前沿深度、政策高度与落地实效。在圆桌对话环节，5 位专家围绕新融合方式、制度机制以及融合发展生态的问题，碰撞出多个具有前瞻性的思想火花。

研讨会期间，中国科学院动物研究所、中国科学院过程工程研究所、国家纳米科学中心、中国科学院工程热物理研究所、中国科学院微电子研究所、中国科学院天津工业生物技术研究所等 6 家单位与科创中心签署一系列“先使用后付费”科技成果转化试点协议。

据悉，“先使用后付费”是科创中心与海淀区落实中国科学院与北京市战略合作协议共同推动的工作模式，2024 年已启动第一批试点工作，京区 10 家科研院所参加，目前已推动 53 项专利签署协议并付诸实施，21 项正在推进中。

近年来，科创中心在促进科技成果转化工作中不断探索有效范式，形成了独特的科技与产业融合创新的服务体系。会议期间，服务于科研机构、企业和投资机构的“融合实践工具箱”正式发布，将不断为培育发展新质生产力提供支撑。

在生命健康专题对接板块，来自科研机构、企业界和投资界的代表围绕骨科材料、生物育种、疫苗研发等前沿技术展开交流，探讨合作事宜。

粤港澳大湾区新材料化工园正式动工

本报讯(记者汉斌)7 月 15 日，总投资 27 亿元的粤港澳大湾区新材料化工园在广州市南沙区正式动工。记者获悉，该化工园坐落于广州市唯一正式挂牌的化工园区——小虎岛化工园区，计划推动 50 家以上企业完成科研成果转化，助力 13 家以上生产企业实现量产，有力支撑大湾区新材料产业能级提升。

全国港澳研究会副会长、香港再出发大联盟秘书长谭耀宗表示，粤港澳大湾区新材料化工园为港澳资本、技术参与大湾区产业建设提供了重要平台，鼓励企业在资本联通、规则对接、产研协同、集群建设等方面深化合作，推动粤港澳大湾区融合发展，共同打造大湾区高质量发展的核心引擎。

香港科技大学(广州)校长倪明选表示，近年来，学校始终将“产教融合”作为核心发展战略，依托中央实验室资源，持续利用学科、人才、实验室优势，向园区企业开放尖端科研设备，助力园区打造产学研协同创新的标杆。此外，学校通过高端人才培养与全球资源对接，实现教育与产业需求的无缝衔接。

记者了解到，由广州庆新实业有限公司打造的粤港澳大湾区新材料化工园，是广东省首个覆盖研发(小试)、中试转化、批量生产的全生命周期化工新材料产业平台，聚焦高端胶黏剂、高性能特种涂料、高分子材料、电子化学品、化工制药等五大精细化工细分领域，致力于攻克新材料领域的“卡脖子”难题，通过科技创新推动“进口替代”，实现高端化工新材料项目的科技成果产业化。项目首期工程预计明年上半年可建成投产，达产后年产值为 40 亿元。

当天活动期间，企业与政府部门、园区以及合作伙伴还就大湾区新材料产业的合作机遇等话题进行了深入交流，推动资源高效对接、合作共赢。

第 19 届北京发明创新大赛落幕

本报讯(记者沈春蕾)7 月 16 日，第 19 届北京发明创新大赛圆满落幕。该赛事由北京发明协会和北京市职工技术协会共同主办，自 2024 年 12 月启动以来，历经 6 个月，从全国 2999 个报名项目中评选出 512 项发明创新奖及 140 项专项奖。

据悉，大赛以“全民创新”为核心，搭建起激发全社会创新活力的广阔平台。参赛主体跨越老中青三代，项目涵盖国家重大项目关键技术、民生巧发明、科技前沿技术及国产化替代技术等许多方面。北京市妇女联合会等 20 家单位协作参与，中国中小商业企业协会等 15 家机构设立专项奖，从不同角度激励创新。北京汽车集团、清华大学等 30 余家单位组织机构项目参赛，提升了大赛的社会影响力和全民参与度。

航天工程大学的项目“航天发射测试关键技术及系统”获本届大赛唯一的特等奖；清华大学的项目“碳纤维复合材料热压罐成型工艺模拟及应用”，国网北京市电力公司的项目“电动汽车充电设备自动化检测定流水线”，格力钛新能源股份有限公司、珠海格力电器有限公司、珠海广通汽车有限公司共同参赛的项目“等离安全大倍率储能系统关键技术研究与应用”等 29 个项目获得金奖。

本届大赛参赛的项目覆盖全国 27 个省份，共 2656 个项目进入初赛，最终 512 个发明创新奖项目脱颖而出。在参赛项目中，单位报名项目居多，青少年与大学生及在职人员项目占比可观。拥有自主知识产权的项目达 1821 个，占比 68.6%，专利项目数量较往届大幅增加。

今年也是北京发明协会成立 40 周年。北京发明协会致力于推动发明创新，随着第 19 届大赛落幕，第 20 届大赛筹备工作已开启，或将增设新专项奖，试点“揭榜挂帅”机制。