



基因治疗为先天性耳聋打开新局面

外界声音能正常传入,内耳“接收器”完好无损,但负责将声音信号传给大脑的“信号中转站”失灵,这就是 OTOF 基因突变导致的先天性耳聋。全球约 2600 万人受此困扰,多年来没有任何获批的治疗药物,无数家庭陷入绝望。如今,这一困局迎来突破。

北京时间 4 月 22 日晚,复旦大学附属眼耳鼻喉科医院舒易来教授领衔的先天性耳聋基因治疗多中心临床研究,在《自然》(Nature)在线发表。这项研究覆盖 9 个月至 32 岁患者,随访时间长达 2.5 年,是全球该领域开展最早、

纳入患者最多、随访时间最长的临床研究。

研究团队联合北京协和医院、四川大学华西医院等全国 7 家三甲医院,共纳入 42 名患者,从婴幼儿到成人全面覆盖。结果显示:整体治疗有效率达 90%,患者听力水平呈现持续稳定上升趋势。

关键听力指标改善明显,听觉脑干反应平均阈值从治疗前超过 97 分贝,提升至 42 分贝;行为测听阈值从超过 96 分贝优化至 37 分贝。随访达 2.5 年的有效患者中,100%能听清日常交谈,57%能捕捉图书馆级别的轻微背景音,43%能听见耳语。

过去业内普遍认为,先天性耳聋基因治疗对成年患者效果有限。本研究证实,成年患者同样能从中获益,这一发现打破了传统认知。在 3 名 20 岁以上患者中,一名 32 岁患者治疗 1 年后,听力阈值提升 27 分贝;一名 20 岁患者治疗 13 周后,阈值提升 20 分贝。这为成年先天性耳聋患者带来了新的希望。

团队还首次锁定三大影响疗效的关键因素:低龄患儿效果更佳,0.5 至 3 岁患者治疗有效率达 100%;治疗前耳蜗功能指标更好的患者,听力恢复更优;不同基因突变类型会影响恢复程度,但不影响治疗是否有效。这

些发现为临床选择合适的患者、制定个性化治疗方案提供了科学依据。

治疗过程中,所有患者均未出现剂量限制性毒性和严重不良事件,安全性良好。这得益于团队多年打磨的完整技术体系。创新采用双 AAV 载体拆分递送策略,搭配自主研发的精准微创耳部给药路径与专用器械,解决了耳蜗位置深、靶向给药难的临床痛点,同时通过基因编辑技术实现精准修复,全程兼顾疗效与安全。

凭借领先成果,舒易来团队牵头联合中国、西班牙、英国、美国、韩国、德国等 6 国 46 位专家,

制定了全球首个先天性耳聋基因治疗国际专家共识,为全球该领域规范化发展提供统一标准,让中国方案走向世界。

附属眼耳鼻喉科医院院长周行涛表示,医院已获批上海市罕见病基因编辑与细胞治疗重点实验室,未来将依托这一平台,推动基因治疗、细胞治疗等先进技术在更多疾病领域落地应用,让前沿科技造福更多患者。

论文链接: <https://www.nature.com/articles/s41586-026-10393-y>

通讯员 蒋罗颖 程晓婷 吕俊 陈玉鑫 边欣月

来源:附属眼耳鼻喉科医院

复旦团队找到“降压三合一”新方案

全球约 1 亿人曾受中风困扰,高血压是主要危险因素之一。控制血压可显著降低中风发生概率,但如何有效控压一直是医学难题。

北京时间 4 月 23 日,复旦大学类脑智能科学与技术研究院特聘教授克雷格·安德森(Craig Anderson)、特聘教授宋莉莉团队在《新英格兰医学杂志》(The New England Journal of Medicine)发表研究,将三种低剂量降压药制成单一复合药片,能显著降低高血压脑出血患者再次中风的危险,且服用方便,为全球中风防治提供新策略。

传统降压治疗常采用“单药

起始、逐步加量”模式,患者服药方案复杂,依从性差,医生也担心大剂量副作用,导致血压控制不理想。脑出血患者病情与血压密切相关,控制难度更大。研究团队采用替米沙坦、氨氯地平和呋达帕胺三种药物,以低剂量组合成一片。不同成分协同作用,控压效果提升,副作用大幅减少。

团队所采用的“三联疗法预防脑出血颅内事件复发试验”(TRIDENT)是一项高标准国际多中心、双盲、安慰剂对照研究,共纳入 1670 名脑出血后病情稳定的患者。平均随访 3 年,最长 7 年。结果显示:服用三联药



研究团队合影

片的患者卒中复发率为 4.6%,安慰剂组为 7.4%,复发风险降低

39%。同时,药片组平均收缩压比安慰剂组低 9mmHg,稳定控制

在 127mmHg,达到临床难以实现的低于 130mmHg 的目标。药物还使非致死性卒中、心梗和心血管死亡等风险下降 33%,安全性良好。

世界卒中组织主席评价这是“重大进展”,提供了简单有效的控压策略。团队表示,单片药物每天只需服用一次,大大提升患者依从性。目前团队正计划推动该药物扩大生产,惠及更多患者。

论文链接: <https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2515043?query=TOC>

实习记者 丁超逸

来源:类脑智能科学与技术研究院

流感病毒广谱中和抗体成果落地



应天雷团队在实验室进行研发工作

4 月 25 日,恰逢第 40 个“全国儿童预防接种日”。近期,上海市重大传染病和生物安全研究院(简称“传研院”)牵头孵化的靶向流感病毒广谱中和抗体专利成果落地,成果由传研院兼职 PI、复旦大学基础医学院特聘教授、上海合成免疫工程技术研究中心主任应天雷团队研发,突破了流感病毒高频变异导致的防控瓶颈,以雾化吸入给药方式实现黏膜免疫与即时防护,为流感流行季提供了高效的被动免疫新方案。

流感病毒持续变异,尤其是

甲型流感病毒表面血凝蛋白高频突变,让传统抗体药物很快失效。团队成员、复旦大学基础医学院研究员吴艳玲解释:“流感病毒每年变异,传统疫苗需每年接种,且若感染毒株与疫苗株不匹配,预防效果大打折扣。”

传统流感抗体研发面临双重困境,一方面,研发效率受限,免疫原性、亲和力成熟周期长;另一方面,病毒变异速度远超药物迭代速度,抗体广谱性不足,往往“药刚研成,病毒已变异”。

应天雷团队将人工智能技术与合成免疫学深度结合,搭建

了一套全新的抗体研发技术体系。通过针对病毒保守表位精准设计,依托上海创智学院的 Mobius 多智能体智药系统,对先导分子进行广谱性、免疫原性与成药性多目标优化,并完成高通量湿实验闭环验证,最终成功研发出可雾化吸入的广谱中和抗体 SII-007。

该抗体最大优势是“广谱”和“稳定”,能有效应对多种流行毒株。与传统注射给药相比,雾化吸入使用更便捷、剂量更低。更重要的是,它属于被动免疫制剂,接种后无需等待抗体诱导期,可立即发挥中和作用,同时对流感重症预防也有积极作用。

团队在研发过程中同步完成核心专利布局,掌握自主知识产权。依托传研院高效的成果转化机制,团队第一时间对接优质产业资源,仅用 1 个月实现了科研成果与产业端的无缝衔接,正式携手复星医药旗下基金推进成果产业化。

通讯员 边欣月 夏鑫 孔雨
来源:医学宣传部 上海市重大传染病和生物安全研究院

复旦专家团赴菏泽开展智能医疗赋能行动

本报讯 4 月 16 日至 18 日,复旦大学上海医学院副院长朱同玉带领专家团队一行 30 余人赴菏泽,以“数智驱动、AI 赋能,沪荷协同推进菏泽医疗卫生高质量发展”为主题,通过公益义诊、学术研讨与座谈交流等多元形式,开展智能医疗赋

能行动,推动校地合作走深走实。双方就建立沪荷智慧医疗常态化交流平台、完善菏泽智慧医疗卫生服务体系达成共识,为后续深化合作奠定了坚实基础。

通讯员 曲正祥

来源:医学党政办

复旦上医与晋江加快打造区域医疗新高地

本报讯 4 月 23 日,复旦大学上海医学院与晋江市人民政府合作座谈会暨签约仪式举行,双方在医学领域的战略合作迈入更深层次、更高水平的发展新阶段。晋江市与复旦大学附属眼耳鼻喉科医院

进一步签署合作意向书,明确以共建国家眼耳鼻喉科区域医疗中心为目标,全面推动晋江医学发展中心提质增效、提档升级。

通讯员 王怡

来源:医院管理处

奥塔哥大学代表团到访口腔医院

本报讯 4 月 20 日,新西兰奥塔哥大学副校长 Jessica Palmer 率团参访复旦大学附属口腔医院。双方共同举办深化战略合作交流会议,旨在推动医教研防各领域合作落地,重点围绕

共建联合实验室、设立合作研究基金、丰富人才联合培养路径等方向发力,构建务实高效的国际口腔医学合作新范式。

通讯员 金恒

来源:附属口腔医院