

邹海东教授率领团队曾先后近 10 次深入西藏、新疆、川南、贵州等地区，至今为止已完成慈善手术 800 余台，为当地医生进行专业授课近 200 场。

作为眼科“国家队”，在临床诊疗、科研创新和社会责任方面，市一医院眼科都做出了独特的贡献。

## 带领眼科，迈入基因治疗时代

走进 2023 年启用的市一医院眼科大楼，患者可以直观地感受到焕然一新的就诊环境。“现代感”和“科技感”不光体现在硬件设施上，市一医院眼科团队的科创实力，让这里成为新技术、新药物的研发和应用高地。

2023 年 7 月，全国首个眼科罕见病诊治中心在上海市第一人民医院成立，这也是全国首个眼部疾病基因治疗临床医学研究中心。中心启动了不同种类遗传性视网膜疾病的基因治疗临床试验，将填补我国眼科自主研发基因治疗药物领域的空白。在孙晓东教授看来，眼科罕见病诊治中心的设立，就是要将全球医学界目前最具前景、最具潜力、单次治疗长期获益最具优势的细胞基因治疗作为一把“破冰之刃”，去解决尚未解决的黑暗难题。

由于我国部分遗传性眼病的致病基因突变谱与国外并不完全相同，因此国外研发的基因药物并不完全一定适用于国内患者。探索国人的突变热点，并针对国人遗传性眼病特点开发精确治疗技术，搭建高效高质量的基因治疗技术平台成了市一医院眼科团队的核心科研任务。从 2013 年开始，孙晓东教授即开始率领团队联合攻关。2021 年，市一医院眼科中心（国家眼部疾病临床医学研究中心）启动了遗传性视网膜疾病基因治疗

邹海东教授（右二）带领团队成员查房。



2023 年 7 月，全国首个眼科罕见病诊治中心在上海市第一人民医院成立，这也是全国首个眼部疾病基因治疗临床医学研究中心。

临床试验，并于 2021 年 6 月完成了中国首例 Leber 氏先天性黑矇（LCA）基因治疗。截至目前，已经有几十名参与 LCA 基因治疗临床研究的患者完成三期临床试验，随访数据非常理想，LCA 患者的视力均得到不同程度改善，待全部入组患者完成一年期随访后，即可递交新药申请。

基因治疗还为其他眼部疾病带来了“一次治疗、终身缓解”的可能。以难治性老年性黄斑变性为例，现在的患者需要每月打针。目前，孙晓东团队已经完成老年性黄斑变性基因治疗 II 期临床试验入组，前期初步数据已在国际新生血管年会和亚太眼科年会等多个国际会议上发表。结果显示，该治疗方式不仅安全性好，且年化挽救治疗率（每年需要进行挽救治疗的比例，越低越好）远低于国外同类产品，非常值得期待。

孙晓东教授告诉记者，基因治疗是医学科学未来三大突破性技术之一，代表着未来医学科学的划时代突破。更是那些身患遗传性眼病、目前几乎无有效治疗手段患者的唯一希望。国家卫健委“十四五”眼健康规划明确把致盲性眼病诊治作为重点，上海也将生物医药产业作为科创中心建设的三大支柱产业之一。

市一医院眼科基因治疗中心在 10 年前就已提前布局。孙晓东教授带领团队开设了相关遗传门诊，引入专职人才，组建了全国规模最大的眼科基因治疗临床研究团队，积极开展遗传性眼病的诊断、治疗和研发。最近 3 年，基因治疗已开始产出成果。中心以罕见遗传眼病诊治为突破口，基于精准诊断、自然病程研究、发病机制研究，积极开展自主知识产权新药研发。最终做到打通从疾病诊治、临床研究，到自主创新研发、成果转化，最后回到临床验证的“闭环式”创新转化链条，持续研发适合中国患者的、可负担的基因治疗眼科新药。

以新技术为无数在黑暗中挣扎的患者带来持久光明，永远是市一医院眼科人的梦想与目标。📖