

拥有众多眼底病领域的资深临床医生、30余名临床检验团队，以及国际领先的眼科遗传病检查设备。”

厚积薄发，“市一科研模式”支撑重大科研

在近年多重政策红利催化下，我国生物医药产业正进入发展快车道，但所面临的瓶颈问题也逐渐凸显。以基因治疗为例，病毒改造生产是基因治疗领域公认的“卡脖子”技术。与此同时，人类遗传资源是国家战略资源，具有巨大的战略安全价值和经济利益，通过国际合作实现基因治疗关键技术攻关不再是路径。同时国家和上海市对医院高质量发展提出了更高的要求，强调大型三甲医院应当成为研究型医院，成为中国乃至国际生物医药、医学创新的策源地，临床研究转化的“最后一公里”。

下图：2022年，上海市政府“十三五”重大项目上海市一医院的国家眼部疾病临床医学研究中心大楼即将落成。

对此，上海市第一人民医院交出了自己的答卷，此次基因治疗临床研究，便是答卷上浓墨重彩的一笔。医院将进一步提升创新能级，打造细胞基因治疗中心，以遗传眼病为突破口，破题创新机制，建立罕见病治疗中心，开展细胞基因治疗；围绕老年黄斑变性、糖尿病视网膜病变、青光眼等常见眼病，激发策源力，开展全球领先的抗VEGF持续表达、神经保护等突破性基因疗法，建成标准、规范的临床研究创新体系。

在这背后，是市一全架构科研模式的强力支撑。分管科研工作的市一医院副院长孙晓东告诉记者，市一医院从“十二五”开始布局硬件、机制、人才等方面，在上海率先建立临床研究中心，深度提升创新能级，破题创新机制，激发策源力，建成更标准、更规范的临床研究创新体系，并在“十三五”期间升级成为上海市第一人民医院

临床研究院。

“在硬件方面，我们成立了开放式、平台式的临床研究院，下设国家眼部疾病临床医学研究中心、疑难疾病精准研究中心、医用人工智能与医工交叉研发中心和临床试验与循证研究中心等四大中心，打通研究的各个环节，全面支持临床研究。”孙晓东介绍道，“在机制方面，我们设计了精细化项目管理模式，通过建立以临床研究为导向的考核体系、实行精准资源分配、出台科技激励政策等方式，激发科研热情，提升成果产出。”

目前，前期市一用于开展临床研究的中国首款先天性黑矇“LX001”药物已经向国家药品监督管理局药品审评中心递交基因治疗新药临床研究沟通申请，如果顺利获批，这将是国内递交的首个“先天性黑矇”基因治疗新药临床试验申请。其意义远不止有望使更多的先天性黑矇患者摆脱失明，更意味着国内已经具备建设基因治疗的临床研究体系的条件，打通了生物医药研发-生产-临床应用的产业闭环，对于其他疾病的基因治疗具有示范和推动作用。

2022年，上海市政府“十三五”重大项目上海市一医院的国家眼部疾病临床医学研究中心大楼即将落成。这将是国内第一个在眼科建成GMP级细胞和基因治疗中试生产车间的单位。中心将与上海科技大学、上海交通大学、上海理工大学、中科院等科研院所深度合作，将临床难题提炼为科学问题，进一步转化为科研课题，打通各个环节，通过医产研的合作转化，最终落地临床，提升创新能级。🏥

