

拟推荐 2025 年中华医学科技奖候选项目/候选人 公示内容

推荐奖种	医学科学技术奖（非基础医学类）
项目名称	血小板及凝血因子疾病的发病机制及诊疗技术的转化研究
推荐单位/科学家	中国医学科学院
项目简介	<p>团队专注于血小板及凝血因子疾病的发病机制、临床诊断、创新基因治疗技术等研究领域，取得系列突破性成果，先后承担国家省部级基金 40 余项，以通讯作者累计发表 SCI 论文 180 余篇，完成 35 项新药临床试验，主导 10 个专家共识，推动了 12 个出凝血治疗新药上市，主导中国首个 AAV 基因治疗产品获批上市，获授权发明专利 6 项，主编血友病专著 6 部。主要创新成果如下：</p> <p>(1) 创立全国血友病信息登记网络和三级综合诊疗体系，覆盖全国 312 家医院，完成近 5 万例患者登记，绘制了中国血友病流行病学和基因突变图谱，发现了 70 余种新突变，实现按需治疗到预防治疗的跨越式进步。</p> <p>(2) 首次揭示支链氨基酸代谢调控与血小板血栓形成之间相互联系（Circulation 2020, IF=29.6），鉴定脂肪酸代谢酰基甘油激酶 AGK 是血小板发育及肝性疾病的关键靶点（Blood 2020, IF=23.6; Theranostics 2022, IF=12.4），发现 VPS33B 基因在肝脏疾病及凝血异常中的重要作用（Hepatology 2018, IF=14.9），解析 PTEN 缺陷调控血小板免疫介导自身免疫性疾病（Nat Commun 2022, IF=16.6），分析 JAK2V617F 突变对骨髓 MSC 的稳态重塑（Haematologica 2020, IF=9.9），发现 ITP 患者 MSCs 免疫诱导功能缺陷（Bri J Haematol 2020, IF=6.9），为深入理解相关疾病的发病机制和探索新的治疗策略提供了坚实的理论基础。全国流调分析血友病管理为下一步血友病基因治疗提供详实队列数据库（Bri J Haematol 2021, IF=8.6），率先开展亚洲首项血友病基因治疗临床应用研究达治愈目的，填补国际空白（Lancet Haematol 2022, IF=24.7），全球首例证实基因治疗后实施大手术达全面治愈效果（N Engl J Med 2022, IF=158.5）。</p> <p>(3) 开展基因治疗 III 期临床研究治愈近百名血友病患者，节省医疗费用近千万元，4 项技术服务转让近 600 万元，目前已通过中国国家药品监督管理局药品审评中心评审，即将获批上市，成为中国首个 AAV 基因治疗产品。</p> <p>Lancet Haematol 主编特邀撰写述评展示中国基因治疗的国际重大影响，相关成果入选 2022 年度“中国十大医学科技新闻、血液学十大研究进展和十大原创研究领衔”。美国宾夕法尼亚大学儿童医院知名专家高度评价团队建立的基因疗法具“全球通用性和推广意义”。项目负责人还应邀出席世界血友病联盟基因治疗圆桌会议，并受邀撰写综述。以上成果充分展示团队在出凝血领域的创新性贡献和引领作用。</p>

代表性论文目录

序号	论文名称	刊名	年,卷(期)及页码	影响因子	全部作者(国内作者须填写中文姓名)	通讯作者(含共同,国内作者须填写中文姓名)	检索数据库	他引总次数	通讯作者单位是否含国外单位
1	Total Knee Arthroplasty after Gene Therapy for Hemophilia B	N Engl J Med	2022 Oct 27;387(17):1622-1624	158.5	薛峰、王泮婧、袁振、石超、方云海、刘葳、王玉华、肖啸、杨仁池、	张磊	SCIE	2	否

					Lindsey A George、张磊				
2	Safety and activity of an engineered, liver-tropic adeno-associated virus vector expressing a hyperactive Padua factor IX administered with prophylactic glucocorticoids in patients with haemophilia B: a single-centre, single-arm, phase 1, pilot trial	Lancet Haematol	2022 Jul;9(7):e504-e513	24.7	薛峰、李慧媛、吴侠、刘葳、张飞旭、唐定跃、陈云飞、王文天、池颖、郑静、杜增敏、姜维、钟晨、韦俊、朱平、付荣凤、刘晓帆、陈玲玲、裴晓磊、孙君江、程涛、杨仁池、肖啸、张磊	杨仁池、肖啸、张磊	SCIE	24	否
3	Branched-Chain Amino Acid Catabolism Promotes Thrombosis Risk by Enhancing Tropomodulin-3 Propionylation in Platelets	Circulation	2020 Jul 7;142(1):49-64	29.6	徐艳艳、姜豪杰、李黎、陈凤梧、刘云霞、周美怡、汪霖、蒋晶晶、李小红、樊雪梅、张琳、张俊峰、邱俊强、武艺、方超、孙海鹏、刘俊岭	孙海鹏、刘俊岭	SCIE	62	否
4	The role of AGK in thrombocytopoiesis and possible therapeutic strategies	Blood	2020 Jul 2;136(1):119-129	23.6	姜豪杰、于卓、丁楠、杨咪娜、张琳、樊雪梅、周媛、邹强、侯健、郑俊克、张磊、徐艳艳、刘俊岭	张磊、徐艳艳、刘俊岭	SCIE	21	否
5	AGK regulates the progression to NASH by affecting mitochondria complex I function	Theranostics	2022 Apr 4;12(7):3237-3250	12.4	丁楠、王康、姜豪杰、杨咪娜、张琳、樊雪梅、邹强、余健秀、董辉、程树群、徐艳艳、刘俊岭	程树群、徐艳艳、刘俊岭	SCIE	20	否
6	Vacuolar Protein	Hepatology	2018 Dec;68(6	14.9	王聪慧、程玉强、张修平、	程树群、樊雪梅、刘俊岭	SCIE	18	否

	Sorting 33B Is a Tumor Suppressor in Hepatocarcinogenesis):2239-2253		李楠、张琳、王盛典、童雪梅、徐颖、陈国强、程树群、樊雪梅、刘俊岭				
7	The phosphatase PTEN links platelets with immune regulatory functions of mouse T follicular helper cells	Nat Commun	2022 May 19;13(1):2762	16.6	陈雪、徐艳艳、陈琪迪、张珩、曾渝、耿艳、沈蕾、李福彬、陈磊、陈国强、黄传新、刘俊岭	陈雪、黄传新、刘俊岭	SCIE	12	否
8	Multilevel defects in the hematopoietic niche in essential thrombocythemia	Haematologica	2020 Mar;105(3):661-673.	9.9	孙婷、鞠满凯、代新岳、董焕、谷文静、高聿琛、付荣凤、刘晓帆、黄月婷、刘葳、池颖、王文天、李慧媛、周圆、石莉红、杨仁池、张磊	石莉红、杨仁池、张磊	SCIE	6	否
9	Role of bone marrow-derived mesenchymal stem cell defects in CD8+ CD28-suppressor T-lymphocyte induction in patients with immune thrombocytopenia and associated mechanisms	Br J Haematol	2020 Dec;191(5):852-862	6.9	李慧媛、关悦、孙博洋、窦雪晴、刘晓帆、薛峰、付荣凤、张磊、杨仁池	张磊、杨仁池	SCIE	15	否
10	Current status of haemophilia inhibitor management in mainland China: a haemophilia treatment centres survey on treatment preferences and real-world	Br J Haematol	2021 Aug;194(4):750-758	8.6	刘葳、薛峰、Poon MC、陈玲玲、金兆娜、张磊、杨仁池	张磊、杨仁池	SCIE	2	否

clinical practices									
--------------------	--	--	--	--	--	--	--	--	--

知识产权证明目录

序号	类别	国别	授权号	授权时间	知识产权具体名称	全部发明人
1	中国发明专利	中国	CN112852810B	2022-10-21	一种真核基因表达启动子及其表达载体和应用	张磊; 王文天; 张文慧; 杨仁池; 薛峰; 池颖; 李慧媛
2	中国发明专利	中国	CN114480392B	2024-05-31	一种用于真核基因表达的启动子及其载体和应用	张磊; 王文天; 张文慧; 杨仁池; 薛峰; 池颖; 李慧媛
3	中国发明专利	中国	CN110054678B	2023-04-18	一种膜结合型 mFLT3LG 蛋白及其应用	张磊; 王文天; 池颖
4	中国发明专利	中国	CN115039759B	2023-11-03	一种红细胞保存液及其应用	张磊; 王文天; 张文慧; 杨仁池; 池颖; 李慧媛
5	中国发明专利	中国	CN111363756B	2023-01-17	一种珠蛋白基因双表达慢病毒载体及其应用	张磊; 王文天; 李慧媛; 池颖; 付荣凤; 鞠满凯; 孙婷
6	中国发明专利	中国	CN111574595B	2022-10-04	腺相关病毒突变体及其应用	裴晓磊; 张磊

完成人情况表

姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
张磊	1	中国医学科学院血液病医院 (中国医学科学院血液学研究所)	中国医学科学院血液病医院 (中国医学科学院血液学研究所)	主任医师,教授	党委副书记
对本项目的贡献		<p>该完成人作为中国医学科学院血液病医院(中国医学科学院血液学研究所)血栓止血诊疗中心副主任,同时也是天津市(中国医学科学院)血液病基因治疗研究重点实验室主任,是本项目团队的直接负责人。领导并直接管理“血小板及凝血因子疾病的发病机制及诊疗技术的转化研究”项目,该完成人在血友病诊疗体系建设、血小板疾病基础研究、基因治疗技术理论开发、血友病基因治疗临床应用突破等方面均具有领导职责,带领团队取得一系列原创突破。实质性贡献对应第1,2,3项创新点,本人贡献成立的证明材料包括:</p> <p>1.1、1.2、1.4、1.8、1.9、1.10、2.1、2.2、2.3、2.4、2.5、2.6。</p>			
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
杨仁池	2	中国医学科学院血液病医院 (中国医学科学院血液学研究所)	中国医学科学院血液病医院 (中国医学科学院血液学研究所)	主任医师	血栓与止血诊疗中心主任
对本项目的贡献		<p>该完成人是 中国医学科学院血液病医院(中国医学科学院血液学研究所)血栓止血诊疗中心主任,是本项目团队的核心创始人。完成人从 21 世纪初开始,领导创建了中国特色的血友病三级综合诊疗体系,建立了全国统一的血友病患者注册登记系统,开展了血友病患者全国流调及基因突变图谱解析,主导了 12 个重组凝血因子替代疗法的临床试验,加强了儿童血友病患者的诊疗管理,重点关注了血友病性关节炎的诊疗以及血友病伴抑制物的创新治疗,同时也是血友病基因治疗、新型蛋白药物抗体药物临床应用研究主要领导者之一。实质性贡献对应第1,2,3项创新点,本人贡献成立证明材料包括:</p>			

	1.1、1.2、1.8、1.9、1.10、2.1、2.2、2.4。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
刘俊岭	3	上海交通大学	上海交通大学	教授	无
对本项目的贡献	该完成人长期从事血小板在心脑血管疾病、免疫相关疾病、肿瘤以及罕见病发生发展中的作用机制研究，主要关注受体介导胞内信号途径和线粒体代谢调控通路在血小板相关疾病发生发展过程中的关键作用机制和干预靶点，研发相关新治疗手段，以通讯作者在 Immunity、Circulation、Blood 等国际期刊发表研究成果 50 余篇，该完成人在本项目的基础机制研究方面做出关键的领导作用。实质性贡献对应第 2 项创新点，本人贡献成立的证明材料包括：1.3、1.4、1.5、1.6、1.7。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
肖啸	4	信念医药科技（上海）有限公司	信念医药科技（上海）有限公司	教授	董事长
对本项目的贡献	该完成人是国际基因治疗领域的知名专家，是 AAV 病毒基因治疗技术的开拓者，领导开发新型肝脏靶向腺相关病毒载体，以及凝血因子 FVIII 和 FIX 基因的高效表达技术。领导建立高效的悬浮 293 细胞规模化制备基因治疗药物的生产技术，率先完成国内首个 200L 大规模生产基因治疗药物的工艺。全面建立了基因治疗药物的质量控制和质量检测体系。实质性贡献对应第 3 项创新点，本人贡献成立的证明材料包括：1.1、1.2。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
薛峰	5	中国医学科学院血液病医院（中国医学科学院血液学研究所）	中国医学科学院血液病医院（中国医学科学院血液学研究所）	主任医师	无
对本项目的贡献	该完成人是血栓与止血诊疗中心主任医师，是本项目团队的关键核心骨干成员之一，不仅通过临床诊疗积极创建血友病三级综合诊疗体系，更直接参与实施了血友病基因治疗的临床应用研究，以及新型蛋白药物、新型抗体药物的临床应用研究，以第一作者身份（含并列）在 N Engl J Med、Lancet Hematol 等国际期刊发表 30 余篇专业论文，在项目实施中发挥关键推动作用。实质性贡献对应第 1，2，3 项创新点，本人贡献成立的证明材料包括：1.1、1.2、1.9、1.10、2.1、2.2。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
王文天	6	中国医学科学院血液病医院（中国医学科学院血液学研究所）	中国医学科学院血液病医院（中国医学科学院血液学研究所）	助理研究员	无
对本项目的贡献	该完成人是本项目团队的重要骨干成员，直接参与了基因治疗基础理论开发等方面的重要工作，揭示同源重组与微同源重组修复之间的竞争关系，直接负责开展并申报获批 6 项发明专利，在基因治疗技术研发、载体改造、调控元件挖掘等方面做出了重要贡献。实质性贡献对应第 2，3 项创新点，本人贡献成立的证明材料包括：1.2、1.8、2.1、2.2、2.3、2.4、2.5。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
吴侠	7	华东理工大学	华东理工大学	副教授	无
对本项目的贡献	该完成人主要承担了药效体内和体外检测方法体系的建立，药物抗体检测方法的建立，药物载体脱落的检测方法的建立。完成了动物体内药物药效学的分析工作。撰写审阅药物申报材料。在临床研究方面，参与临床试验方案的讨论和撰写工作，完成了对所有入组受试者用药前后药物抗体水平的检测和分析工作。全程参与				

	了10位受试者的临床给药，与临床研究单位配合，全程跟踪患者治疗前后的状况，并对患者用药情况进行讨论，提出可行方案。实质性贡献对应第3项创新点，本人贡献成立的证明材料包括：1.2。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
刘葳	8	中国医学科学院血液病医院 (中国医学科学院血液学研究所)	中国医学科学院血液病医院(中国医学科学院血液学研究所)	主任医师	无
对本项目的贡献	该完成人是血栓与止血诊疗中心副主任医师，是本项目团队的关键核心骨干成员之一，不仅通过临床诊疗积极创建血友病三级综合诊疗体系，更直接参与实施了血友病基因治疗的临床应用研究，以及新型蛋白药物、新型抗体药物的临床应用研究，以第一作者身份(含并列)在AJH、JTH、BJH等国际期刊发表20余篇专业论文，在项目实施中发挥关键推动作用。实质性贡献对应第1,3项创新点，本人贡献成立的证明材料包括：1.1、1.2、1.10、2.1、2.2、2.3、2.4、2.5、2.6。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
李慧媛	9	中国医学科学院血液病医院 (中国医学科学院血液学研究所)	中国医学科学院血液病医院(中国医学科学院血液学研究所)	副研究员	无
对本项目的贡献	该参与人长期致力于ITP的基础与临床研究，重点解析了ITP患者的免疫耐受机制，进一步揭示ITP患者MSC功能下降诱发免疫功能缺陷的机制。还阐明了Anti-CD38抗体CM313在难治性ITP中的应用价值，并揭示了表观遗传学在ITP发病中的重要作用。相关研究成果发表在N Engl J Med、Lancet Hematol、STTT等国际专业期刊，为ITP的发病机制及治疗策略提供了重要理论依据。实质性贡献对应第2,3项创新点，本人贡献成立的证明材料包括：1.2、1.8、1.9、2.1、2.2、2.4、2.5。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
池颖	10	中国医学科学院血液病医院 (中国医学科学院血液学研究所)	中国医学科学院血液病医院(中国医学科学院血液学研究所)	助理研究员	无
对本项目的贡献	该完成人是本项目团队的重要核心骨干成员，全面参与了多项血友病基因治疗临床应用和基础研究管理工作，代表性论著和产权专利中均体现了该完成人的重要贡献，同时该完成人有力保障了本项目团队的高效平稳运行，发挥重要促进作用。实质性贡献对应第2,3项创新点，本人贡献成立的证明材料包括：1.2、1.8、2.1、2.2、2.3、2.4、2.5。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
裴晓磊	11	中国医学科学院血液病医院 (中国医学科学院血液学研究所)	中国医学科学院血液病医院(中国医学科学院血液学研究所)	副研究员	无
对本项目的贡献	该完成人是本项目团队的重要核心骨干成员，该完成人参与了多项血友病基因治疗临床研究工作，包括FVIII、FIX等，从免疫应激角度取得了一系列重要发现，申请了多项特色产权专利，在Nat Commun等杂志发表SCI论文20余篇。实质性贡献对应第3项创新点，本人贡献成立的证明材料包括：1.2、2.6。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
付荣凤	12	中国医学科学院血液病医院 (中国医学科学院血液学研究所)	中国医学科学院血液病医院(中国医学科学院血液学研究所)	副主任医师	无

对本项目的贡献	该完成人长期致力于血液肿瘤及出凝血疾病的基础与临床研究。在骨髓增殖性肿瘤（包括原发性血小板增多症、真性红细胞增多症等）及出凝血疾病领域取得系列突破性成果，解析 MPN 患者骨髓 MSC 功能缺陷，发现 Wnt 通路在 MPN 患者中的异常激活，相关成果发表在 Leukemia、Clin Cancer Res、Bri J Haematol 等血液领域权威期刊，推动了出凝血疾病精准诊疗体系的发展。实质性贡献对应第 1, 2 项创新点，本人贡献成立的证明材料包括：1.2、1.8、1.9、2.5。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
陈云飞	13	中国医学科学院血液病医院 (中国医学科学院血液学研究所)	中国医学科学院血液病医院(中国医学科学院血液学研究所)	主任医师	无
对本项目的贡献	该完成人长期从事出凝血疾病相关的基础及临床研究。参与血友病三级综合诊疗体系的创建和发展，在国际上首次报道 CD38 单抗治疗 ITP 的疗效及安全性，探索脐带间充质干细胞治疗 ITP 的疗效及，近年在 N Engl J Med、STTT、Nat Commun、Am J Hematol 发表了一系列免疫性血小板减少症相关的基础及临床研究文章。实质性贡献对应第 1, 2, 3 项创新点，本人贡献成立的证明材料包括：1.2。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
刘晓帆	14	中国医学科学院血液病医院 (中国医学科学院血液学研究所)	中国医学科学院血液病医院(中国医学科学院血液学研究所)	主任医师	无
对本项目的贡献	长期致力于出凝血疾病的临床诊疗和基础研究工作，参与血友病三级综合诊疗体系的构建，建立 ITP 免疫稳态异常的精准诊疗，开展多项凝血因子临床试验，取得系列突破性成果，相关研究发表在 Lancet Hematol、Bri J Hematol 等专业杂志。实质性贡献对应第 1, 2, 3 项创新点，本人贡献成立的证明材料包括：1.2、1.8、1.9。				
完成单位情况表					
单位名称	中国医学科学院血液病医院(中国医学科学院血液学研究所)			排名	1
对本项目的贡献	中国医学科学院血液病医院(中国医学科学院血液学研究所)是本项目技术开发和应用的主要完成单位。本项目 14 名主要完成人中有 11 名属于该所院的全职工作人员。本项目的 6 篇代表性论著、6 个特色知识产权专利均以该单位为主要完成单位或权利人。作为项目主要完成单位，组织实施了该项目的关键核心研究。该单位是中国血友病协作组组长单位，是国家血友病病例信息管理中心，领导全国 312 家重点医院组建了中国特色的血友病三级综合诊疗体系，为血友病的现代化、同质化、属地化、个体化、精细化诊疗做出了重要贡献。该单位在出凝血疾病的临床诊疗、基因治疗基础技术理论、血液病基因治疗临床应用等方面做了一系列原创突破，包括但不限于创新改造 AAV 病毒载体、实现血友病小鼠的在体基因治疗、揭示基因编辑修复规律、亚洲首项血友病基因治疗、全球首次证实全面治愈等方面。血友病诊疗指南及先进方案在全国多家医院开展实施，得到了广泛的推广应用，使得项目研究成果在全国具有广泛的影响。实质性贡献对应第 1, 2, 3 项创新点，贡献成立的证明材料包括：1.1、1.2、1.4、1.8、1.9、1.10、2.1、2.2、2.3、2.4、2.5、2.6。				
单位名称	上海交通大学			排名	2
对本项目的贡献	上海交通大学医学院在本项目的实施开展中具有关键的核心贡献。上海交大刘俊岭教授长期从事血小板疾病相关基础研究，首次揭示 VPS33B 基因在肝脏疾病及凝血异常中的重要作用，并与本项目第一完成单位中国医学科学院血液病医院(中国医学科学院血液学研究所)张磊教授合作，共同阐明 AGK 基因正向调控血小板发育为血小板疾病提供新治疗靶点，并进一步鉴定其在肝脏炎症中的关键功能(Blood 2020)。以通讯作者在 Circulation、Hepatology、Theranostics、Nat Commun 等国际期刊发表研究成果 50 余篇，为深入理解相				

	<p>关疾病的发病机制和探索新的治疗策略提供了坚实的理论基础。实质性贡献对应第 2 项创新点，贡献成立的证明材料包括：1.3、1.4、1.5、1.6、1.7。</p>		
单位名称	信念医药科技（上海）有限公司	排名	3
对本项目的贡献	<p>信念医药科技（上海）有限公司拥有多种自主专利的 AAV 载体，以及数十种组织嗜性特异的新型 AAV 衣壳，其所拥有的重组 AAV 包装技术已被广泛应用于 AAV 基因治疗领域。公司自主开发了 HEK293 细胞悬浮无血清培养工艺和全层析大规模纯化工艺，并建立了符合欧美和中国 GMP 标准的 AAV 基因治疗药物商业化生产基地，拥有 200L/500L/2000L 等多种产能通量的生产线，可以满足多品种基因药物生产的需求。利用该体系，公司为该成果制备了临床级血友病基因治疗药物，并成功推动了研究者发起临床研究和注册临床研究的开展。公司建立了具有专属性的分析方法和标准操作规程，建立了完整的血友病基因治疗药物质量控制和质量监管体系，确保了药物可用于临床研究。同时建立了完整的医学和临床运营等临床开发团队。在整个血友病基因治疗药物的临床研究中，公司的临床开发团队为整个项目的推进提供了有利保障。实质性贡献对应第 3 项创新点，贡献成立的证明材料包括：1.1、1.2。</p>		
单位名称	华东理工大学	排名	4
对本项目的贡献	<p>在血友病基因治疗药物的开发过程中，华东理工大学主要承担了药物相关检测体系的建立以及研究者发起临床试验的推动等工作。在药物非临床的研究工程中，主要建立了多种腺相关病毒抗体的检测和分析方法；建立了体内外凝血因子活性、抑制物和体内凝血功能检测体系；开展并完成了药物体内外药物活性分析；完成了早期药效学的分析工作，证明了药物的有效性；完成了药物的早期毒理研究，证明了药物在不同动物体内的安全性；完成多批临床级药物的药效学和部分毒理学验证工作。与中国医学科学院血液病医院合作，开展了亚洲首个血友病 B 基因治疗药物的研究者发起临床研究。完成了对所有入组受试者用药前后药物抗体水平的检测和分析工作，系统检测和分析了患者体内凝血因子蛋白水平，并对受试者体内载体脱落进行分析。2022 年协助完成《Lancet Haematology》文章的撰写和发表。实质性贡献对应第 2 项创新点，贡献成立的证明材料包括：1.1、1.2。</p>		