谭蔚泓：在mRNA的洪流中，成为驾马车的人

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：https://www.iikx.com/news/progress/29988.html

本文仅供学习交流之用，版权归原作者所有，请勿用于商业用途！

谭蔚泓：在mRNA的洪流中，成为驾马车的人
。埃隆·里夫·马斯克，美国国家工程院院士，同时长期霸占“ 世界首富 ”的名号，他如此评价mRNA技术：“ 基本上你可以用mRNA治愈一切。mRNA就像计算机程序，通过对这种合成病毒进行编程，它可以执行你所需的任何操作。甚至，把人类变成蝴蝶。 ”

这并不是空穴来风，事实上，人类不仅在向外探索宇宙之广，同时也在向内深入分子之微。新一场的医学革命已经轰轰烈烈地席卷而来。诺贝尔生理学或医学奖的两次颁发，便已证明mRNA技术必然是人类医学的未来。



谭蔚泓。杭州医学所 供图

?

mRNA技术，从“ 冷门 ”到被寄予厚望

2023年，卡塔琳·考里科（Katalin Karikó）和德鲁·韦斯曼（Drew Weissman）因在信使RNA（mRNA）核苷碱基修饰方面的突破性发现，这些发现有力地促进了开发出有效的mRNA疫苗来对抗COVID-19，他们因此荣获诺贝尔生理学或医学奖。

2024年的10月7日，瑞典卡罗琳医学院宣布，将2024年诺贝尔生理学或医学奖再次授予给RNA领域的科学家。科学家维克托·安布罗斯（Victor Ambros）和加里·鲁夫昆(Gary Ruvkun)，因为发现了微小RNA（miRNA）及其在基因调控中的关键作用，揭示了基因调控的新维度，成为获奖得主。

在很长的时间里，mRNA技术都是一个冷门领域，2020年席卷全球的新冠疫情彻底改变了这一切。mRNA的首次被成功提取是在1960年，60年后，新冠mRNA疫苗作为科技创新的一次重大突破应运而生、横空出世，在全球药物研发领域掀起了一场mRNA浪潮。

mRNA是什么？它的全称是Messenger RNA，中文译名“ 信使核糖核酸 ”，是由DNA的一条链作为模板转录而来，是一类核糖核酸分子，它主要负责传递遗传信息、直接指导蛋白质合成。就像马斯克说的，mRNA像电脑程序。我们每个人都由数百万种微小的蛋白质分子组成，mRNA就是一个蛋白质分子制造工厂，当你体内的某个蛋白质分子出现了问题，mRNA技术可以制造出新的蛋白质，并对你有问题的地方进行靶向递送，从而修复问题。

全球生物技术和药物研发领域的传奇人物、美国最年轻的三院院士罗伯特·兰格（Robert Langer），曾发布评论：“ 这种技术除了重编程干细胞外还可以用于其他的领域，如药物、疫苗等；它几乎可以治疗所有疾病，从而拯救成千上万的生命。 ”所以，他创立了专注于mRNA技术Moderna公司，旨在“ Modified
RNA ”。这个公司率先利用mRNA技术开发出新冠疫苗，一度市值超600亿美元。

Moderna并非mRNA唯一的角斗士，全球各个国家的政府、各大制药公司自2020年起，皆开始积极布局mRNA赛道。不仅是新冠疫苗类的预防性疫苗，利用mRNA技术，还可以针对疾病开发出治疗性疫苗和治疗性药物。对于人类疾病，这是一种颠覆性技术，mRNA为预防和治愈各类传染病和癌症带来了前所未有的可能和希望。

早在mRNA成为时代不可阻挡的洪流前，中国也有科研团队以敏锐的嗅觉注意到这个充满不可限量未来的领域，那就是中国科学院杭州医学研究所（以下简称杭州医学所）。成立于2019年5月8日的杭州医学所，一开始就将核酸分子医学作为主攻方向。相关团队坚持研究从分子水平理解疾病发生发展与转归过程，发展分子诊疗新方法，构建精准的分子疾病分类，进而制定有效健康干预方案和策略的医学研究与实践模式。

分子医学：最锋利的剑与最坚实的盾

在当今时代，科技是对抗疾病最重要的武器，分子医学就是现代人类手中最锋利的剑与最坚实的盾，正以前所未有的速度改变着人类的健康图景。

人体就是一台“ 分子机器 ”，不同器官上的发病原因都可以在分子水平上找到答案。在分子层面上了解疾病发生、发展的过程，在分子层面诊断、治疗、预防疾病既恰逢其时，亦是大势所趋。

分子医学是分子生物学发展下催生的新学科。随着对DNA、蛋白质、脂质等生物大分子的研究和解析，人类对人体和生命活动的认识逐步进入到分子水平。同时，基因工程技术、PCR技术、基因测序技术等前沿技术也迅猛发展，为分子诊疗提供技术支撑，进一步推动了分子医学的进步。

“ 驾马车的人 ”的责任和使命

mRNA作为一种核酸分子，在分子医学中应用潜力巨大。杭州医学所从很早开始，便在核酸领域进行了前瞻性的布局。

杭州医学所拥有全球唯一一家公开的核酸适体筛选中心，为mRNA靶向递送技术的相关研究打下基础。核酸适体就是核酸分子家族里的一种“ 抗体 ”，它是一类能够特异性结合目标分子的单链核酸分子，能够被应用来检测疾病和治疗疾病。

杭州医学所很早便将人工智能技术引入核酸适体的设计和筛选，提高筛选效率，降低研发成本，为开发新型诊断工具和靶向治疗手段提供了强有力的支持。值得一提的是，今年诺贝尔化学奖授予了戴维·贝克（David Baker）、德米斯·哈萨比斯（Demis Hassabis）和约翰·江珀（John M. Jumper），因为他们开发了AlphaFold模型，通过AI计算方法设计出了自然界中不存在的新型蛋白质。这与杭州医学所的科研思路不谋而合。

在这个领域，杭州医学所开发了业界首个核酸适体抗原POCT检测试剂盒及核酸适体传感芯片，针对新冠病毒、猴痘病毒的检测试剂盒，实现感染者的快速筛查成功；成功进行了全球首个核酸适体核素造影剂进入临床试验，对漏检微小病灶进行特异性检出，“ 点亮 ”了人体内肿瘤。

杭州医学所凝练了重大攻坚项目“ 肿瘤mRNA疫苗研发 ”，旨在研发出个性化mRNA肿瘤疫苗，打造mRNA疫苗研发共性技术平台，推动研发管线。揭示抗原进化、mRNA结构与翻译表达、序列优化与高效合成及疗效、安全性的基本规律，能够为未来开发mRNA药物与疫苗奠定基础。同时，基于核酸适配体组学，凝练重大攻坚项目“ 单细胞分子图谱技术 ”，利用核酸适体将高通量测序的能力转变为对细胞关键分子（蛋白质、糖类、代谢物等）的高通量表征，能够推动肿瘤精准分型分治。针对三阴性乳腺癌难诊难治的临床问题，杭州医学所利用核酸适体测序技术，整合现有单细胞组学，发展基于表面蛋白的三阴性乳腺癌分型分治性体系，取得了极好的临床效果。

与此同时，杭州医学所正在推动杭州核酸药谷的建设。核酸药物是全球性质的战略新兴产业，承载着巨大的市场潜力和发展前景。凭借在核酸分子领域有深厚积累和技术优势，杭州医学所已在积极推动打造以核酸药物为特色赛道的产学研医用高地——核酸药谷，聚焦六大前沿技术领域，包括小核酸药物、靶向核酸适体药物、mRNA药物与疫苗、核酸基因疗法、核酸诊断技术以及核酸组学技术，努力实现从核酸药物领域科学到技术的转化，抢占全球核酸技术的制高点。

站在mRNA技术历史与未来的交汇点上交叉点上，杭州医学所的全体科研人员想要成为驾马车的人，把握分子医学在中国的前进方向。这份“冲动”并非为了金钱与名利，而是想要从分子的层面真正地、彻底地解决中国人民乃至人类的疾苦。

这是责任，亦是使命。

（作者系中国科学院院士、杭州医学所所长，本报记者赵广立编辑整理。）

作者：谭蔚泓 来源：中国科学报

更多 科学进展 请访问 https://www.iikx.com/news/progress/

本文版权归原作者所有，请勿用于商业用途，爱科学iikx.com转发