



# 终于为儿子做了基因治疗 “药神父亲” 徐伟的

## 孤独 冒险

### 基因治疗

7月的一天上午,云南昆明,徐颢洋被奶奶从医院抱着回到了家。他的脖子上又多了一个针眼——其他部位已经抽不出血来,医生只能从颈静脉下针。

四天以来,徐颢洋没睡过一个超过半小时的整觉,整宿哭闹,体温始终在37.5摄氏度上下,几乎不吃不喝。3岁的他体重只有八公斤,四肢纤细无力,更特别的是,此时他的身体里已经放入了一个“给药通道”——之后基因药物将通过它慢慢地释放进徐颢洋的身体里。

为了建立这个给药通道,徐伟带着儿子辗转了两家医院,住了三次院,最终在昆明市920部队医院完成。当徐颢洋安静地被医生抱出来时,徐颢洋的妈妈姚露松了一口气。但当晚,她的心又紧绷了起来,徐颢洋发烧了,被送往医院。

徐伟和姚露在病床边24小时陪护。病床上的儿子一直在哭,为了进行给药通道的建立,他已经一天没有喝水,嘴巴上干得起皮。姚露试着拿棉签给儿子的嘴唇沾点水,但徐颢洋突然开始发热惊厥,医生用湿润棉签压住孩子舌头,防止呕吐或气管堵塞。

姚露从没受过这样的煎熬,她每几个小时会出去“透口气”,但又不肯休息太久,因为医生叮嘱她要盯着监测儿子生命体征的机器,“血压、心率的数值掉下来人就没了”。

五天后,徐颢洋挺过了这一关,出院了。不久后,在一家医院里,一小管基因药物被注入徐颢洋的体内,整个过程不到5分钟。

从2020年9月成功制备组氨酸铜,到自己研究寻找儿子异常基因的位置,进行细胞实验、小鼠实验、兔子实验以及请基因公司做动物安全性实验并研发基因药物,再到完成全球第一例对门克斯综合征患者使用基因药物的临床试验,徐伟认为自己在制药救儿这条路上,已经做完了所有能做的事,剩下的就是等待着药物在儿子身上慢慢产生效果。

“这个基因药,我又盼着打,又害怕打进去有什么不良反应。”徐颢洋奶奶说。在徐伟治疗徐颢洋的过程中,她“没有一天是不担心的”。在动物安全性实验开



徐伟正在做实验。

始后不久,徐伟就带徐颢洋去医院在身体里建立了注入基因药物的通道,他担心随着孩子年龄的增加,会错过最佳治疗时间。

### 漫长等待

那之后,徐颢洋时而会发烧。“各种检查都做了,就是找不到原因,”姚露焦虑不安,“连续发烧十几天,哪怕是大人也受不了吧?”姚露和徐伟曾凌晨一点带着儿子去昆明儿童医院,待在急诊室门口,她想着如果情况恶化,就去求医生救儿子。

长时间以来的这种提心吊胆的生活,让姚露感到折磨,她告诉自己必须挺住,还有女儿也需要她的照顾。在儿子进行基因药物治疗前后,她已经向工作单位请了一个多月的假。“我真的挺羡慕正常人的生活,我觉得(哪怕)能去上班都是给自己的心理安慰。”有时,在持续的心理压力下,作为一个没有医疗背景的普通人,姚露会觉得很无力,“我们这样不停地折腾他,他受了这么多罪,(是不是)好像也没有什么用?”

面对姚露的质疑,徐伟说,“她不懂不了解”。他解释说,儿子现在发烧是正常的反应,这是因为注入的基因药物是一种包裹着正常基因的假病毒,能携带基因进入人体细胞内,病毒注入身体,身体的免疫细胞会对它进行本能的排异,他认为,徐颢洋的体内正在发生一场“内战”。“你不可能期待一个三年的病,打了一针下去立马就好了,怎么可能这么快呢?哪怕是癌症还要好几次化疗呢。”徐伟说。

徐伟自己也研究起儿子发烧的原因。一天早上6点左右,在服用免疫反应的药物甲强龙之后,徐颢洋发烧到37.8摄氏度,徐伟用听诊器听儿子身上的各个部位,发现儿子每一次哼哼都伴随着胃部的“咕咕”声。他查看甲强龙的副作用,发

现这个药物可能会导致胃酸分泌过多,并立刻在网上下单了一盒奥美拉唑(一种用于减少胃酸的药物)。在给徐颢洋服用奥美拉唑一个小时后,他的体温退到了36.5摄氏度。

“今晚再看一天,他不用甲强龙,也不会发烧的话,应该就没什么问题。”徐伟判断,儿子的免疫反应将在一个月后消失。

“什么药神,什么很厉害,我看什么时候我的小孙子能走了,我才觉得徐伟厉害。”徐颢洋的爷爷说,他的小小愿望,就是给徐颢洋进行康复训练,“到时候我就天天帮他拉腿、抻胳膊。”当下,全家人都在等待着徐颢洋不再发烧,开始恢复的那天,也等待着一家人的生活恢复正常的那一天。

### 自救之路

在等待的同时,徐伟还有更宏大的设想。“现在我已经把这一条路走开了,我想让所有罕见病人也可以走我走过的这条路。”他在构思,怎么样让那些找他咨询的罕见病病友,能和他一样走出一条“自救路”。

“全国没有任何一个组织或企业在研究门克斯综合征,从药企的角度来看,我们这样的罕见病,30个人的群体,根本不具备任何商业开发价值,所以我们才走这样的一条道路。”徐伟说。

去年10月,徐伟感受过流量带来的力量。一轮接一轮的报道,国内外媒体的关注,给他带来了低价的实验用猴和免费的基因药物。来自社会各方的支援,也帮助他添了不少新仪器:拉针仪、断针仪、显微镜、PCR仪等,比起去年,徐伟在阳台上的那个实验室看上去更加拥挤。

他想把这些仪器转移到朋友在昆明市长水机场附近的一处正在进行装修的实验室内。如果其他的罕见病患者有需求,可以把

这里的设备免费共享出去,让大家可以有一个地方完成一些药物前期研发的基础实验。

徐伟形容前期研究并不困难,他称自己曾在自家餐桌上完成过兔子实验中受精卵的取出,“我穿着一一次性的手术服,戴着手套,在空气里喷了一些酒精,尽量去做到一个相对干净一点的环境。”

徐伟认为基因疗法是目前为止所有单基因罕见病最有效的治疗方法,但基因药物必须由基因公司制作,在徐伟看来,打通“自救路”第一步,就是让患者有自己筹钱的能力,而有基础实验能够证明药物的药效是筹钱的第一步。

在“罕见病自救路”上,最难的一步就是找到医院进行临床试验,但这又是必须做的一步,“否则你就算有药,你自己用的话也是违法违规的。”徐伟在给儿子找医院做临床试验的时候,吃了很多闭门羹,最后是在一位已经开展过其他疾病基因治疗的医学专家的协助下,才通过了临床试验伦理委员会的批准。徐伟称,听到他自救的故事,这位专家和一家医疗机构决定对他提供帮助,并在进行相应准备和反复论证之后,终于获得了临床研究的批准,“所以我希望有更多的医院可以帮助我们罕见病群体推动罕见病药物的研发,并通过更多的临床研究以获取更多数据。”

徐伟知道,这“自救路”的几步,都不会简单,也许会花上十几年,甚至二十几年去完成。从开始制药救儿到今天,他认为自己成长了很多,其中最重要的,就是找到了人生意义——让罕见病人有一条“自救路”。

几天后,徐颢洋的体温退了下来,不再发烧,徐伟松了一口气。

近日,记者再次来到徐伟家中,比起一个月前,徐颢洋哭闹的频率有所减少。当徐伟用一支拍手器在他附近拍手时,徐颢洋的头跟着拍手器转过来再转过去,在徐伟看来,这样的动作,是徐颢洋以前从没有过的。虽然仍不确定儿子的身体能恢复到什么程度,但徐伟认为,基因药物已经在他身体里产生了作用。(应受访者要求,文中姚露为化名)

据《北京青年报》《武汉晚报》《半岛都市报》

### 名词解释

门克斯综合征(Menkes)  
又称卷发综合征,是一种由铜转运蛋白ATP7A基因突变引起罕见先天性铜代谢异常疾病,在新生儿中的发病率约为十万分之一,典型症状包括头发卷曲、生理功能退化、神经发育迟缓等。