

述评

中国心血管疾病防治研究：机遇与挑战

陈义汉

关键词 心血管病；临床研究；转化医学；预防

经过改革开放 40 年的发展，中国的经济和社会发生了巨大而深刻的变化，取得了举世瞩目的伟大成就。与此同步，在我国政府的正确领导下，通过广大医务工作者的不懈努力和砥砺奋进，我国心血管疾病防治水平也迈上了一个崭新的台阶，在国际同领域发出了前所未有的强大的中国声音。今天，中国心血管疾病防治研究遇到了千载难逢的大好机遇，但是也面临着十分严峻的挑战。下面，我们讨论相关的机遇与挑战，并提出对策和观点。

1 我国疾病防治研究依然存在的一些发展中的问题

研究的关口严重后移：大医治未病。防重于治。我们应该把防治研究的重点放在一、二级预防层面，而不是三级预防层面。不能做亡羊补牢的事情。

一些研究偏离重大科学问题：我们缺乏对心血管疾病领域的源头性、根本性、奠基性、带动全局性和具有普遍性的重大科学问题的认知和鉴别，一些研究没有触及重大科学问题。

基础与临床部分脱节：许多研究并非临床导向，未能解决临床工作中遇到的实际困难与挑战。一些研究完全停留在疾病人群以外，与人类疾病缺乏可靠的关联性。一些研究浅尝即止，不能完成整个链条，基本不能走到实际应用。我们已经成为论文大国，但是我们依然相对缺乏中国制造的创新药物和医疗器械，依然相对缺失中国烙印的新概念、新学说、新标准和新指南。

很少有自己的特色与高地：许多情况下，西方做什么，我们就做什么。一些计划脱离实际，背离国情。我们基本没有自己独有的大的科学计划。重大科学是什么？重大前沿是什么？科学没有大小之分，潮流科学不恒久。重要的是：找到重大科学问题。围绕重大科学问题的独立研究才能开创中国心血管疾病研究的未来。我们不能一味着眼于所谓的大领域、大科学，却没有抓住重大的核心科学问题。在医学科学研究上，主流应该接轨潮流，但是不可随波逐流，否则会丧失自我。唯有独立思考、错位发展，方能形成中国特色，并屹立于世界医学科学之林。

思路尚局限，徘徊在经典理论中：有时我们的思路不够开阔，有时自我禁锢在前人的发现、既有的学说、以及流行的模式里。甚至怀疑自己的正确的结论，不相信自己的客观数据。

2 我国医学研究优先发展的主题**2.1 一级预防研究**

21 世纪，中国疾病谱已经发生了根本性变化，环境因素和生活行为构成了这些变化的重要源头。根据美国的成功经验，我们应该将研究的重点放在这些疾病的一级预防层面。

2.2 自主知识产权的新药研发

中国几乎没有自主知识产权的心血管疾病药物，这也部分造成了所谓的“看病贵”问题。这个现状与我们国家的经济地位完全不相匹配，需要重点攻关。

2.3 关键干预靶点的发掘

我们需要寻找疾病发生的核心机制和关键干预靶点。这些机制和靶点将为全新一代的新药研制奠定基础，也是所有临床干预的靶标所在。

作者单位：200092 上海市，同济大学医学院 同济大学附属东方医院

通信作者：陈义汉 Email: yihanchen@tongji.edu.cn

中图分类号：R54 文献标识码：C 文章编号：1000-3614 (2019) 01-0001-03 DOI: 10.3969/j.issn.1000-3614.2019.01.001

2.4 新技术和新方法的探寻

无论是无创治疗领域,还是有创治疗领域,我们都比较缺失自己的新技术和新方法。需要加大探寻的力度。

2.5 医疗器械的国产化

这个问题不仅仅是心血管疾病研究领域的难点,也是整个医学领域的巨大挑战。今天,我们已经来到了新的时期,我们已经有能力去实现医疗器械的国产化了。我们需要从现在做起。

3 我国心血管疾病防治研究领域优先发展主题

在我们国家,心血管疾病的类型已经发生了根本性变化,心律失常、心力衰竭、冠心病、先天性心脏病、肥厚型心肌病、高血压病、肺栓塞、退行性心脏瓣膜病等成为了常见和多发的疾病。我们应该针对这些重大疾病防治的核心或者关键科学问题开展研究工作。

3.1 心律失常防治研究的潜在核心科学问题

发掘针对多个离子通道,或者心脏特异性,或者基础心脏病病理生理学导向性的新型药物大有前途。随着对心脏起搏细胞认识的加深和细胞生物学技术的飞速发展,缓慢心律失常的生物起搏治疗将会成为重要研究方向。心律失常分子遗传学领域的成就极大地启示了心律失常机制、诊断和特异性治疗研究。目前,诸如 Brugada 综合征、长 QT 综合征、短 QT 综合征等多种遗传性心律失常的基因缺陷已经初步明确,精准医疗可以在这种类型的心律失常中率先推进。

3.2 心力衰竭防治研究的潜在核心科学问题

寻找优化心肌细胞能量使用的药物可能是今后有希望的研究方向。随着中国制造能力的提升,我们在心脏功能辅助装置和人工心脏等的研发方向将有可能赶超西方世界。心力衰竭时,心肌细胞数量因为凋亡或者坏死而减少,因此干预心肌细胞增殖的技术(心肌细胞增生技术)将可能从靠近源头上改观心力衰竭患者的命运。

3.3 冠心病防治研究的潜在核心科学问题

我国在堵塞血管的介入治疗方向上,已经推进了相关冠状动脉介入生物医学工程学研发,但是对于稳定斑块药物和脂质调控药物的研发还是空白。而这些药物将拥有着巨大的潜在市场,其研发工作应该成为我国今后研究工作的重中之重。细胞治疗可以替补坏死的心肌细胞,显然应该成为冠心病干预研究的战略方向。我们应该启动冠心病细胞治疗方向的全方位的研究工作。

3.4 先天性心脏病防治研究的潜在核心科学问题

先天性心脏病主要起源于发育障碍,其主流基础病因是环境因素。寻找先天性心脏病的环境危险因素应该是先天性心脏病防治研究的重点所在。

3.5 肥厚型心肌病防治研究的潜在核心科学问题

肥厚型心肌病主要源自于遗传缺陷。目前,相当一部分的致病基因已经被识别出来。今后的重点可能是基于这些分子的共性机制的发现、共同干预靶点的发掘和基于这些缺陷基因、机制和靶点的精准医疗。

3.6 高血压病防治研究的潜在核心科学问题

高血压病研究领域已经积累了大量的数据,继续积累数据和运用这些数据来实现高血压病的预警和早诊、早治可能是今后高血压病防治研究的发展方向。

3.7 瓣膜病防治研究潜在核心科学问题

针对发病机制的防治策略缺乏足够的的数据积累,所以该疾病的防治重点在于人工瓣膜的研发和介入技术的改进。

4 中国心血管病防治的目标定位

我们的目标定位:立足基础;面向临床;面向转化;面向应用。总体目标:经过十多年(到 2030 年)的努力,在一些方向点上甚至个别疾病上形成中国的特色和优势,为人类的健康作出应有的贡献!

我们的战略举措:

(1) 强化基础研究:我们需要从制度上重视源头性、根本性、奠基性、带动全局的和具有普遍性的开创性研究。

(2) 创新至上:始终如一地瞄准颠覆性的创新和革命性的技术。

(3) 自由探索与顶层设计并举:一方面,全力支持科学家的自由探索;另一方面,重视顶层设计,把握好重大科技前沿。

(4) 加强创新文化建设:营造浓厚的创新氛围,激励和培育创新思维。大力弘扬科学精神、端正科学理念,高度重视科研诚信和学风建设,始终坚持“自主创新、重点跨越、支撑发展、引领未来”的科技发展方针。

(5) 以人为本:科学研究,人才是关键。必须坚持以更加开放的理念选用人才;必须坚持以更加开阔的视野招引人才;必须坚持以更加灵活的机制激励人才。别具一格地任用具有创新意识、创新精神、创新思维、创新知识、创新能力并具有良好的创新人格的人才。

(6) 有所为有所不为:中国疾病防治研究的战略重点在于一级预防研究、自主知识产权的新药研发、疾病关键干预靶点的发掘、中国原创的疾病防治新技术和新方法的探寻和推进医疗器械的国产化进程。

5 崇尚与憧憬

5.1 “小”科学依然是脊梁

重大科学是什么?重大前沿是什么?科学并没有大小之分。潮流科学不恒久。重要的是:找到重大科学问题。围绕重大科学问题的独立研究依然是主流。不能一味着眼于所谓的大领域、大科学,却没有抓住重大的核心科学问题。

在医学科学研究上,主流应该接轨潮流。但是不可随波逐流,否则会丧失自我。唯有独立思考、错位发展,方能形成中国特色,并屹立于世界医学科学林。

5.2 基础研究是永恒的源头活水

基础研究、转化研究、临床研究同等重要。但是,我们现在最缺乏基础研究。国家给了经费支撑,但是,我们在基础研究领域里,技术力量和理论水平远远不够。没有基础研究的奠基,何以有研发的源头呢?所以,我们需要做踏踏实实的基础研究。

5.3 转化医学是伟大的理念

今天,基础与转化已经眉目不清。事实上,我们到了转化医学的时代。我们需要加大基础研究,为转化提供积累。转化医学高瞻远瞩,是卓越的战略。

5.4 临床研究可望异军突起

中国拥有世界上最丰富的临床资源,世界需要中国的临床数据,临床研究的步伐在部分方向上超越基础研究的步伐,纯粹的临床研究甚至也大有作为。

5.5 遵循循证医学原则

循证医学又称为实证医学。循证医学不同于传统医学。传统医学是以经验医学为主,即根据非实验性的临床经验、临床资料和对疾病基础知识的理解来诊治患者。循证医学强调任何医疗决策应建立在最佳科学研究证据基础之上。

5.6 拥抱精准医学

精准医学是一种将个人基因、环境与生活习惯差异等考虑在内的疾病预防与干预的新兴医学。精准医学是循证医学的升级版,也是转化医学的终极版,让我们一起拥抱精准医学。

5.7 新概念、新技术、新标准的原始积累时期已经到来

在医学领域,缺乏中国制造的“新概念、新理论、新标准、新指南和新技术”。未来的 2025 年前将是中国烙印的新概念、新理论、新标准、新指南和新技术的原始积累期,而 2030 年左右将可能是爆发期。

不谋万世者,不足谋一时;不谋全局者,不足谋一域。我们相信,我们国家广大的医务工作者必定会创造出系列颠覆性研究成果,建立中国疾病防治新模式,为中国乃至世界人民的健康做出卓越的贡献。

(收稿日期:2018-11-01)

(编辑:许菁)