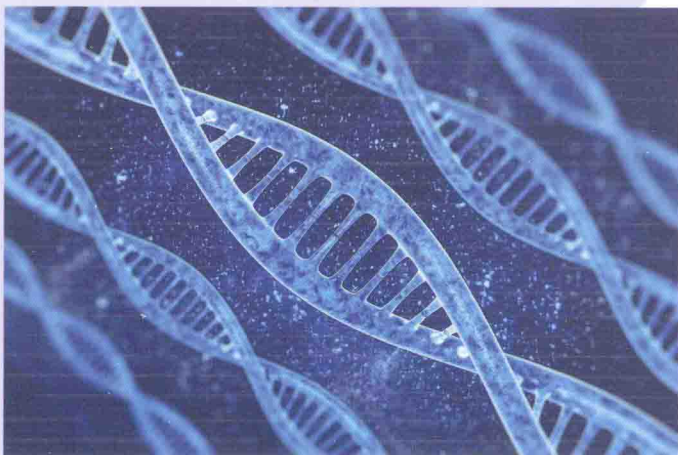


生命伦理学·科学技术伦理学丛书

邱仁宗◎主编

基因治疗之伦理审视

张新庆◎著

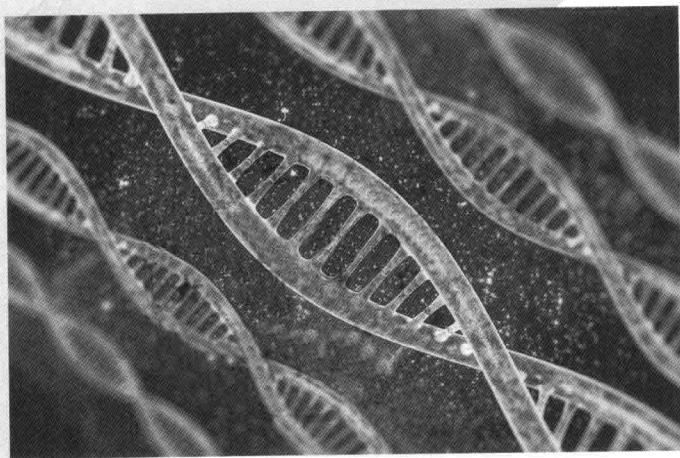


中国社会科学出版社

生命伦理学·科学技术伦理学丛书
邱仁宗◎主编

基因治疗之伦理审视

张新庆◎著



中国社会科学出版社

图书在版编目(CIP)数据

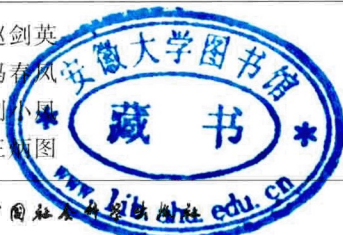
基因治疗之伦理审视 / 张新庆著. —北京: 中国社会科学出版社,
2014. 7

ISBN 978-7-5161-4549-4

I. ①基… II. ①张… III. ①基因治疗—伦理学—研究
IV. ①R394-05

中国版本图书馆 CIP 数据核字(2014)第 156741 号

出版人 赵剑英
责任编辑 冯春风
责任校对 刘小星
责任印制 王西图



出版 中国社会科学出版社
社址 北京鼓楼西大街甲 158 号 (邮编 100720)
网址 <http://www.csspw.cn>
中文域名: 中国社科网 010-64070619
发行部 010-84083685
门市部 010-84029450
经销 新华书店及其他书店

印刷 北京君升印刷有限公司
装订 廊坊市广阳区广增装订厂
版次 2014 年 7 月第 1 版
印次 2014 年 7 月第 1 次印刷

开本 710 × 1000 1/16
印张 17
插页 2
字数 287 千字
定价 49.00 元

凡购买中国社会科学出版社图书,如有质量问题请与本社联系调换

电话:010-64009791

版权所有 侵权必究

敬献导师

龚育之先生 邱仁宗先生

2012 年教育部哲学社会科学研究后期资助项目

总 序

当代科学技术的发展和应用是人类历史上最为激动人心的事件之一。在当代科学技术中使人印象最为深刻的则非信息和通讯科学技术、生物医学科学技术、认知和神经科学技术以及纳米科学技术莫属。这些科学技术的迅猛发展和广泛应用，已经在并将继续深刻改变我们的衣食住行、生老病死的方式，改变人类的社会、经济、政治和文化生活，并改变人类自身。科学技术使得世界上越来越多的人过上美好的生活，改善了健康，加强了自主性，增强了人的尊严和价值。人们甚至认为，纳米技术、信息技术、生物医学和认知科学（NIBC）结合起来形成的汇聚科学，也许会使人会超越人性，超越作为 *homo sapiens* 这个物种固有的能力，进而转化为比 *homo sapiens* 能力更强的新物种。

哲人对科学技术之于人和社会的影响进行了深入而切中要害的思考。波普尔（Karl Popper）认为科学技术对社会的作用如此之大，以至可改变社会发展的方向。我们对社会中的许多事物已经不像过去贤哲认为的那样是可以预见的了，因为科学技术本身的发展是不可预见的，它们对社会的影响也是不可预见的。海德格（Martin Heidegger）用“装框”（framing）这个概念阐明技术的本质，意思是说技术改变了人类存在的结构和方式。人类进入了技术设计的框框，那就许多身不由己了。这两位哲学大师都预料到了当代科学技术发展给人类带来了受约束性和不确定性。人类越来越失去妄自尊大的本钱了。

尤其值得注意的是，在开发和应用当代科学技术的过程中，特别是与商业、市场、资本结合时，存在着损害人的幸福和利益，侵犯他们的权利，危害他们生存的环境的倾向。例如大数据技术就有侵犯隐私的强制性影响；生物医学及其还原论根基就有将人视为机器而忽视人性、人文的倾向。所有现代技术都有导致形成或扩大“技术裂沟”，使得本已存在的社会不公正更加严重。我们有责任发展科学技术，同时也有责任保护人，保

护利益攸关者，包括我们的近远亲动物和环境。因此，当代的科学技术发展，从整体来说，不再可能是 *laissez faire*（放任自流），也不可能是 *anything goes*（怎么都行）了。科学技术的发展应该是负责任的，意思是这种发展必须坚持研究诚信，反对不端行为；同时坚持人文精神，维护人的尊严、利益和权利，消除科学与人文这两种文化的割裂。

那么，我们的伦理学准备好去迎接当代科学技术的挑战了吗？生命伦理学或科学技术伦理学是应用或实用伦理学，它们不可能以理论或原则作为出发点，反之它的逻辑出发点是在科学技术创新、研发和应用中存在或产生的伦理问题，包括应该如何做的实质伦理问题和应该如何做的程序伦理问题。我们生命伦理学或科技伦理学者要培养、改进和提高鉴定和解决伦理问题的能力，以及对伦理问题解决办法和要采取的行动方针进行分析、批判、论证的能力。新的伦理问题绝不是从伦理学理论或伦理学原则演绎的结果，而是靠攸关价值的权衡或如罗尔斯（John Rawls）说的“反思平衡”。而且在试图解决伦理问题之前，我们必须要知道或了解许多如罗斯（William Ross）所说的“非道德事实”，因此我们必须向科学家和社会学家学习，在解决问题时我们还必须向法学家学习。关注人类行动规范的伦理学家，决不可在象牙之塔内建构一个理论体系，妄想世界上所有问题都可通过从这个体系的推演而迎刃而解，这是天真的、狂妄自大的，也是愚蠢的想法。

我希望，我们这套丛书的出版，能如库恩（Thomas Kuhn）所说的那样，为我们的生命伦理学和科技伦理学树立一个范式，形成一个共同体，使得我们从事生命伦理学和科技伦理学的学者，尤其是年轻人，更快地进入常规的研究模式，从而获得水平较高的学术成就。

邱仁宗

2014年4月29日

于草桥欣园

序

《基因治疗之伦理审视》一书终于与读者见面了。虽然国际上已有好几本讨论基因治疗伦理学的书，但本书是我国目前唯一的系统探讨当代生物医学和生物技术前沿之一基因治疗伦理学的书籍，填补了我国生命伦理学和科技伦理学中的一个空白。阅读这本书会使我们联想到生命伦理学研究应该怎样做的问题。

如果看看已经或刚刚出版的书籍和文章，我们会发现其中不少是低水平的重复，而不是去面对新的伦理问题。实际上，“伦理问题”本身就蕴含着“新”的问题，如果不是新的、待解决的问题，而是已知的、已有答案的问题，那就不存在“应该做什么”（实质伦理学）和“应该如何做”（程序伦理学）的问题，那也就构不成“伦理问题”。这里牵涉一个鉴定伦理问题的能力问题，即有能力将伦理问题与科学问题、医学问题、经济问题、社会问题、法律问题、管理问题鉴别开来。但或许也与从事科学研究的能力有关。从事科学研究，不管是自然科学、医学科学，还是人文和社会科学，其基础是尽可能地掌握国内外已有的相关问题的文献资料，很可能在这一开始我们的科研就出了问题：没有尽可能地掌握文献资料，也许基本的文献资料都没有掌握，因此就不知道哪些问题已经有了满意的解决办法，哪些问题是新的、等待我们去研究解决的。掌握外语尤其是英语的重要性也就在这里，从某种意义上不能阅读外语的人是不能进行科研的。连基本的文献资料都没有掌握，就想去“创新”，这是天方夜谭。不要忘记牛顿说，我是站在巨人的肩上，这就是说没有先驱的巨人（如哥白尼、开普勒、伽利略等），就没有牛顿。这也要求我们的大学和研究所以要想尽办法为研究人员提供充分的图书资料，让他们有机会参加国际会议、出国留学访问等。

对于从事生命伦理学或科技伦理学研究的人来说，还必须要有从事哲学分析和批判论证的能力。中英暑期哲学学院的章程中就有一条指出要培养

学员分析、批判论证的能力。我和我的研究生讲过，哲学家与别人有什么不同？不是像不少人错误认为的那样，哲学家比别人聪明，哲学家掌握着自然科学和社会科学知识的总结，他们能解决其他人解决不了的问题。完全不是。哲学家、伦理学家之独特处在于他们拥有或者应该拥有分析、论证的能力，而这种能力会使他们对问题提出一些独到的见解，有助于问题的解决。当我们在研究如何解决我们面临的伦理问题时，我们必然会遇到概念问题。医学本身长期以来就一直没有解决它的概念问题：什么是医学？医学是科学吗？医学是技艺吗？医学是专业还是与一般的职业毫无二致？我们讨论基因治疗的伦理问题，首先要遇到“基因治疗”的概念问题，正如本书讨论的。对于任何一个伦理问题，必定会有不同的答案或解法选项，那么究竟应该选择哪一个选项呢？那就要运用伦理学的理论和原则进行论证和反论证。我们看到不少医学伦理学或生命伦理学的书籍和文章，几乎没有论证，作者将他或她自己的意见作为理所当然的结论呈现给读者，或者提出问题以后就列出诸多学者的意见，而对他们的意见既没有分析其异同，也没有进行论证和反论证。而这种书籍和文章能够发表，反映了编辑对伦理学学科的特点知之甚少，也反映了人文社科出版领域同行评议的阙如，在有些情况下往往是只要作者缴纳出版费就可出版。这是造成我们的学术水平长期在低水平徘徊的一个重要原因。

掌握文献资料和分析论证的能力，还只是我们人文社科科研的基本功。缺乏这些基本功，“理论创新”从何谈起！我们看到一些科研机构将这种“创新”作为一种工程来运作，这反映了我们国家将工程万能化的弊病，也不了解“创新”为何物。创造、创造性、创造力既不是逻辑推演，也不是算法运算的产物。这需要深厚的学术功底，更需要自由的社会和思想环境。在大学和科研机构产业化和行政化、急功近利的大环境下，绝不会有“创新”。追求诺贝尔奖金的工程绝不会收获诺贝尔奖金！我们看到追求奥斯卡金奖的电影铩羽而归就是明证！

本书是朝正确方向努力的一种有益尝试，希望本书的出版能给从事生命伦理学和科技伦理学研究的同人一点启发。

邱仁宗

2013年2月20日

自序：十年学术启蒙路

从2002年确定博士学位论文题目“基因治疗之伦理审视”到这本论著的定稿，经历了10个春秋。按照当时北京大学研究生院的规定，博士学位论文要在3年内完成，我却延期到了4年半，2005年12月份才通过了博士论文答辩。其间，2003—2004年间我在美国哈佛大学公共卫生学院做了一年的研究伦理研究员（Fellow）。按理，博士毕业后，本应尽快将几年的研究成果提升为论著出版，但因种种原因而未能如愿。岁月如梭，一晃数载。在平淡而又忙碌中，我也时常会牵挂此事，但仍是一拖再拖，导师对专著迟迟不能出版一事的措辞也越发严厉了。不过，我有时也会用“十年磨一剑”来为自己的惰性找个借口。2012年春天，“基因治疗之伦理审视”有幸被列入教育部哲学社会科学研究后期资助计划，论著的出版出现了重大转机。十年的基因治疗伦理思考，终于可以通过正式出版成书而画个分号了。在导入正文之前，首先谈一谈十年来的基因治疗之伦理情结。这些“题外话”或许更能表达十年来学术启蒙路上的收获吧。

第一，从期刊论文到学位论文的学术心路。2002年论文开题时，龚育之和邱仁宗两位导师同意我将“基因治疗的伦理问题”作为博士学位论文选题。该选题还获得2005年度北京市科委优秀博士论文创作项目资助。诚然，完成一份10万字的学位论文非一朝一夕所能及。为此，在确定了总体写作思路后，我化整为零，逐一突破。按照基因治疗的不同类型分别考察其伦理问题，并整理成短论文发表。2003年在《自然杂志》上发表了《基因治疗的含义、特点和影响》，在《医学与社会》上发表了《人类基因增强的概念和伦理、管理问题》，在《医学与哲学》上发表了《辨析生殖细胞基因治疗中的两类概念》。显然，这些论文并没有过多地论及伦理问题，而是从哲学或伦理学的视角澄清基因治疗、基因增强的含义及彼此关系。毕业前发表的其他6篇论文则切中了主题。2004年，我在《科技进步与对策》上发表了《体细胞基因治疗中的伦理问题探讨》；

2005年,我又在《基础医学与临床》上发表了《基因治疗风险中的非技术因素分析》,在《医学与哲学》上发表了《浅析基因治疗临床试验中的“利益冲突”》,在《中国医学理论与实践》上发表《基因治疗临床试验中的“治疗性误解”》,在《华中科技大学学报(哲社版)》上发表了《审查基因治疗临床试验的规则效用论分析进路》,在 *Journal of International Biotechnology and Law* 上发表《Gene Therapy in PR China: Regulations and Ethical Concerns》。正式答辩前,在上述9篇论文的支撑下,学位论文的主体框架大致浮现出来了。当然学位论文的整体框架并非单个论文的简单组合,而是要做到整体大于部分之和的功效,即:在一个总体的伦理分析框架指引下,实现各个章节的内在统一。尽管答辩专家仍然提出了不少值得深入思考的问题和有待完善之处,但博士论文答辩也算很顺利。

第二,“骑单车”式的研究进路终身受益。博士论文确立了一个以“尊重人”、“有利/不伤害”、“公正”等伦理原则为基础的分析框架,并借此逐一剖析了基因治疗引发的伦理问题。在2011年冬北京协和医学院基础学院举办的专业技术职称评定会上,强伯勤院士问我:“在你的博士论文中,哪些部分是你自己独立完成的,哪些部分是导师的贡献?”当时,我并未能够给出一个满意的答复,因为此前也从来没有细致地琢磨过这个其实是很重要的学术问题。如今,我给出的回答是:基因治疗的伦理问题是一个国际生命伦理学前沿领域,两位导师尤其是邱仁宗教授所倡导的“骑单车”式的研究进路对我有潜移默化的影响力。(见第二章)这种基于“伦理原则”分析框架来解决伦理—政策问题的“骑单车”式的研究方法,渗透到我的博士论文创作和日后的生命伦理学研究之中。2008—2010年,我参与了中国科学院科技政策与管理研究所樊春良研究员主持的两项中国科协课题研究:“科技伦理问题研究”和“科技发展的伦理环境研究”,撰写了《基因治疗伦理环境现状、问题与对策》报告。2008年我在 *Journal of International Bioethics* 上发表《Ethical Reflection on Human Gene Therapy in the Chinese Context》,2010年又在《科技导报》上发表《基因治疗临床研究及其伦理问题》,这两篇论文所依据的就是这个行之有效的分析框架。博士毕业多年后,我对两位导师的悉心指导也有了更加深刻的体会。博士学位论文只是漫长学术生涯的一个起点,它所确立的伦理分析框架为日后独立的生命伦理学研究奠定了理论基础和方法论依据。近年来我一直在动态追踪基因治疗/增强、胚胎干细胞研究、生物信息库

构建、合成生命中的伦理问题，也发表了近 20 篇相关论文。

第三，从学位论文到学术专著的一次“跨越”。研究并解决基因治疗引发的伦理问题离不开一个恰当的伦理分析框架。在集中撰写这本论著过程中，首当其冲的就是要重新审视现有的伦理分析框架的恰当性。那么，应该建一个什么样的伦理分析框架来应对基因治疗引发的伦理难题？如果在撰写论著过程中，原封不动照搬博士学位论文中的分析框架，显得裹足不前。为此，本书中的伦理分析框架增加了两个重要的伦理理念：敬畏生命和责任担当。引入这两个伦理理念的初衷是：其一，生殖细胞系基因治疗/增强直接干预了人的生殖细胞、早期胚胎、胎儿，人的尊重原则在这些生命形态面前失效了，而将伦理关注的对象推展到试验动物、生殖细胞系基因、早期胚胎时，就意味着在干预人类自身基因过程中要体现敬畏生命思想；其二，由于操纵人类自身的基因非同小可，由此引发的基因伦理问题有很大的特殊性，科研人员、政策制定者、社会公众、媒体、药厂等均需要肩负更大的社会责任。（见第六章）由此看来，同博士学位论文相比，本书的伦理分析框架不仅包含了四个基本的伦理原则，还吸纳了敬畏生命思想和责任担当方面的道德要求，增加了伦理分析框架的厚度。简言之，这个伦理分析框架的特点是：以识别、分析和解决“伦理问题”为导向，以尊重、有利/不伤害和公正等伦理原则为依据，以“敬畏生命”和“责任担当”为伦理理念。借助这个伦理分析框架，阐释了基因治疗引发的主要伦理问题，提出了人体试验的伦理审查准则。

第四，伦理原则的具体化。围绕基因治疗的伦理争论凸显了伦理问题的表现、性质和根源。在博士学位论文中，我提出了基于“尊重”、“不伤害”、“有利”和“公正”等四个伦理原则的分析框架。尽管这个框架中的伦理原则并非独创，但能够在基因治疗语境下给以恰当的阐释也并非易事。为此，我在基因治疗这个特定的领域中进一步缩小到直接相关的且更具操作性的“知情同意”、“收益最大化”、“风险最低化”、“分配公正”等原则，并阐述了原则论的优点及面临的挑战。（见第二章）。第三章到第五章进一步解释这些伦理原则的内涵和实用范围。借助“风险—收益”分析方法讨论了风险的社会放大机制、生殖细胞系基因治疗、非医学目的基因增强的“风险—收益”比。知情同意部分重点考察了“治疗性误解”的形态及根源，以及基因增强中的跨代同意问题、胎儿/儿童基因治疗中的代理同意，提出了基于家庭参与的个人同意模式。分配公正

部分区分了宏观、中观和微观分配问题,回答了下列问题:优先发展临床前研究,还是临床研究呢?公共科研经费应优先哪些类型的疾病?是否应该把胎儿、儿童、孕妇、绝症患者等脆弱人群首先排除在外呢?最后一章则是这个分析框架在审查基因治疗临床试验方案中的综合运用。

第五,立足国际生命伦理学研究前沿,动态跟踪文献。本书是博士学位论文的延续和发展,从参考文献的留用和更新可清楚地显现出来。2005年通过答辩的博士论文中,中文文献为30篇,现保留了16篇。英文文献部分原有214篇,现保留了68篇。被删除的旧文献要么科学知识陈旧了,要么已有更具说服力的观点。保留下来的文献中,多数为经典论述,或反映了那个时期的代表性论述。本书引用文献约300篇,3/4为新增文献,多数为2007年以来的新文献。这些新文献一方面反映了基因治疗最新进展状况及引发的新的伦理争论,另一方面反映了当前国际范围内学者们的伦理观点和争鸣。当然,在新增内容“敬畏生命”和“治理”等部分也选用了不少2006年以前的经典文献。中文部分主要来自“万方数据库”上的与基因治疗伦理问题相关的学位论文和期刊论文,以及对《中国医学伦理学》和《医学与哲学》杂志上与本书涉及的4个伦理原则相关的内容进行了专项文献梳理。在英文文献部分,本书主通过“PubMed”数据库检索“gene therapy”、“ethics”等关键词获得文献摘要目录,再逐一筛选,另外还对《人类基因治疗》(*Human gene therapy*)杂志创刊23年(1990—2012年)来的所有与伦理问题相关的论文进行了整理和分析。

第六,从基因治疗之伦理审视到基因伦理学。我希望本书的撰写能够推动基因伦理学在中国的发展。事实上,经过30多年的发展,生命伦理学已经迅速发展成为应用伦理学中最活跃分支之一。在应对临床实践、生物医学研究和公共卫生中棘手的伦理难题时,生物医学研究伦理学、公共卫生伦理学、女性主义生命伦理学、儒家生命伦理学等新的“学科增长点”也应运而生,散发着青春活力。这些新兴分支顺应了生命伦理学自身学理发展和学科建制化的必然要求。胡庆澧、陈仁彪和张春美三位教授主编的《基因伦理学》(上海科学技术出版社2009年版)一书问世后,邱仁宗教授在《科学(上海)》杂志上撰文评价道:与其他相关事件一起,这本书的出版表明生命伦理学进入学科细化的阶段。确实,进入21世纪,我国及国际社会基因伦理学研究发展迅速。一个明显的例证就是有分量的论著纷纷涌现,这中间包括库尔特·拜尔茨的《基因伦理

学》(华夏出版社 2000 年版)、王延光的《中国遗传伦理的争鸣与探索》(科学出版社 2006 年版)、张春美的《DNA 的伦理地位》(上海书店出版社 2006 年版)和《谁主基因：基因伦理》(上海科技教育出版社 2011 年版)、程国斌的《人类基因干预技术伦理研究》(中国社会科学出版社 2012 年版),等等。尽管这些论著呈现出了优秀成果,但基因伦理学自身在概念、观点、原则和方法上的无伦理学研究才刚刚起步。进一步追踪考察这个基于伦理原则的分析框架是否也适用于药物基因组学、基因检测等相关基因研究中引发的伦理问题,是我以后努力的方向。

忆往昔,我对“十年磨一剑”又有了新的体会。铸造一把锋利的宝剑,多数时间是在设计方案、准备材料、初级加工、精细打磨。这些工作费时费力,可能会花费十年中的大部分时间,而真正的宝剑出鞘需要进一步的凝练、升华。这种人剑合一的更高境界或许只需在数月或数日内完成。同样,学术研究的道路漫长而又艰辛,大部分时间是没有鲜花和掌声的。我用十年时间思考基因治疗引发的伦理难题,如今借此本的出版,算是一种了结吧。不过,展望未来的学术生涯,我可能仍会持续关注基因治疗引发的伦理问题。一方面,基因治疗引发的伦理问题会推陈出新。在不久的将来,会有越来越多的基因治疗制品进入临床应用阶段,由此会产生新的伦理问题;如果基因增强研究或生殖细胞基因治疗也进入临床试验阶段,那将会引发新一轮的激烈的伦理论争。另一方面,时间老人会对本书提出的基于伦理原则的分析框架做出最好的评判。针对基因治疗新出现的伦理问题,此分析框架的解释力如何呢?这也需要在日后的学术生涯中深入考察。

目 录

序	(1)
自序：十年学术启蒙路	(1)
第一章 基因治疗及其伦理蕴涵	(1)
第一节 基因治疗：从猜想到临床试验	(1)
第二节 “基因治疗”概念的形成与演进	(13)
第三节 伦理争论之历史考察	(19)
第四节 伦理问题的实质	(30)
第二章 以“伦理问题”为导向的分析框架	(37)
第一节 研究进路：“放风筝”或“骑单车”	(37)
第二节 对原则论的四点哲学反思	(47)
第三节 审视基因治疗的伦理原则	(56)
第四节 基于伦理原则的分析框架	(60)
第三章 “风险—收益”分析	(68)
第一节 风险分析	(68)
第二节 利益分析	(78)
第三节 寻求可接受的“风险—收益”比	(87)
第四节 “风险—收益”分析的三则应用	(93)
第四章 知情同意	(100)
第一节 知情同意的要素分析	(100)
第二节 告知的难题	(107)
第三节 “治疗性误解”的形态及根源	(113)
第四节 同意模式的选择难题	(120)
第五章 分配公正	(130)
第一节 “公正”及相关概念辨析	(130)
第二节 分配公正辨析	(139)

第三节 基因增强引发的公正问题	(149)
第六章 敬畏生命, 担当责任	(161)
第一节 “敬畏生命” 的含义	(161)
第二节 敬畏生命思想的方法论启示	(170)
第三节 社会责任的担当	(182)
第七章 伦理审查与治理	(194)
第一节 以“伦理审查”为核心的治理模式	(194)
第二节 我国基因治疗伦理审查的现状和问题	(201)
第三节 加强基因治疗伦理治理能力建设的要点	(210)
第四节 基因治疗伦理治理的体制化	(218)
附录一: 中英文术语对照表	(227)
附录二: 国际人类基因组组织 (HUGO) 关于基因治疗 研究的声明 (2001 年)	(232)
附录三: 追忆龚育之先生的教诲点滴	(235)
附录四: 记邱仁宗先生的导师风范	(238)
附录五: 论文发表及观点评析	(241)
主要参考文献	(249)
后记	(255)

第一章 基因治疗及其伦理蕴涵

生命伦理学的生命力体现在：它能够动态考察生物学或生物技术前沿领域的进展，准确识别现实的和潜在的伦理问题，在分析论证之上提出伦理建议，促进伦理规范和科学研究的动态平衡。20 世纪 80 年代以来，对人类基因治疗的伦理审视就是生动的例证。本书将以伦理问题为导向，以伦理原则为分析论证基础，系统解析 30 年来对基因治疗伦理论争的若干核心问题，进而为基因治疗试验伦理审查提供伦理建议。开篇要在百年基因研究的大背景下，梳理基因治疗研究的历史进程和特点，考察“基因治疗”概念的构建过程，辨析与基因治疗相关的主要伦理问题的特点、表现和性质。本章还反驳了一个似是而非的假定：伦理思考往往是滞后于生物医学研究。

第一节 基因治疗：从猜想到临床试验

20 世纪 50 年代以来，人类开始从纷繁复杂的症状背后寻找致病的分子机理和基因水平上的诊断、治疗方法。80 年代，科学家开始大规模寻找疾病相关基因，建立了一些动物疾病模型，找到了一些恰当的病毒载体，为基因治疗开辟了道路。1990 年人类基因治疗进入临床试验阶段至今，全球每年约有 100 项方案在临床开展，成千上万的病人参与临床试验研究。

一 百年基因研究历程及启示

人类医疗史揭示：原创性的诊疗方法往往不是横空出世，而是建立在特定的科学知识和技术基础之上。20 世纪前“基因”的概念尚未确立，那时至多以科幻的手法描绘基因治疗这样新奇的疗法。20 世纪以来一系列重大基因发现开启了分子生物学的大门，催生了基因工程，诞生了分子