



记者视频连线采访蔡磊。

“大数据、人工智能和基因技术，为罕见病救治带来了切实的可能（机会），罕见病患者千万不要放弃，需要大家共同努力，每个人都可以贡献你的力量。”3月28日，博鳌亚洲论坛2024年年会期间，京东集团前副总裁、渐冻症“斗士”蔡磊接受记者视频连线专访，呼吁罕见病患者坚守相信的信念，一起来拥抱希望。

专访中，蔡磊分享了渐冻症患者数据库、罕见病药物研发等方面的进展和突破。两年前，蔡磊团队在海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区（以下简称“博鳌乐城”）推进了渐冻症药物研发的创新试验，部分患者已经治疗了一年多，与博鳌乐城合作两年来，帮助了不少患者。

对此，蔡磊表示，海南可发挥“先行先试”政策优势，给患者多一分生的希望。

南国都市报记者 王洪旭/文 林鸿羽/图



渐冻症“斗士”蔡磊。

本报记者对话渐冻症“斗士”蔡磊

蔡磊

海南可发挥“先行先试”政策优势 给患者多一分生的希望



扫码看视频

身体下滑厉害但斗志不减 每天依然工作16个小时

问：目前，您的身体状况如何？一天忙碌的工作如何安排？

蔡磊：“只要没有科研和药物研发的突破，我的身体会持续恶化，这几个月下滑得非常厉害，我的身体已经临近疾病的晚期，甚至已经出现了一些生命危险的症状，但是我的斗志不减，目前依然保持过去一样的工作状态。”

如今，蔡磊每天依然工作16个小时，周末节假日都不休息。“因为我知道，即使这样，我们整个群体能否生存下来，依然未知，但如果不全力以赴拼搏，更没有任何希望，这是我目前的状态。”蔡磊说。

搭建了大规模的基因库 加速渐冻症药物研发

问：您的团队在搭建渐冻症患者数据库和推动药物研发方面有什么进展和突破？

蔡磊：进展和突破很多，比如，从打通科研机构罕见病的数据平台做起，不仅包括医疗机构的数据，还包括病前、病后的疾病发展、医疗尝试、生物标志物等数据。围绕着渐冻症病理病因的研究，搭建了大规模的基因库、千人志愿捐献遗体病理组织样本。

最近，团队与北京协和医院医学科学研究中心教授黄超兰签约合作，进行大规模的以百人单体的蛋白组学研究、代谢组学研究，看到了一个又一个新的发现，为疾病的病因和靶点的确立带来了希望。

此外，推动2023年上临床的药物研发管线已超过15条，把渐冻症药物研发和治疗路径以几十倍的速度往前推进，有的病友获得了令人惊喜的效果。

“我非常开心，一直以来的努力，给病友带来了希望。”蔡磊表示，未来要努力搭建渐冻症基础研究平台，因为200年来，渐冻症依然是病因不明、靶点不清，所以不可偏废。

为渐冻症新药 在博鳌首例应用感到振奋

问：近日，有一款渐冻症靶向新药在博鳌乐城完成国内首例应用，您怎么看待

这件事？

蔡磊：“非常好，全世界最近批准上市的药物能够第一时间让中国的患者用上，我们为此感到非常振奋，要感谢政府的创新政策。”

蔡磊表示，中国在罕见病药物研发方面有可能领先世界，博鳌乐城这款针对渐冻症SOD1基因突变的群体只占2%，而国内药物研发企业的药物，在细胞、动物、人体试验上都取得了优于美国这款药2倍至3倍以上的效果，目前正在加快推进，但近两年融资环境不好，合作的这家药物研发企业，一直难以融资。

对此，蔡磊呼吁，“希望大家更多关注罕见病，虽然人少，但是市场并不小，药物研发迫切需要更多投资机构的关注和支持，为生命救治带来切实的希望。”

在博鳌合作推进渐冻症药物研发 帮助了不少患者

问：您的团队跟博鳌乐城进行了哪些合作？

蔡磊：“两年前，我们就在博鳌乐城推进了渐冻症药物研发的创新实验，携手中国科学院微生物所具有领先优势的免疫治疗的科技，在博鳌国际医院成功落地。”

目前，部分患者已经治疗了一年多，已受益；与博鳌合作两年来，已经帮助了不少患者。

海南可发挥“先行先试”政策优势 给患者多一分生的希望

问：博鳌乐城作为全国唯一的“医疗特区”，有哪些优势可助力罕见病诊疗？乐城的真实世界数据研究可为罕见病诊疗带来哪些帮助？

蔡磊：针对疑难疾病，团队已经在海南开展了规模化的先行治疗尝试，其数据对于后续疾病治疗、药物研发至关重要，因为这些数据将为药企、投资人以及药物监管机构和后续临床合作医院是否进行大力投入和支持提供决策依据。

蔡磊认为，海南可发挥“先行先试”政策优势，包括针对细胞、基因等方面的前沿突破技术，也希望在海南能够参照国际上比较先进的治疗方式，灵活地对病人进行及时救治，尤其对于罕见病、没有药物的疾病，比如平均两三年就要失去生命的

渐冻症患者，给他们多一份尝试，多一分生的希望。

罕见病患者不要放弃 每个人都可以贡献力量

问：您也是众多罕见病患者眼中的“英雄”，很多人看到了您的行动，让他们有活下去的动力。对于罕见病患者，您有什么话想对他们说？

蔡磊：“我想说的是，我们每一个人，包括我们这些罕见病患者，都处在一个伟大的时代，这个时代有社会经济发展作为基础，有最新的大数据、人工智能、基因技术、基因编辑、细胞生命科学技术等方面的高速发展，为罕见病患者救治带来了切实的可能，千万不要放弃，也不要仅仅是等靠要，需要大家共同努力，每个人都可以贡献力量。”

“我的力量也不算大，但是我会竭尽全力，所以我希望大家不要放弃，坚守相信的信念，一起来拥抱希望。”蔡磊说。

为攻克渐冻症不遗余力 捐1亿助力药物研发

问：您和您的团队在渐冻症药物的研发和患者数据库建设上，已经投了多少钱呢？

蔡磊：罕见病天然就决定着关注少、投入资源不足，药物研发迟迟不能突破，既然经历了罕见病，就决心为疾病的攻克和绝望无助的患者不遗余力。

蔡磊说：“我所有的夜晚、周末节假日都不休息，都投入工作中，这里面还包括人力、物力、财力和社会资源，已经非常巨大了，当然资金只是其中一个方面。”

蔡磊表示，他放弃了年薪千万的工作和机会，全身心投入渐冻症药物研发事业四年来，他没有领过一分钱工资，即使不讨论这些，仅仅说资金方面，四年多来已投入接近4000万元。

“我一直在努力，没有钱怎么办，所以我们再去挣钱。”今年年初，蔡磊宣布捐助一亿元支持渐冻症临床科研和药物研发，目前项目正在稳步推进中。蔡磊说，在宣布捐助1亿元后，仅仅在几天以内，他和团队就接触了600多个科研和药物研发管线，每天都在密切跟进。

蔡磊表示，一个亿对于药物研发来说依然是杯水车薪，但是作为公益性支出，

可以调动科研积极性，推进药物研发短期投入，未来会引入更多商业资本的支持，那样力量就更大了。

从零搭建渐冻症基础科研平台和药物研发同步推进

问：渐冻症药物研发，现在有什么困难和挑战呢？

蔡磊：因为渐冻症这个病非常特殊，第一，它非常残酷，是世界五大绝症之首；第二，它是罕见病，投入资源不足；第三，它又是神经退行性疾病，和帕金森、阿尔茨海默病等是一类病。神经退行性疾病过去30年，全世界投入超过1万亿美元（用于）药物研发，从突破角度来说几乎全部失败，所以这个病药物研发非常艰难。

“我们也不得不从零开始，去搭建渐冻症的基础科研平台，但是时间紧迫，药物研发尝试必须同步推进，为了早一天拯救病人，全力以赴。”蔡磊说。

与AI制药公司合作 人工智能加速基础研究和药物研发

问：对于现在外界热议的人工智能，您是否有关心呢？您对此有什么看法？

蔡磊：“我们不光是关注（人工智能），而且是在全力与人工智能合作，加快基础研究和药物研发，还专门聘请了来自微软的顶尖科学家，在团队专门从事AI协助药物发现的工作，目前加速了药物发现速度达百倍以上。”

“我们的目标要看论文超过1500万篇，人工智能将为药物发现进行快速筛选，目前已经和国内外的两家AI制药公司在合作，锁定了几个渐冻症的靶点，正在往前临床推进。”蔡磊表示，除此以外，人工智能还可以给晚期病人的生活质量和生命意义带来希望。比如，脑机接口可协助读取大脑，让晚期病人能够实现通过大脑来沟通，即使全身瘫痪，人工智能也能帮助实现沟通。

蔡磊认为，人工智能在药物研发、疾病攻克等方面也会有颠覆级的表现，可在基础研究等领域为世界作出贡献。