



基因编辑试验致6岁女童死亡： 86万美元的付出与被隐瞒的悲剧

陈华蓉

武汉美捷登生物科技有限公司

2025年3月24日，上海交通大学医学院附属新华医院为一名6岁女童实施了实验性脑靶向基因编辑治疗。该女童患有 Snijders Blok–Campeau 综合征，由 CHD3 基因突变引起，表现为语言、认知和运动发育迟缓，但该病通常不危及生命。据《科学》与 Retraction Watch 联合调查，治疗后第三天，女童出现高热、无尿（肾功能损伤征象）及血小板骤降，继而发生血栓性微血管病，于一周内死亡。

该治疗由上海交通大学脑科学研究中心研究员仇某主导，旨在通过腺相关病毒（AAV9）将碱基编辑器递送至女童中枢神经系统，修复神经元中的突变位点。研究团队采用双载体策略，将编辑器的酶和向导 RNA 分装于两种病毒中，一并注入脊髓液。治疗前，女童体内未检测到针对 AAV 的抗体，院方仅使用短程泼尼松抑制免疫反应。

女童父母为这次“个体化试验”累计支付超过86万美元，资金来源于家庭积蓄及亲友借款。款项流向包括：资助仇某前学生设计碱基编辑器、支付美国公司中国附属机构的病毒生产费用，以及四川 PriMed 公司的灵长类动物实验。此外，根据银行记录和录音，研究团队成员杨某（仇某 Rett 综合征专利共同发明人）直接收取了13万美元个人转账。女童父亲还曾向仇某赠送多部 iPhone、iPad 及茅台酒。尽管知情同意书声称所有费用由一家基因科技公司承

担，但实际费用完全由家庭负担。

正式治疗之前，临床前安全数据就已显现出存在重大隐患。2025年2月17日，PriMed 公司出具的毒理学报告显示：接受治疗的四只猕猴均出现中重度肝损伤，高剂量组一只还伴有肾损伤。然而，新华医院伦理委员会在2025年1月2日批准该试验时，并未审阅这份最终报告。女童父母称，仇某虽向他们提及该结果，但未表示担忧。多位基因治疗专家指出，仅凭肝损伤数据就应触发更低剂量的探索性研究，而非直接推进首次人体试验。

2025年3月24日，一名经验丰富的操作者将数万亿病毒颗粒注入女童椎管。术后三天，女童发烧，仇某曾探视并告知家长情况会好转，同时兴奋地提及《自然》已接收他们的研究论文。但女童随后出现无尿和严重血小板减少，转入重症监护室。3月28日，女童死亡。两天后，新华医院伦理委员会紧急会议认定死亡和治疗明确相关，死因为血栓性微血管病。

死亡发生后，女童父母曾要求仇某撤回已投至《自然》的论文，仇某起初同意，但后来停止回应。2026年2月，《自然》发表了该论文，内容大幅修改：删除了女童及其父母的基因测序数据，取消了“感谢参与和支持”的致谢，并新增了猕猴脑部编辑效率的数据。然而，论文未提及灵长类实验中的肝肾损伤，也未披露女童死亡。多位图像完整性专家质疑新增控制组与处理组并非同时处理，比较困难。论文还重新做了所有小鼠实验（原实验由家庭资助），但未

DOI: 10.14218/MRP.2026.09172

通讯作者：陈华蓉 Email: 527783670@qq.com

【科研洞悉】

说明资金来源变更。

2026 年 4 月，女童父母正式向上海交通大学医学院投诉，要求调查并撤回《自然》论文。校方于 4 月 30 日书面回复并电话告知：对仇某不予处分，认定杨某收取的费用为“科研服务费”，仅对其作诫勉谈话；论文与女童家庭资助的实验无关。直到 2026 年 7 月 26 日，《科学》报道刊出同日，校方才公开宣布启动全面调查，承诺严肃处理。

多位专家呼吁《自然》调取原始数据和图像文件，并全面披露资助来源。普渡大学生物化学家 David Sanders 表示：“不承认资金来源之一就足以构成撤稿理由。”斯坦福大学生物伦理学家 Hank Greely 指出，首次人体试验的知情同意书必须提及

死亡风险，而该案同意书并未如此。宾夕法尼亚大学前基因治疗研究者 James Wilson（曾主导 1999 年 Gelsinger 试验）认为，该案与当年类似，且灵长类数据被忽视的问题令人担忧。

目前，女童父母已搬离原住所，并切断了大部分社交联系。该事件再次警示：高风险试验若未经国家药监局审评即擅自开展，患者安全与科研诚信都将面临严峻挑战。

参考文献

- [1] <https://www.science.org/content/article/exclusive-death-girl-chinese-gene-editing-trial-was-never-made-public>.
- [2] <https://www.science.org/content/article/chinese-university-launches-probe-girl-s-gene-editing-death>.

