

苏州市科技计划项目验收证书

苏科验字〔2020〕659号

计划类别：民生科技->医疗卫生应用基础研究

项目编号：SYS201610

项目名称：BOECs 细胞对血栓性血小板减少性紫癜
基因治疗的研究

承担单位：苏州大学附属第一医院

主管部门：苏州市卫生和计划生育委员会

项目合作单位：

项目负责人：马珍妮

项目组成员：殷杰、苏健、谢丽倩、沈飞、沈蕾、张
露璐、马晓霖、赵星鹏

验收形式：会议验收

验收结论：验收通过

发证日期：

项目验收委员会名单：

姓名	单位	性别	专业	职务或职称
孙炳伟	苏州市立医院（北区）	男	烧伤整形科	主任医师/ 副院长
吕海涛	苏州大学附属儿童医院	男	小儿心血管病	主任医师
马瑜婷	苏州系统医学研究所	女	免疫学	研究员
杨亚萍	苏州大学附属第二医院	女	神经内科	研究员/副 处长
刘开强	苏州大学	男	科技管理	研究员，科 技处副处长

项目验收意见：

2019年1月7日，苏州市科技局组织相关专家对苏州大学附属第一医院承担的苏州市科技发展规划项目“BOEC 细胞对血栓性血小板减少性紫癜基因治疗的研究”（项目编号：SYS201610）进行验收，验收委员会听取了项目汇报，查阅了相关资料，经质询和讨论，形成验收意见如下：

1、项目承担单位提交的验收资料完整，符合验收要求。

2、本课题基于对中国人群获得性 TTP 的临床资料进行总结，研究发现 TTP 患者中抗 ADAMTS13 自身抗体和 spacer 区自身抗体高于正常对照，重组 spacer 区蛋白可有效逆转受抑的 ADAMTS13 的酶活性。通过改造人野生型 ADAMTS13 的 spacer 区，构建 ADAMTS13 突变体。同时利用人外周血分离的 BOECs 作为载体，构建表达 ADAMTS13 突变体的细胞株，拟导入免疫缺陷的 NOD/SCID 小鼠，为进一步基因治疗获得性 TTP 奠定实验基础。

3、发表论文 3 篇（其中 SCI 论文 1 篇，核心论文 1 篇），授权发明专利 1 件。

4、项目经费经单位财务审核，使用符合相关规定。

验收委员会认为：该项目完成了合同约定的任务，同意通过验收。