

附件

上海市罕见病基因编辑与细胞治疗重点实验室（筹）

2025 年开放课题公示名单

序号	课题名称	单位	申请人	共同申请人	支持类别	项目编号
1	新型 GJB2 遗传性耳聋模型和基因治疗策略的研发	上海交通大学医学院	李庆	舒易来	重点项目	gect-2025-Z01
2	靶向 CUG 重复序列基因疗法的开发及其在 Fuchs 角膜内皮营养不良中的应用	中国科学院上海药物研究所	茅缪伟	洪佳旭	重点项目	gect-2025-Z02
3	PTPN18 相关遗传性耳聋的致病机制与基因治疗初步研究	同济大学医学院公共卫生与全科医学院	陈建军	舒易来	重点项目	gect-2025-Z03
4	基于新型环状 RNA 碱基编辑器非病毒递送系统治疗 KCNQ4 显性遗传性耳聋的研究	复旦大学附属眼耳鼻喉科医院	崔冲	朱碧云	重点项目	gect-2025-Z04
5	高通量 LNP-barcode 筛选用于眼内 mRNA 递送的研究	中国科学院分子细胞科学卓越创新中心	韩雪祥	洪佳旭	重点项目	gect-2025-Z05
6	特异感染嗅觉支持细胞的 AAV 筛选及在鼻炎中的治疗	上海交通大学医学院	李乾	余逸群	重点项目	gect-2025-Z06
7	小 GTP 酶 Hras 在耳蜗毛细胞耳毒性和衰老损伤中的保护作用及其机制研究	复旦大学脑科学研究院	唐逸泉	孙珊	重点项目	gect-2025-Z07
8	SOX10 c.482G>C 新发突变破坏内耳稳态并导致 Waardenburg 综合症的机制研究	南华大学附属第二医院	石大志	朱碧云	重点项目	gect-2025-Z08
9	新型 LNP-DNA 编辑器靶向调控铜稳态抑制脉络膜黑色素瘤的作用机制研究	复旦大学附属眼耳鼻喉科医院	杨梅	周行涛	重点项目	gect-2025-Z09
10	内耳特异性 AAV 筛选及在耳聋基因治疗中的应用	复旦大学附属眼耳鼻喉科医院	胡子英	汤洪海	重点项目	gect-2025-Z10

11	西北地区迟发型听力损失患者 GJB2 基因突变类型与临床表型的相关性研究	新疆维吾尔自治区中医医院	铁玲	陈兵	重点项目	gect-2025-Z11
12	基于 GJB2 突变相关遗传性耳聋大动物模型的宫内基因治疗策略	华中科技大学同济医学院附属协和医院	王晓晖	王武庆	重点项目	gect-2025-Z12
13	基于先天性无眼畸形患者 iPSC 来源眼类器官的 MAB21L1R51W 突变致病机制及基因修正研究	同济大学医学院	李丽	马竞	重点项目	gect-2025-Z13
14	内毛细胞特异性启动子的研发及其在 OTOF 遗传性耳聋基因治疗中的应用	复旦大学附属眼耳鼻喉科医院	胡少伟	舒易来	重点项目	gect-2025-Z14
15	羊膜内长效释放 mRNA 的可注射水凝胶系统	复旦大学高分子科学系暨聚合物分子工程全国重点实验室	俞麟	马竞	重点项目	gect-2025-Z15
16	基于 TNF- α 长效降解的干眼症眼表微环境重塑及治疗	湖南大学化学化工学院	邢航	洪佳旭	重点项目	gect-2025-Z16
17	一类用于解决 AAV 基因治疗“载体免疫”困境的 IgG 降解酶的活性优化、机理解析及临床成药性表征	天津大学	陈成	舒易来	重点项目	gect-2025-Z17
18	耳聋新基因 TRRAP 致聋机制的研究	复旦大学附属华东医院	张茹	张毅博	重点项目	gect-2025-Z18
19	CRISPR 富集联合超高灵敏度蛋白质组学平台研究大片段基因编辑效率增强干预靶点	复旦大学生物医学研究院	周峰	乐琦骅	重点项目	gect-2025-Z19
20	CHARGE 综合征的干预新策略研究	上海交通大学医学院附属儿童医院	丰伟军	马竞	重点项目	gect-2025-Z20
21	基于先导编辑系统对遗传性耳聋精准基因治疗研究	复旦大学附属眼耳鼻喉科医院	陈紫婷	汤洪海	重点项目	gect-2025-Z21
22	以 LMX1A 为切入的耳蜗发育与毛细胞凋亡轴	复旦大学附属妇产科医院	肖敏	于慧前	重点项目	gect-2025-Z22

	的分子病理学研究及基因编辑干预方案构建					
23	靶向 CAFs 中 ENPPI 逆转下咽癌顺铂耐药及免疫抑制的效果与机制研究	复旦大学附属眼耳鼻喉科医院	胡春燕	陈健	重点项目	gect-2025-Z23
24	不同给药时间对 OTOF 基因治疗后听觉皮层抑制性环路功能成熟的调控作用研究	哈尔滨医科大学附属第一医院	刘梦婷	舒易来	青年项目	gect-2025-Q01
25	单 AAV 介导的体内碱基编辑治疗糖原累积病 Ia 型	上海市儿科医学研究所	刘克强	罗资超	青年项目	gect-2025-Q02
26	FOXI1 超级增强子与启动子互作调控耳蜗毛细胞发育的作用及机制研究	复旦大学附属眼耳鼻喉科医院	张博文	马竞	青年项目	gect-2025-Q03
27	基于 CRISPa 技术精准激活 Otx2os1 的视网膜色素变性基因治疗研究	中山大学中山眼科中心	孔康杰	倪颖勤	青年项目	gect-2025-Q04
28	基于单细胞测序和人源嗅上皮类器官鉴定衰老相关嗅觉功能障碍的致病基因	复旦大学附属眼耳鼻喉科医院	李伟豪	余逸群	青年项目	gect-2025-Q05
29	重编程 iPSC 促进晶状体脱位修复及其机制研究	复旦大学附属眼耳鼻喉科医院	陈天慧	莫晓芬	青年项目	gect-2025-Q06
30	靶向喉鳞癌微环境中肿瘤相关成纤维细胞与巨噬细胞间 POSTN-ITGB3 轴逆转抑制性免疫微环境从而增强抗肿瘤免疫的研究	复旦大学附属眼耳鼻喉科医院	衡宇	陶磊	青年项目	gect-2025-Q07
31	转录因子 GBX2 变异在 CFM 发生中的作用及机制研究	复旦大学附属眼耳鼻喉科医院	韩文卿	孙珊	青年项目	gect-2025-Q08
32	强直性肌营养不良 I 型线粒体损伤相关靶点探索	复旦大学附属华山医院	袁画画	朱碧云	青年项目	gect-2025-Q09
33	基于循环肿瘤细胞晚期下咽癌转移机制的研究	复旦大学生物医学研究院	王卓	吴春萍	青年项目	gect-2025-Q10

34	SMC3 在颅面短小症发生中的作用及机制研究	复旦大学附属眼耳鼻喉科医院	杨润	马竞	青年项目	gect-2025-Q11
35	内耳递送 AAV-PHP.eB 的内耳时空生物分布及转导示踪研究	复旦大学附属眼耳鼻喉科医院	韩双	陈兵	青年项目	gect-2025-Q12
36	重编程的骨髓间充质干细胞的细胞外囊泡 (MSC-EVs) 抑制眼内炎症修复晶状体悬韧带病变及其机制研究	复旦大学附属眼耳鼻喉科医院	苗傲	蒋永祥	青年项目	gect-2025-Q13
37	铁自噬下调 Ferritin 促进细胞铁死亡在 Fuchs 角膜内皮营养不良发病中的作用和机制研究	上海市眼病防治中心	陈荟宇	莫晓芬	青年项目	gect-2025-Q14
38	同种异体 iNKT 联合特瑞普利抑制下咽癌细胞及机制研究	复旦大学附属眼耳鼻喉科医院	张铎	陶磊	青年项目	gect-2025-Q15
39	开发新型类病毒颗粒递送载体以实现高效的体内胞嘧啶碱基编辑	上海科技大学	丁琳	马双羽	青年项目	gect-2025-Q16
40	基于多组学的 1 型神经纤维瘤疾病机制解析及治疗靶点挖掘	复旦大学附属儿科医院	詹镛	李美燕	青年项目	gect-2025-Q17
41	频率跟随反应与响度增长关系联合探究 OTOF 耳聋基因治疗重建听力的神经编码机制	复旦大学附属眼耳鼻喉科医院	钱辰	舒易来	本科生培育项目	gect-2025-B01
42	重编程的骨髓间充质干细胞细胞外囊泡 (EVs) 抑制眼内炎症修复晶状体悬韧带病变及其机制研究	复旦大学上海医学院	周昱含	蒋永祥	本科生培育项目	gect-2025-B02
43	Usher 综合征的基因型-表型分析	复旦大学上海医学院	袁源	舒易来	本科生培育项目	gect-2025-B03
44	巨噬细胞活化参与 GJB2 基因突变相关遗传性耳聋发生的机制研究	华中科技大学同济医学院附属协和医院	赵家辉	王武庆	本科生培育项目	gect-2025-B04
45	iNKT 细胞联合 anti-PD1 治疗下咽癌的机制探究	复旦大学	杜依宸	陶磊	本科生培育项目	gect-2025-B05
46	筛选小分子化合物治疗顺铂性耳聋	复旦大学	谢江平	舒易来	本科生培育项目	gect-2025-B06

47	基于多模态数据的阻塞型睡眠呼吸暂停（OSA）智能检测和管理平台开发	复旦大学大数据学院	卢子诚	罗慧婷	本科生培育项目	gect-2025-B07
48	基于口腔和上气道菌群的 AI 辅助 OSA 患者炎症和代谢异常预测模型构建	复旦大学上海医学院	方俊焯	罗慧婷	本科生培育项目	gect-2025-B08