



当前位置: 科技部门户 > 国内外科技动态

【字体: 大 中 小】

羟基脲: 有效改善撒哈拉以南非洲镰状细胞贫血儿童的症状, 并且能减少疟疾的发生

日期: 2018年12月12日 来源: 科技部

羟基脲: 有效改善撒哈拉以南非洲镰状细胞贫血儿童的症状, 并且能减少疟疾的发生

镰状细胞贫血(SCA)是一种常见的、危及生命的遗传性疾病。因血红蛋白 β -肽链第6位氨基酸谷氨酸被缬氨酸所代替,构成镰状血红蛋白(HbS),取代了正常Hb(HbA)。其中大多数人有许多急性和慢性并发症,导致生活质量低下和早死。在全球范围内,镰状血红蛋白病的发病率在撒哈拉以南非洲最高,每年有超过30万名婴儿患病,约占该地区新生儿的1%。但是在该地区几乎没有建立镰状细胞贫血的筛查项目,只有少数几个大型城市中心提供了专门的治疗。



镰状细胞

目前治疗SCA的疗法有限,尽管近年来大量研究表明,对于控制SCA和提高患者生活质量,羟基脲是一种安全有效的药物,但是这些研究大都集中在发达国家,羟基脲在非洲是否安全有效尚不清楚。疟疾、该地区流行的其他传染病和营养不良等共同存在的条件可能会增加毒性作用的发生率并限制治疗反应。

近日,发表在权威杂志New England Journal of Medicine上的一项研究或带来了新的希望。研究表明,每天服用羟基脲药片或可改善撒哈拉以南非洲患有SCA的儿童的症状,并且能降低血管闭塞事件、感染、疟疾、输血和死亡的发生率。

ORIGINAL ARTICLE

Hydroxyurea for Children with Sickle Cell Anemia in Sub-Saharan Africa

Léon Tshilolo, M.D., Ph.D., George Tomlinson, Ph.D.,
Thomas N. Williams, M.D., Ph.D., Brígida Santos, M.D.,
Peter Olupot-Olupot, M.D., Ph.D., Adam Lane, Ph.D., Banu Aygun, M.D.,
Susan E. Stuber, M.A., Teresa S. Latham, M.A., Patrick T. McGann, M.D.,
and Russell E. Ware, M.D., Ph.D., for the REACH Investigators*

DOI : 10.1056/NEJMoa1813598

根据这项最新的研究, 共606名1-10岁的儿童完成筛查并接受了每日羟基脲治疗, 94.2%的患者完成了3年的治疗及随访。研究结果显示, 羟基脲治疗导致血红蛋白和胎儿血红蛋白水平显著升高, 羟基脲疗法对撒哈拉以南非洲的儿童来说是可行和安全的。此外, 研究数据还显示, 与治疗前水平相比, 羟基脲的使用与SCA患者血管闭塞性疼痛平均降低55%, 感染降低38%, 疟疾降低51%, 输血降低67%, 死亡率降低70%有关。而疟疾在非洲是非常普遍的。

据悉, 该临床试验已治疗了4个撒哈拉以南国家的儿童。研究人员将对这些儿童进行长期随访, 以获得有关生长发育的其他数据, 并收集对器官功能和生育能力的任何可能影响。

论文来源: <https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa1813598>

扫一扫在手机打开当前页

打印本页

关闭窗口



版权所有: 中华人民共和国科学技术部

地址: 北京市复兴路乙15号 | 邮编: 100862 | 地理位置图 | 京ICP备05022684 | 网站标识码bm06000001