

作者: 张佳欣 来源: 科技日报 发布时间: 2022/11/29 10:45:48

选择字号: [M](#) [A](#) [AA](#)

## 全球最贵！首款血友病基因治疗药物获批

科技日报讯（实习记者张佳欣）据美国有线电视新闻网（CNN）报道，美国食品和药物管理局（FDA）当地时间22日宣布批准全球首个B型血友病基因治疗药物Hemgenix。澳大利亚药品制造商CSL Behring将一剂的价格定为350万美元，使其成为世界上最昂贵的药物。

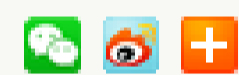
Hemgenix是一种基于腺相关病毒载体的一次性基因疗法，通过静脉注射单剂量给药，用于治疗患有B型血友病的成年人，这是一种遗传性出血障碍，大约每4万人中就有1人患有这种疾病，其中大多数是男性。

对血友病的基因治疗已有二十多年历史。FDA生物制品评估和研究中心主任彼得·马克斯博士在一份声明中表示，尽管血友病的治疗取得了进步，但预防和治疗出血的方法可能会对个人的生活质量产生不良影响。FDA的批准为B型血友病患者提供了一种新的治疗选择。

美国临床和经济审查研究所是一家独立的非营利性研究机构，负责分析处方药和其他医疗产品的价值，该机构向CNN证实，Hemgenix现在是最昂贵的药物。

FDA根据对大约60名成年男性进行了两项研究的安全性和有效性评估，进而批准了Hemgenix。其中一项研究表明，服用该药物的人凝血蛋白水平升高，对标准治疗的需求减少，出血问题减少了54%。

特别声明：本文转载仅仅是出于传播信息的需要，并不意味着代表本网站观点或证实其内容的真实性；如其他媒体、网站或个人从本网站转载使用，须保留本网站注明的“来源”，并自负版权等法律责任；作者如果不希望被转载或者联系转载稿费等事宜，请与我们联系。



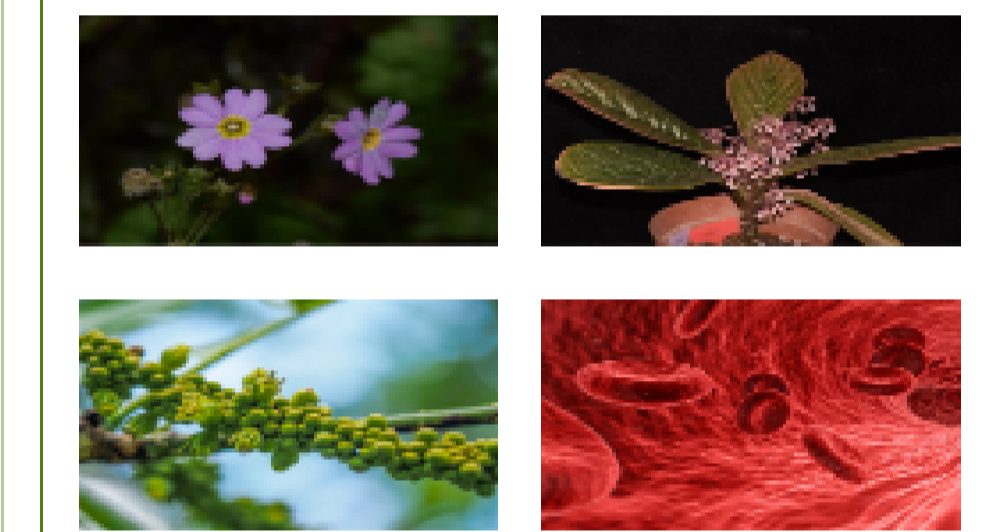
[打印](#) 发E-mail给:  [GO](#)



### 相关新闻 相关论文

- 1 关注血友病治疗 专家呼吁社会各界力量共同参与
- 2 北京协和医院成功为血友病患者切除肝脏肿瘤
- 3 预防治疗有望助力实现A型血友病患者零出血目标
- 4 国内首例3D打印技术血友病双膝置换手术获成功
- 5 标准化治疗让血友病儿童奔跑不再是奇迹
- 6 基因疗法阻止血友病临床试验血液事件
- 7 中国儿基会2017血友病儿童夏令营在京举办
- 8 500多名血友病患者获赠药捐助

### 图片新闻



[>>更多](#)

### 一周新闻排行

- 1 两所公安院校更名亮相，均为部属
- 2 学院官方通报：一女学生高空自主坠亡
- 3 海南省海洋立体观测与信息重点实验室揭牌成立
- 4 基金委发布一项重大研究计划项目指南
- 5 杨振宁：真性情名誉主席，与西湖大学再相逢
- 6 解决写论文4大难题！《科学》找7位学者支招
- 7 牛顿、爱因斯坦如何导演了精密制造这出大戏
- 8 自然科学基金委医学领域一项目评审组名单公布
- 9 宅、头发少、生活单调？这群理论物理博士不一般
- 10 2023年中国科学院院士增选工作启动

### 编辑部推荐博文

- 科学网4月十佳博文榜单公布！
- NML文章集锦 | 仿生材料及其应用研究(一)
- 当代代相传的知识遇上会思考的机器
- 从读博到硕导，回顾我的五年9篇SCI论文发表经历
- AI助力甄别论文工厂
- 期刊投稿信怎么写？攻略+模板来了！

[更多>>](#)