

作者: 王鹏 来源: 中国新闻网 发布时间: 2023/11/9 22:43:12

选择字号: [默认](#) [大](#) [小](#)

国内首个治疗法布雷病rAAV基因药物临床研究启动

中新网成都11月9日电 (记者 王鹏) 四川大学华西医院9日对外披露, 该院近期已启动国内首个治疗法布雷病的重组腺相关病毒(rAAV)基因药物临床研究项目, 并完成了首例患者治疗。

法布雷病是一种罕见的X连锁遗传性溶酶体蓄积病, 男性病情多重于女性患者。研究显示, 男性新生儿中发病率为1/110000-1/40000, 其病因为 α -半乳糖苷酶A基因突变, 基因产物结构和功能异常, 使得代谢底物鞘氨醇三聚己糖苷和相关鞘糖脂在心、肾、肺、眼、脑和皮肤等多种器官的神经及血管组织细胞中堆积, 导致心室肥厚、肾衰、脑卒中、外周神经疼痛等病症发生。心肌病变常是导致患者死亡的主要原因。法布雷病传统治疗方案为酶替代疗法, 患者需要每两周输注一次阿加糖酶且终身治疗。

参与此次临床研究的患者阎某今年24岁, 两年前经基因检测确诊。确诊后, 由于酶替代治疗高昂的价格, 其一直未接受治疗。直到酶替代治疗进入医保后, 阎某才开始接受两周一次的静脉输注治疗, 但是频繁入院给其生活带来了极大的不便。

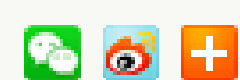
近期, 阎某申请成为首例基因疗法志愿者。经过严格筛选以及治疗前的准备、检查, 今年10月26日, 阎某接受基因药物治疗。在随后观察中, 阎某表示没有任何不适。后续的半乳糖苷酶活性检测中显示, 阎某体内的半乳糖苷酶活性已经达到了正常人水平。当前, 阎某身体情况仍在研究人员的严密监测中。

该临床研究项目由四川大学华西医院内科主任、罕见病诊疗及研究中心副主任陈玉成教授牵头, 联合国内六家三甲医院共同开展。研究用药zS805由四川大学华西医院生物治疗全国重点实验室董飏教授和邹凯儿教授牵头研发。

董飏教授介绍, zS805的基因表达盒框架搭载了自主研发的肝脏特异启动子和基因工程改造优化后的 α -半乳糖苷酶A基因, 保证 α -半乳糖苷酶A蛋白在肝脏细胞中特异表达并高效分泌, 提高了药物的安全性与有效性。同时, 还选择了能够覆盖绝大部分患者的AAV载体血型, 提高了该产品未来广泛的适用范围。

据悉, 未来该基因药物问世有望实现法布雷病“一针治疗, 长期乃至终身有效”, 为广大饱受病痛折磨的法布雷病患者带来治愈希望。(完)

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, 请与我们接洽。

打印 发E-mail给:

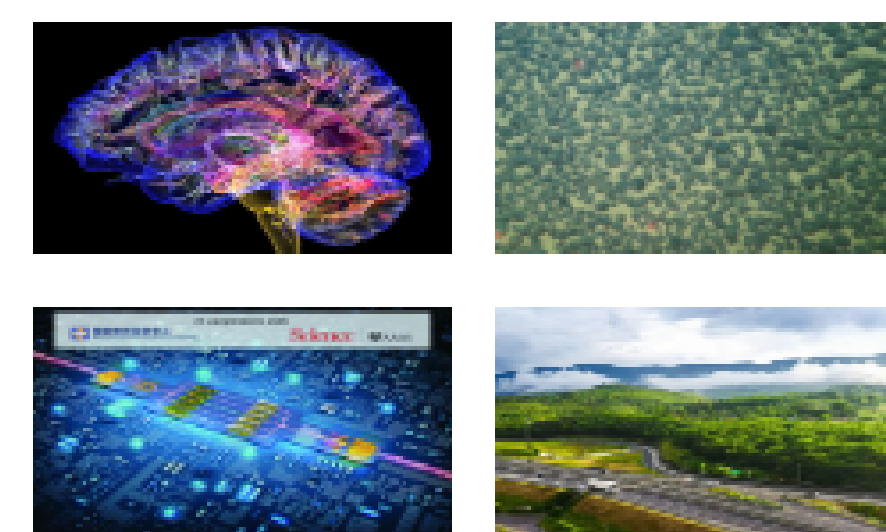
GO

相关新闻

相关论文

- 董家鸿院士团队在德国纽伦堡国际发明展斩获金奖
- 重庆市征集药物临床研究与产业化产品研发情况
- 我国团队成功完成首例帕金森病基因治疗临床研究
- 关乎利弊和道德? 一文读懂临床研究中的安慰剂组
- 临床研究: 用放射性核素治疗前列腺癌
- 上海十院启动孤独症创新药物临床研究
- 干细胞治疗帕金森病迎来新希望, 临床研究启动
- 周光霁: 临床研究工作, 临床是关键

图片新闻



>>更多

一周新闻排行

- 体会“变老”后, 我们更加理解了老年护理
- 《科学》公布2023年度十大突破
- 西浦执行校长: 交叉学科建设应回归育人初心
- 小小甲基化修饰让小菜蛾“百毒不侵”
- 科技部印发《国家科学技术奖提名办法》
- 大陆起源研究取得突破性进展
- 31岁985副教授再读博, 成为洪堡教授后回国
- 4家未通过, 安徽率先开展省重点实验室重组试点
- 8人拟聘为2023年度中国科学院科技智库研究员
- 《物理世界》揭晓2023年度十大突破

编辑部推荐博文

- 科学网11月十佳博文榜单公布!
- 精准医学: 癌症治疗的新时代
- 沈阳工业大学张春巍教授专访
- 低阶的人机交互和高阶的人机交互
- 科技伦理是捍卫伦理底线还是追求天花板
- 阿尔茨海默病的免疫疗法

>>更多