



## 科学普及

[前沿科普 \(newsmore/28.html\)](#)

[科普活动 \(sci\\_2.html\)](#)

## 前沿科普

### 6-26 世界首次RNAi临床试验初获成功

日期: 2006-06-26    访问次数: 3257

一项新试验显示，导致老年人失明的最常见病因——老年性黄斑变性（AMD），能够通过一小段遗传物质来对付。美国费城Acuity制药公司近日公布了评估RNA干扰（RNAi）疗法对人类患者效果的首次临床II期试验的初步结果。

这项临床试验检测了一种叫做Bevasiranib的药物对患有老年性黄斑变性(AMD)的效果。老年性黄斑变性能导致患者因血管在视网膜上的异常生长，从而影响视力。Bevasiranib是由Acuity制药公司开发。据统计，老年性黄斑变性是导致欧美老年人失明的首要原因，在日本也有约30万患者。据有关资料预测，到2013年，全世界将有1100万人患上老年性黄斑变性。

这项对129名患者的试验发现，Bevasiranib能够减缓患者眼睛中血管的生长并改善视力：在最低剂量时，这种效果持续了数月；最高剂量时，这种好的效果一直到研究结束还存在。而且，试验中，除了药物注射位置的红肿外，没有观察到其他任何不良反应。

研究人员在6月1日的美国基因治疗学会年会上公布了这一振奋人心的消息。以RNAi为基础的Bevasiranib能够关闭血管内皮生长因子（VEGF）基因，这种基因会刺激老年性黄斑变性患者视网膜上血管的生长。该药物利用短小的干扰RNA(siRNA)片段黏连到触发这种生长因子制造的细胞RNA分子上。这种siRNA携带的一种化合物能将它的靶标RNA标记成需要细胞蛋白进行摧毁的形式。细胞内的这种RNA量的减少意味着生长因子的减少，因而延缓了血管的扩增。

这种siRNA分子不会与DNA反应，因此不必担心该药物会改变患者的遗传组成。而在其他类型的基因治疗中，这是不可忽略的一个风险。例如已经发现，到目前为止最成功的XSCID基因疗法（治疗X连锁重度复合性免疫缺陷病的基因疗法）的临床试验中，接受这种基因治疗的其中3名儿童在治疗后患上了白血病。

研究人员指出，Bevasiranib能够与其他药物联合使用，例如能抑制血管内皮生长因子的抗癌药物Avastin。Avastin的效果只能持续几周时间，而Bevasiranib的效果则能持续更长的时间。

斯坦福大学的RNAi专家MarkKay指出，这项试验的成果是RNA疗法发展的一个里程碑，而且他还预言RNAi在不久后就可能用于临床治疗。

Bevasiranib的第II期临床试验的完整结果将于今年9月揭晓，第III期临床试验有望于2007年底启动，而最终的试验结果将于2009年获得。（中国生物技术信息网）

## 中国植物生理与植物分子生物学学会秘书处

地址：上海市徐汇区枫林路300号3号楼209室（200032）

电话：021-54922859 / 021-54920737 / 021-54922857

传真：021-54922859

邮箱：cspb@sibs.ac.cn / cspb@cemps.ac.cn

沪ICP备19042528-3 (<https://beian.miit.gov.cn/>)

**Copyright 2002-2021 版权所有**



学会官方微信