

---

# 新融合蛋白疗法有望治疗凝血障碍

作者：writer 来源：爱科学

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/11055.html>

*本文仅供学习交流之用，版权归原作者所有，请勿用于商业用途！*

新融合蛋白疗法有望治疗凝血障碍。据《科学》报道，一项新的临床研究发现，将一种小蛋白与一种天然凝血因子融合，可以使凝血因子在人体内的作用时间显著增长，该研究为血友病的治疗带来了希望。

目前，患有严重血友病（血液不能正常凝固）的人通常每周须在家中注射凝血因子3到4次，以防止出血。而上述研究中新的融合蛋白可以将注射治疗次数减少到每周一次。

研究人员制备了一种名为BIVV001的实验性融合蛋白，在一项大规模的临床试验中该蛋白还没有被证明能阻止血友病患者出血，但其能使凝血因子持续时间延长，这让一些研究人员感到兴奋。

血友病通常被称为皇室病，因为19世纪和20世纪该疾病一直折磨着许多欧洲的统治家族。血友病有两种表现形式，即A型和B型，它们影响了全球超100万的男性（作为与X染色体连锁的疾病在女性中极为罕见）。

血友病A是这两种类型中较为常见的一种，是由基因突变导致凝血因子VIII缺陷引起的。患者通常会出现凝血障碍、关节问题和危及生命的出血事件。患者除非接受预防性的合成因子VIII治疗或注射其他有助于凝血的蛋白质，否则每年发生的出血事件次数有时超过30次。

美国西北血液中心血液学家、新研究论文的主要作者Barbara Konkle表示，频繁的注射治疗对血友病患者来说是一个巨大的负担。她和该领域的其他研究人员一直致力于减轻这种负担。

正常情况下，大多数VIII因子在体内由蛋白质VWF使其处于稳定状态，保护凝血因子不被分解。然而，VWF对VIII因子在人体内存留时间有限制，将其半衰期限制在了15小时左右。当VIII因子被注入时，它通常会锁定在VWF上。

这项新研究发起人、Sanofi and Sobi公司的研究人员开发出了一种融合蛋白，其中包含小部分VWF。他们希望该融合蛋白足以稳定凝血因子，防止其与人体自身的VWF结合。

只需要VWF的一部分就可以稳定VIII因子，并不需要其他剩余的蛋白质。Konkle说。

16名患有血友病A和有预防治疗史的男性被纳入新的I/IIa期、开放标签研究，该研究主要用于评估BIVV001的安全性和半衰期。

参与者被分为低剂量组和高剂量组。每名患者接受一次单独重组VIII因子注射，然后度过至少3

---

天的洗脱期（指在交叉设计的试验中，在第一阶段与第二阶段治疗的中间一段，不服用试验用药品或者服用安慰剂的时期），再注射BIVV001，随后观察患者28天，以确定每种剂量的安全性。

研究人员9月10日在《新英格兰医学杂志》上报告说，在患者接受BIVV001注射前，低剂量组和高剂量组的血浆VIII因子半衰期分别为9.1小时和13.2小时；注射BIVV001后，半衰期分别为37.6小时和42.5小时。在研究过程中，没有患者对VIII因子产生耐药性，也没有出现过敏反应或相关事件。

Konkle说，该药物的第三阶段试验正在进行中。如果证实了BIVV001能够和凝血因子VIII一样阻止出血，且减少注射治疗次数，该公司希望在2022年前将这些数据提交给美国食品和药物管理局，并寻求批准出售该药。（来源：中国科学报 许悦）

相关论文信息：<https://doi.org/10.1056/NEJMoa2002699>

版权声明：凡本网注明来源：中国科学报、科学网、科学新闻杂志的所有作品，网站转载，请在正文上方注明来源和作者，且不得对内容作实质性改动；微信公众号、头条号等新媒体平台，转载请联系授权。邮箱：shouquan@stimes.cn。

作者：Barbara Konkle 来源：NEJM

更多 科学进展 请访问 <https://www.iikx.com/news/progress/>

本文版权归原作者所有，请勿用于商业用途，[爱科学iikx.com](https://www.iikx.com)转发