
新一代基因治疗为nAMD患者带来更多益处

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/27227.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！

新一代基因治疗为nAMD患者带来更多益处。近日，《自然-通讯》刊发了一项四川大学华西药学院孙逊教授等团队关于新生血管性（湿性）年龄相关性黄斑变性（nAMD）基因治疗药物的临床前研究数据。研究显示，在人视网膜色素上皮细胞19（ARPE19）上，应用弘基生物AAV衣壳筛选平台打造的全新眼科AAV衣壳变体——AAVv128比AAV8，在细胞结合方面提高了30.8倍，在细胞摄取方面提高了24.7倍。

研究团队分别在小鼠、新西兰兔、非人灵长类（NHP）等多个种属上进行了对比试验，AAVv128均表现出显著优于AAV8的视网膜递送及转导效率，显示了AAVv128的跨种属高转导效率。

据悉，在临床前研究的基础上，国内首个用于治疗眼底黄斑变性的基因治疗产品——类生物新药KH631，已完成国内和美国二期临床试验首例给药。临床试验结果显示，该项目可以显著降低患者抗VEGF药物的注射频次、未出现药物相关的不良反应。

老年性黄斑变性，又称为年龄相关性黄斑变性（以下简称AMD），是世界三大常见的致盲因素之一。据《中国年龄相关性黄斑变性临床诊疗指南（2023年）》显示，2040年全球AMD患者数量预计将达到2.88亿例。

目前，抗VEGF药物玻璃体腔注射是治疗nAMD的首选方法，但长期频繁地接受抗VEGF药物玻璃体腔注射，大大增加了患者的生理、心理和经济负担。研究人员表示，通过一次注射就能长期控制病情的新型治疗方法——基因治疗，有望实现一次注射、长期获益。（来源：中国科学报张思玮）

相关论文信息：<https://doi.org/10.1038/s41467-024-48221-4>

作者：孙逊等 来源：《自然—通讯》

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