
基因疗法使遗传性肿胀发作减少98%

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/27541.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！

· “治愈”是许多药物开发者避而远之的一个用词，但一次性基因疗法的隐含承诺是它们可以解决疾病的根源，并有望终结疾病。

当地时间2024年6月2日，据生物医药行业媒体Endpoints News报道，在西班牙Valencia举行的欧洲过敏与临床免疫学学会上，基因编辑公司Intellia Therapeutics (NTLA.US) 公布其一项基因编辑疗法I期试验最新数据，名为 NTLA-2002 的 CRISPR (一种基因编辑技术) 实验性疗法只需输注一次，就能几乎完全消除 10 名遗传性血管性水肿患者的肿胀发作。

遗传性血管性水肿症 (hereditary angioedema , HAE) 是一种由常染色体遗传的缺乏补体C1酯酶抑制物的疾病，患者会经历突发性炎症，这种炎症会导致全身肿胀，令人毁容、痛苦，有时甚至致命。

据了解，Intellia 的I期临床试验的新数据是继去年夏天根据前 16 周研究观察结果得出的初步结果之后得出的。新数据显示，该疗法在平均 20 个月后继续发挥作用，10 名患者肿胀发作减少了 98%。其中，有一个人在超过 26 个月的时间里一直没有发作过，还有两个过去经常肿胀发作的人，每月分别发作 14 次和 17 次，在试验的初始阶段之后也一直没有发作过。

“治愈”是许多药物开发者避而远之的一个用词，但一次性基因疗法的隐含承诺是它们可以解决疾病的根源，并有望终结疾病。

Intellia 的首席执行官 John Leonard

在一份新闻稿中说：“这些长期数据提供了强有力的证据，证明 NTLA-2002 有可能一次性功能性治愈这种使人衰弱并威胁生命的疾病。”

Intellia 的新闻发言人告诉Endpoints News，后续II期研究的初步数据预计将在几个月内公布，公司还在与监管机构商谈在今年下半年开始一项关键的III期研究。由于该试验的患者人数不到 75 人，Intellia 希望能尽快取得进展，如果一切顺利，公司计划在 2026 年将该疗法提交美国食品药品监督管理局 (FDA) 审批。

据Endpoints News的说法，如果一切顺利，它可能成为美国批准的首个体内CRISPR疗法。这种治疗方法通过对DNA进行微小的改动来发挥作用，从而阻止肝脏制造一种叫做kallikrein的酶（激肽释放酶），这种酶会导致血管渗漏和患者身体肿胀。Intellia公司表示，最常见的副作用是输液相

关反应和疲劳，目前没有报告该疗法存在任何长期安全性问题。

据悉，另一家公司也在周日的会议上公布了治疗HAE的两项III期试验数据。Ionis Pharmaceuticals (IONS.US) 开发了另一种不同类型的基因药物，称为antisense oligonucleotide (反义寡核苷酸)，遗传性血管性水肿患者每四周接受其药物donidalorsen治疗后，发作次数减少了81%，每八周接受治疗的患者发作次数减少了55%。公司计划今年申请批准该药。

(原题：基因疗法使遗传性肿胀发作减少98%，2026年向FDA提交申请)

作者：卢雁 来源：澎湃新闻

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