

全球首款基因编辑疗法公布长期数据

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/27692.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！

· Casgevy是一款自体细胞疗法，它利用CRISPR/Cas9基因编辑系统，在体外对来自患者的造血干细胞进行编辑，使血红细胞生产高水平的胎儿血红蛋白——一种健康的、携带氧气的血红蛋白。

当地时间2024年6月14日，由美国生物技术公司福泰制药（Vertex Pharmaceuticals，VRTX.US）和瑞士药企CRISPR Therapeutics（CRSP.US）共同研发的基因编辑疗法Casgevy公布最新长期数据，这些数据来自在临床试验中接受了Casgevy治疗的100多名患者，包括46名重度镰刀型细胞贫血病（SCD）患者，56名输血依赖性地中海贫血（TDT）患者，最长随访时间已经超过5年。

当地时间2023年11月16日，Casgevy获英国药品和健康产品管理局（MHRA）有条件上市许可，用于治疗12岁及以上的SCD和TDT患者，成为全球首款获批上市的CRISPR基因编辑疗法。（详见澎湃科技报道：《追问 | 批准不意味着获得，全球首个基因编辑疗法在英国获批》）

基因编辑是一种能够比较精确地对生物体基因组的特定目标基因进行修饰的基因工程技术，理论上具有“一次治疗，终身治愈”的潜力。但由于它是一项新兴技术，长期效果仍有待观察，美国食品药品监督管理局（FDA）要求接受DNA基因编辑疗法治疗的患者随访至少15年。

Vertex此次公布的数据显示，在39名随访至少16个月、可评估的SCD患者中，36名在连续12个月内没有发生血管闭塞危象（VOCs），平均无VOC持续时间为27.9个月，最长为54.8个月，38人在12个月内未因VOCs住院。

在52名随访至少16个月、可评估的TDT患者中，49人在连续12个月内无需输血且加权平均血红蛋白水平至少为9 g/dL，患者平均无需输血持续时间为31个月，最长为59.4个月。所有患者在随访期内均无须输血。

参与试验的SCD和TDT患者都报告在身体、情感、社交/家庭和功能健康以及整体健康状况方面的持续改善，这些改善具有临床意义。此外，SCD和TDT患者在骨髓和外周血中BCL11A等位基因的编辑水平随着时间的推移保持稳定，表明长期造血干细胞编辑成功。Casgevy的安全性概况与使用布司他芬进行髓细胞清除和自体造血干细胞移植的安全性一致。

Vertex称，这些长期疗效结果与之前报告的主要和关键次要终点分析一致，该疗法继续显示出具有持久和稳定胎儿血红蛋白（HbF）水平和等位基因编辑的转化性临床益处。

Casgevy是一款自体细胞疗法，它利用CRISPR/Cas9基因编辑系统，在体外对来自患者的造血干细

胞进行编辑，使血红细胞生产高水平的胎儿血红蛋白——一种健康的、携带氧气的血红蛋白。

支持Casgevy在英国获批的临床试验显示，在针对SCD的试验中，29名参与试验时间足够长、有资格进行主要疗效中期分析的患者中，有28人在治疗12个月内没有出现严重疼痛；在针对TDT的试验中，42名参与试验时间足够长、有资格进行主要疗效中期分析的患者中，39人在治疗至少一年内不需要输血，另外3人的输血需求减少70%以上。

在MHRA批准该药物上市后，美国FDA于2023年12月与2024年1月先后批准Casgevy用于治疗SCD和TDT患者（详见澎湃新闻报道：《FDA批准首款CRISPR基因编辑疗法，为下一代技术奠定基础》）。据Vertex 2024年第一季度财报，该疗法还进入了欧盟、沙特阿拉伯、巴林王国市场，截至2024年4月中旬，Vertex已在全球激活超过25个授权治疗中心，所有地区的多名患者已开始细胞采集。

（原题：最长随访时间超5年，全球首款基因编辑疗法公布长期数据）

作者：曹年润 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