

镰状细胞病碱基编辑疗法数据公布，仍需随访验证安全有效

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/30759.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！

镰状细胞病碱基编辑疗法数据公布，仍需随访验证安全有效。· 投资银行William Blair的分析师团队表示，他们相信BEAM-101有望作为镰状细胞的下一代基因疗法在市场上占据一席之地。考虑到早期进入该市场的公司所树立的监管先例，William Blair预计Beam需要对目前参加I/II期试验的35名患者进行大约15个月的跟踪，然后才能开始监管讨论。

当地时间2024年12月7日，碱基编辑明星公司Beam Therapeutics (BEAM.US) 在美国血液学会 (ASH) 年会上宣布碱基编辑疗法BEAM-101治疗镰状细胞病 (sickle cell disease, SCD) 的I/II期临床试验的新数据：7名接受BEAM-101治疗的严重镰状细胞病患者胎儿血红蛋白表达超过60%，镰状血红蛋白表达不到40%——类似于没有患病的镰状特征携带者。所有7例患者的贫血均得到解决。

据Beam的新闻稿，迄今为止，超过35名患者已通过筛查并参加了I/II期临床试验，其中11名患者已接受BEAM-101给药。截至2024年10月28日，共有7名严重SCD患者接受了BEAM-101治疗，并被纳入安全性和有效性分析，随访时间为1至11个月。生物医药行业媒体Endpoints News评论称：“数据还为时过早。”

镰状细胞病是一种由遗传突变引起的疾病，异常的血红蛋白使患者的红细胞变得容易连接在一起，将红细胞从正常的柔性圆形转变成坚硬的月牙形，犹如镰刀状。这些畸形细胞会堵塞血管，导致血管闭塞、损伤血管壁，造成威胁生命的血栓。据美国疾病控制与预防中心 (CDC) 数据，镰状细胞病影响着全世界数百万人，在祖先来自撒哈拉以南非洲的人中尤为常见。CDC估计美国镰状细胞病患者约10万人。

基因编辑是一种新兴的、能够比较精确地对生物体基因组特定目标基因进行修饰的基因工程技术。2023年11月和12月，由美国大型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CRISPR/Cas9基因编辑疗法Casgevy先后在英国和美国获批上市，英国药品和医疗保健产品管理局 (MHRA) 批准其用于治疗镰状细胞病和输血依赖性 β -地中海贫血，美国食品药品监督管理局 (FDA) 批准其用于治疗镰状细胞病。

碱基编辑被认为是新一代基因编辑技术，由美国麻省理工学院和哈佛大学博德研究所 (Broad Institute of MIT and Harvard) 的刘如谦 (David Liu) 团队开发，他们改进了传统的CRISPR/Cas9系统，可修改DNA中的单个碱基，而不像其他基因编辑方法那样通过切断DNA的双链来引发细胞的自我修复，因此可以对基因进行非常精确的编辑。

Beam由刘如谦和基因编辑先驱、同在博德研究所的张锋等人于2017年共同创立。据官网信息，该公司已建立一条包含十余个在研项目的产品管线，针对的适应症包括β-地中海贫血、镰状细胞贫血症，急性淋巴细胞白血病（ALL）、急性髓系白血病（AML）、糖原贮积病等。Beam首席执行官约翰·埃文斯（John Evans）近日在接受采访时表示，该公司已获得美国FDA的批准，将前述研究范围扩大到包括青少年。

2024年11月，Beam透露，该研究中的一名患者死于呼吸衰竭，公司称，其死因可能与用于清除骨髓并在重新输注时为编辑后的细胞腾出空间的化疗调节有关。强烈的化疗调节还伴随着其他严重的副作用，包括溃疡和不孕症。数据安全监测委员会和FDA审查了此次死亡事件，并已允许Beam公司在不改变现有研究方案的情况下继续进行该临床试验。Beam已经开启了无遗传毒性预处理计划。

投资银行William Blair的分析师团队表示，他们相信BEAM-101有望作为镰状细胞的下一代基因疗法在市场上占据一席之地。考虑到早期进入该市场的公司所树立的监管先例，William Blair预计Beam需要对目前参加I/II期试验的35名患者进行大约15个月的跟踪，然后才能开始监管讨论。

在国内，正序（上海）生物科技有限公司（以下简称“正序生物”）自主研发的碱基编辑药物“CS-101注射液”进展较快，2024年4月2日，该药物获得国家药品监督管理局（NMPA）的临床试验默示许可。据正序生物官网，CS-101注射液正在Ⅰ期临床试验中。

参考资料：

- 1.<https://www.biospace.com/business/patient-death-taints-otherwise-positive-data-for-beams-sickle-cell-gene-therapy>
- 2.<https://endpts.com/ash24-beam-shares-results-from-seven-patients-who-received-gene-edited-sickle-cell-therapy/>
- 3.<https://investors.beamtx.com/news-releases/news-release-details/beam-therapeutics-announces-new-data-beacon-phase-12-clinical>

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