
自主创新药研究获国际机构认定 有望助力罕见病治疗

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/31071.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！

自主创新药研究获国际机构认定 有望助力罕见病治疗。近日，中国科学院院士、杭州医学研究所研究员谭蔚泓领衔，研究员刘湘圣、谢斯滔等组成的团队与杭州医学所眼科研究中心、温州医科大学教授吴文灿团队联合研发的创新药物——核酸适体偶联药物（ApDC）成功获得美国食品药品监督管理局（FDA）孤儿药认定。这是全球首个获得FDA孤儿药认定的核酸适体偶联药物。这不仅是中国科研团队的重要突破，也有可能为全球眼部肿瘤罕见病患者带来全新的治疗希望。

孤儿药是指专门用来治疗罕见病的药物。美国FDA专门设立的孤儿药认定机制，对孤儿药的研发提供一系列政策支持如加快审批、税收减免等。此次ApDC获得FDA孤儿药认定，不仅意味着它的疗效和安全性等科学价值得到了权威机构的认可，还将极大地推动它的临床转化。

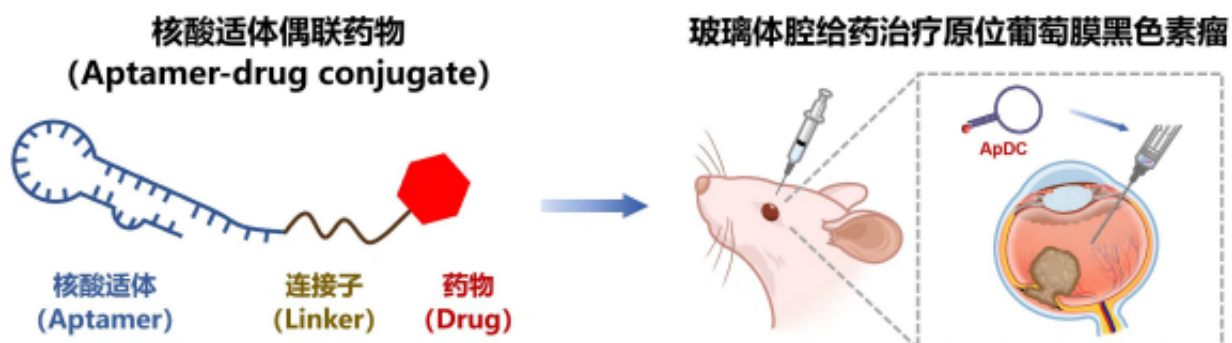
葡萄膜黑色素瘤发病部位位于眼睛的葡萄膜，是不常见却极为凶险的眼部肿瘤。葡萄膜黑色素瘤早期症状往往不明显，确诊时许多患者已进入晚期。更严重的是，这种肿瘤极易通过血液扩散，尤其是转移到肝脏，一旦发生转移，患者的平均生存期不足一年。

目前，全球针对原发性葡萄膜黑色素瘤的治疗主要依赖手术、放疗等传统方式，尽管在短期内能够一定程度上控制病情，但这些疗法常对眼组织造成不可逆损伤，严重时甚至导致失明，且难以有效防止肿瘤转移的发生。

此次研发的ApDC药物正是针对这一需求的突破性创新药物。作为智慧型药物，ApDC堪称眼癌治疗领域的黑科技，针对眼部罕见的恶性葡萄膜黑色素瘤、肝转移肿瘤等疾病，能够精准攻击癌细胞，副作用少，安全性高。

它的创新点在于使用核酸适体这一靶向分子，精准锁定癌细胞并释放药物，毒性药物作为子弹头，一旦找到目标，携带的药物便被精准释放到肿瘤细胞中，从内部摧毁癌细胞，减少对健康组织的伤害，实现更高效、更安全的治疗效果。

团队的大量动物实验研究结果表明，研发的这款ApDC药物不仅能够高效抑制眼原位肿瘤生长，还能显著降低肝、肺、骨及脑部的肿瘤转移风险，展现出非常优异的抗肿瘤效果。研发团队负责人介绍，下一步我们将推进临床试验，争取早日投入实际应用，为更多患者带来生命的转机。

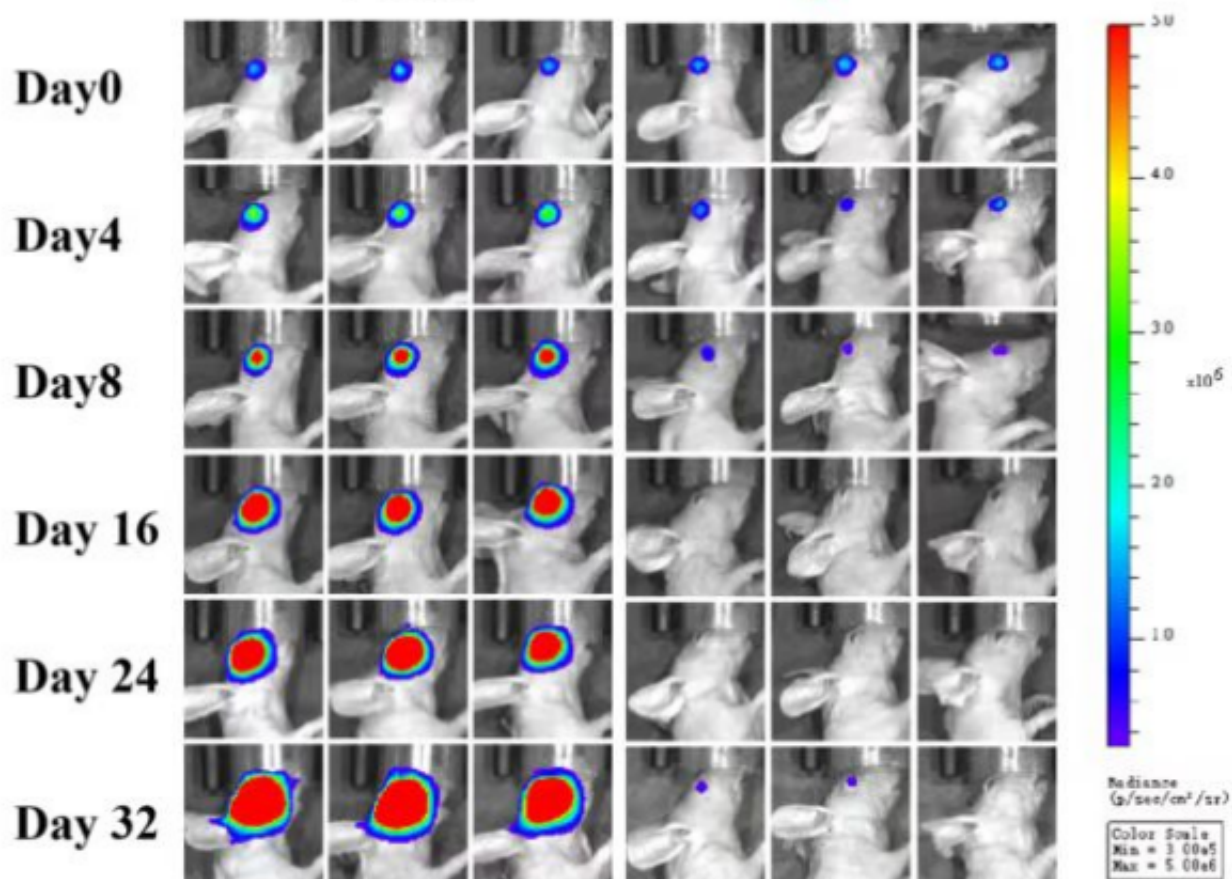


?

显著抑制肿瘤生长

对照

ApDC



未发表数据

?

来源：中国科学院杭州医学研究所

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