

---

# 达雷妥尤单抗治疗儿童复发难治性ITP安全可靠

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/33590.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！**

达雷妥尤单抗治疗儿童复发难治性ITP安全可靠。5月28日，中国医学科学院血液病医院（中国医学科学院血液学研究所）研究员张磊团队在《新英格兰医学杂志》期刊在线发表的一项研究发现，达雷妥尤单抗治疗儿童复发/难治性免疫性血小板减少症（ITP）安全可靠，同时兼具起效迅速和疗效持久的双重优势，为该类疾病的治疗提供了突破性的创新策略。

ITP是一种自身免疫性疾病，其特征是抗体介导的血小板破坏和血小板生成不足，导致出血风险增加。

数据显示，ITP在儿童中的年发病率约为1.9-6.4/10万，是儿童获得性血小板减少症最常见的原因。尽管多数儿童患者可实现无治疗或治疗后自发缓解，但仍有部分患儿因反复复发而需要通过利妥昔单抗、血小板生成素受体激动剂、脾切除以及免疫抑制剂等进行二线治疗。

由于儿童前瞻性临床试验的证据缺乏，选择合适的二线治疗方案仍然具有很大挑战性。CD38单抗在成人ITP治疗中展现出良好的疗效和安全性，但针对儿童患者的临床研究证据仍较为匮乏。

据悉，该研究是一项开放标签、单臂、2期临床试验，共纳入20例既往已接受过指南规定的标准ITP一线糖皮质激素治疗失败（无效，或疗效不能维持，或复发），且已接受过指南规定的至少一种ITP二线治疗失败的持续性或慢性儿童ITP患者。入组患者接受达雷妥尤单抗治疗，剂量为16 mg/kg，每周1次，共8次，主要目的是评估达雷妥尤单抗治疗儿童复发/难治性ITP的安全性和有效性。

研究结果显示，达雷妥尤单抗治疗儿童复发/难治性ITP安全性良好。最常见的治疗相关不良事件包括输液相关反应（35%）和上呼吸道感染（30%），多为1级或2级。最常见的输液相关反应包括皮疹（15%），其次是咽部不适（10%）和呕吐（10%）等。输液反应均限于首次输液时发生，通过降低输液速度及暂停输液，或者使用抗过敏药物（如糖皮质激素），可得到有效控制。有1例患儿发生了3级不良事件，为支原体感染所致的肺炎，经及时治疗后康复。

在疗效方面，达雷妥尤单抗治疗儿童复发/难治性ITP起效迅速且疗效持久。8周治疗期内，共有90%的患者达到了血小板计数  $50 \times 10^9/L$ ，且首次血小板计数  $50 \times 10^9/L$ 的中位时间仅为1周。亚组分析显示，在既往利妥昔单抗治疗失败或复发的患者中，8周治疗期内仍有高达86%的患者实现了血小板计数  $50 \times 10^9/L$ 。在整个24周研究期间，达到血小板计数  $30 \times 10^9/L$ 和  $50 \times 10^9/L$ 的中位累积缓解持续时间分别为20.5周和19周。至第24周时，50%的患者维持了持续应答，与现有二线治疗方案相当。

---

据悉，该研究首次在儿童复发/难治性ITP中前瞻性地评估了达雷妥尤单抗的安全性和疗效，发现其兼具早期高反应率、快速起效和持久应答等多重优势，且安全性良好，为CD38单抗在儿童ITP治疗领域中的应用提供了循证学依据，也为未来的研究和临床实践提供了重要方向。这一新型治疗手段的推广和普及有望为儿童ITP患者的治疗模式带来突破性变革。（来源：中国科学报 张思玮）

相关论文信息：<https://doi.org/10.1056/NEJMc2501527>

作者：张磊等 来源：《新英格兰医学杂志》

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