
原发性胆汁性胆管炎开启“双重获益”治疗新篇章

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/37475.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！

原发性胆汁性胆管炎开启“双重获益”治疗新篇章

。“原发性胆汁性胆管炎（PBC）如果得不到及时治疗或对现有治疗效果不佳，疾病可能进一步进展至肝硬化并出现其他并发症，最终导致肝功能衰竭。此外，瘙痒是PBC患者最常见的症状之一，70%的患者受到不同程度瘙痒的困扰，严重影响睡眠、情绪状态及日常生活，使患者长期承受身心双重压力。”上海交通大学医学院附属瑞金医院感染科主任谢青教授表示，PBC是一种自身免疫性肝病，这一疾病使人体免疫失调，破坏胆管上皮细胞，从而导致胆汁淤积，造成肝脏炎症和纤维化。

近年来，原发性胆汁性胆管炎在全球和中国的患病率均呈现上升趋势，严重影响患者的日常生活。

数据显示，中国PBC患病率为20.5/10万，在亚洲位居第二。该病好发于中老年女性，男女比例约为1:9。谢青指出，随着诊断水平提升以及临床医生关注度提高，越来越多的PBC患者在肝功能生化指标的常规体检中被发现，但目前我国尚缺乏基于全国人群的大规模流行病学调查数据，实际发病率可能仍被低估。

利好的消息是，12月22日，治疗PBC药物Seladelpar在海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区正式获批，适用于与熊去氧胆酸（UDCA）联合治疗对UDCA单药应答不佳的PBC成人患者，或作为单药用于治疗无法耐受UDCA的PBC成人患者，为我国PBC患者提供了全新的治疗选择。

据悉，Seladelpar是全球首个获批用于治疗原发性胆汁性胆管炎的强效选择性过氧化物酶体增殖物激活受体 δ （PPAR δ ）激动剂。谢青表示，PBC已被纳入我国《第二批罕见病目录》，此次Seladelpar在博鳌乐城的快速获批，体现了我国在提升罕见病创新药可及性，积极满足临床未尽需求方面的持续努力，为PBC患者带来了切实的治疗希望。

患者陷入双重困境

长期以来，以熊去氧胆酸（UDCA）为主的一线治疗方案难以满足患者的治疗需求，近40%的患者应答不佳，这部分患者疾病进展风险高，可以进展为失代偿期肝硬化、肝衰竭，甚至需要肝移植治疗。与此同时，传统治疗对瘙痒症状改善有限，患者往往陷入“疾病进展”与“生活质量下降”的双重困境。

谢青指出，“作为过氧化物酶体增殖激活受体 δ （PPAR δ ）激动剂，Seladelpar可靶向多种原发

性胆汁性胆管炎相关细胞和疾病过程，有效改善胆汁淤积、减轻肝脏炎症和纤维化，并改善患者的瘙痒症状和预后，真正为患者带来‘双重获益’。”

多项国际临床研究证实，Seladelpar对于降低碱性磷酸酶（ALP）等关键生化指标具有积极作用，同时其安全性和耐受性良好，能够改善患者的瘙痒症状，尤其是中重度的瘙痒。

2024年发表于《新英格兰医学杂志》的III期随机对照试验显示，接受Seladelpar治疗12个月后，61.7%的患者达到主要生化应答终点，碱性磷酸酶（ALP）复常率达25%。特别是对基线伴有中重度瘙痒的患者，该药物可显著减轻其瘙痒症状。

加速罕见病创新药可及性

据悉，在此次批准之前，Seladelpar已于2025年8月通过北京临床急需进口政策正式获批进入天竺罕见病药品保障先行区。

海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区管理局局长傅晟表示，“乐城先行区作为中国唯一的‘医疗特区’，致力于加速引进全球领先的创新药械和前疗法，满足人民群众多元化、高品质的健康需求。依托‘先行先试’特许政策，乐城已引进超530款国际创新药械，基本实现医疗技术、装备、药品与国际先进水平‘三同步’。此次Seladelpar在乐城的顺利获批，正是‘先行先试’政策惠及患者的生动体现，为PBC患者带来了新的希望。”

吉利德科学全球副总裁、中国区总经理金方千表示，“Seladelpar在乐城的获批，不仅是吉利德在肝病领域的重要进展，更代表着‘先行先试’政策赋能临床急需的生动实践。我们期待，未来更多PBC患者能受益于‘先行先试’所带来的全球创新疗法同步可及，第一时间享受到全球顶尖的医疗创新成果，重获健康、高质量的生活。”

作者：张思玮 来源：中国科学报

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