全球首个针对耳聋的基因疗法在美获批

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：https://www.iikx.com/news/progress/39474.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！

全球首个针对耳聋的基因疗法在美获批
。据《科学》报道，全球首个针对耳聋的基因疗法近日获得美国食品和药物管理局批准。

该疗法由美国生物技术公司再生元研发，针对由OTOF基因遗传突变引起的听力损失。该基因编码的otoferlin蛋白能使内耳毛细胞感知声音并将将其传递给大脑。患者接受一次性耳部注射，注射液中含有携带有效OTOF基因拷贝的病毒载体。

在一项临床试验中，最初接受这种疗法的12名失聪儿童中有9人的听力有所改善，恢复到可以停止使用人工耳蜗的程度；其中3人最终恢复了正常听力。尽管许多基因疗法费用高达100万美元以上，但再生元公司表示，这一名为Otarmeni的疗法在美国将是免费的。

美国礼来公司与中国研究人员也在针对OTOF基因突变开发基因疗法，这类突变占遗传性耳聋病例的3%。一个中美联合研究团队近日在《自然》发表论文称，在24名患者（包括成年人）中，部分患者的听力改善效果已持续超过两年。

研究人员最终希望也能够治疗其他类型的遗传性耳聋，但这些尝试面临着更多挑战。例如，某些时候可能需要再生已丢失的毛细胞；而在其他情况下，如果靶向错误的细胞类型，可能会损害听力。

作者：文乐乐 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转发