

遗传性血液病治疗有望开辟新路径

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/39492.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！

遗传性血液病治疗有望开辟新路径

。记者28日从广西医科大学获悉，该校第一附属医院地贫防治团队，联合上海科技大学、复旦大学及正序生物，通过碱基编辑疗法，治愈了5名地中海贫血患者。相关临床应用成果发表于国际期刊《自然》。

nature

Explore content ▾

About the journal ▾

Publish with us ▾

Subscribe

[nature](#) > [articles](#) > [article](#)

Article | Published: 08 April 2026

Clinical application of base editing for treating β -thalassaemia

[Yongrong Lai](#) , [Rongrong Liu](#), [Lijie Wang](#), [Xu-Kai Ma](#), [Yaliang Li](#), [Gaohui Yang](#), [Lingling Shi](#), [Yi-Lin Guo](#), [Zhenbin Wei](#), [Xuemei Zhou](#), [Wenchao Xu](#), [Yaofeng Hou](#), [Annarita Miccio](#), [Bei Yang](#), [Xiaodun Mou](#) , [Li Yang](#)  & [Jia Chen](#) 

[Nature](#) (2026) | [Cite this article](#)

Abstract

β -Thalassaemia is caused by reduced or absent production of β -haemoglobin^{1,2,3,4}.

Previously, we performed laboratory-scale electroporation of CD34⁺ haematopoietic stem

论文发表页面截图

地中海贫血是一种先天性遗传性血液疾病。国家卫生健康委员会地中海贫血防治重点实验室（共建）副主任、广西医科大学地中海贫血防治研究所副所长赖永榕介绍，目前，异基因造血干细胞

移植虽是公认的根治手段，但受年龄限制大、并发症风险高，临床应用存在明显局限。

基因编辑技术的突破，为地贫治愈打开了新大门。2023年，广西医科大学第一附属医院启动这项我国自主研发、世界首创的碱基编辑疗法临床试验，依托CS-101注射液开展长达3年的临床研究。“我们先提取患者自身造血干细胞，在体外对目标基因区域进行精准的单碱基编辑，重新激活目标珠蛋白，再将编辑完成的造血干细胞回输患者体内，帮助其重建正常的造血功能。”赖永榕解释。

试验结果显示，5名β-地中海贫血患者接受单次编辑后的造血干细胞输注后，造血功能迅速重建，中性粒细胞植入中位时间仅16天，总血红蛋白恢复正常水平，均成功摆脱输血依赖，中位随访23个月未发生严重不良反应。《自然》审稿人评价该疗法的疗效和安全性为体外编辑造血干细胞治疗β-地中海贫血设定了“新高水位”。

“这一成果，为遗传性血液病治愈开辟了新路径，也为肿瘤等重大疾病防治提供了重要参考。”国家卫生健康委员会地中海贫血防治重点实验室（共建）副主任、广西医科大学第一附属医院血液内科副主任刘容容表示。

作者：刘昊 何阳 来源：?科技日报

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