

---

# 仅需单次输注，全新基因疗法大幅降低“坏”胆固醇

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/40049.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！*

仅需单次输注，全新基因疗法大幅降低“坏”胆固醇

。科技日报北京6月2日电（记者刘霞）一项由英国伦敦大学学院科学家参与的研究带来惊喜：数名患者接受了一种全新的基因编辑疗法，仅需单次输注，便能大幅降低“坏”胆固醇。这一进展凸显出该疗法作为高胆固醇“一次性”解决方案的巨大潜力，有望让病人告别长期用药，从而显著降低心脏病风险。早期试验结果发表于新一期《新英格兰医学杂志》。



---

图片来源：物理学家组织网

心脏病发作和中风背后的元凶，往往就是高水平的“坏”胆固醇——低密度脂蛋白（LDL）胆固醇。多达一半的患者在开始用药后一年内，便因种种原因停药，有些人则因副作用而却步。

此次研究的主角，是一种名为VERVE-102的新疗法。它仅通过一次性静脉输注，便能精准关闭指导肝脏生成PCSK9蛋白的基因。这种PCSK9蛋白平常会阻碍机体清除血液中的LDL胆固醇。而那些天生携带该基因失活版本的人，一生胆固醇水平都很低，患心脏病的风险也远低于常人。新疗法旨在借由一次治疗，复刻这份天然的“护身符”。

试验共纳入35名患有遗传性高胆固醇血症或早发冠状动脉疾病的成年患者。结果显示：在最高剂量下，该疗法将LDL胆固醇水平降低了62%。部分参与者接受了长达18个月的随访，降脂效果依然持续。最高剂量组并未出现严重副作用，仅有少数受试者出现轻微的输注反应，以及一过性的肝功能指标轻微波动。

作者：刘霞 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