

中国泛癌种早筛早诊队列 PANDA 研究启动

● 本报记者 张思玮

11月1日,北京大学医学部与诺辉健康联合启动了泛癌种早筛早诊队列 PANDA 研究项目,并为联合实验室揭牌。据悉,该项目是全球首个覆盖 DNA、RNA 和蛋白质全维度以实现液体活检泛癌种筛查和早期诊断的突破式创新。研究通过对血浆游离 DNA、RNA 和蛋白质的大规模鉴定,发现具备高诊断性能的癌症诊断标志物,结合大数据挖掘和机器学习,开发能够早期诊断中国高发癌症的检测技术和算法。

中国工程院院士、北京大学常务副校长乔杰担任 PANDA 项目主要研究者,北京大学医学部作为牵头单位,联合其附属 10 家三甲医院,通过大队列人群研究以验证基于多组学分子标志物的液体活检泛癌种早筛早诊技术,覆盖包括肺癌、结直肠癌、胃癌、肝癌、宫颈癌、乳腺癌、食管癌、前列腺癌等 20 多种中国高发癌症,其中 15 种癌症在国际或国内临床指南中尚无明确有效的筛查手段。

据悉,该项目计划 6 年完成,总投入预计超过 2 亿元,纳入 5 万名受试者。研究计划分为 4 个阶段:首期算法模型建立阶段(PANDA-1)回顾性入组 7500

人;模型优化定型阶段(PANDA-2)回顾性入组 5000 人;模型独立验证阶段(PANDA-3)前瞻性入组 1.75 万人;真实世界队列研究阶段(PANDA-4)入组 2 万人。

目前,美国主流泛癌种早筛早诊研究集中在

血浆游离 DNA 甲基化,其片段大小和末端序列的核心专利技术被 Grail、Exact Sciences 和 Guardant Health 等国际公司掌控。PANDA 研究项目基于 STAR-seq 技术平台,以跨越式创新突破现有技术瓶颈,大幅提升泛癌种筛查和早期诊断的灵敏度,以期真实世界的临床需求提供更可靠的解决方案。

据了解,STAR-seq 是诺辉健康自主研发的 cfRNA (cell-free RNA) 和 ctDNA (circulating tumor DNA) 片段组学技术,在前期探索性研究中已经表现出优越的检测性能和对早期癌症筛查和早期诊断的高灵敏度。

“我们相信此次中国泛癌种早筛早



联合实验室揭牌。

主办方供图

诊队列 PANDA 研究项目一定能够助力健康中国行动,助力国家加快构建新发展格局,推动高质量发展。”乔杰表示,PANDA 项目将建设国际一流水平的联合实验室,打造一支研发国家队,开展扎实严谨的临床试验,推动中国早日实现高发癌症的可防可治。

“如果把肿瘤早筛早诊的研发比喻为登山比赛,一管血实现多个高发癌症的早筛早诊就是全球研究者攻坚的‘珠穆朗玛’。当其他同行集中于血浆游离 DNA 甲基化探索的时候,我们将和北大医学部开辟新的方向。我们有信心加入这场比赛,并对登顶的时刻充满期待。”诺辉健康董事长兼 CEO 朱叶青表示。

第 33 届长城心脏病学大会举行

本报讯 近日,第 33 届长城心脏病学大会(以下简称长城会)暨亚洲心脏大会以线上形式召开,众多国内外心脏病学领域顶级专家齐聚一堂,为全球数万名心脏病学医生同道献上一场学术盛宴。

同济大学附属东方医院陈义汉院士认为,长城会同步引进国际心脏病学领域的最新知识和理念、最先进的技术和方法,为中国人民的健康福祉作出了重要贡献。他希望大会能够对中国原创理论突破和技术发明给予更多关注和激励。

北京大学心血管研究所董尔丹院士期望,未来能进一步加强基础临床和转化研究,针对我国心血管疾病危险因素和发病机理的特点,探索中国原创心血管疾病防控研究新模式,减少心血管疾病的发病率、死亡率和疾病负担。

据介绍,在国家卫健委能力建设和继续教育中心的指导下,长城会创建了全国心血管疾病管理能力评估与提升工程(CDQD)。截至目前,国家标准化心血管专病中心建设已在全国 2500 家医院开展,累计建设专病中心 8150 个;创立一周年的心血管创新研究院旨在传导灵感、驱动创新,扮演交流平台、研究机构、创新窗口和转化阵地等多重角色,为我国心血管事业的源头创新提供有力支持;在助力临床研究方面,长城会建立了心血管临床研究联盟,力求为中国心血管临床研究面临的认知不足、经费不足和能力不足问题提供解决方案。

对于心血管领域未来的发展重点,专家们认为,一方面要进一步提高医疗服务质量,另一方面要产出更多高质量的临床研究数据,以更好地指导临床。对于临床研究类型的讨论,专家们指出,学术研究不应当有大小之分。虽然 RCT 研究是高证据级别的研究,最受各大学术期刊青睐,但其他类型研究也能够体现非凡的创新思考和科学的设计,能够指导临床、启发实践。因此,这类研究定会得到学界的认可,并推动心血管临床事业的发展。

(丁思月)

Maralixibat 有望为胆道闭锁患者减少肝移植需要

本报讯 2022 年,中国儿童胆道先天畸形集中治疗中心——首都儿科研究所作为中国区牵头单位和总负责单位开展了 Maralixibat(马昔巴特)治疗胆道闭锁的 II 期全球临床药物试验研究。2022 年 7 月 12 日,首都儿科研究所率先启动该项临床试验,在普通(新生儿)外科完成首例患儿给药,8 月完成第二例入组,目前入组患儿用药进展顺利。

据悉,该研究是一项全球多中心、随机、双盲、安慰剂对照的 II 期临床试验研究,包括 26 周随机对照治疗和 78 周开放性扩展期,目前在北美、欧洲和亚洲(包括中国)多个研究中心开展。该研究预计在中国招募 75 例患者,旨在评价 Maralixibat 治疗葛西手术后胆道闭锁患者的有效性和安全性。

胆道闭锁是一种以肝内外胆管进行性纤维化梗阻为特点的,特发于新生儿的肝胆疾病,表现为黄疸、陶土便、茶色尿、肝大等。胆道闭锁的病因和发病机制尚不明确,可能与多因素相关,亚洲人发病率约为 1/5000~1/10000。该病导致胆汁淤积性肝损伤、进行性肝纤维化直至肝硬化,进而引起门静脉高压和肝衰竭,最终可能需要进行肝移植。胆道闭锁的标准治疗是先行葛西手术干预,使术后患儿黄疸指标达到正常,以此延长自体肝的生存时间。

Maralixibat 口服溶液是一种回肠胆汁酸转运蛋白(IBAT)抑制剂,通过抑制顶端钠依赖性胆汁酸转运体(ASBT),使更多胆汁酸在粪便中排出,导致胆汁酸水平降低,从而潜在地

减少胆汁酸介导的肝损伤及相关影响和并发症。

Maralixibat 治疗可显著减少瘙痒、胆汁淤积、黄疸(使皮肤下胆固醇沉积变形),改善患者生活质量。同时,该药物已经获得美国食品药品监督管理局(FDA)批准用于治疗一岁以上的阿拉杰里综合征(ALGS)患者的胆汁淤积性瘙痒症,也是唯一获得 FDA 批准的治疗与阿拉杰里综合征相关的胆汁淤积性瘙痒症的药物。

目前,该药物正在其他罕见胆汁淤积性肝病的前期临床研究中进行评估,包括进行性家族性肝内胆胆汁淤积症和胆道闭锁。该药物为胆道闭锁患儿提供了一个有意义的治疗方案,最终有望减少肝移植的需要。(陈祎琪)