

## 我国首个遗传病基因治疗产品获批上市

## 从“终身输注”到“一针治愈”，血友病 B 患者有了新选择

**本报讯** 近日，中国国家药品监督管理局(NMPA)批准波哌达可基注射液的上市申请，用于中重度血友病 B (先天性凝血因子 IX 缺乏症)成年患者的治疗。据悉，这是亚洲首款、全球第三款血友病 B 基因治疗药物。

从“终身输注”到“一针治愈”，这背后是中国医学科学院血液病医院张磊教授团队与华东理工大学肖啸教授团队长达 6 年的“临床科研长跑”。

## 传统治疗患者终身接受静脉注射

血友病 B 是一种由凝血因子 IX (FIX) 缺乏或缺陷引起的遗传性出血性疾病。长期以来，患者主要依赖凝血酶原复合物(PCC)或 FIX 替代治疗，需终身频繁接受静脉注射。

“这种传统治疗方法不仅给患者带来极大的身体痛苦和生活不便，还伴随着感染、血栓等风险，同时高昂的治疗费用也让患者家庭背负沉重的经济负

担。”张磊说，基因治疗因其“单次给药、长期缓解”的潜力，被视为改变疾病治疗范式的革命性突破。

然而，国际已上市的两款血友病 B 基因治疗药物(Hemgenix、EtranaDez)缺乏中国人群数据，且定价高昂，难以惠及中国患者。

鉴于此，张磊团队与肖啸团队联手准备启动亚洲首个肝脏靶向腺相关病毒(AAV)载体血友病 B 基因治疗临床试验。此前，肖啸团队深耕 AAV 载体研发 30 年，其团队开发的 BBM-H901 采用自主研发的嗜肝性 AAV 衣壳，能将优化后的 FIX 基因精准递送至肝脏，实现长期表达。张磊团队自 2019 年已经成功牵头开展国内首个血友病 B 基因治疗研究者发起的临床试验(IIT)。

虽然血友病基因治疗的潜力巨大，但血友病基因治疗的试验之路并不平坦。

而上述产品首次进入临床研究阶段，尚无中国人群数据，患者对基因治

疗缺乏了解，对于安全性的顾虑也切实存在。最终，在充分征得知情同意后，该临床研究成功纳入了 10 名中重型血友病 B 患者。

## 单次给药实现治疗革命性变革

初步研究结果显示，随访 58 周，10 例患者年化出血率降低 96%，90% 的患者彻底摆脱凝血因子输注。

基于 IIT 的卓越数据，BBM-H901 于 2021 年获 NMPA 批准进入注册临床，2022 年 8 月被国家药品监督管理局药品评审中心纳入突破性治疗品种并获快速审评资格，2024 年长期随访数据亮相国际血栓和止血学会以及美国血液学年会，受试者给药 2.5 年后仍维持稳定疗效，FIX 活性均值达 38.2%，无与治疗相关的严重不良事件。

2022 年，上述研究数据登上《柳叶刀-血液病学》。这项血友病基因治疗成果入选“2022 中国十大医学科技新闻”和

“2022 中国血液学十大研究进展”。

据了解，该药物采用工程化改造的嗜肝性 rAAV 载体，可将含优化的人 FIX 基因递送到患者的肝脏细胞内，利用宿主细胞基因转录系统持续表达人 FIX，并将其分泌到血液中，发挥促凝血活性。

张磊表示：“传统疗法需要患者频繁进行静脉注射，且因子水平会随着外源性凝血因子的半衰期而波动，部分患者还会面临产生抑制物的风险。波哌达可基注射液的获批为血友病患者带来了革命性的希望。患者通过接受单次给药，有望摆脱终身静脉注射的困境，使血友病的治疗目标进一步提升。”

“BBM-H901 是‘中国智造’基因药物的开端，我们将推动更多罕见病疗法上市。”肖啸说，BBM-H901 的上市不仅为患者带来了更好的治疗方案，也为全球血友病治疗领域开辟了新天地。

(张思玮)

## 江泽飞：中国乳腺癌诊疗正迈向精准化、智能化、均质化

**本报讯** 近日，2025 全国乳腺癌大会在北京召开。本届大会以“科学引领、精准创新、指南发力、中外交流”为主题，邀请国内外肿瘤领域专家，交流学术进展、共话行业发展。

此次大会主席、中国临床肿瘤学会(CSCO)候任理事长江泽飞教授指出，当前，中国乳腺癌诊疗正迈向精准化、智能化、均质化的新阶段，特别是本次大会发布的三大核心成果——《CSCO 乳腺癌诊疗指南 2025》《中国乳腺癌诊疗指南 2025》及 CSCO AI Pro 人工智能辅助决策系统，更是为中国乳腺癌规范化诊疗注入强劲动力。

## 中国智慧融入指南

《CSCO 乳腺癌诊疗指南 2025》继续延续“基于证据、兼顾可及、结合国情”的特色，吸收了国际重要临床研究的最新成果，包括一年来已刊发的重要研究成果，以及欧洲肿瘤内科学会(ESMO)、美国临床肿瘤学会(ASCO)

年会等国际权威肿瘤学术会议发表的最新研究成果。

江泽飞指出，作为中国的指南，更加重视中国学者完成的重要临床研究，如在 PI3K 抑制剂、AKT 抑制剂等方面参与的国际临床研究，我国原研的 Trop-2 抗体药物偶联物(ADC)药物、靶向治疗药物等创新药的临床研究等。

同时，《CSCO 乳腺癌诊疗指南 2025》充分尊重科学依据，切实考虑中国实际情况及中国专家意见，结合药品准入和医保政策予以调整。

“新版指南不仅为临床医生提供‘金标准’，更通过全国巡讲推动规范化诊疗下沉。2025 年计划覆盖全国近 30 个省份乃至东南亚、‘一带一路’等国家和地区，开展百场培训，惠及超万名基层医生。”江泽飞说。

致力于推动中国乳腺癌规范化、同质化诊疗，中国抗癌协会乳腺癌专委会(CBCS)、中国临床肿瘤学会乳腺癌专委会(CSCO BC)和中华医学会外科学

分会乳腺外科学组(CSB&S)共三家学术团体联合编纂《中国乳腺癌诊疗指南 2025》，旨在整合专业力量和学术资源，打造更为全面、权威和实用的乳腺癌临床诊疗指南。

“这一指南的发布标志着中国乳腺癌诊疗从‘疾病治疗’向‘健康管理’的跨越，未来将与国际指南互补，形成中国特色方案。”复旦大学附属肿瘤医院吴昊教授说。

“抗击乳腺癌的道路任重道远。但每当看到治愈的早期乳腺癌患者重返工作岗位、晚期患者重拾生活尊严，我们就更加坚信，这部凝聚中国智慧的指南，终将成为照亮无数生命的火炬。”北京大学第一医院刘荫华教授表示。

## AI 提升乳腺健康管理水平

特别值得一提的是，4 月 12 日，全新升级的 CSCO AI Pro 正式推出。该系统在原有功能基础上实现三大突破。第一，系统全新升级。引入蚂蚁健

康的医疗大模型平台及 10 亿用户生态支持，构建覆盖“预防—诊疗—康复”全周期的乳腺健康管理生态。

第二，智能决策升级。医生端推出“病例智能会诊建议”与“True Evidence 智能循证分析”功能，为临床医生提供实时决策支持。

第三，用户精准服务。通过蚂蚁健康、海心健康等平台，为 8 亿适龄女性提供风险筛查、结节管理及乳腺癌术后支持等全链路服务，实现“家门口”的精准健康管理。

据悉，该系统已服务超 50 万患者，智能决策与指南符合率达 95.8%，显著提升诊疗效率与患者生存质量。

从单癌种到多癌种，从智能工具到生态网络，江泽飞表示：“CSCO AI Pro 通过动态知识迭代与跨平台协同，将顶尖医疗能力下沉至县域及基层，让技术突破时空限制、资源跨越地域鸿沟，让每一位女性都能享有公平、高效、温暖的健康守护。”

(张思玮)