

国内首个脊髓性肌萎缩症全身基因治疗药物 IND 研究正式启动

2022年10月31日，由复旦大学附属儿科医院王艺教授领衔的“一项在1型脊髓性肌萎缩患者中评估静脉注射 EXG001-307 后的安全性和有效性的多中心、单臂、非随机、开放性临床试验（方案号：EXG001-307-102）”项目正式启动。



目前，国内已上市的脊髓性肌萎缩症（SMA）靶向治疗药物有两种，即反义寡核苷酸药物和小分子药物，基因替代治疗药物尚未在中国上市使用，且价格昂贵。

由杭州嘉因生物自主研发的 EXG001-307 是新一代治疗 SMA 的基因替代治疗药物，有望提供有效、安全且经济的新型治疗药物。



该临床试验项目集结了复旦大学附属儿科医院包括**神经科、康复科、免疫科、心内科、肝病科、呼吸科、检验科、重症医学科、临床药学部、医务科等 10 个学科 23 名专家和 4 名研究护士**。项目启动会对所有成员进行全面培训，包括研究方案、GCP 培训，同时也讨论了项目实施细则和招募方案。**本研究也将与美儿 SMA 关爱中心合作，积极开展受试者招募和筛选，以及 SMA 治疗研究的全程化管理。**

复旦儿科 SMA 多学科团队也参加过小分子药物的国际多中心的研究，由此锻造了一支具备国际临床研究水平和能力的团队，同时在国内牵头成立中国 SMA 诊治中心联盟（覆盖全国 74 家医疗机构），大力推进我国 SMA 多学科管理与合作交流；积极致力于推动 SMA 靶向治疗药物在国内的上市后临床研究。为本次开展 IND 研究打下了坚实基础。

复旦大学附属儿科医院院长黄国英教授在启动会上表示，杭州嘉因生物的 EXG001-307 项目启动具有里程碑的意义，预祝项目在 PI 王艺教授的带领下，在 MTD 团队的通力合作下，顺利开展！