

复旦团队基因治疗成果发布 5名聋哑患儿 双耳听力明显恢复

健康时报记者 刘玫妍 尹薇

6月5日,《自然医学》杂志发表全球首个先天性耳聋临床试验的双耳基因治疗初步结果:5名聋哑患儿(1~11岁)的双耳听力均得到明显恢复,言语功能和声源定位能力也得到改善。

该项目由复旦大学附属眼耳鼻喉科医院、国家卫健委听觉医学重点实验室的李华伟教授、舒易来教授、王武庆教授团队领衔,联合哈佛大学医学院陈正一教授完成。

舒易来介绍,遗传性耳聋由基因突变引发,OTOF突变患者通常表现为重度、极重度或完全听力损失和言

语障碍。耳聋基因治疗是将基因治疗药物注射到患者双耳,以替代突变的基因正常工作,让患者重获听力。

为验证基因治疗的安全性和有效性,舒易来团队在2022年10月发起患者招募。5位受试者在接受治疗后听觉功能恢复。该研究成果于今年1月发表在国际顶级医学期刊《柳叶刀》上,并被选为封面导读,国际同行称之为“耳聋治疗的范式转变”“标志着基因治疗听觉障碍乃至更广泛疾病的新时代开启”。

在单耳治疗的疗效得到验证后,2023年7月该研究

团队开启双耳治疗。此次试验,该研究团队招募了5例OTOF基因突变导致的双侧先天性听力障碍患儿,给每个孩子的双耳都注射了基因治疗药物。治疗后,患儿双侧听力都得到显著恢复。

“耳聋基因治疗不只针对儿童,针对成年患者的研究也已经启动。”舒易来告诉记者,该项目将继续规范、有序招募患者,特别是成年患者,也将继续随访已经取得效果的患者,规范推进新药临床研究IND审批,预计1~2年可以更广泛地应用到临床,未来还会增加剂量和多中心研究。

医院13.8元,药店140元

同款消炎药价格为何相差近10倍?

健康时报记者 韩金序

“原本只需13.8元就能在医院开到一盒,医院买不到,在药店却要140元。”6月10日,山西省居民邱女士告诉健康时报记者,之前因肺部感染在医院开具的盐酸莫西沙星片(又名拜复乐)即将用完,想要在药店购买,却发现价格竟是医院售价的十倍之多。

记者了解到,目前该药品在北京、杭州等城市均已进入集采,平均每盒价格仅为12至13元。医院执行集

采价格,药店则是自主定价。对医院缺货的问题,生产企业拜耳表示生产链正常,终端销售在经销环节。

“拜复乐需求一直很旺盛。”北京市朝阳区东方康盛大药房(奥园第二分店)工作人员介绍,该药品售价为120元每盒,库存仅剩4盒。“拜复乐进货渠道较为紧张,时有供应中断的情况发生。”

“今年上半年呼吸道疾病患者增多,作为常用治疗

药物拜复乐需求激增,加剧市场短缺现象,价格因此攀升。”中国投资发展促进会大健康产业专委会副主任解奕炯表示。

他指出,针对集采背景下药店与医院间存在的“双轨价格体系”,医疗机构内的药品遵循集中采购或统一采购价,得益于集采制度,价格相对较低。药店在监管范围内享有自主定价权,价格随供需关系、原料成本及中间环节变动而波动。

人工耳蜗有望进入国家集采

健康时报记者 刘静怡

6月6日,国家组织高值医用耗材联合采购办公室发布通知,开展人工耳蜗类医用耗材信息集中维护工作。业界分析,此举意味着人工耳蜗有望进入国家集采。健康时报记者注意到,此前已经纳入国采的人工关节、人工晶体及运动医学等耗材都曾开展过全国信息集中维护工作。

“这是行业的一件大事,如果未来纳入集采,不

仅让儿童患者受益,也能让成年人甚至老年人受益。”北京协和医院耳鼻喉科主任医师蒋子栋告诉记者。人工耳蜗是一种电子装置,将外界的声音信号进行整合处理,再通过植入体内的电极系统直接连接人体的听觉神经,达到“听力补偿”的目的,此前多用于先天性耳聋、继发性耳聋的未成年患者。

蒋子栋表示,由于生活

工作环境的变化、人类寿命的延长等原因,突发性耳聋的成年人及老年人患病人数近年来也在增加,这使得人工耳蜗的应用有了更广泛的趋势。纳入医保或集采之后,人工耳蜗的应用人群也会更多。

国家药监局官网公开的注册信息数据显示,近年来人工耳蜗产品获批数量也整体呈上升趋势,并处于快速发展中。

视觉
VISION
健康

“健康中国摄影大赛”投稿作品展示
更多精彩请扫二维码进入专题



日前,重庆医科大学附属儿童医院胸心外科团队为14月龄患儿进行腋下小切口体外循环下治疗复杂先天性心脏畸形,手术切口仅2.5厘米。 医院供图



日前,海南省肿瘤医院开启无痛舒适化诊疗新模式,不仅能极大缓解患者接受治疗时的心理压力,还能提供无痛、镇静、肌肉松弛等特色诊疗技术。 医院供图



日前,广东省中山市人民医院神经外科一区团队为饱受帕金森病折磨6年多的56岁患者植入全球首个智能可感知脑起搏器。术后第二天患者可下床活动。 医院供图



下肢凉麻可能和多种疾病相关,北京潞河医院开设下肢凉麻多学科(MDT)门诊,由血管外科、神经内科、骨科、介入疼痛科等各相关科室专家集中出诊。 医院供图