

儿童生长激素缺乏症治疗新选择 ——怡培生长激素注射液获批上市

文 / 国家癌症中心/国家肿瘤临床医学研究中心/中国医学科学院北京协和医学院肿瘤医院 贺飞

2025年5月29日,国家药品监督管理局官方网站发布通知,批准怡培生长激素注射液上市。该药物适用于治疗3岁及以上儿童的生长激素缺乏症所致的生长缓慢。作为长效制剂,怡培生长激素注射液只需每周给药一次,显著降低了患儿的用药频次,为生长激素缺乏症患儿提供了全新的治疗选择。

一、生长激素缺乏症的关注人群

在当今社会,家长的健康意识日益增强,许多家长开始关注孩子的身高问题,人生长激素也因此备受瞩目。要了解生长激素,需先认识“垂体”这一重要器官。垂体位于大脑底部,是人体内重要的内分泌腺体,分为前叶(腺垂体)和后叶(神经垂体)两部分,各部分分泌独特的激素,参与调节多种生理功能。

生长激素是由垂体前叶合成和分泌的一种肽类激素。生长激素可刺激肝脏产生胰岛素样生长因子-1(IGF-1),或直接作用于骨细胞,从而促进骨骼和内脏的生长,并调节物质代谢,在生长发育过程中起着关键作用。生长激素缺乏症是垂体前叶分泌的生长激素不足导致的一种内分泌疾病,对儿童期的身高增长影响显著,会导致生长缓慢。

生长激素缺乏症是儿科临床常见的内分泌疾病之

一,其发病率为(20~25)/10万,且男性多于女性,男女发病比例约为3:1。除少数患儿具有家族遗传特点外,多数患儿为散发病例,没有明显的家族聚集性或特定的遗传模式,通常是由多种环境因素、生活方式、偶然的基因突变等引起。

二、生长激素缺乏症的药物治疗

补充生长激素能够治疗儿童身材矮小。临床上使用的重组人生长激素(rhGH)是通过基因工程技术体外合成的,与人体生长激素具有同等作用。1985年,美国食品药品监督管理局(FDA)首次批准rhGH用于儿童生长激素缺乏症的治疗。自此,生长激素替代治疗被广泛应用于改善生长激素缺乏症患儿的身高。

有一个经典案例:著名球星梅西在11岁时曾被诊断为特发性矮小症(ISS),主诊医生认为他只能长到1.5米,而正是通过注射生长激素,梅西最终身高达到了1.7米,为他以后的足球事业奠定了身体基础。

然而,生长激素并非“想打就打”。在用药前需要对孩子进行生长发育评估,并进行全面检查,只有诊断为生长激素缺乏症、特发性矮小、遗传因素导致的生长发育缓慢等疾病时才能使用。并且,其疗效受到开始治疗的年龄、基础身高、骨龄、营养、遗传等因素的影响。



目前,临床使用的rhGH分为短效和长效两种。短效的rhGH需要每天睡前皮下注射,长效的rhGH则每周使用一次。研究表明,长效和短效生长激素的疗效和安全性相当,两者都是生长激素缺乏症患者临床可选择的治疗药物。在选择生长激素治疗方案时,应综合考虑患儿的年龄、病程、生长发育状况,以及家庭的接受度、经济状况和依从性等因素。

一般情况下,生长激素缺乏症患者确诊后就可以开始生长激素治疗,因为患儿年龄越小,治疗效果越好。医生通常会根据孩子的体重和性发育情况选择个体化治疗方案。生长激素的治疗疗程一般至少为一年,可持续治疗至骨骺闭合,治疗效果具有剂量依赖效应。

生长激素治疗通常不会产生糖皮质激素或性激素样的不良反应。治疗可能存在的不良反应主要有:①注射部位红肿,通常停药后可消失;②暂时性的血糖、胰岛素水平升高,发生率较低,一般停药后可恢复正常;③少数情况下可能出现因水钠潴留引起的暂时性水肿、颅内高压等。需要注意的是,上述安全性研究主要基于身材矮小或疾病状态的儿童,目前尚缺乏正常偏矮或身高正常儿童使用生长激素的安全性数据。

三、临床疗效及安全性

一项关于怡培生长激素的Ⅲ期临床试验在中国的23个中心进行,试验持续时间为52周,共有391名生长激素缺乏症儿童参与,主要终点是52周时的生长速度(GV,单位:厘米/年)。

该研究对比了每周注射一次怡培生长激素相较于每日注射一次rhGH的疗效和安全性。结果显示:怡培生长激素非劣于rhGH,在52周时,前者生长速度为9.910厘米/年,而后者为10.037厘米/年;治疗期间的不良事件发生率分别为87.7%和94.6%,绝大多数为1级和2级,无需或仅需简单治疗即可缓解。

此外,怡培生长激素注射液采用“次抛型”设计,以单次量进行包装,用完后即可丢弃,不仅降低了潜在污染风险,而且避免了药物因长时间存放及反复置于室温而影响有效性和安全性。

综上,怡培生长激素注射液的上市,标志着我国在长效生长激素领域实现了技术突破,为生长激素缺乏症患者提供了新的治疗选择。同时,生长激素缺乏症会严重影响患儿的生长发育与生活质量,每个人都应提高对该疾病的认识。**药物与人**

温馨提示

只有经过医生的规范诊疗和专业评估,才能确定生长激素是否适合孩子使用。rhGH的临床应用已有三十余年历史,整体看来,使用是较为安全的。但是,生长激素的治疗效果受到多种因素影响,并非所有身高问题都可以通过生长激素的干预来解决。

