干细胞基因疗法“守护”免疫缺陷儿童

作者：writer 来源：爱科学

本文原地址：https://www.iikx.com/news/progress/13919.html

本文仅供学习交流之用，版权归原作者所有，请勿用于商业用途！

干细胞基因疗法“守护”免疫缺陷儿童。

患有泡沫婴儿病的儿童没有正常的免疫系统，这意味着即使是轻微的感染对他们来说也可能是致命的。但在一项小规模临床试验中，一种基因疗法重建了这些儿童的免疫系统，其疗效显著，96%的儿童能够停止对该病的主要药物治疗。

这种疾病的正式名称是严重联合免疫缺陷（SCID），其绰号来自于曾被用于给SCID患儿做茧的保护性塑料泡沫。

SCID的一种常见形式是由编码腺苷脱氨酶（ADA）的基因突变引起的。目前的治疗方法存在缺陷：酶替代疗法不能完全恢复免疫系统，以前批准的基因疗法会导致一个接受者患上白血病。

加州大学洛杉矶分校的Donald Kohn和同事利用一种旨在将致癌风险降至最低的病毒，将一种功能性的ADA基因导入参与者的干细胞中。在50名（30例在美国，20例在英国））注射了这种细胞的ADA-SCID儿童中，48名儿童能够停止酶替代疗法，没有一人显示出癌症的迹象。

作者报告称，在随访24个月和随访36个月时，所有研究总生存率为100%。他们总结认为，用这种方式有助于患儿代谢纠正和功能免疫重建。

研究人员日前在《新英格兰医学期刊》上报告了这一成果。（来源：中国科学报晋楠）

相关论文信息：http://doi.org/10.105 6/NEJMoa2027675

版权声明：凡本网注明来源：中国科学报、科学网、科学新闻杂志的所有作品，网站转载，请在正文上方注明来源和作者，且不得对内容作实质性改动；微信公众号、头条号等新媒体平台，转载请联系授权。邮箱：shouquan@stimes.cn。
作者：Donald Kohn 来源：《新英格兰医学期刊》

更多 科学进展 请访问 https://www.iikx.com/news/progress/

本文版权归原作者所有，请勿用于商业用途，爱科学iikx.com转发