人脐带间充质干细胞可治疗心衰？正开展I期临床试验

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：https://www.iikx.com/news/progress/27422.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！

人脐带间充质干细胞可治疗心衰？正开展I期临床试验
。当前，同济大学附属东方医院（上海市东方医院）刘中民教授团队正在筹划开展一项多中心I期临床试验，从人脐带中提取干细胞，来治疗慢性心力衰竭。

早在2024年1月18日，国家药品监督管理局药品评审中心官网公布了一款创新干细胞药物“ 人脐带间充质干细胞治疗心衰注射液 ”获得临床试验默示许可，其适应症为：伴冠状动脉旁路移植术指征的慢性缺血性心肌病导致的慢性心力衰竭。

这一项临床试验中使用的创新干细胞药物，即为刘中民教授团队研发，目前已经实现科技成果转化，由天津一家公司天士力集团实现产业化。

何为人脐带间充质干细胞？它来源于哪里？能在治疗心衰方面发挥什么作用？临床试验患者招募是否开始？临床研究的安全性如何？近日，澎湃新闻记者对话刘中民教授，回应这些疑问。

一、干细胞药物“ 人脐带间充质干细胞治疗心衰注射液 ”目前处于研发的什么阶段？后续研究如何开展?

答：2024年1月18日，这款注射液获得IND（药物临床试验）I期临床默示许可。目前正在筹划多中心I期临床试验，以及生产开展I期临床试验所需的细胞制剂。

二、何为人脐带间充质干细胞?具体它来源于哪里?如何发挥作用?

答：人脐带间充质干细胞是从脐带的黏液质提取的干细胞，具有组织修复、免疫调节、抗炎等作用，并且免疫原性低。它们能分化为多种细胞类型，如骨细胞、软骨细胞等，在再生医学中具有广泛的应用潜力，尤其是在修复受损的软骨组织、骨骼和心肌方面。

同时，脐带间充质干细胞还能通过分泌特定的细胞因子调节免疫反应和减少炎症，对自身免疫疾病和慢性炎症疾病的治疗具有重要意义。

三、该款干细胞药物在临床前动物实验结果如何？

答：此前，我们进行了小鼠心肌梗死模型研究和猪冠脉结扎致心力衰竭模型，上述研究显示，该款干细胞注射液可通过旁分泌作用调控心肌组织微环境，对于缺血性心肌病中的心肌细胞组织损伤有明显抑制作用，增加动物心功能，促进血管再生，减少心肌凋亡。

四、针对这一新药研发，国际上同类研究的进展和结果如何?

答：目前，临床上对于心力衰竭的治疗主要包括药物治疗、血运重建、细胞和基因治疗。

当前，全球共有12项间充质干细胞治疗心衰的RCT（随机双盲安慰剂对照）研究，共入选823例患者，其结果显示治疗使死亡率下降27%，再入院率下降47%。

当前，国际上已有21款干细胞产品获批上市，其中有2款可用于治疗心脏疾病。2020年在德国获批上市的自体人骨髓源性内皮祖细胞类产品T2C-001，可用于治疗心肌梗塞，是全球第一个用于治疗心脏病类适应证的干细胞药品。2015年在日本获“有条件批准”的自体人骨骼肌成肌细胞衍生细胞片产品HeartSheet，可用于治疗严重心衰的缺血性心脏病。

五、目前，临床试验患者招募是否开始?

答：目前，该药物临床试验正在筹备招募中。I期临床试验的主要入组对象为35-75岁的严重慢性缺血性心力衰竭患者。同时需要在心功能、手术指征、心脏超声检查等方面进行医生的专业评估方可入组。

这一项临床试验主要是在上海市东方医院完成，患者可以关注东方医院“干就有未来”的公众号，了解第一手招募信息。

六、目前临床上心衰治疗方法有哪些？为什么会想到这一干细胞治疗方式来解决心衰问题？

答：当前心衰的治疗，一是通过药物，来改善心肌供血，增加心脏收缩力；二是通过导管安装心脏起搏器，需要通过起搏器，来增加心脏供血，另外就是通过外科手术的方式进行治疗，心衰发展到终末期，也可以通过心脏移植或人工心脏植入的方式来进行治疗。

之所以研发干细胞治疗药物，一方面是考虑到内科治疗会反复发作，而外科治疗创伤大，供体心脏目前也很难获取。即使完成心脏移植或人工心脏植入，后期生活质量也不一定高，需要长期服用抗排异药物或抗凝药物，晚期发生肿瘤的几率也很高，经济负担重，最终很难回归社会。

而采用人脐带间充质干细胞治疗，它具有低抗原性，所有人都可以用，如果临床试验可以证实能延长心衰病人的生命，那么推迟或避免心脏移植就可能成为新的疗法。这也是我们开展这项研究的基础和意义所在。

七、这一临床研究的风险性如何？需要在手术过程中同步进行注射治疗吗？

答：在对患者进行冠脉搭桥手术时，我们会同时向患者的心肌局部注射干细胞，通过刺激心脏细胞的增殖和分化、抑制心肌细胞损伤及免疫调节等作用，修复心肌细胞，使心肌收缩增强从而对心力衰竭发挥治疗作用。

其主要风险有2个，第一个是冠脉搭桥的手术风险，包括术后感染、出血等，目前医院也制定了

一套风险防控预案和治疗措施；第二个是细胞治疗的风险，该治疗已经经过了国家备案干细胞临床研究的临床实践，未发生严重的不良反应和不良事件。

八、这一项目是否得到了上海生物医药产业相关政策的扶持？

答：该项目得到了上海市多个部委的大力支持。其最早起源于2014年，在上海张江管委会与上海市浦东新区政府的支持下，上海市东方医院成立上海张江国家自主创新示范区干细胞转化医学产业基地，创新打造了国内首个国际领先的集“干细胞前沿基础研究、应用基础研究、临床研究、临床转化与应用”全产业链为一体的干细胞研究高地，并依托基地开始了干细胞治疗心衰的临床转化研究。

后由上海市科委计划项目《人脐带来源间充质干细胞的制备及临床研究》于2017年12月立项，在上海市科创办张江二期“上海张江国家自主创新示范区干细胞战略库与干细胞技术临床转化平台”、上海市教委的IV类高峰学科“干细胞与转化”、上海市卫健委干细胞与再生医学协同创新集群计划项目等项目的继续支持下，于2019年完成国家干细胞临床研究项目备案，2021年4月提交Pre-IND，2024年1月18日IND获批。

作者：陈斯斯 来源：澎湃新闻

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