中国学者为自身免疫疾病精准治疗建立新范式

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：https://www.iikx.com/news/progress/34045.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！

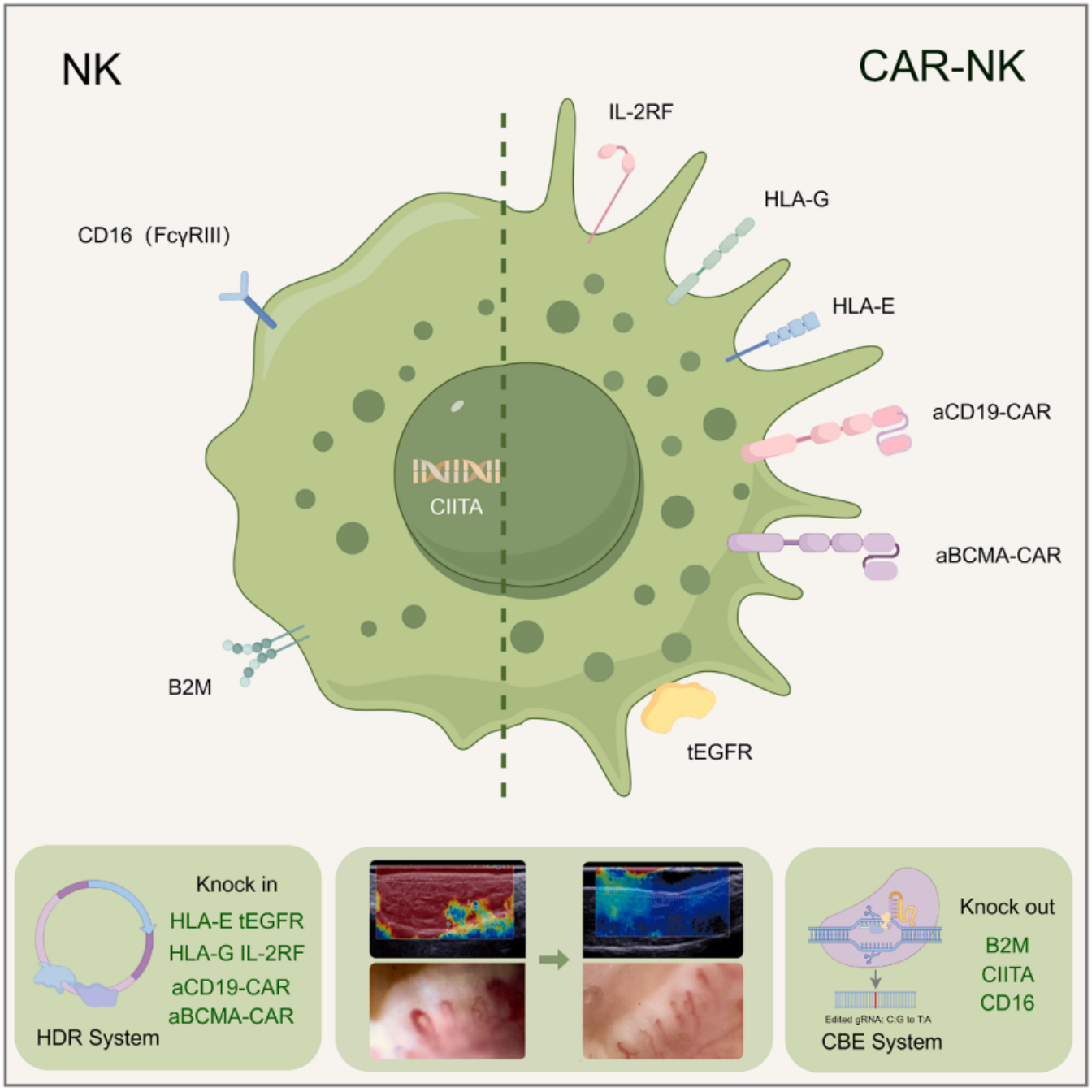
中国学者为自身免疫疾病精准治疗建立新范式
。海军军医大学第二附属医院（上海长征医院）教授徐沪济团队，构建了新一代细胞治疗产品，系统解决了传统自体嵌合抗原受体T细胞（CAR-T）疗法在自身免疫病中存在的诸多难题，填补了嵌合抗原受体自然杀伤细胞（CAR-NK）疗法在硬皮病中的应用空白，为“现货型、低毒性、广谱靶向”的自身免疫疾病精准治疗建立了新范式。6月24日，相关研究发表于《细胞》。

风湿免疫性疾病是除心脑血管疾病、癌症外威胁人类健康的重要杀手，呈现为发病率高、致残率高、治疗费用高的特点，影响全球8%以上的人口。

系统性硬皮病（SSc）是一种以血管异常、免疫活化和进行性组织纤维化为特征的慢性自身免疫性疾病，临床治疗中长期面临药效局限、纤维化不可逆、疾病异质性高等挑战。尽管当前自体造血干细胞移植或CAR-T细胞疗法在部分难治性病例中取得初步进展，但仍面临高毒性反应、制备个体化限制和生产标准化等问题。

研究团队利用杭州启函基因生物有限公司开发的一种以诱导多能干细胞为基础的工程化CD19/BCMA双靶点CAR-NK产品，通过多基因编辑构建出免疫兼容性强、安全性高、功能稳定、具有批量生产潜力的新一代细胞治疗产品。实验结果显示，该细胞治疗产品能够清除病理性B细胞谱系，引发免疫系统的重编程。

在此基础上，研究团队并在难治性系统性硬皮病患者中实现了首例成功临床转化，患者在治疗后皮肤硬化明显改善，组织纤维化显著逆转，肺功能和心脏功能等多项关键指标均取得了显著改善。



经过治疗，患者的皮肤和血管得到改善。图片由研究团队提供

?

徐沪济表示，作为“从0到1”的探索，本研究不仅提供了治疗难治性系统性硬皮病的新策略，还验证了从“靶向清除”到“再生修复”的治疗理念。其“现货型、低毒性、广谱靶向”的特点，突破了传统CAR-T的技术瓶颈，提供了具有规模化转化潜力的创新治疗平台。未来，CAR-NK及其衍生版本有望应用于系统性红斑狼疮、炎性肌病、干燥综合征等B细胞主导型疾病，iPSC-CAR平台也将成为下一代精准免疫治疗的重要支柱。

相关论文信息：https://doi.org/10.1016/j.cell.2025.05.038

作者：江庆龄 来源：中国科学报

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