
CAR T细胞可有效治疗自身免疫性溶血性贫血

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/37923.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！

CAR

T细胞可有效治疗自身免疫性溶血性贫血

。1月15日，中国医学科学院血液病医院（中国医学科学院血液学研究所）主任医师施均/研究员熊海清团队在New England Journal of Medicine期刊在线发表研究首次报道了CAR T细胞治疗自身免疫性溶血性贫血，实现患者长期无药物缓解。

自身免疫性溶血性贫血（AIHA）的健康挑战是复发/难治患者多，严重感染/脓毒症、血管栓塞及溶血急性发作致残/致死率高达20%，较社区居民全因病死率高5-9倍。长期依赖糖皮质激素等多种免疫抑制药物维持，严重损害患者的生命健康。因此，开发能够实现临床治愈的创新疗法，成为亟待解决的重大临床需求。

近年来，CAR T细胞治疗在B淋巴细胞血液肿瘤领域已展现出治愈潜力，并在自身免疫性疾病治疗上初现曙光。该研究应用了我国自主研发的自体CD19 CAR T细胞，治疗多线药物失败的AIHA患者，取得了显著疗效与良好的安全性。患者实现了长期无药物治疗缓解，为常规药物治疗失败的患者提供了一种新的挽救性治疗方案。

至此，该研究团队在国际上率先建立了AIHA患者的细胞免疫治疗新体系：常规药物治疗失败后接受自体CD19 CAR

T细胞治疗，BCMA×CD3双特异性抗体（T细胞衔接器，TCE）二次挽救治疗CAR T细胞治疗复发的患者。这一细胞免疫治疗新体系为AIHA患者带来临床治愈的希望。

该研究于2023年9月至2024年10月期间纳入11例至少3种治疗措施失败的难治/复发患者。其中前5例患者接受同情治疗，后6例患者进入I期临床试验（NCT06231368）。治疗后1月、3月整体缓解率分别为91%和100%；获得部分缓解的中位时间16.5天，达到完全缓解中位时间45天。中位随访12.2月，无药物治疗缓解中位时间达到11.5个月。2例患者在7.3月和8.5月复发后，经BCMA×CD3双特异性抗体二次挽救治疗后也处于持续缓解中。

CAR T细胞治疗自身免疫性疾病缓解后再次复发报道较为罕见，随着CAR T细胞治疗在自身免疫性疾病中的需求不断增长，如何阐明疗效机制及复发机制，成为该领域未来需要解决的挑战。

研究团队通过单细胞多组学数据分析，提出由活化CD4⁺T细胞、B细胞及BCMA阳性长寿命浆细胞组成并相互作用的疾病复发特异免疫微环境理论，为深入理解“长期缓解”与“复发”背后的免疫学机制奠定了坚实基础。

相关论文信息：<https://doi.org/10.1056/NEJMoa2509820>

作者：张思玮 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](https://www.iikx.com)转发