
免疫系统可改造为持久“生物制药厂”

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/39245.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！

免疫系统可改造为持久“生物制药厂”

。科技日报北京4月15日电（记者张梦然）一项发表于最新一期《科学》杂志的研究，揭示了一种具有潜在革命性的疾病治疗新范式。美国洛克菲勒大学团队通过基因编辑技术对造血干细胞进行重编程，使其能够产生具有保护或治疗作用的特定抗体及其他蛋白质，从而将免疫系统本身转化为一个持久且可调控的“生物制药厂”。这项突破性进展为开发“一次治疗、长期受益”的变革性疗法开辟了广阔的道路。

传统的疫苗或基于成熟免疫细胞的治疗法，在面对复杂病原体时存在局限性。先前有研究尝试直接编辑成熟的B细胞来产生所需抗体，但效果往往是暂时的。为解决持久性问题，研究团队将目光投向了免疫细胞的源头——造血干细胞。

该研究的核心策略是，利用CRISPR基因编辑技术，直接将编码特定治疗性蛋白质（例如一种能广泛中和流感病毒的抗体）的遗传指令，精确插入小鼠的造血干细胞和祖细胞的基因组中。随后，将这些经过编辑的干细胞移植回小鼠体内。这些干细胞在体内终身存活并不断产生新的血细胞，其分化出的所有B细胞都携带了相同的治疗性蛋白质生产蓝图。

研究结果表明，这一策略取得了显著成功。即使最初只有极少数（几十个）干细胞被编辑，在移植后接种一次常规疫苗作为“激活信号”，这些经过编辑的B细胞前体便能被有效激活、大量扩增并成熟为浆细胞，持续产生高水平的治疗性抗体。在动物模型中，这些由工程化免疫系统产生的抗体，保护了小鼠免受致命剂量流感病毒的攻击，证明了其功能性效果。

该平台展现了高度的通用性，理论上适用于治疗因特定蛋白质缺乏而引起的各类代谢疾病。初步实验也证明，采用相同方法编辑的人类造血干细胞在体外能分化为具有正常功能的免疫细胞，这为未来人类临床应用奠定了关键基础。

这项研究提出了一种根本性的思路转变：与其艰难地“训练”或短暂改造已成熟的免疫系统来对抗疾病，不如直接从源头对其“操作系统”进行永久性升级，使其获得持续自主生产所需治疗物质的内在能力。这绕过了通过传统疫苗激发稀有、高效抗体的巨大挑战，为一些长期缺乏有效预防手段的传染病（如艾滋病）提供了潜在的“功能性治愈”之路。

作者：张梦然 来源：科技日报

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](http://www.iikx.com)转发