
CAR-T疗法一次攻克罕见的3种自身免疫性疾病

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/39293.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疗法一次攻克罕见的3种自身免疫性疾病

。近日，德国科学家报告称，一名患有罕见的3种自身免疫性疾病的女性，在接受单次改造的免疫细胞治疗后，症状已完全消失。

此前，该患者曾接受过其他9种治疗但均未见好转。她无法工作，有时因疼痛和疲劳而卧床数周。参与对其治疗的德国埃尔朗根大学医院血液学家Fabian M ü ller表示，“她的病情完全失控”，且“危及生命”。

攻击人体自身组织的抗体（三叶状结构，艺术家概念图）可能导致自身免疫性疾病。图片来源：Ruslanas Baranauskas/SPL

美国宾夕法尼亚大学的免疫学家Carl June表示，若没有这些经过改造的细胞，这名在初次就诊时年仅47岁的患者，生活质量将“极其糟糕”。June是率先将类似细胞用于癌症治疗的先驱。

这名女性患者罹患的3种自身免疫性疾病均源于其B细胞的功能异常，B细胞是一种免疫细胞。她的B细胞产生的抗体错误地攻击了自身的红细胞，导致自身免疫性溶血性贫血；同时，这些抗体还攻击了血小板，引发免疫性血小板减少症；此外，部分抗体还攻击了脂肪结合蛋白，导致抗磷脂综合征。

红细胞的减少致使她需要反复输血——平均每天1袋，最多可达3袋。血小板减少增加了失控出血的风险，而脂肪结合蛋白的缺失则使血液更容易凝结。M ü ller表示，导致一种自身免疫性疾病发生的免疫系统缺陷，可能增加另一种疾病的发生概率，而这名女性是他见过的首个同时有3种自身免疫性疾病的患者。

June强调，这种疾病组合“可能迅速致命”。“通常除了长期大剂量使用类固醇进行治疗外，别无他法。”而类固醇会广泛抑制人体的免疫系统，从而增加感染风险。

由于类固醇和更先进的免疫抑制药物均未能控制其症状，这名女性被救护车紧急送往3小时车程外的M ü ller的诊所，该诊所制造名为嵌合抗原受体（CAR）T细胞的工程化免疫细胞而闻名。“这是她控制病情的最后机会。”M ü ller说。

CAR-T细胞治疗的原理是先分离患者自身的天然T细胞，再对其进行基因改造，使其能高效攻击并杀死特定靶标。由于CAR-T细胞是具有分裂能力的活细胞，因此在输回患者体内后，其疗效可持续数年甚至长达十年。

研究人员先采集了该女子的T细胞，然后对其进行改造，使其专门攻击仅存在于B细胞中的某种蛋白质。在接受CAR-T治疗以及两种同样能杀死快速增殖免疫细胞的化疗药物后不到一个月，该女子的红细胞水平恢复正常。

Müller介绍，自接受单次治疗以来，迄今已经有14个月，该女性无需服用任何药物，且未出现任何症状。相比之下，大多数患有类似自身免疫性疾病的患者不得不服用“大把药物”，因为他们需要免疫抑制剂和额外的辅助药物控制血压并保护肾功能。

Müller团队未观察到CAR-T细胞可能引起的副作用，并将继续对该名患者进行随访，以防其症状复发。

CAR-T疗法通常用于治疗白血病等血液系统疾病，其在自身免疫性疾病中的应用仍处于试验阶段。不过，June表示，预计将有大量针对自身免疫性疾病的CAR-T细胞疗法获得批准——首先是针对红斑狼疮、肌炎和硬皮病的治疗。

June透露，目前全球约有200项临床试验正在测试CAR-T细胞对各种自身免疫性疾病的疗效，多家公司已在有关学术会议上展示了令人鼓舞的早期结果。“我认为，在一两年内，美国就会批准相关疗法。”

作者：文乐乐 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