
干细胞移植有了无化疗方案

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/40735.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！

干细胞移植有了无化疗方案。

科技日报北京7月9日电（记者张梦然）发表在最新一期《自然》杂志上的新研究提出了一种让干细胞移植摆脱传统化疗的方法，即用“分子伪装”代替化疗。这为治疗镰状细胞病、地中海贫血、免疫缺陷和某些血癌等血液疾病找到了更安全的路径。



图片来源：AI生成

干细胞移植和基因治疗是目前治疗上述疾病最有效的手段之一，能够替代或修复受损的造血干细胞，带来持久甚至治愈性效果。然而，传统治疗方案要求患者在移植前接受高强度的化疗或放疗，目的是清空骨髓中的原有干细胞，为新细胞的植入腾出空间。这种预处理方式会对全身DNA造成损伤，毒性强烈，许多病情较重或身体状况较差的患者无法承受。

来自美国波士顿儿童癌症与血液疾病研究中心的团队开发了一种替代策略。他们不再使用化疗药

物，而是利用能够识别造血干细胞表面特定标记的抗体，以更具选择性和更低毒性的方式清除患者骨髓中原有的干细胞。

不过，这种方法面临一个关键挑战：抗体无法区分患者自身的干细胞和移植进去的治疗性干细胞。如果抗体在体内残留，同样会攻击新植入的细胞，阻碍其整合。为解决这个问题，团队借助精确的基因组编辑工具，对供体干细胞表面的一个微小识别位点进行了“分子伪装”。这一改动阻止了抗体与治疗细胞的结合，同时不影响蛋白质的正常功能。经过编辑的干细胞相当于穿上了“分子伪装”，能够避开抗体的攻击，而患者体内未编辑的细胞则依然敏感。

实验结果显示，受到保护的干细胞能够在抗体治疗中存活下来，顺利融入骨髓，并随时间推移逐渐占据优势。这不仅为移植细胞创造了生存空间，还能在移植后持续筛选和保护治疗性细胞。

这项技术的意义在于扩大了干细胞移植的适用范围。传统上，骨髓移植主要用于危及生命的疾病患者，且仅限于能够耐受化疗的人群。新的无化疗方案可能让病情较轻或身体条件不佳的患者也有机会接受这一治疗。此外，移植后抗体仍能持续筛选受保护细胞，从而有助于确保治疗性干细胞达到临床所需的数量。

长远来看，这一技术有望发展为一个灵活可扩展的平台，一方面让干细胞移植和基因治疗更加安全，另一方面通过保护正常造血功能，扩大癌症免疫疗法的应用范围。

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](https://www.iikx.com)转发