骨髓移植有望治愈血液病

作者：赵熙熙 来源：中国科学报

本文原地址：https://www.iikx.com/news/progress/4396.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！

骨髓移植有望治愈血液病。美国科学家日前在一项研究中发现，让接受供体细胞骨髓移植的患者接受加倍低剂量全身辐射，可使只有半匹配的移植成功率从50%提高到将近100%。这项研究结果于3月13日发表在《柳叶刀—血液病学》网络版。这一发现为镰状细胞贫血和β地中海贫血等严重和致命遗传性血液病患者带来了更高治愈几率。

我们成功把镰状细胞病和地中海贫血症的治愈率提高至90%，这一成果十分振奋人心。约翰斯·霍普金斯大学医学院医学和肿瘤学教授、血液科主任Robert Brodsky说，骨髓移植技术并非只能为那些有完全匹配供体的患者服务。对于‘半匹配’的患者来说也同样奏效。

上世纪80年代末，澳大利亚悉尼金梅尔综合癌症中心肿瘤科副教授Francisco J. Bolanos-Meade和Brodsky发现骨髓移植技术有治愈镰状细胞病的可能性，在此之前这种疾病几乎没有有效的治疗方法，患者通常活不过40岁。然而，在此之前很少有人采用骨髓移植方法进行治疗，该疗法要求骨髓供体和受体分布在细胞表面的蛋白质，即人类白细胞抗原完全匹配。Brodsky表示，在不完全匹配的情况下，受体会把供体细胞视为外来细胞，进而向其发起攻击。

为这类患者找到完全匹配的骨髓供体非常困难，因为兄弟姐妹拥有完全匹配且无相同镰状细胞病基因缺陷的患者不到15%，而能找到毫无血缘关系但能完全匹配的注册供体的患者低于25%。约翰斯·霍普金斯大学研究人员于2012年制定发布了一套治疗方案，允许患者从仅半匹配的亲属那儿接受骨髓移植。Brodsky说，这一进展显著扩大了潜在的供体范围。此外，在该移植方案下，生成新鲜健康血液只需正常时间的一半。

为了提高这些半匹配移植的成功几率，Bolanos-Meade及其同事测试了一种新的骨髓移植方案，该方案针对具有严重镰状细胞病和β地中海贫血症的患者。这两种血液疾病俗称血红蛋白病，由相同的β球蛋白基因缺陷引起。此次研究招募了17名患者，其中12名镰状细胞病患者和5名β地中海贫血症患者，平均年龄16岁。每名患者都拥有一位可作为半匹配骨髓移植供体的亲属。

与之前的方案一样，为抑制受体对供体骨髓的免疫反应，所有患者在移植前都接受了化疗和全身放疗。这项新研究没有像之前方案那样使用200cGy的低剂量辐射，而是采用400cGy的辐射，这仍然是一个剂量相对较小的辐射，且耐受性良好。移植后，所有患者都服用了一个剂量的环磷酰胺。这种药物对预防一种尤其多发于半匹配移植的被称为移植物抗宿主病的潜在致命疾病起着重要作用。

在接下来的30天、60天、180天和360天，以及之后的每一年，研究人员都要检测患者血液中的嵌合体，即来自供体的DNA数量，这是一种移植成功的信号。他们发现，除了一名镰状细胞病患

者外，其余所有患者都显示了移植成功。尽管有5位患者身上发生了移植物抗宿主病，但他们的病情都得到了缓解。

截至研究发布，只剩3名患者仍然需要服用免疫抑制药物。在所有显示成功移植的患者中，有的病情极大缓解，有的病症消失，而镰状细胞病患者不再被疼痛折磨。同样地，β地中海贫血患者也不再依赖输血。

这些最新发现为证明半匹配骨髓移植的安全性和有效性增添了大量有力证据。金梅尔癌症中心骨髓移植项目主任Richard Jones说，我们已经开展了超过1000例半匹配骨髓移植，并且我们的临床研究很成功，其安全性和毒性可与完全匹配的骨髓移植相媲美，因此半匹配骨髓移植应被当作一种治疗方案造福更多的患者。Jones表示，对于镰状细胞病和地中海贫血患者而言，采用基因疗法意味着需要接受高剂量(清髓性)治疗，常常难以忍受，而移植法只涉及温和、低剂量的治疗方式，安全系数更高。

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