

转化医学信息

转化医学作为医学研究的一个分支,从其概念的提出到现在十多年间发展迅速,引起了世界各国学者的广泛关注和重视。转化医学的核心是将医学生物学基础研究成果迅速有效地转化为可在临床实践中应用的理论、技术、方法和药物,并在实验室与病房之间架起一条快速通道,实现基础研究与临床研究的双向转化,是沟通基础医学与临床医学的桥梁,也是当前医学研究的热门话题。鉴于此,本刊推出“转化医学信息”栏目,对该领域相关报道内容进行介绍,希望对相关科研和医疗工作者有所启发。

转基因细胞治疗癌症获成功

美国宾夕法尼亚大学研究出了一种利用T细胞治疗白血病的新方法,该方法对病人产生了非常好的疗效。在美国血液学会举行的一次会议上,科学家报告说,在一位名叫艾玛·怀特黑德的7岁小女孩身上试验的T细胞白血病新疗法相当成功。

怀特黑德在2010年检查出患有的一种叫做“急性淋巴细胞性白血病”的癌症。病人B细胞的生长是失控的,失去了对外界感染的抵抗并导致贫血。

该治疗依赖于另一种类型的白细胞——T细胞。这种T细胞经过了基因改造,能专门寻找并消灭B细胞。在治疗之后,这种能清除癌细胞的细胞仍旧会停留在病人的血液当中,因此它就像是活着的药物。然而,当癌变的B细胞被清除之后,怀特黑德又经历了被科学家称之为“细胞因子释放”综合征的折磨,表现为发烧和流感症状。这是因为T细胞在杀死癌变B细胞的同时也杀死了正常的B细胞。怀特黑德和其他成功治愈癌症的病人必须要接受定期免疫补充治疗。这种新型的细胞疗法为白血病患者和其他癌症患者带来了新的希望。(来源:科技日报)

Nat Biotechnol: 单基因注入可使心脏细胞化身“生物起搏器”

美国希达思西奈心脏研究所的科研人员通过注入单个*Tbx18*基因,对普通心脏细胞进行重新编程,使其成为了高度专业化的“生物起搏器”。相关研究报告发表在《自然·生物技术》杂志网络版上。

心跳源于窦房结(SAN),其位于右心房外膜上,起搏细胞也聚集于此。这些细胞一旦出错,心脏跳动就会出现不规律的现象。通常情况下,接受心脏手术的患者会将电子起搏器看作自身存活的唯一选

择。此次研究却首次展示了单个基因能直接将心肌细胞重编成专门的起搏细胞。新细胞能自发生成电脉冲,与天然起搏细胞无异。其可成为电子起搏器的替代选择。

研究人员使用设计过的病毒来携带单个*Tbx18*基因,这在胚胎起搏细胞的发展中发挥了重要作用。一旦经由*Tbx18*基因重新编程,就会形成新的起搏细胞,即诱导SAN细胞或是iSAN细胞。无论是在细胞重编过程中还是基于豚鼠的应用,新细胞都呈现出所有天然起搏细胞应有的关键特征,并保持了与SAN类似的特性(即使是在*Tbx18*基因的效用褪尽之后)。

新研究采取了十分简单的方式,制成了与天然起搏细胞十分近似的起搏细胞,同时无需担心罹患癌症的风险。如果之后的研究确认并支持对于起搏细胞的科研发现,科学家将通过把*Tbx18*基因注入病患心脏或先在实验室内制成起搏细胞,再将其植入病患心脏内两种方式开展治疗。但仍需进行额外的安全测试和效用检测,才能进入人体临床试验阶段。

Kapoor N, Liang W, Marbán E, Cho HC. Direct conversion of quiescent cardiomyocytes to pacemaker cells by expression of *Tbx18*. *Nat Biotechnol*, 2012; doi: 10.1038/nbt.2465.

Brain: 通过移植鼻子的内壁细胞治疗瘫痪

英国剑桥大学的研究人员近日通过移植瘫痪宠物狗鼻子的内壁细胞,成功使其再次站立并行走。对于这项新技术,剑桥大学的研究小组持谨慎乐观的态度,认为它或许最终可以用于治疗瘫痪患者。其成果已发表在期刊*Brain*上。

这是研究人员首次使用真正的受伤宠物,而非

实验动物进行细胞移植的实验。在实验中, 研究者们首先提取出宠物狗鼻腔内壁的嗅鞘细胞, 培养数周后这些细胞会有所生长和扩大。然后, 研究人员再把这些经过培养的细胞注射到23只瘫痪狗的受损脊髓内。结果显示, 大部分接受细胞移植的瘫痪狗的病情有明显好转, 它们可以在安全带的帮助下, 在跑步机上行走。不过, 目前还没有一只狗完全恢复奔跑能力。

参与研究的生物学家罗宾·富兰克林教授说: “我们的发现令人异常兴奋, 它第一次表明将此类细胞移植到受损严重的脊髓内后, 可以大大改善患者的病情……我们相信这项技术至少能够恢复脊髓受损的人类患者的部分活动能力, 但在治愈这种病症方面, 我们还有很长的路要走。”

富兰克林指出, 移植的嗅鞘细胞可以使受损脊髓内的神经纤维再次生长, 进而使瘫痪狗的后腿能够再次活动, 并与前肢相互配合。不过, 如果大脑与受损脊髓之间距离过长, 新生的神经纤维将无法实现其连接功能。对此, 英国医学研究委员会的科学家们表示, 对于那些因脊髓受损而丧失性功能和大小便失控的患者而言, 这是个非常关键的问题。英国伦敦大学学院神经再生系主任杰弗里·雷斯曼教授也指出: “目前还无法治愈脊髓受伤的人类病患, 我们距离这个标准还有很长的一段距离。不过, 上述研究成果是近几年来最振奋人心的发现, 是朝这个方面迈出的的一大步。”

Granger N, Blamires H, Franklin RJ, Jeffery ND. Autologous olfactory mucosal cell transplants in clinical spinal

cord injury: A randomized double-blinded trial in a canine translational model. *Brain* 2012; 135(Pt 11): 3227-37.

中美转化医学联合中心合作意向书签字

2012年12月12日下午, 卫生部副部长刘谦在上海出席了医学科学院/北京协和医学院、复旦大学上海医学院、上海交通大学医学院-哈佛医学院转化医学联合中心合作意向书签字仪式暨转化医学论坛, 并与上海市副市长沈晓明等共同见证了合作意向书的签署。卫生部部长陈竺发表了视频讲话, 祝贺意向书的签署并对联合中心推动中美转化医学高端合作寄予厚望。

刘谦表示, 卫生部将积极支持合作各方以教育培训为切入点开展转化医学领域的实质性合作。他希望中美合作各方有效地整合医学教育、科研等资源优势, 逐步开展更深层次的转化医学科研项目合作, 共同推进中美两国医学科学发展。

联合中心合作备忘录于2012年5月10日签署, 合作四方将以上海、北京为基地, 以联合中心为依托, 组建跨学科的协作团队, 开展癌症、糖尿病和免疫性疾病的前瞻性临床研究和转化医学研究。此次签署的合作意向书旨在建立中美两国高端转化医学人才的教育培训新模式, 以人才培养为先导, 着眼于长期合作。哈佛大学医学院将专门开设课程, 培养中美两国的高端转化医学人才, 为今后联合开展转化医学研究奠定人才基础。第一阶段培训计划为期三年, 中方每年遴选12名八年制医学生赴美学习。(来源: 卫生部网站)

朱丽华 整理