



紫贝壳公益
Chinese Organization
For Scleroderma



多一分了解
多一点安心

实验性治疗方法 >>>
EXPERIMENTAL TREATMENT

成都紫贝壳公益服务中心





造血干细胞

硬皮病是一种自身免疫性疾病，免疫系统错误地攻击健康组织，触发胶原蛋白的过度生产，形成硬化的瘢痕样组织。较严重的系统性硬皮病会导致内部器官受损，从而导致一系列问题。

医学界正在进行研究，以测试干细胞移植是否可以有效治疗硬皮病。造血干细胞是硬皮病的几种临床试验中已经进行研究的一种干细胞。

1) 造血干细胞作用机理

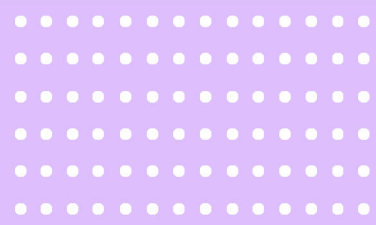
干细胞是一种特定类型的细胞，具有发展为其他细胞的潜力。造血干细胞是血细胞的前体，包括免疫系统的白细胞。干细胞一旦植入体内，治疗的目标就旨在取代患者的免疫细胞并重置自身免疫反应。

干细胞移植可以为自体或异体。自体干细胞是从患者自身收集的，被身体排斥的风险较低。同种异体干细胞是从健康的匹配供体中收获的。

干细胞移植前，患者将接受治疗，接受免疫抑制剂药物或放疗。目的为了让干细胞在患者体内生长，并防止免疫系统的排斥反应。

2) 造血干细胞硬皮病临床试验





2018年1月，一项由国家卫生研究院（NIH）资助，名为SCOT在美国和加拿大进行的II/III期临床试验（NCT00114530）已完成。

该临床试验目的是评估骨髓清除后，在硬皮病中从外周血采集的自体造血干细胞移植的安全性和有效性。

骨髓清除术包括化学疗法和全身照射以根除患者的骨髓细胞，包括免疫细胞。移植的干细胞可以重建骨髓和免疫系统并“重置”自身免疫反应。

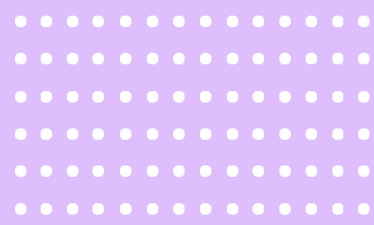
该试验随机分配了75名患有严重系统性硬皮病的成年患者，以接受髓性干细胞或每月剂量的免疫抑制剂环磷酰胺治疗（硬皮病的一种常见治疗方法）。

相关实验结果发表在《新英格兰医学杂志》上：清髓性干细胞移植优于单独的免疫抑制，不良事件率更低，生存率和总体生存率更高。

在移植组中，有79%的患者在4/5年后没有症状进展，而环磷酰胺治疗的患者改善率只有50%。六年后，移植组的总生存率为86%，而免疫抑制剂组为51%。然而，骨髓清除与治疗相关性的死亡率增加有关。36名患者中有2名（6%）因移植而死亡，而环磷酰胺组则无一例死亡。

由弗雷德·哈钦森癌症研究中心进行的一项完整的I/II期临床试验（NCT00622895），旨在评估降低同种异体造血干细胞量进行移植的安





全性和有效性。

这种调节并不能像骨髓清除一样清除所有的骨髓，但是会导致血细胞水平显著降低（血细胞减少症）。这种疗法意味着较低的化学疗法和全身辐射剂量，可以减少毒性副作用。

三名系统性硬皮病患者接受了从健康匹配供体的骨髓中收集的造血细胞移植。医疗人员对患者进行了长达五年的随访。在为期两年的随访中，三分之一的患者幸存下来，而且病情没有恶化。这两例死亡案例被认为与治疗有关，与疾病进展无关。

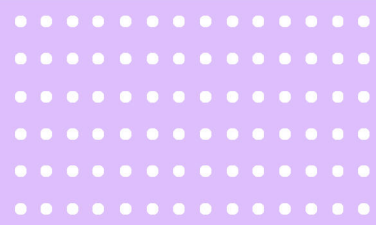
弗雷德·哈钦森癌症研究中心目前正在招募患者参加名为STAT的第二项II期临床试验（NCT01413100）。该试验将在美国和加拿大的多个地点招募30例系统性硬皮病患者。

造血干细胞将从患者自身的外周血中收集。患者将被给予高剂量的环磷酰胺和抗胸腺细胞球蛋白，调理身体，进行移植。医疗人员将对患者进行五年副作用监测。

治疗将主要评估为无事件生存率，其他目标包括心脏、肾脏和肺功能测试、生活质量和总体存活率，该研究预计于2025年1月完成。

还有其他一些研究不同造血干细胞移植方案的临床试验，这些试验仍在招募参与者。包括：自体干细胞系统性硬化症免疫抑制研究（DIS-

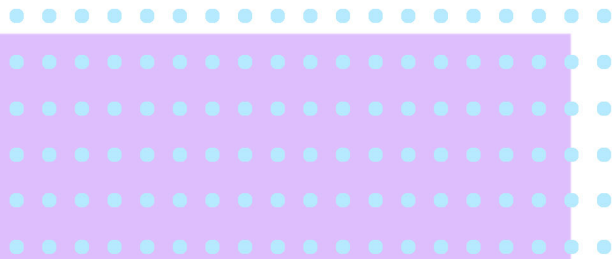




ci2011) 是一项III期临床试验 (NCT01445821) , 将招募多达160名伊利诺伊州西北大学的系统性硬皮病患者; 一项II期临床试验 (NCT01895244, EudraCT: 2011-002434-40) 用于进行性系统性硬化研究的自体干细胞移植 (AST-MOMA) , 在德国图宾根大学医院招募了多达44例进行性系统性硬皮病患者。

本网站不提供专业医疗建议、诊断或疗法。网站上的内容并不是为了取代相关的医嘱、诊断或疗法。如您有健康问题, 请立刻咨询专业医师或其他有资质的医疗机构。请勿因在此网站上浏览的相关内容而忽视专业医师建议或延迟就医。





ORGANIZATION
INTRODUCTION

机构简介

成都紫贝壳公益服务中心（简称：紫贝壳公益，原名：硬皮病关爱之家），2016年由硬皮病患者及家属发起创办的中国硬皮病（SSc）患者关爱组织，并于2020年在成都市民政局登记注册。

紫贝壳公益致力于提升疾病公众认知，搭建相关方沟通协作的桥梁，帮助和关爱患者及家庭，并努力为患者寻求更多治疗、康复、帮扶路径，推动中国硬皮病医疗事业的进步。



愿景：人们不再害怕硬皮病

使命：帮助硬皮病患者勇敢有尊严的面对疾病，
提高患者及家庭的生活质量

口号：爱，让我们更柔软

本手册由以下机构授权翻译



The Scleroderma Education Project

CONTACT

联系方式

办公电话：18180768676

邮箱：info@sscchina.org

网站：www.sscchina.org

新浪微博：@紫贝壳公益

微信公众号：紫贝壳公益

病友交流QQ群：152267349（进群需提供
诊断证明）



扫码关注