



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





# 自体干细胞移植

目前，医学界有许多采取自体干细胞移植（有时称为造血干细胞移植，简称HSCT）治疗硬皮病的临床试验。在移植过程中，功效强大的免疫抑制药物抑制患者的免疫系统，然后患者接受自体造血干细胞移植（造血干细胞可以分化为所有类型的血细胞）。

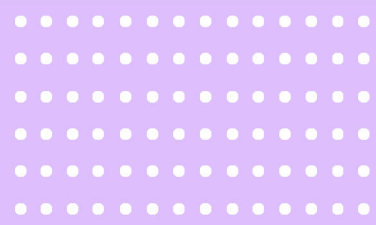
从本质上讲，该治疗可以“重启”患者的免疫系统——希望不会在重启前导致患者自身免疫系统故障。值得注意的是，除了硬皮病外，这种方法还用于治疗许多其他自身免疫性疾病，包括狼疮、多发性硬化症和克罗恩氏病等。

最初，干细胞移植治疗硬皮病死亡率很高，因其早期研究主要针对器官功能受损严重的晚期弥漫型硬皮病患者。最新研究主要集中于早期快速发展的弥漫型系统性硬皮病患者，似乎早期弥漫型系统性硬皮病患者可以接受相关治疗，并且并发症更少。

**截至2016年12月，已完成或正在进行的四项测试自体干细胞移植治疗硬皮病的临床试验如下：**

1) 自体干细胞移植国际硬皮病（ASTIS）临床试验于2001年开始招募患者，并于2008年结束。这一项欧洲临床试验共招募156名患者——主要为早期弥漫型系统性硬皮病患者，发病期为四年或更短，并伴有内部





器官受累的迹象。对照组采取常用免疫抑制剂环磷酰胺（Cytoxan）治疗。2012年报道的初步结果得出结论：“尽管HSCT组的治疗死亡率为10%，长期无事件生存率和总体生存率均优于静脉内注射环磷酰胺治疗组。”换句话说，接受这种治疗的患者中约有10%直接因治疗本身引发的并发症而死亡。但是，其余患者的生存周期比刚接受免疫抑制剂治疗的患者更长，并且健康程度更好。

## 2) 环磷酰胺或移植（SCOT）试验与ASTIS研究成果相似。

SCOT临床试验是一项基于美国的多中心研究，该试验始于2005年，于2011年关闭，共招募115位患者，目前正在进行试验结果研究。2016年11月，初步结果发布在《Assassi et al》杂志：75例弥漫型系统性硬皮病，高危肺部和/或肾脏受累的患者被随机分配接受12个月环磷酰胺（Cytoxan）治疗或HSCT治疗。患者随访期为54个月，在临床试验终点评估中，HSCT组患者的总体生存率和无事件生存率显著提高；HSCT组出现更多不良事件，包括一名与治疗有关的死亡病例。结果表明：对于严重弥漫型系统性硬皮病患者，HSCT可能比环磷酰胺治疗效果更佳。

## 3) 自体干细胞系统性硬化症免疫抑制II期试验（ASSIST）正在美国





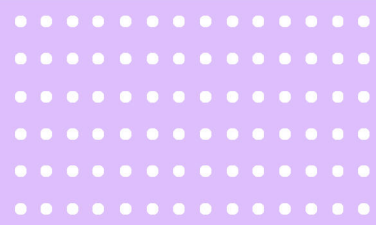
西北大学（伊利诺伊州芝加哥）进行。2011年，该临床试验开始招募患者，目前仍在招募患者中（计划招募患者为160名）。ASSIST的I期临床试验是一项小型开放标签研究，该研究表明，几乎所有在一年期间接受标准环磷酰胺（Cytosan）治疗的患者均有症状改善。相反，自体干细胞移植的患者没有疾病进展，另外一些接受自体干细胞移植治疗的患者症状有所改善。全新ASSIST II期研究将比较ASSIST I HSCT治疗方案和改良后治疗方案的功效，最新方案预计对心脏的副作用将小于原始治疗方案。这项研究于2016年收集数据，定于2018年完成。目前尚无实验结果公布。

4) 硬皮病自体移植治疗（STAT）试验是一项多中心，小型研究（30例入组患者），试验研究了麦考酚酸酯（Cellcept）在HSCT后的治疗效果。该试验始于2011年，并在2019年完成，目前不接受新入组成员。


自体干细胞移植是一个复杂的手术，且伴随较高自身风险。目前研究人员已学会更有效地筛查自体干细胞移植（HSCT）的患者，因此目前的死亡率远低于初始研究阶段。影响患者死亡率主要危险因素之一是心脏受累，因此在接受HSCT治疗时，应仔细筛查患者潜在心脏问题。

即使短期内移植成功，HSCT治疗的预后症状改善能持续多久还不确定。初步数据显示，HSCT治疗可以改善弥漫型系统性硬皮病患者症状，



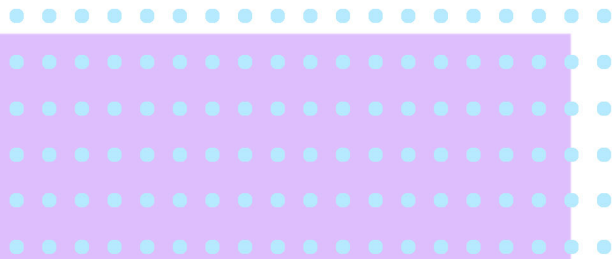


提高五年生存率。对于早期阶段，迅速恶化的弥漫型硬皮病患者，参加HSCT临床试验治疗是不错的选择。



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