



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





# 间充质干细胞

硬皮病是一种自身免疫性疾病，患者自身的免疫系统会错误地攻击健康组织，从而导致瘢痕化、变硬。病情严重的类型如系统性硬皮病，瘢痕化也可能在包括心脏、肾脏、肺和胃肠道在内的内部器官中形成。

目前尚无治愈硬皮病的方法，但是干细胞疗法未来可能是治疗这种疾病的有效方法。间充质干细胞移植是目前正在研究的干细胞疗法的一种。

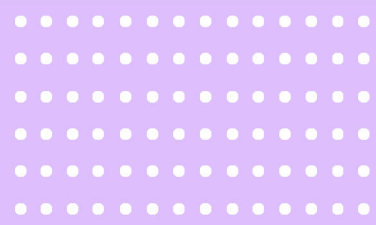
## 1) 间充质干细胞疗法作用机理

人体中的大多数细胞都是已分化的细胞，这意味着其已经发展成可以发挥固定作用的细胞，并且通常无法发生改变以承担任何其他角色。但是干细胞具有发展为一系列其他细胞的潜力。

间充质干细胞可以调节免疫系统的工作方式，减少免疫细胞的生长，而且可能能够“重置”硬皮病患者出现的破坏性免疫反应。

间充质干细胞通常从骨髓或脐带中获得，随后在实验室中培养。由于其改变免疫反应的方式与造血干细胞不同，与造血干细胞相比，向患者体内移植间充质干细胞通常具有较低的排斥几率，这可能使其成为更安全的治疗选择。





间充质干细胞也可以称为间充质基质细胞。

## 2) 间充质干细胞在硬皮病中治疗研究

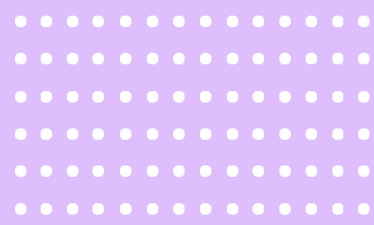
间充质干细胞移植尚未像造血干细胞移植一样得到全方位的研究。然而，尽管还需要做更多的工作，间充质干细胞移植已经进行了少量案例研究和小型临床试验，结果表明其可能对硬皮病患者有益。

一项案例研究评估了从匹配的供体（同种异体）获得的间充质干细胞对两名进行性、耐药的系统性硬皮病患者的疗效。移植前，两名患者均接受血浆净化处理，从血液中过滤掉免疫细胞和蛋白质，以及抑制免疫反应的单剂量的利妥昔单抗。

2016年，试验结果发表在《干细胞研究》杂志上，结果表明：干细胞移植后，患者的症状有所改善；患者的肺部症状如呼吸急促减轻，关节痛减轻和关节弹性整体改善。患者的运动能力和生活质量也得到改善。两名患者分别在疾病进展后第12和16个月接受第二次干细胞移植。

一项开放标签的I/II期临床试验（NCT00962923）正在评估同种异体间充质干细胞移植在20例系统性硬皮病患者中的安全性和有效性。此临床试验在中国进行招募，原计划2011年12月完成，目前无试验结果公布。





医疗人员从脐带获得干细胞并在实验室中培养，在接受单剂量细胞治疗之前，患者经历了三轮血浆置换治疗。

2017年在《关节炎研究与治疗》杂志上发表了来自14位患者（计划招募的20位患者）的结果，结果表明：随访一年后，Rodnan皮肤评分显示患者的皮肤症状明显改善。3例由于硬皮病引起的间质性肺病（ILD）的患者肺功能也显着改善。没有严重不良反应的报道。

法国一项开放标签的I/II期临床试验（NCT02213705）正在招募20例对环磷酰胺耐药的系统性硬皮病患者，以评估同种异体间充质干细胞移植的安全性和有效性，本试验预计将于2022年1月完成。

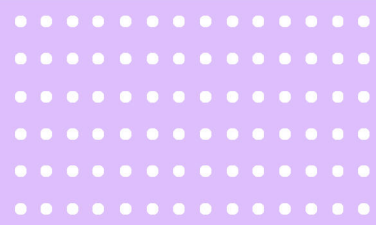
### 3) 间充质干细胞移植治疗指端溃疡

一项近期开展的名为MANUS的随机、双盲、I/II期对照临床试验（NCT03211793）旨在评估局部间充质干细胞注射作为系统性硬皮病患者指端溃疡疗法的安全性及有效性。指端溃疡是指手指和脚趾上无法愈合的溃疡，是系统性硬皮病的常见症状，因为硬皮病会导致四肢血流受限。


本试验预计将于2018年11月在荷兰一地开始招募多达20名志愿者，原计划预计于2020年11月结束，目前尚未公布实验结果。

2018年1月，另一项临床试验（NCT02975960）研究了局部注射间



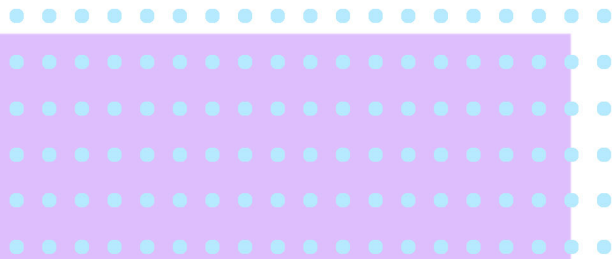


充质干细胞治疗系统性硬皮病中指端溃疡的临床试验。该试验在韩国的一个地点招募了多达7名患者，单次注射的间充质干细胞取自患者自身的脂肪组织或体内脂肪。目前研究结果尚未公布。



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