

## ■新技术

## 美国首个基因疗法获准上市

## 白血病等癌症有望迎治愈拐点

美国食品与药物管理局(FDA)近日通过官网宣布,美国第一个基因疗法获准正式上市。这种CAR-T细胞疗法被批准授予诺华制药以商品名Kymiah用于临床,治疗25岁以下人群复发性或难治性B细胞急性淋巴细胞白血病(ALL)。

FDA在官网称,批准此疗法是一次历史性行动,将为癌症和其他致命性严重疾病开创全新疗法。FDA局长斯科特·戈特利布表示:“我们正在进入一个全新的医疗创新前沿:利用患者自身细胞攻克癌症等致命性疾病。基因和细胞疗法等新技术或将为医学领域带来革命性变化,许多难治性疾病将迎来治愈拐点。”

CAR-T是涉及对患者T细胞进行基因技术处理的个性化疗法,利用每位患者自身T细胞对其进行定制治疗。患者T细胞被提取收集后冷冻保存,送往诺华公司的制造中心,在那里利用基因技术,向T细胞内插入一种能编码嵌入抗原受体(CAR)这种特定蛋白的新基因,之后这些插入新基因的T细胞由各个诊疗中心重新输回患者体内。由于CAR能与白血病细胞表面的特定抗原CD19结合,基因修饰后的T细胞能精准地靶向白血病细胞并将其杀死。

2012年,一位名叫艾米丽的小女孩因化疗后复发,成为第一个接受CAR-T治疗的患者,5

年来她依然健在,成为CAR-T疗效的有力证据。在63例青少年儿童患者参与的CAR-T临床试验中,83%的患者接受治疗后3个月内病情大大缓解;6个月后,89%的患者存活;而治疗一年后,存活率为79%。

在美国,B细胞急性淋巴细胞白血病是一种最常见的儿童癌症,大约每年有3100名20岁以下患者被确诊。患者此前只能选用化疗和干细胞疗法,但大多数患者无法治愈,而少数被宣布临时治愈的病人,病情往往会再次复发。临床试验效果惊人的CAR-T疗法投入使用后,将为患者提供全新的治疗选择。

聂翠蓉

## ■发现

## 肠道菌群对预防1型糖尿病至关重要

一个国际科研小组发现,肠道菌群对预防实验鼠患上1型糖尿病至关重要。如果缺乏正常菌群,抑制该疾病的基因就无法正常发挥作用。

人体免疫系统必须准确甄别人侵者和自身细胞,既不能漏过“敌人”,也不能冤枉“自己人”。1型糖尿病是一种常见的自体免疫疾病,患者免疫系统会错误地攻击自身的胰岛细胞,使其无法正常生产胰岛素。

此前研究发现,多数脊椎动物都拥有一组“守护基因”,叫作主要组织相容性复合体(MHC),在人体内的版本称为人类白细胞抗原(HLA),它们负责使免疫系统识别自身细胞,避免自体免疫疾病。但这些基因怎样发挥作用,人们还不清楚。

美国哈佛大学医学院研究人员及意大利同行在美国《国家科学院学报》上发表报告说,他们培养了一批实验鼠,既携带增加1型糖尿病风险的基因,也携带一个能抑制该疾病的守护基因。正常情况下,守护基因能发挥保护作用,压制致病基因。

实验发现,如果在实验鼠出生后6周之内施用抗生素,或者在无菌环境中培养,妨碍幼鼠建立正常的肠道菌群,其胰岛细胞就会出现严重炎症,这是1型糖尿病发作的先兆。此外,在母鼠分娩前10天内施用抗生素,也会使幼鼠丧失对1型糖尿病的抵抗力。在幼鼠出生6周之后施用抗生素就没有这种后果。

研究人员说,这意味着针对1型糖尿病的守护基因需要正常肠道菌群才能发挥作用,因此对新生儿和孕妇使用抗生素应当格外谨慎,避免在婴儿建立肠道菌群的关键时期造成干扰。

这一发现提出了MHA/HLA守护基因发挥作用的一种模式,至于其他守护基因是否采用类似模式运作,尚需进一步验证。

新华

## ■探索

## 成人肥胖或是线粒体故障所致

澳大利亚科学家最新发现,成人肥胖可能是细胞内线粒体的基因表达出了问题。

线粒体是细胞中提供能量的细胞器,有着自己的遗传物质。西澳大利亚大学等机构研究人员在美国《科学进展》杂志上报告说,他们通过小鼠实验发现,如果线粒体中PTCD1基因表达受损,线粒体形态就会发生变化,无法正常将脂肪和碳水化合物转化成能量,进而引发成年人肥胖,患脂肪肝、心脏肥大等疾病。

研究人员说,实验表明,线粒体基因表达出现问题对能量代谢有着长期影响,了解其中机制可更有针对性地开发治疗肥胖、脂肪肝等疾病的药物和方法。

徐海静

## ■健康新知

## 母乳喂养减少子宫内位症

《英国医学杂志》刊登美国哈佛大学一项新研究发现,母乳喂养可使女性罹患子宫内位症的风险降低四成。

美国哈佛大学医学院附属布莱姆妇女医院研究员莱斯利·法兰德博士及其研究小组对约7.2万名怀孕至少6个月以上的妇女展开了为期至少20年的跟踪调查,并对相关数据展开了深入分析。研究期间,共有3296名妇女在首次怀孕后确诊患有子宫内位症。

对比分析结果发现,给孩子喂母乳的时间每增加3个月,妇女罹患子宫内位症的风险就会降低8%,完全母乳喂养的妇女罹患子宫内位症的风险降低14%。一生中给孩子喂母乳的时间达到3年或3年以上,可使子宫内位症风险降低近40%。

法兰德博士分析指出,母乳喂养降低女性罹患子宫内位症风险的关键原因是,母乳喂养期间月经暂停,催产素和雌激素等水平发生显著改变。

徐澄

## 跳舞延缓大脑退化

发表在瑞士《人类神经科学前沿》期刊上的一项新研究显示,如果老年人经常参加体育锻炼,就能够逆转大脑的衰老信号,而跳舞的效果则最明显。

以前已有研究显示,体育锻炼能够对抗因年老所带来的大脑衰退现象,但不能确定哪种类型的锻炼效果更好。在新研究中,研究人员招募了平均年龄为68岁的老年志愿者,并根据不同的锻炼类型把他们进行分组。这些老年人均接受了为期18个月、每周1次的锻炼。

其中,传统组的锻炼方式主要是重复性的训练,比如骑车或健走,而跳舞训练的那组受试者每周都要尝试新内容——隔周就会调整舞步、手臂动作、队形、速度和节奏,从而使受试者始终处于学习状态中。

结果显示,两组老年人的大脑海马体区域功能都比同龄人有明显增强。这一区域很易出现变老所导致的衰退,同时也对记忆、学习等方面起着重

要的作用。负责这项研究的、德国神经退行性疾病中心的卡特琳·雷费尔博士表示,新研究显示,2种不同的锻炼方式(跳舞与耐力训练)都能缓解大脑因年龄增长而发生衰退的迹象区域。但相比之下,仅有跳舞能在改善平衡方面带来明显的行为改变。

研究人员指出,老年人要想减缓大脑快速退化,可把跳舞作为运动的首选项目。

曹淑芬



## ■好奇心

## 睡得太多 易做恶梦

英国牛津大学的研究发现,担心未来和睡太多觉,是引发恶梦的最大原因。与每晚睡6个小时的人相比,每晚睡超过9个小时的人更易做恶梦。研究人员相信,睡得比较久会使“睡眠中的快速动眼期”(REM)较长。REM是睡眠周期中的最后阶段,人们在这个阶段比较容易

做梦。故睡得越久,做恶梦的概率也越高。

研究人员将846名年龄在18至77岁的受访者作为研究对象,其中45%的人在前2个星期中做过至少1次恶梦。研究内容涉及受访者做恶梦的频率、睡眠时间、饮酒量、运动程度、担忧之事、有无幻觉、

有无妄想症、是否经历过心理创伤等。

结果显示,担忧是引发恶梦的最大风险,其次是睡眠时间。担忧引起的重复性念头据信会成为恶梦的内容,而由恶梦引发的忧伤则会造成恶性循环。但饮酒和缺乏运动与做恶梦无关。

蒲昭和