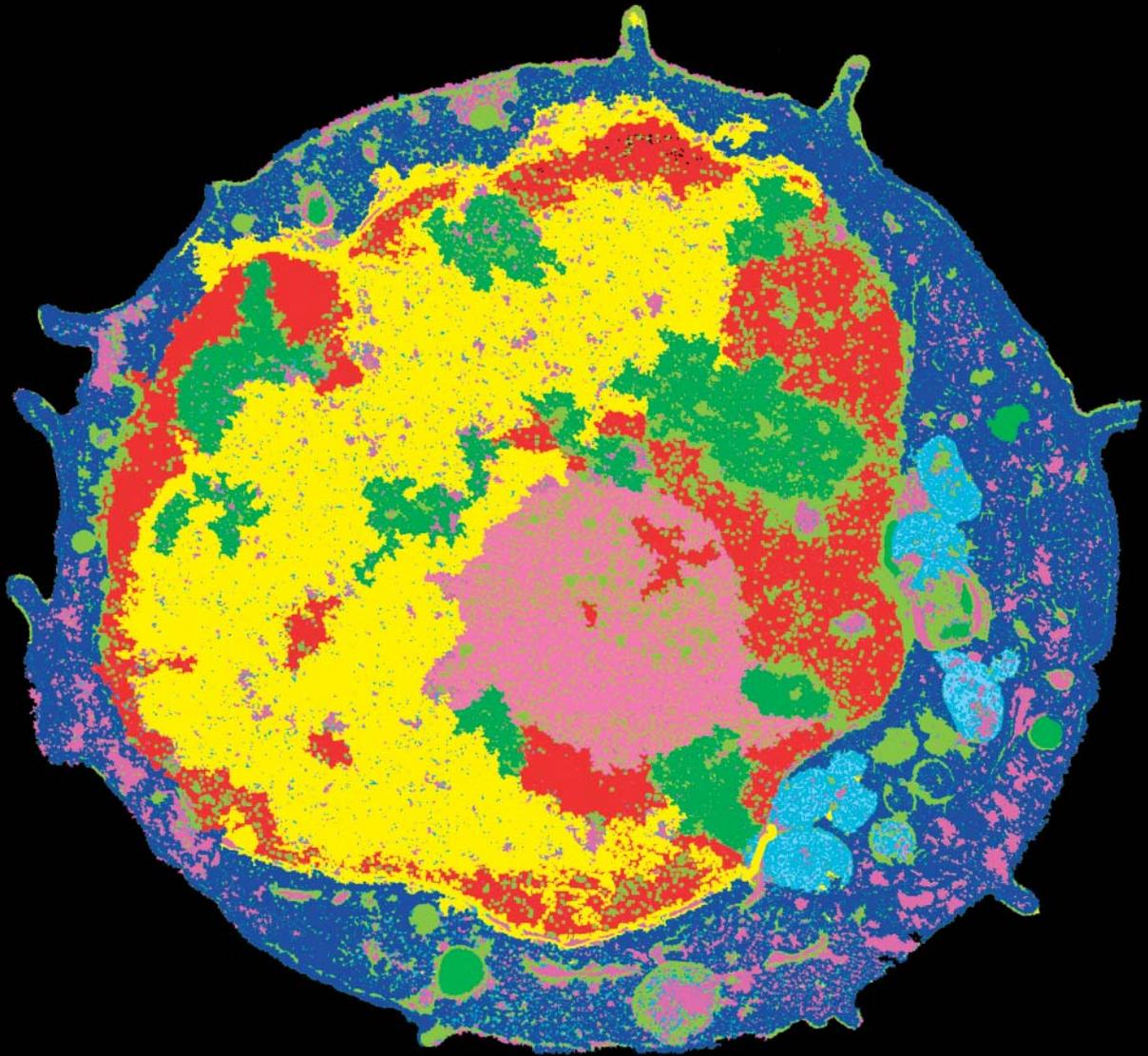


# MS 聚焦

第十一期 • 二零零八

## ● MS 的干细胞和髓鞘再生 疗法



multiple sclerosis  
international federation

## 编辑委员会

### 多发性硬化症国际联合会 (MSIF)

我们领导和推进全球的 MS 治疗活动，鼓励深入了解多发性硬化症 (MS) 及其各种疗法的研究，致力于改善 MS 症候人群的生活质量。我们同国家 MS 协会、医疗专家和国际科学共同体等开展紧密而独特的合作，从而肩负起这一重要使命。

我们的目标是：

- 支持国家 MS 协会的有效发展
- 传播有关 MS 的知识、经验和信息
- 在全球范围内宣传和支持国际 MS 患者群体
- 激励对于 MS 理解、治疗和治愈的研究。

请浏览我们网站 [www.msif.org](http://www.msif.org)。

**编辑和项目领导人** Michele Messmer Uccelli, MA, MSCS, 意大利多发性硬化症协会社会和健康研究部, 意大利热那亚。

**执行编辑** Melanie Hook, BA、PgDip, 信息及交流经理, 多发性硬化症国际联合会。

**编辑助理** Chiara Provasi, MA, 项目协调人, 意大利多发性硬化症协会社会和健康服务部, 意大利热那亚。

**国际医疗和科学委员会报告成员** Chris Polman 医学博士, 博士, 自由大学医学中心神经学教授, 荷兰阿姆斯特丹。

#### 编委会成员

Nancy Holland, EdD、RN、MSCN、副总裁, 美国国家多发性硬化症协会临床项目。

Martha King, 出版总监, 国家多发性硬化症协会, 美国。

Elizabeth McDonald, MBBS、FAFRM、RACP, MS 澳大利亚神经中心 (NSW/VIC) 医疗总监。

Nicole Mulasits, *Neue Horizonte* 杂志主编, 奥地利多发性硬化症协会, 奥地利。

Izabela Odrobinska, 波兰多发性硬化症协会主席, 波兰。

Dorothea Pfohl, RN、BS、MSCN、MS 护士 ; 临床协调人, 宾夕法尼亚大学健康系统神经学系 MS 综合中心, 美国。

Paul Van Asch, 理疗总监, 国家多发性硬化症中心, 比利时 Melsbroek。

Nicki Ward-Abel, MS 讲师、执业医师, 中英格兰大学, 英国伯明翰。

**封面图片** : Coloured transmission electron micrograph (TEM) of a section through a stem cell. Illustration copyright © DR GOPAL MURTI / SCIENCE PHOTO LIBRARY

#### 设计和制作 :

Cambridge Publishers Ltd  
275 Newmarket Road  
Cambridge  
CB5 8JE  
UK

+44 (0)1223 477411

[info@cpl.biz](mailto:info@cpl.biz)

[www.cpl.biz](http://www.cpl.biz)

ISSN1478467X

© MSIF

## 编者寄语



最近新闻报道充斥了很多争论，针对干细胞研究出现了许多反对和赞成的声音。因为媒体有着极为显著的放大作用，在报道当前研究进展和前沿成果时，许多有关干细胞的争论常常缺乏准确和公正的信息。

每个人都知道些从 MS 疾病中神奇康复的故事。人们常常四处求医，在绝望中寻求治愈的可能，寄希望于干细胞疗法；但是使用未经科学严格验证的干细胞治疗手段是有危险的，也是不符合伦理规范的。

研究“新闻”会给我们带来希望，但也要求我们提升理解水平，了解最新的研究指引方向。其间每例事实都应当接受进一步的审核和验证。

本期《MS 聚焦》重点讨论干细胞和髓鞘再生在 MS 治疗中的应用。当前环境下，MS 各方面群体对此都充满期望和愿景，当然大家也必须面对其中诸多不确定因素。涉及干细胞方面的 MS 研究相当复杂，理解颇为不易。本期《MS 聚焦》汇聚了众多一流科学家的观点，他们全面描述了迄今为止的干细胞研究图景，以及世界各地科学家为之努力的焦点问题。通过本期内容，我们希望读者能更好理解目前 MS 研究的进程，从而可以密切关注诸多针对 MS 患者的新治疗策略。

目前干细胞研究中，各方面已投入巨大的努力，从卓越的研究水准和严谨的科学态度，到质量控制、监督和回报等等，我们希望本期内容帮助读者了解这些科研标准。如果干细胞疗法果真能成为 MS 患者的现实选择，这些标准将是干细胞研究领域不可或缺的一部分。

本人谨代表编辑委员会，向 Gianvito Martino 博士表示诚挚的谢意，感谢他帮助我们第 11 期杂志的作者组织起来；在他的帮助下，本期内容涵括了 MS 疾病里干细胞研究中的最重要的实质课题。

我期待收到您的建议或评论。

编辑 **Michele Messmer Uccelli**

## 目录

干细胞：了解它们在治疗 MS 的作用	4
间质干细胞：承诺和现实	7
利用神经干细胞进行 MS 髓鞘修复	9
造血干细胞疗法：我们能修复 MS 疾病中的免疫系统吗？	12
人类胚胎干细胞：实验性资源？还是治疗性资源？	16
髓鞘再生，MS 疾病的下个治疗目标？	18
为在 MS 疾病中应用干细胞疗法确立政策	21
问题解答	23
专题访谈：Pablo Villoslada 博士	24
干细胞在线调查结果	25
书评	26
术语表	27

我们在 27 页提供了一份词汇表，以帮助读者了解这一复杂的话题。

下一期《MS 聚焦》将讨论“强直”症状。请将问题和信函寄至 [michele@aism.it](mailto:michele@aism.it)，或寄给 Messmer Uccelli，地址：the Italian MS Society, Via Operai 40, Genoa, Italy 16149

## 编辑声明

《MS 聚焦》的内容基于专业知识和经验撰写而成。编辑和作者努力提供最新的相关信息。所述的观点和看法可能并非 MSIF 的观点和看法。通过《MS 聚焦》提供的信息并不试图取代医师或其他医疗专业人士给出的建议、药方或意见。对于特定的个人信息，请咨询您的医疗护理机构。MSIF 不批准、认可或建议特定的产品或服务，只是提供信息，协助人们自己做出决定。

# 干细胞：了解它们

医学博士 Jack Antel 和博士

Peter Darlington，蒙特利尔神经病学协会及医院，McGill 大学（位于加拿大魁北克省蒙特利尔市）

多发性硬化症 (MS) 最常见的特征就是有个反复复发 - 缓解的临床过程：其间患者会出现一项或多项神经缺损症状，随后数天或数周内这些症状就会部分或完全恢复。从核磁共振 (MRI) 成像检查可以看出，反复复发说明中枢神经系统 (CNS) 内出现新的损伤。通过实验室观察，这类损伤的特点包括炎症、髓鞘毁损，以及基础轴突的多种受损。

更进一步的问题是，髓磷脂的持续缺失将导致轴突不断丧失，在某些情况下，这就构成了 MS 进展型病症特性的外在基础。髓磷脂的持续缺失可以致使轴突更易受反复损害，进而导致轴突做出补偿性改变来转换特性（改变离子通道的表达特质）。这个过程会导致轴突受到更多的延迟危害，而轴突长期存活的那些辅助性因素也会被清除。本期《MS 聚焦》集中介绍干细胞治疗是否能够修复或者替代受损的髓鞘，藉此在 CNS 中重塑有效的电子传导通道，进而恢复患者的神经功能。

## 什么是干细胞，它们做些什么？

干细胞，还有某些类型的“祖细胞”，都是典型的可以自我更新的细胞，即它们可以分裂并且进行自我繁殖；它们还可以分化成为成熟的细胞类型，从而获得构成特定器官的细胞属性。最初的干细胞是那些在卵细胞受精后（即众所周知的受孕）首次分裂后产生的结果。由于这

类细胞有能力分化成所有构建各种身体器官类型的细胞，所以被称之为多能干细胞。

分化过程中，还有细胞保持有这种自我更新的能力，但分化的潜力更加受限制；例如，它们分化产生的细胞类型有限。本文将专门讨论特定的干细胞类型。留驻在 CNS 内的干细胞和那些可以生成神经细胞的干细胞被称为神经干细胞或者祖细胞。有些可以制造所有类型的神经细胞，而另一些似乎更受限制，包括那些只能生成髓鞘形成细胞（髓磷脂或者少突胶质祖细胞）。身体内每个细胞都由特定的蛋白质（受体）创造而来，每个细胞都含有特定的受体组合。科学家利用这种干细胞受体的生物独特性来标记细胞。如同其它文章讨论那样，这些细胞类型可以通过下列情况确定：那些同它们成熟状态互相关联的特定细胞标记的表达；和 / 或那些规定它们对环境信号发生反应的基因产品的表达。

## 为什么干细胞可以在治疗 MS 疾病中发挥作用？

来自组织学研究和核磁共振成像 (MRI) 的研究表明，髓鞘再生可以发生在 MS 损害过程中。此类髓鞘再生的情况随损害程度而变化。多种 MS 类型的动物实验表明，通过毒素或病毒 / 免疫机制导入的实验性脱髓鞘化随后都几乎被完全修复。在这些类型中，髓鞘再生不是通过少突胶质细胞（最初生成髓磷脂）进行的，而是通过未成熟的祖细胞或干细胞进行的。这些细胞迁移到受损点（脱髓鞘化发生的区域），并

**髓磷脂的持续缺失可以致使轴突更易受反复损害**

# 在治疗 MS 的作用

生成髓鞘形成细胞。这类细胞可以在成人 CNS 的各种位置找到，包括出现 MS 损伤的周边区域。

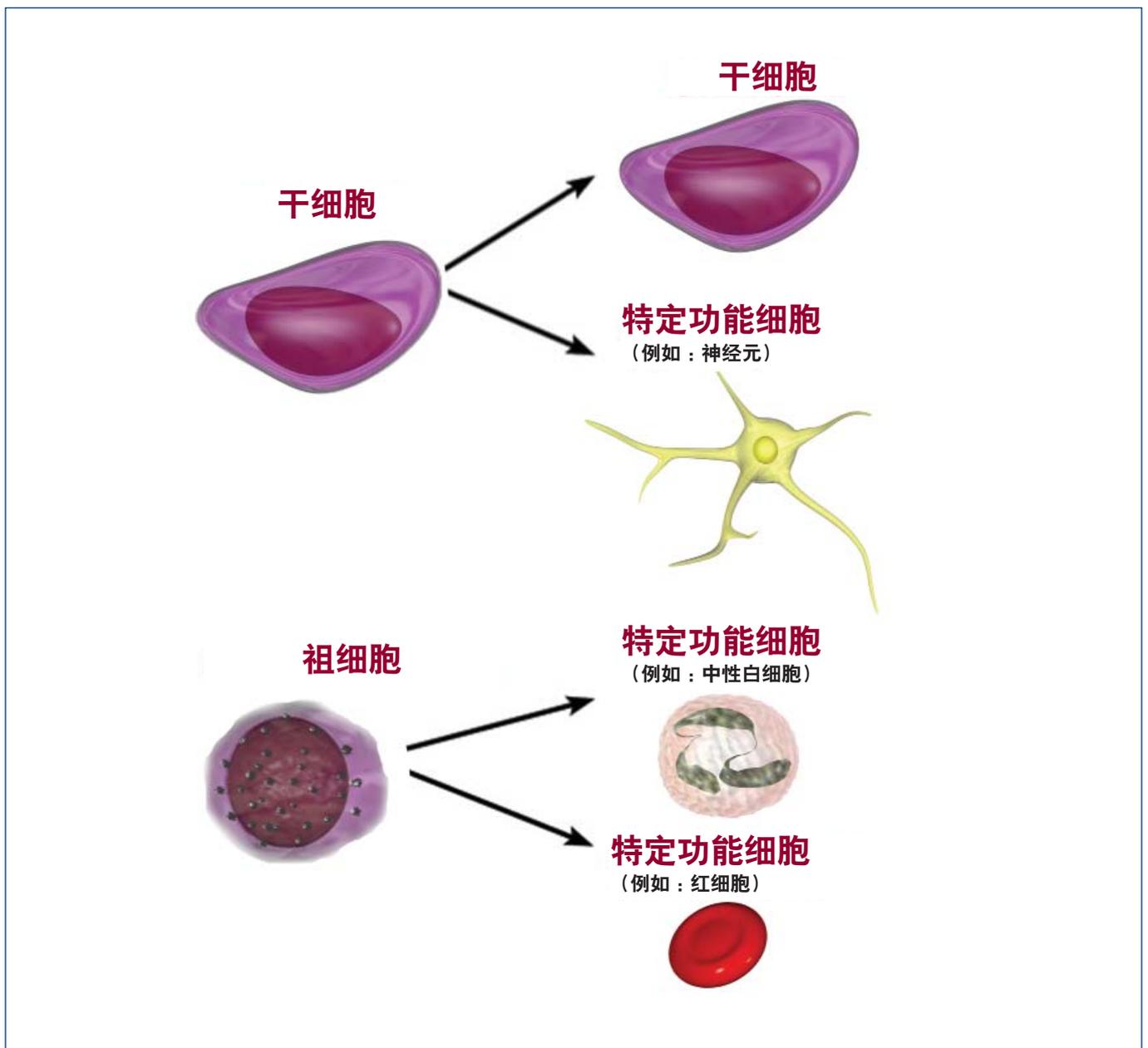
## 对于 MS 里的干细胞，我们需要了解什么？

在 MS 研究中最关键的难题就是确定：什么会限制祖细胞修复 MS 损伤的能力。下列情况

可以纳入考虑范围：

- 现有的祖细胞数量
- 现有的祖细胞是否有某些缺陷
- 用来召集此类细胞修复损伤的信号是否有缺陷，用来刺激它们成熟并生成为髓鞘形成细胞的信号是否有缺陷，或者，反过来看，在 CNS 环境里真实信号是否会限制此类反应的发生。

*它们还可以分化成为各种细胞类型，从而获得构成特定器官的细胞属性。*



基础轴突受损害程度的高低是否会限制此类修复行为？

我们在研究中会通过各种方法和模式来理解祖细胞或干细胞的构造机理。本期《MS 聚焦》的主题旨在勾勒出这些方法和模式。

### 将干细胞生物科技转换为 MS 髓鞘再生疗法

本期将提供特定的视角来审视干细胞群所具备的生物学应用和潜在临床治疗应用。那些通常并不在 CNS 里的干细胞群必须被传送到 CNS 里来（外生修复），然后导引它们直接参加实际的修复过程。对于留驻在 CNS 内部的干细胞来说，就存在促使内生（身体内部）修复出现的

可能性。例如，利用可以穿越血脑屏障的生物制剂或药剂来增扩细胞数量，促使它们成长为有用的髓鞘形成细胞。

### 干细胞技术的未来和 MS

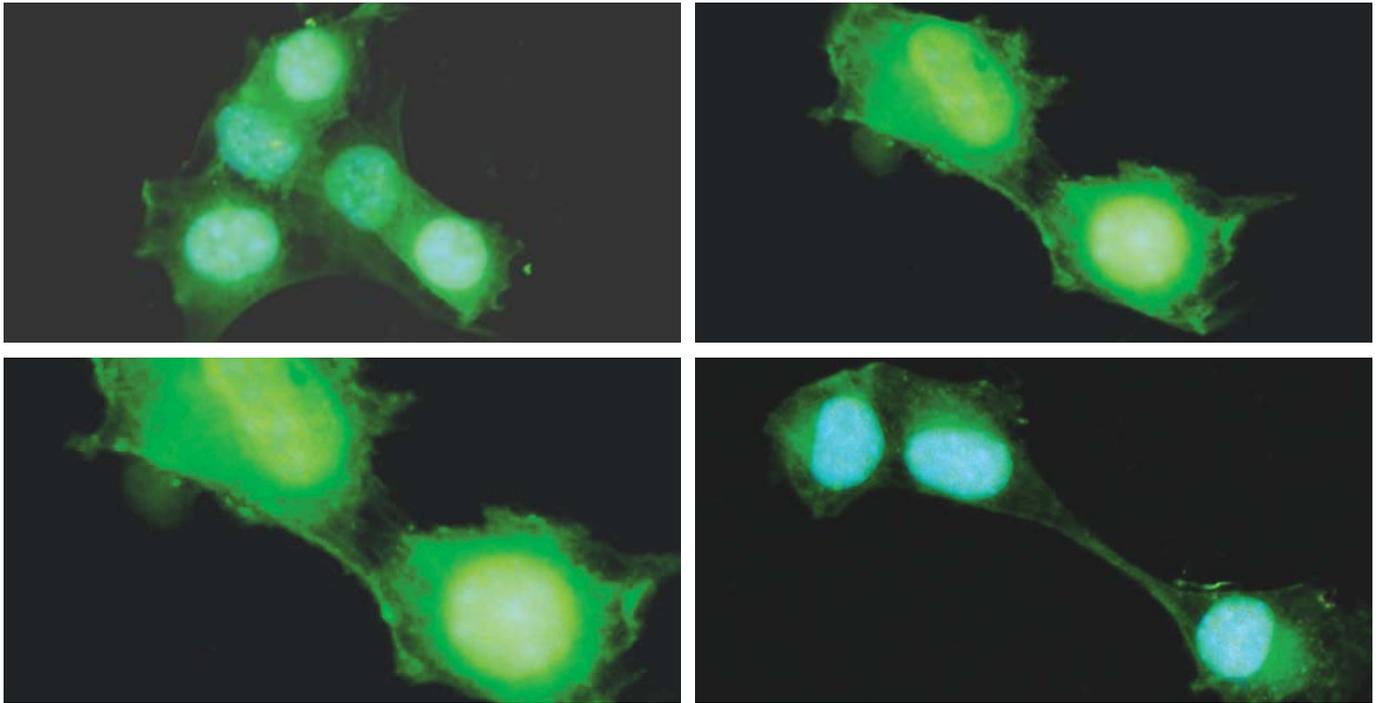
本期《MS 聚焦》的中心讨论内容：干细胞生物学的前沿进展将如何引领我们在 MS 领域发挥干细胞疗法的应用潜力；尤其需要结合下列渠道来考虑问题：通过总结分析 MS 损伤中的病理特征，通过免疫介导来控制 MS 损伤阶段的疗法，还有利用 MRI 技术来动态监控 MS 疾病发展过程等。知识基础越坚实，我们就越有可能将这种“全新生物学”发展成为理性的、安全的和有效的治疗方法。



插图版权所有 Peter J Darlington 博士, 2007

MS 疾病中修复 CNS 的挑战

# 间质干细胞： 承诺和现实



荧光鼠科间质干细胞在用绿色荧光蛋白转染（已修改的）的培养基中。

Antonio Uccelli 医学博士，热那亚大学神经科学、眼科学及遗传学系神经免疫小组，意大利热那亚

干细胞属于异质细胞群体，就是说它们的属性千差万别，互相之间性质并不统一。由于它们能够生成各种组织类型的细胞，通常大家都错误地认为它们有能力修复几乎各种组织。基于这类期望，在再生医学的许多领域，干细胞都被当做可以进行组织修复的细胞源，其中就包括了神经病学。

T 细胞和 B 细胞是身体免疫系统的基本成分，一般称之为淋巴细胞。当身体受到攻击时，两类细胞就开始发挥保护作用：B 细胞制造抗体，T 细胞动员其它细胞，构成免疫反应。

在 MS 中，身体做出错误的综合免疫反应。在 CNS 中，自动反应的 T 细胞和 B 细胞认为身体自有的髓磷脂抗原是外来物，于是开始攻击和摧毁髓鞘。髓鞘层的破碎（脱髓鞘化）随即导致神经传输通道的受损，长期如此，就形成了神经元损伤——此即构成了不可逆型残疾的生物基础。因此，MS 的理想治疗方法应当以自动反应细胞为目标，保护受侵犯的 CNS 组织和促进其修复。

最近在实验性自身免疫脑脊髓炎 (EAE) 模型开展的研究表明，同 MS 类似的动物疾病已证实

间质干细胞 (MSC) 也许有可能达到其中某些目标。

MSC 的特征就是存在于骨髓间，同造血干细胞 (HSC) 互相密切反应，在血液里形成细胞组分。MSC 的自然发育方向，就是进一步分化成骨、关节、脂肪、肌肉和肌腱等中胚层组织。基于它们的固有趋势，一般将 MSC 划归为中胚层组织的多能前体细胞，而不是真正的干细胞。然而，在特定的实验条件下，MSC 具备分化成其它细胞类型的能力，包括神经细胞。直至最近，有研究已证实，MSC 能够影响免疫系统内细胞的诸多功能，包括活化的 T 细胞和 B 细胞。在有 MSC 存在的情况下，淋巴细胞和其它免疫细胞的数量并不增长，也不会制造炎症因子——即错误的免疫攻击信号。以 MSC 容量为基础来调整免疫反应，以及它们生成神经细胞的显性能力，MSC 作为 EAE 的治疗手段得到很好的检测。对患有 EAE 的老鼠进行 MSC 静脉注射，在本疾病的临床过程中得到明显的改善结果，炎症和髓鞘的脱失程度都得以明显降低。当疾病开始显现时，随即开始对老鼠展开治疗，便可观察到良好的治疗效果；伴随此效果，还可看到 T 细胞和 B 细胞对在淋巴结测到的髓鞘抗原反应获得调节，这表明 MSC 有能力调节针对髓鞘的自身免疫攻击。对比之下，在疾病发展到慢性阶段后，目前并没有发现所治疗的老鼠出现临床意义上的改善效果。注入的 MSC 可以在发炎的 CNS 中检测到，没有有力证据表明它们转成神经细胞。然而，轴突丧失情况得到缓解，并同时还观察到在 CNS 发炎区域出现神经元数量的增长。在受控制环境（体外）下及在动物实验中，已经证

实 MSC 对下列情况有保护效果：神经元细胞和和其它受炎症或其它毒素威胁的细胞类型。这意味 MSC 可以在活性生物体（体内）内促进受损或濒死细胞的存活。

MS 作为一种疾病，在 CNS 发炎和脱髓鞘化形成后，就会出现神经变性现象。这些结果说明 MSC 有可能成为 MS 的潜在治疗方法。然而，目前没有证据表明 MSC 能对由于慢性的，不可逆的神经损伤而导致的重度残疾患者起到有效治疗的作用。在这种情况下，MSC 或其它任何成体干细胞是否能让复杂的神经系统再生，从而从严重伤残中恢复。目前的实验证据表明，非常遗憾，没有这种可能性。

尽管有这些顾虑，应用 MSC 治疗 MS 疾病是可能的，并非是什么未来概念。事实上，已在临床中通过骨活检或者通过吸出脂肪组织来提取 MSC。尽管注射 MSC 的长效安全性还不可知，但在从非包容性供体（供体血型与受体不同）进行骨髓移植时，它们已经能够用来促进血细胞（造血）的生成；同时它们也可以用来治疗为数不多的几种急性疾病，包括心脏病和移植物抗宿主疾病 (GVHD)。

从患有 EAE 的动物，还有源于其它疾病的临床经验等收集到的数据都表明，MSC 也许能代表未来治疗 MS 快速恶化型患者的方法。而对此型疾病，目前尚无有效的治疗手段。今后的研究必须验证 MSC 体内生成神经细胞的能力，并可能以本地神经前体细胞（支持轴突并制造髓鞘）来促进内生恢复的形成，从而为组织修复和再生提供希望。

# 利用神经干细胞进行 MS 髓鞘修复

医学博士 Gianvito Martino, San Raffaele 科学学院神经病学和神经生理学系,  
意大利米兰

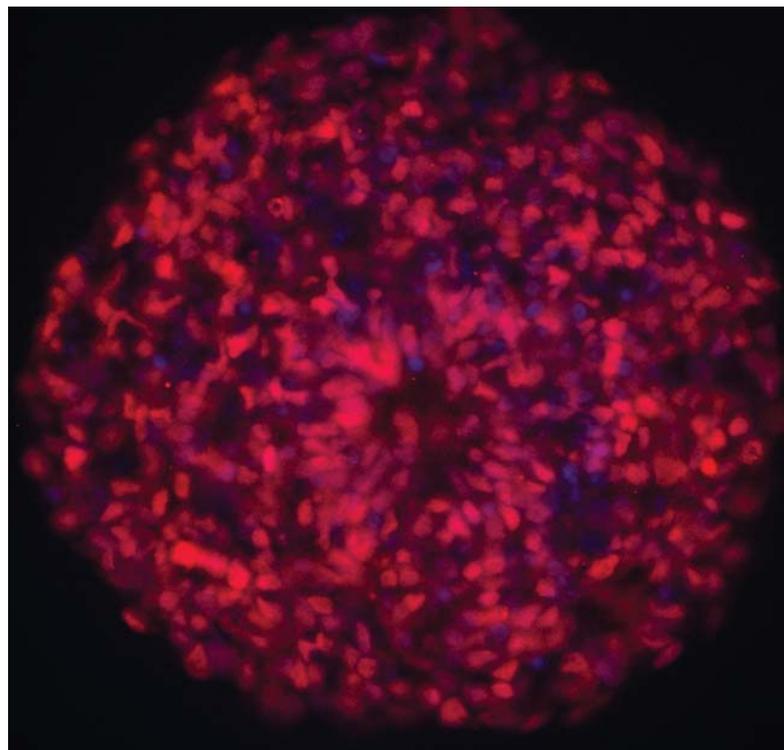
## 什么是神经干细胞?

最早发现干细胞存在的证据可以追溯到 19 世纪末。那时, 科学家做出假设, 认为干细胞存在于胚胎和血液中。然而, 干细胞也在成熟大脑中存在的概念却一直被忽视了, 直到 20 世纪 60 年代早期, 首次观察到一个分裂的细胞群可以生成新的神经细胞, 此后, 即命名为神经干 / 祖细胞 (NPC)。后来, 在 20 世纪 80 年代早期, 进一步的研究证实 NPC 是种可以自我更新的细胞, 能够在实验室环境下产生为数不多的几种多能细胞类型。根据它们的能力设定, 可以转变成神经系统中三种主要的细胞类型: 神经元细胞、星形胶质细胞和少突胶质细胞。

自从确认 NPC 以来, 已经成功建立起在体外环境下获得大量 NPC 的培养模式。这些成功收获 NPC 的方案将为下列设想提供支持: 任何 CNS 病变, 包括出现在 MS 里的髓鞘紊乱疾病等实际上都可以利用这种可以随时使用的细胞源。

## 在 MS 中应用神经干细胞治疗 —— 我们身处何方, 我们将去往哪里?

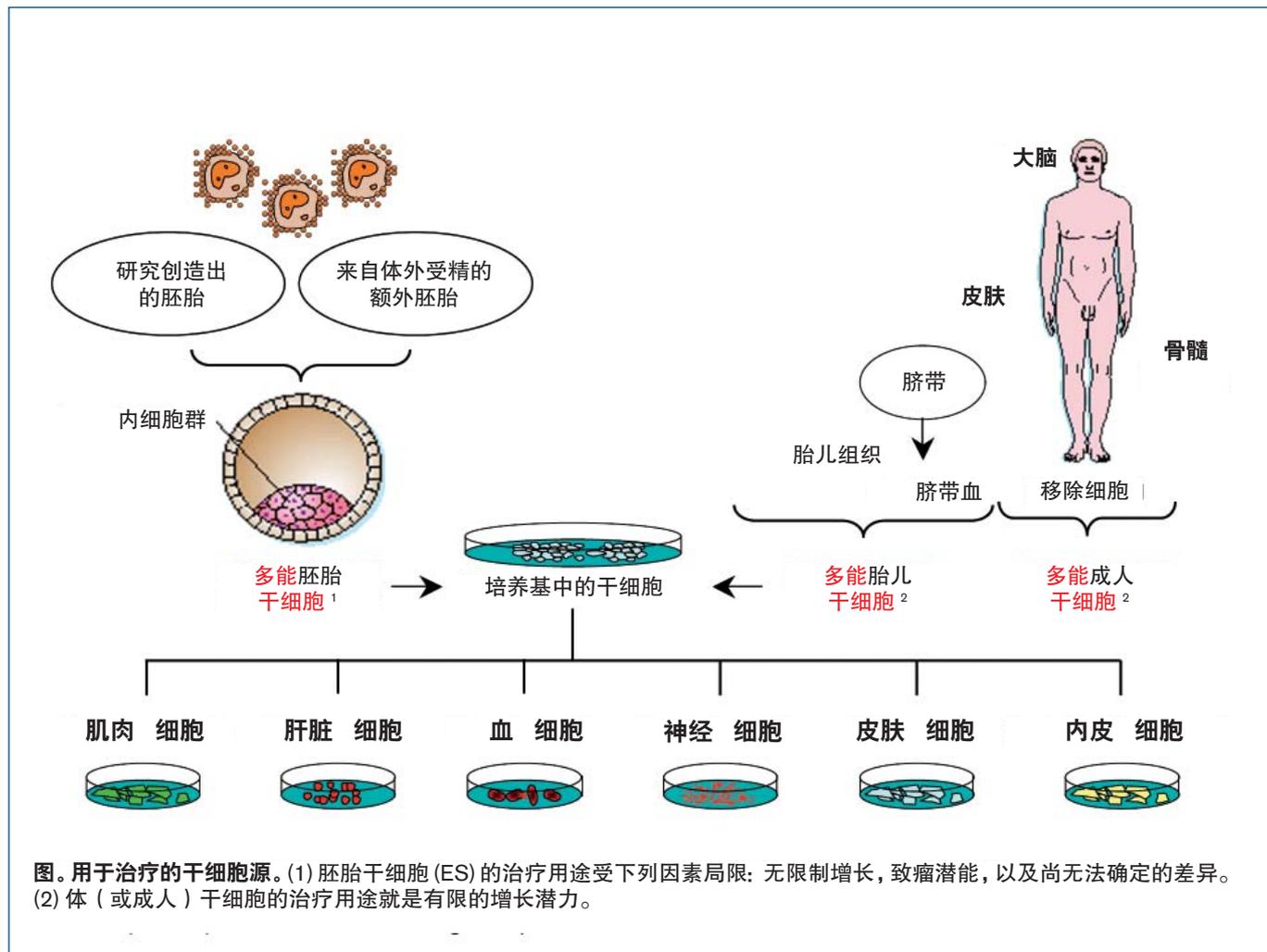
从移植 NPC 进入 EAE 感染小鼠实验中获得的



*神经祖细胞可成为理想细胞源, 为髓鞘失调病症中基于细胞的治疗方法提供供给。*

初步结果很令人鼓舞, 但针对 MS 患者应用这些潜在的治疗手段之前, 我们还有一些问题需要解决:

- 理想的干细胞移植源
- 给药路径
- 移植细胞进入目标组织的整体结合



自从鉴别出 NPC 以来, 旨在通过体外手段获得大量 NPC 的研究协议已经得以建立。

### 干细胞来源

胚胎干细胞 (ES) 和 NPC 都可以视为治疗髓鞘紊乱疾病的理想细胞来源, 可为各种基于细胞的治疗手段提供供给。当移植入患有 EAE 的动物体内时, 这些细胞能够在体内生成髓鞘形成细胞和对脱鞘神经周围进行髓鞘再构。但这些潜在来源都会产生并发症。伦理问题不是 ES 中唯一引起关注的原因。NPC 的应用很复杂, 提取这些细胞移植到 MS 患者身上而不发生排斥反应非常困难。目前, 唯一可用的, 并且可靠的 NPC 来源是来自人类胎儿身上, 但这意味着移植程序会非常艰难, 因为受体需要进行长期的抑制免疫过程, 从而避免供体细胞和受体细胞间的互斥性。

### 细胞给药途径

细胞给药途径在干细胞移植中是另一个重要问题。如果 CNS 失调紊乱疾病的特征是单一的, 受损区域易于确定, 例如帕金森氏病或者某种脊髓损伤等, 那么针对损害部位的直接细胞移植会产生效果。但对于 MS 类别的疾病, 其典型特点就是损伤区域多点化分布, 因此必须确立另外的解决方法。显然, 多点细胞注射入大脑不太现实。最近有些实验已部分克服了后者的局限性。在 MS 动物实验模式下可以看到, 当采用静脉注射 (IV) 或者脑脊髓液体循环 (IC) 的方式, NPC 能够达到大多数髓鞘受损区。

## 细胞结合

需要三大步骤来促成神经传导通路的完全恢复。植入的 NPC 应当整合入髓鞘损伤区，然后分化成髓鞘形成细胞并且受损神经利用新形成的髓磷脂进行髓鞘再造。一旦植入体内，NPC 可以分化成髓鞘细胞，但它们下面两种能力尚未得到证实：一，重构真正的复杂大脑架构，二，产生正常功能的细胞，它们能够持续地将功能整合入大脑环路。

另一方面，在 EAE 动物模式下取得的最近数据显示，NPC 仍然能够通过治疗机制显现效果。通过 IV 和 IC 注入 NPC 已显示可以阻止髓鞘损失，具体手段就是通过施加强力的抗炎治疗手段，来杀死血液内入侵 CNS 和损害髓鞘的炎症细胞。该治疗效果的目的是阻止二次神经变性和不可逆性神经损伤的发生，但达到该目的并不依赖 NPC 分化成髓鞘形成细胞的能力，治疗效果主要通过尚未分化的 NPC 来达到。实际上，有研究显示在患有 EAE 并获得细胞移植治疗的小鼠身上，有少于 5-10% 的植入 NPC 会分化成髓鞘形成细胞。

## 科学家是如何利用干细胞来理解 MS 的？

人们认为留驻成人大脑的 NPC 是自我更新的、有多种能力的细胞，具有修复脑损伤的能力。但我们尚不清楚为什么此类细胞无法长期促使稳定的髓鞘再生活动形成。MS 疾病的初步实验和人类研究显示，导致髓鞘损伤的炎症过程也会给内生 NPC 或者已在生物体自身出现的 NPC 带来选择性损伤。支持本假设的最明显证据是

在 MS 疾病中绝大多数的脑损伤（都会出现不可逆性的进展演变）都位于在脑室地区，这正是在成人期 NPC 加速成长的区域。这样，NPC 损伤应当，最少在部分上，就是 MS 患者发生髓鞘再生障碍的原因。我们需要理解细胞间的相互反应，并且懂得这种相互反应是如何监管的；我们可以借此制定治疗策略，从而达到重建 NPC 在 MS 疾病中同步再生能力的目的。

## 安全和可控的研发程序将产生深远的影响

### 干细胞研究的未来

针对在 MS 疾病中应用 NPC 这一主题，在开展小型的、首期性质的安全性实验前，科学界需要在下列重要步骤取得共识：

- 建立起共同的病人招募标准和结果鉴定方法（为了比较结果等）
- 建立起共同的接受移植治疗病人名录
- 为干细胞制造开发可复制的，可追溯的程序（细胞源，供体的可追溯性等）

本研究的未来发展也取决于生物标记的发展，生物标记是一些分子，可用来侦测和隔绝某个特定的细胞类型。本研究的发展也取决于 MRI 技术的进展，该技术用来评测植入细胞的效用/毒性。神经干细胞疗法要成为常规的 MS 治疗方法还需要投入多年的研究，但安全和受控制的研发程序必然会对该疾病的治疗选择产生深远的影响。

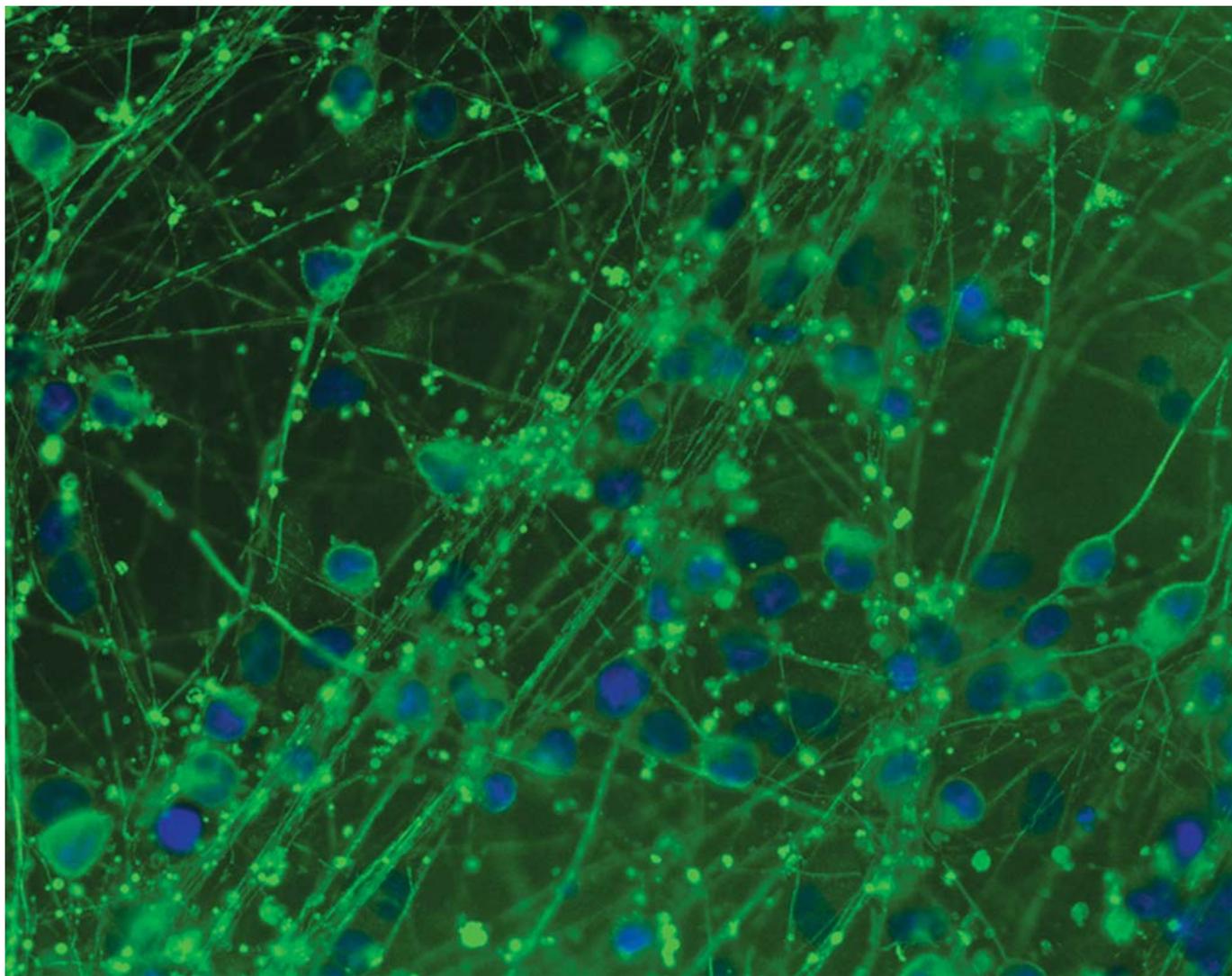
# 人 类 胚 胎

## 实验性资源？ 还是治疗性资源？

Siddharthan Chandran 博士，MRCP，剑桥大学大脑修复中心临床神经科学系，英国剑桥

上个十年，各类干细胞领域，尤其是人类胚胎干细胞 (ES) 领域，爆发出前所未有的研究热情。从研究相关人员，到政策制定者

直至伦理学家等等许多群体都为此发表看法和意见，让希望和恐惧交替呈现在大家面前。



作为一种实验和药物探索工具，ES 可以生成的神经细胞（见上图）供应几乎是无限的。

# 干 细 胞 :

## ES —— 终极康复妙药?

绝大多数干细胞只能制造其组织属性的细胞，例如，神经干细胞只能制造神经细胞。但人类胚胎干细胞 (ES) 能够制造所有的细胞类型 (超过 200 种)，也就是说可以制造一个人类个体。ES 两大极为相似的属性，自我更新和多能性 (可以无限制地专门化发展)，意味 ES 有潜力成为终极身体康复的灵丹妙药。

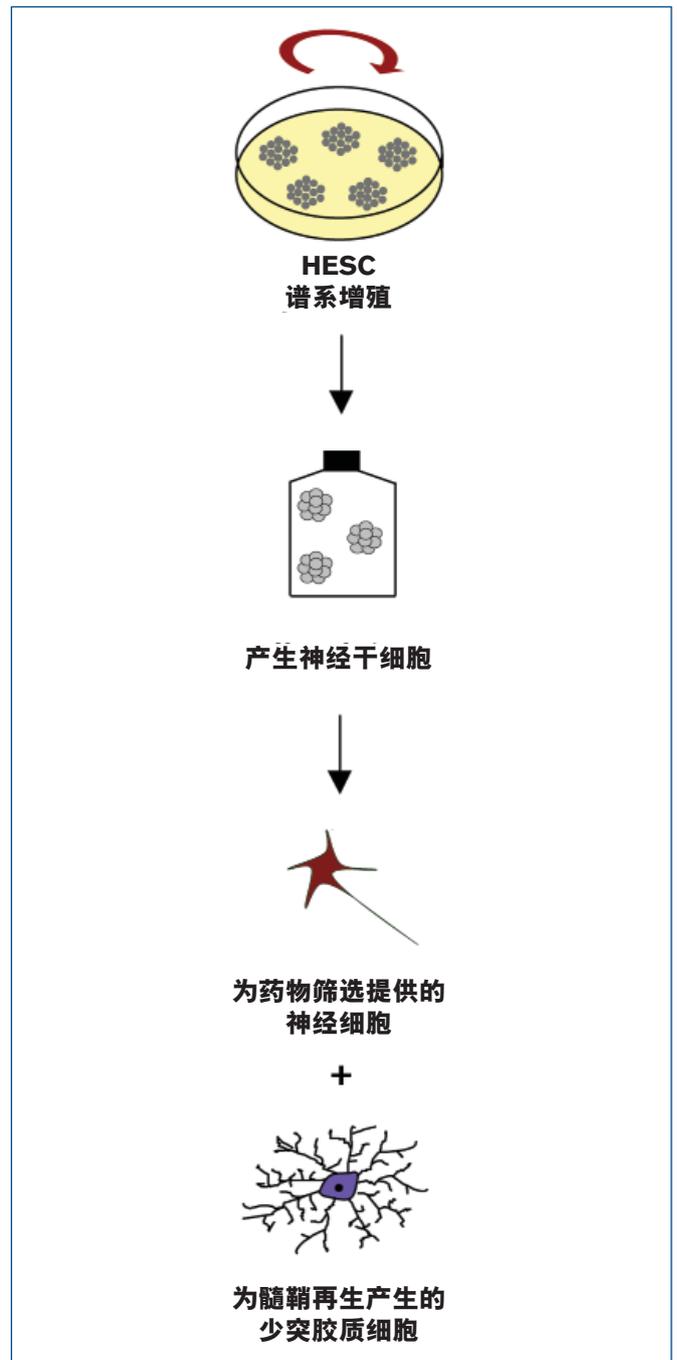
## 它们来自哪里?

ES 干细胞是从 4-5 天大的胚胎上移除而来，而胚胎源于生育诊所。这些胚胎在体外受精 (体外) 并在知情授权的情况下捐献用于研究目的。随后移除的细胞将在细胞饲养层生长，并有专门培养基 (细胞培养) 供给生长。经过一段时间，ES 分裂繁殖很多，最初的试碟将容纳不下，因此随之移植到更多的试碟上。这个过程最终将产生数百万计的 ES 干细胞，它们全都来源于最开始的那点胚胎干细胞。

## ES 如何能帮助科学家理解 MS 疾病?

治疗 MS 有两大目标：其一为阻止；其二为修复损伤。尽管在治疗方面已经有了重要进展 (在疾病调节和缓解方面进行用药)，例如可以降低复发频率等；并且一些证据表明早期治疗可以限制伤残的发展。但尚无有效疗法可以帮助阻止或修复业已形成的伤残症状。

治疗手段的开发要求对疾病演化和再生障碍的本质有更好的理解。目前我们利用各种基于动



在 ES 出现之前，大规模研究人体细胞曾经完全不可行。

物的机制来了解 MS 疾病。尽管得到价值无比巨大的结果，但仍然亟需研究人类细胞。在 ES 出现之前，大规模研究人体细胞曾经完全不可行。

## 干细胞作为细胞库来促使髓鞘再生得以发展

对于 MS 研究人员来说，极具研究价值的资源就是能够获得无限量的人体神经细胞和少突胶质细胞。ES 让这一切成为可能。为了实现这种可能性，科学家必须首先理解指引 ES 转变成神经干细胞并随之成为神经细胞和少突胶质细胞的这一过程或者信号。许多研究集中于此，并相当依赖从实验动物身上获得研究成果和结论。一旦理解其中机理，这些化学信号将得以在受控条件下应用，从而驱使 ES 专门转化为神经干细胞、神经细胞或者少突胶质细胞。

如果人类神经细胞和少突胶质细胞的数量无上限，可供研究，这些重要问题就可以得到解决。例如，可以更多了解神经细胞和少突胶质细胞间的化学信号，并理解该信号语言是如何被 MS 疾病中断的。此类知识的累积有可能推动治疗手段的发展，从而为 MS 患者重构正确的细胞对话，进而完成修复过程。基于此原因，制药业对 ES 的研究兴趣特别浓厚。人体细胞的充分供应将为我们提供独特的机会来测试和发现新药。

### 从 ES 产生的细胞应用于治疗 MS 疾病中，能发挥什么作用呢？

作为一种实验和药物探索工具，ES 可以生成

的神经细胞供应几乎是无限的，这一点已毫无疑问。但 ES 是否能在以细胞为基础的疗法中发挥作用，目前尚不清楚。

MS 患者的受损神经系统可以自我修复。内生性的修复产生于下列情形：少突胶质细胞在受损神经周围包上新的绝缘层，就能有效提供一层保护性的“胶泥”，即髓鞘再生。但不幸的是，MS 中此类修复功能有限，作用不充分。干细胞可以通过下列形式促使髓鞘再生，其一，作为可以限制损伤并涵括支持因素的细胞库，其二，和 / 或促使内生性的髓鞘再生得以发展。另外，由干细胞派生的细胞，特别是少突胶质细胞，可能直接应用于受损区域的修复。MS 实验动物模型支持上述看法。然而，由于 MS 损伤在 CNS 内会出现在各种区域，因此这类髓鞘再生细胞给药方式现已面临难以克服的障碍。最近的发现给我们带来希望：以静脉注射输入神经干细胞的方式可以让细胞广泛分布在受损区域——这就是为大家熟知的“回家”的概念。但在临床试验可以应用于干细胞治疗之前，还有多个重大问题亟待解决。这些包括，研发符合临床规程的 ES；以及要确保可以排除“受污染的”ES，它们来自“治疗性”神经干细胞准备程序中。

## 这类髓鞘再生细胞给药方式现已面临难以克服的障碍

### 结论

ES 科学进展迅速。为实验研究提供的人体神经细胞可以是无限的，这将加速我们的理解，进而为 MS 开发出新的治疗方法。从各方面看，我们保持谨慎乐观，有效的疗法可以从 ES 研究中产生。

# 造血干细胞疗法：

## 我们能修复 MS 疾病中的免疫系统吗？

Paolo A Muraro 医学博士，帝国大学  
细胞核分子神经科学系，英国伦敦

造血干细胞 (HSC) 是构成我们血液和免疫系统细胞的“种子”。在成人身体内，这些祖细胞的居所是骨髓，这是一种复杂的软组织，存在于骨骼内中空处，尤其是在较大的扁骨内。从我们整个生命历程看，很多 HSC 继续分化，这是为了保证血液和淋巴器官有充足的成熟细胞，并替代生命周期到头的细胞，或替代那些排出的或消失的细胞。因此，HSC 对于我们成长和生存是极为重要的。另外，HSC 可以重新分布在血液和免疫系统，这一特性极为有用，可以用来治疗某些失调症。事实上，注入 HSC 可以产生新一代的健康细胞，从而“救援”对象免于骨髓缺失障碍（源于骨髓紊乱、或者 X 光治疗或化疗等）。在实验中，单个 HSC 成功在老鼠血液重新产生；要知道，给这只老鼠照射的核辐射是致命的！

### HSC 在临床上的应用：造血干细胞移植

今天，HSC 输注已成为血液专家的常规应用项目，即造血干细胞移植 (HSTC)。对于接受高剂量的抑制免疫性放射性疗法或化疗的患者来说，这一过程可以促进血细胞数量的恢复。正常情况下，HSC 可以通过直接吸出髂骨骨髓来提取，或通过投置祖细胞至周边血液中来提取。血细胞成长因子的给药可以刺激干细胞的



**从 HSC 产生的全新而健康的免疫细胞就是“重设免疫时钟”的过程。**

制造和释放，随之诱导 HSC 移出骨髓并进入血流。然后通过细胞分离机从患者身上提取该血液。这种机器可以收集移出的 HSC，连同白细胞一起，这个过程称之为白细胞分离。随后通过挑选有 CD34 标记的细胞，HSC 可以随之得到净化。它们在细胞膜上有特定的表达。脐带血在 HSC 中也很丰富，可以在造血移植

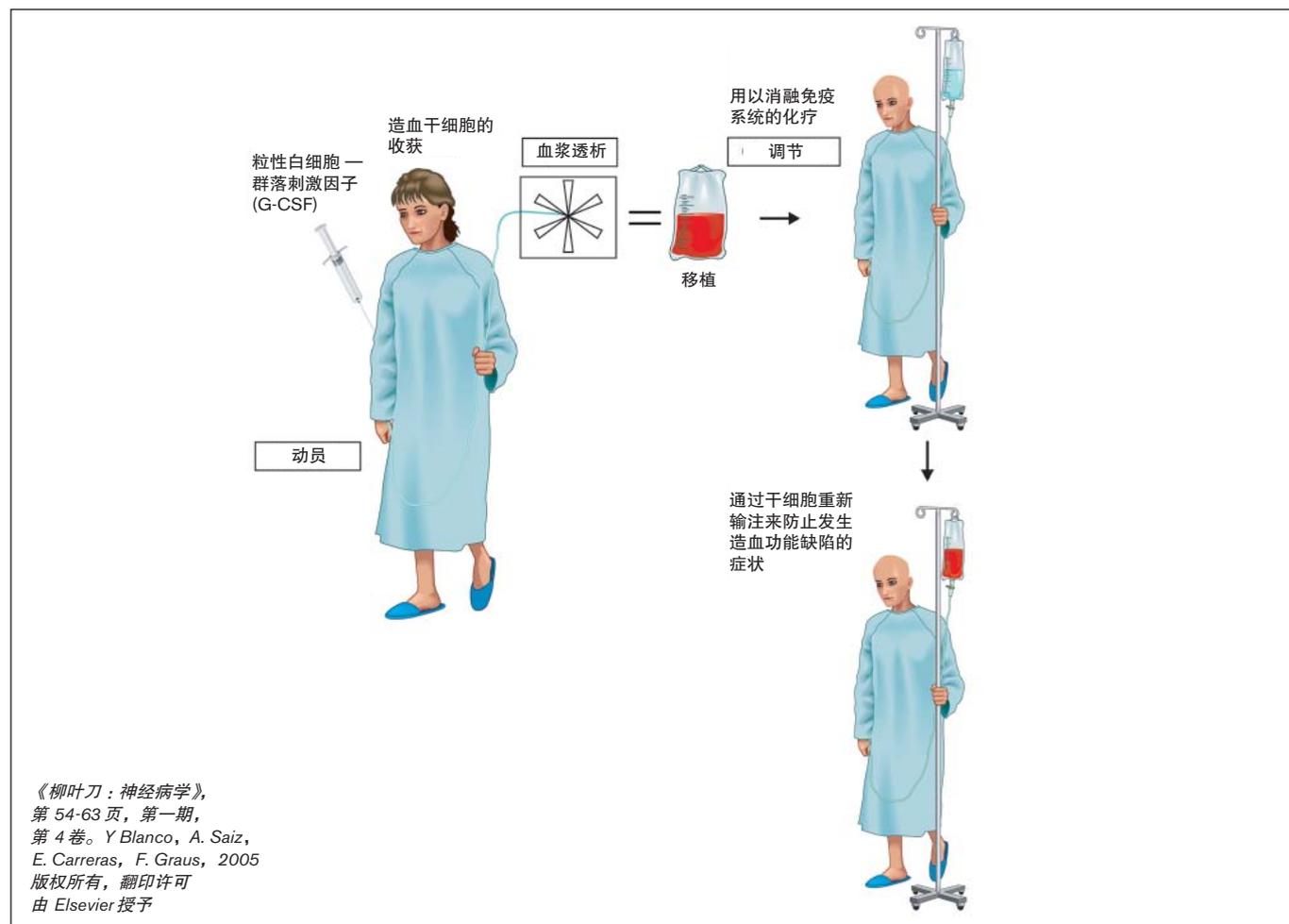


图 1 - 可以从同一个人身上提取 HSC 并保存下来为再输注做好准备

治疗中得以应用，尤其对没有获得骨髓供体匹配的儿童大有帮助。HSC 可以从同一病患身上提取出来并保存下来为在化疗后再输注做好准备；这个过程称之为自体同源干细胞移植（图一）。另外，遗传性“可匹配”的供体可以在患者亲属中发现，或者通过骨髓或脐带血供体库中找到；从另一个体开展 HSC 移植称之为异基因移植。异基因移植和自体同源的 HSCT 会有不同的症状，但两者都可以广泛应用于各种血癌、淋巴器官癌症和骨髓癌的治疗。事实上，HSC 的移植治疗可以挽救数以万计患有白血病、淋巴瘤、骨髓瘤及其它恶性肿瘤等病人的生命。

### HSCT 在“免疫修复”的应用

有关 MS 及其它免疫介导失调疾病中，对

HSCT 潜在益处进行分析的临床研究调查已展开。之前已对自体免疫疾病患者进行了观察研究，他们的病情在发展成癌症后，利用 HSCT 进行治疗，随后自体免疫失调症状得以缓解。当然，这些实验只是局限在自体同源的 HSCT 中开展，因为异基因移植蕴含的副作用和严重并发症风险很高。

### 在 MS 中自体同源 HSCT 治疗的工作机理是什么？

MS 带来的机体损害会通过血液发源的免疫细胞开始渗透，包括 T 和 B 淋巴细胞会攻击和伤害产生髓磷脂的细胞。我们对此种攻击产生的原因尚不明了，但这一过程几乎可以肯定会导致免疫系统产生功能障碍。MS 中应用 HSCT 的治疗目标是清理现存的，因抑制免疫

性化疗而改变的免疫系统，并从 HSC 中重新制造一批新一代的健康免疫细胞。这一想法的命名很有创造性：“重设免疫时钟”。这表示从原则上讲，免疫系统内的成熟细胞，还有那些攻击大脑的细胞等可以得到清除，并被全新的，无害的细胞所代替。最近的研究证明，这种免疫系统的“重设”实际上会发生；并且，在 HSCT 产生大量新的 T 细胞后，胸腺机制就会被重新激活（胸腺就是造血祖细胞成熟后进化为 T 淋巴细胞的位置），而在其中或许就包括可以抑制自体免疫的“监管型” T 细胞。

### HSCT 可以为 MS 患者做些什么？

截至本文动笔之际，超过 350 名 MS 患者接受了自体同源干细胞移植治疗。尽管没有随机控制的研究来严格评测目前可以达到的治疗效果，但也的确有分析报告的数据来说明目前治疗中有哪些能够达到的和不能达到的效果。首先，HSCT 一般可以对 MRI 检测出的炎症和新血小板形成都可以起到有益的效果。接受治疗的大多数人中，先前存在的神经性伤残情况出现稳定的状态。尽管在原则上，HSC 可以转变并加入任何一种细胞谱系，包括神经细胞或髓磷脂制造细胞，但我们不知道 HSC 是否能够直接帮助修复被 MS 损害的神经结构。临床研究表明，在 HSCT 治疗前，如果患者伤残程度偏高，并且慢性症状由来已久，那么这类患者在治疗后常常会继续恶化。本观察结果说

明，如果这类患者受到某种类型或程度的神经恶化，而并非（并不再）由于典型炎症造成，HSCT 也无法逆转甚至阻止这种症状的发展。尽管它对免疫系统可以产生强力效果。因此，临床试验招募疾病还处于早期的病患（他们的 MS 症状非常活跃并且其它的免疫治疗手段不再起作用）来确定 HSCT 疗法是否可以阻止其病症恶化。

### 结合临床和实验室分析的研究可以帮助 HSCT 治疗更为安全和有效。

#### 目前研究中的困难和希望

在目前 MS 领域的 HSCT 临床研究中，主要困难就是与治疗相关的风险问题。HSCT 可以产生致命性并发症。如今，知识和技术都得到提高，致死机率大为下降，但是有些威胁到生命的副作用还是会发生的。另一个挑战是尽早确定此类患者：患有某种严重 MS 症状，而其它治疗手段无效。针对这类患者，应当有理由考虑采用强力治疗手段的介入，例如通过 HSCT 来进行“免疫修复”。HSCT 的治疗最好通过参加合格的临床试验进行。结合临床和实验室调查的研究可促使 HSCT 治疗更为安全和有效，并能告诉我们免疫系统中的变化如何控制 MS 病情和症状的发展。

# 髓鞘再生，MS 疾病的下一个治疗目标？

Robin J.M. Franklin，神经学教授，英国 MS 协会剑桥髓鞘修复中心主任，剑桥大学，英国剑桥。

## 什么是髓鞘再生？

神经系统之所以工作是因为神经纤维（轴突）利用电脉冲在神经细胞（神经元）之间传达信息。神经纤维外包裹的绝缘鞘层可以极大地加强它们信息传达能力。该鞘层的组成物质叫做髓磷脂；在 CNS 中（即在大脑和脊髓中），髓磷脂由一种叫做少突胶质细胞生成。在 MS 疾病中，少突胶质细胞及其生成的髓鞘是疾病发展过程的主要目标。损失少突胶质细胞将导致轴突周围髓鞘质的损失，这一过程就是髓鞘的脱失。脱髓鞘化的直接后果就是轴突在传导电脉冲时工作效率大幅下降。然而，紧接脱髓鞘化过程的会有个同步发生的再生 / 治疗过程——在这个过程中，新的髓鞘质生成并包裹好轴突。这就是髓鞘再生或者说髓鞘修复的过程。本术语暗含有下列意思：受损的髓鞘会被修补完好，并帮助轴突恢复有效的脉冲传递工作——但实际发生的情形并非如此。

## 为什么髓鞘再生很重要？

髓鞘再生是对脱髓鞘化的正常反应，许多年前首次在 MS 病症中发现。新近研究表明，有些病患，髓鞘再生发生的范围极为广泛。然而，髓鞘再生有时不完整，或者整体失败，目前对导致这类情况的原因尚未形成明确的见解，并

且原因很可能是多方面的。这意味轴突会始终处于脱髓鞘化的状态；这是种很严重的情况，因为这非常容易导致它们死亡。大多数 MS 研究者的观点认为，慢性的轴突脱髓鞘化产生的这种进展型损失就是下列情况形成的原因：几乎所有 MS 患者都遭受过这种进展型的，病症逐步恶化但治疗手段匮乏的情况。因此，阻止轴突损失成为治疗目标的关键，藉此希望可以针对疾病发展的各阶段给予特定的治疗，并阻止甚至停止症状的恶化，由于髓磷脂对维持轴突健康状态非常重要，本领域许多专家相信，如果在进展不利的治疗情况下，可以采取髓鞘再生类的治疗方法，这也许是阻止轴突损失的最为有效的一种手段了。阻止轴突损失有时也叫做神经保护治疗。

## 如何加强髓鞘再生？

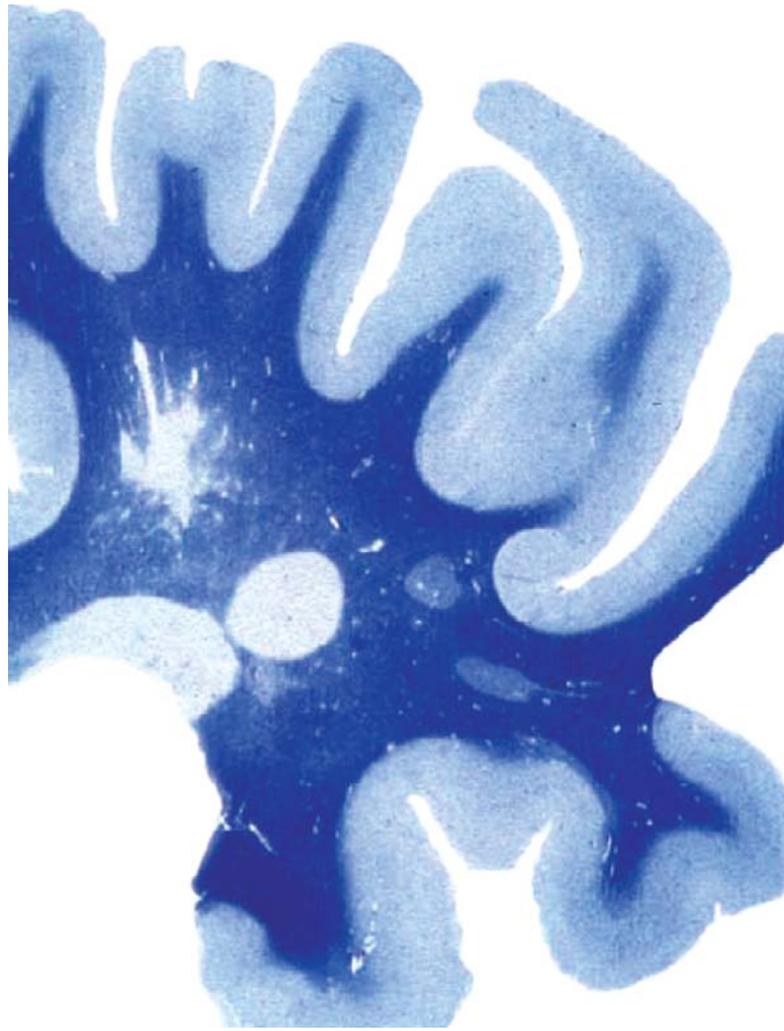
髓鞘再生是一种在脱髓鞘化发生时产生的同步自然反应，有种加强治疗方法是劝诱机体自身的髓鞘再生机制不要放弃，并且还要更加有效地工作。有时称这种方法为内生式治疗。另一种方法坚持不同理论基础，认为既然内生自发的治愈活动失败了，那么就应该有外在的援助来帮忙。这类治疗的形式是通过植入可以产生新髓磷脂的细胞来进行。有时我们称这种方法

为外生式治疗，或者细胞治疗。目前有观点认为这类治疗手段更为适合罕见的遗传性髓磷脂疾病，而不是 MS 类病症。第三种方法就是联合手段，就是利用植入的（外生的）细胞来加强内生的髓鞘再生过程。这种手段目前还相当初级，但明显有很大的潜力。最近的实验证据表明，植入的细胞表现优异，很容易就能输入到血流中，大大拓展了治疗的可能性：这不仅能够鼓励内生修复，而且在阻止损伤首次发生方面特别有效。其手段就是遏制已遭损坏的炎症反应机制（其特征就是复发性的 MS 症状急性发作）。

内生式方法的好处就是它易于成为药物治疗的一部分。基于此开发目的，我们需要知道为什么髓鞘再生失效，从而鉴别和更正其中无效或错误的方面。为了实现这个想法，了解髓鞘再生工作的机制非常重要。打比方说，如果你对引擎的内在工作原理毫不了解的话，修复损坏的汽车引擎就会非常困难。

### 髓鞘再生是如何工作的？

髓鞘再生通过干细胞的群体来调节，干细胞在成人 CNS 中分布广泛而丰富。这些细胞通常被称为少突祖细胞 (OPC)。当脱髓鞘化发生时，所有附近的 OPC 受到刺激，立即投入行动。该活动被称之为激活，脱髓鞘化促使它们四处活动，并且开始自我复制；这一过程产生的因素将导致所涉及的细胞增加反应。很快，脱髓鞘化区域就充满了 OPC，这就是所谓的招募过程。下一步，这些细胞就开始取代少突胶质细胞（在脱髓鞘化的轴突周遭制造新髓鞘），这就是分化过程。如此，髓鞘再生实际上就是 OPC 招募和分化两大过程的结果。过去几年里，科学家忙于确定涉及 OPC 招募和分化过程的诸多因素。有些是 OPC 所在环境促生的因素；还有些是 OPC 内部的因素，可以让它们对环境因素产生适当的反应。

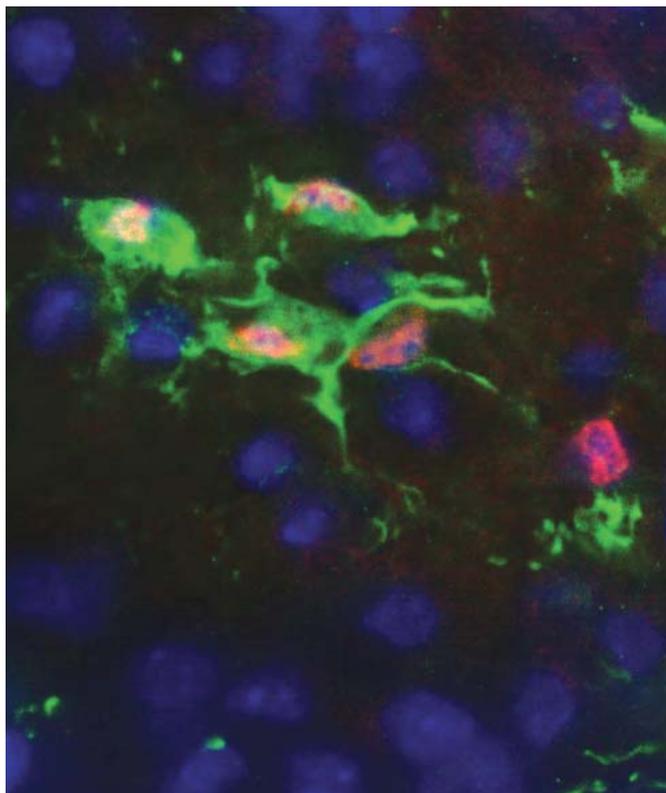


**MS 患者的大脑某部分。染成深蓝的区域（白色物质），和灰区（白色）就是脱髓鞘化。淡蓝区域就是髓鞘再生。**

尽管我们已了解很多，但很明显在这个领域还有太多的东西需要我们去探索和研究。需要探讨的因素非常多，大多数工作都处于复杂系统之下，这使得完全了解该过程变得极为错综复杂。

### 什么会导致髓鞘再生障碍？

理论上，髓鞘再生也许会失败，因为 OPC 招募或者分化都有可能出现失效问题，这就会决定髓鞘再生治疗是否需要以招募或分化因素条件为基础。两方面相比较，分化过程看起来更为复杂，因此这就极有可能发生问题。所以



**成人前体干细胞（上图）在髓鞘重生过程中产生新的髓鞘形成细胞。**

毫不意外的是，最近的证据表明了 MS 患者髓鞘再生障碍的一般原因并不是因为没有 OPC（OPC 在身体里非常丰富），而是因为 OPC 没能够分化成髓鞘再生型少突细胞。

### **髓鞘再生研究目前处于何种阶段？**

因为髓鞘再生会有可能在分化阶段出现失效现象，最低程度上，在部分患者的部分受损区域就会出现这类问题。许多科学家目前重点研

究分化是如何工作的，并且如何促进它工作。对于分化失效，有两种可能的解释，或者两种情况都有可能：分化失效是因为缺失可以增强它的因子，或者现有因素抑制了它的作用。两种解释都会产生好几种可能性，现在都处于分析研究中。这些研究通常采取基于实验室的研究形式，利用各种不同的动物模式和细胞培养基，还有源于 MS 患者的切片组织研究等——由于特定 MS 脑库的建立，这种研究方式日渐普及可用。最近有个非常不错的范例，是由位于伦敦帝国学院的英国 MS 协会资助的。实验结果从两种类型研究中获得，互相知会对方——组织解剖指明通往实验室研究的道路，而实验室研究又提供线索，期待在组织解剖材料中有所发现。由于众多研究人员和研究小组加入进来，本工作在多个方向都取得进展。

以病人为基础的研究目前取得不小的进展，建立起增强型髓鞘再生可以在病人这里得到监控和评估，但从根本上讲，髓鞘再生目前依然还是个实验室项目。考虑到本问题的复杂性，这是必然的；而且需要牢记的是，对于身体任何组织来说，目前没有几种有效的，可用的治疗方式来加强这一再生过程，更不必说 CNS 内部了。然而，科学家和临床医师对此表示乐观，认为从该重大研究领域最近几年取得的成效和动力来看，在将来，髓鞘再生治疗必定会出现，并对 MS 疗法产生积极影响。

# 为在 MS 疾病中应用 干细胞疗法确立政策

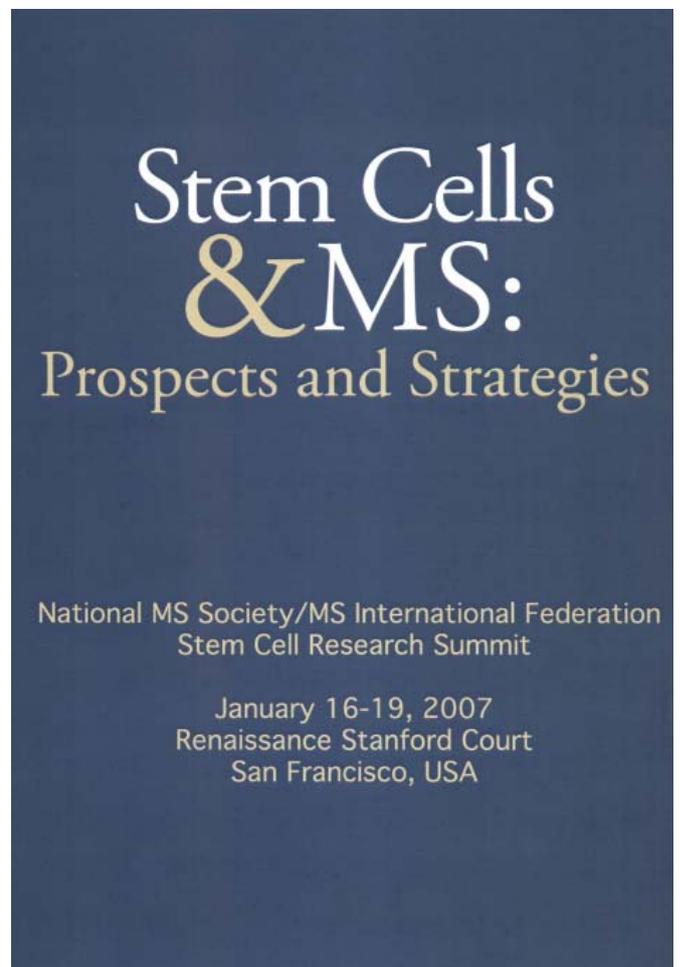
Cathy Carlson, 美国国家 MS 协会 (NMSS)

研究信息中心高级主任

2005 年, 国家 MS 协会 (美国) 干细胞研究工作小组同干细胞研究人员、法律和监管专家、生物伦理学家, 以及其它健康机构等展开会谈。工作小组发现, 干细胞所有类型的研究都可以为 MS 患者带来治愈的前途、潜力和希望。并且可能性非常高, 本研究可以提高我们对疾病过程的理解, 并找到治疗干预的新途径。协会成员建议协会应当更为广泛地参与, 推动本研究可以继续向前。协会还批准了各项建议, 并要求各地协会的志愿者和慈善领袖提

**工作组发现所有类型的干细胞研究都有着巨大的潜力, 可以为饱受 MS 困扰的人们带来治愈的希望。**

出意见, 讨论值得注意的问题, 结果反对意见很少。“我们的确失去几位重要的志愿者, 他们的参与曾为胚胎干细胞研究带来了更多社会反响, 我们也高度评价他们过去参与的工作, ……然而, 如果我们在这个深具希望的研究领域继续保持沉默, 我们就没有真正坚持我们的使命,” John R. Richert 医学博士, 他是国家 MS 协会 (美国) 研究和临床项目的执行副总裁。



**项目封面, 选自干细胞研究峰会, 由国家 MS 协会 (NMSS) 和 MS 国际联合会 (MSIF) 举办于 2007 年 1 月 16 日至 19 日。全球一流的干细胞和 MS 专家汇聚在峰会上, 共同探讨所有类型干细胞应用于治疗、预防和治愈 MS 疾病的潜力。**

## 国家 MS 协会干细胞研究工作组的推荐建议：

众多建议中，协会应当：

- 继续保持开明态度，为干细胞研究（包括人类胚胎干细胞研究）提供资金支持
- 支持生物医学研究领域的体细胞核移植 (SCNT)，即“治疗性克隆”技术（将患者 DNA 移植入未受精卵中，促使干细胞生长，并随之提取用以治疗该患者疾病）；但反对将之用于生殖类目的。
- 向公众宣传有利于胚胎干细胞研究的政策，并明确阐述协会的立场。
- 尊重那些反对协会宗旨的意愿，但这类意愿不应该阻碍干细胞研究或宣传活动。

- 创建伦理、法律和社会涵义委员会来审视协会政策，并藉此开展论坛活动来回应公众评论
- 为一个科学工作小组提供赞助，开展 MS 疾病方面的干细胞研究

### 制定干细胞研究政策所需考虑的步骤

其它 MS 协会在制定干细胞研究政策时需要考虑哪些步骤呢？下面以 NMSS 的经验为基础，列举了一些建议：

- 同您所在国家的研究中心合作，提供他们所需的各种支持。
- 了解您所在国家的政治情况，尤其是有关人类胚胎干细胞研究方面的政策。
- 通过邮件或调查，了解您的大多数选民和支持者对干细胞研究的态度（提供关怀 MS 患者的信息也许会帮助您获得积极的反馈）。
- 考虑您有可能推进该研究的步骤。倡导政策的变动？加入某个联盟，争取改变政策？资助干细胞研究？针对每个步骤，您需要衡量您领导力面临的风险（例如，有可能失去重要的支持者）或者获得的益处（例如，推动研究向 MS 患者发展）。
- 一旦您达到某个位置，投入时间向您的选民介绍这个问题，明确向他们说明您的一贯立场。
- 让您的目标使命激励您的行动

有关峰会资料详情，请参阅 NMSS 网站：  
[www.nationalMSSociety.org/stemcell](http://www.nationalMSSociety.org/stemcell)

Photo ©2007 Jessica Brandi Liffand



医学博士 John R. Richert 欢迎干细胞峰会参会各方，并希望大家共同商讨，确立干细胞研究重点。

# 问题解答

Gianvito Martino 博士就有关自体同源造血干细胞移植研究进展回答了以下问题，这是目前可以采用的，唯一针对 MS 患者的干细胞疗法类型。

**问：**出于伦理方面的考虑，我能选择何种干细胞进行治疗吗？

**答：**目前可以采用的，唯一的干细胞疗法类型就是基于自体同源造血干细胞移植的治疗类型。其它可能的干细胞（如间质类，神经类，等等）依然远未达到在临床常规应用的程度。所以，目前没有选择的可能。

**问：**干细胞疗法是一种“一次性”的治疗？还是一种持续开展治疗的方案？

**答：**迄今，自体同源造血干细胞移植是作为一种“一次性”的治疗方案应用于 MS 患者。但不排除将来应用的干细胞疗法类型需要重复或多次治疗。

**问：**干细胞会对我产生益处吗，即使我的 MRI 检查结果表明没有新的损伤出现？

**答：**目前没有连贯的数据表明，当当前炎症迹象消失后，自体同源造血干细胞移植依然具备疗效。另一方面，似乎可以这样总结：疾病的炎症现象越明显，那么移植后的结果就会越好。

**问：**胚胎干细胞来自哪里？它们能被创造出来吗？或者必须来自活的生物体？



**答：**目前，人类胚胎干细胞 (ES) 仅来自于人类胚胎（利用体外受精而来）或者源于治疗性克隆。在老鼠身上，从成熟细胞（例如皮肤细胞）提取 ES 的可能性是有的，因此这就避免了“活的生物体”的应用。直至最近，有研究表明，“体细胞编程”的方法也有可能利用成人组织来达到提取 ES 的目的。2007 年 11 月，京都大学的山中伸弥 (Shinya Yamanaka) 发表报告说，利用逆转录病毒来将三种关键基因载入人类皮肤细胞，从而制造出多能干细胞，这是一种与 ES 类似的细胞，可以分化为身体中大约 220 种类型的细胞。尽管这是 ES 研究中出现的重大进展，但大家认为，如果要将这种科学进展成就应用到临床医疗实践上，还需要投入大量的工作。

# 专题访谈：Pablo Villoslada 博士

## 您可以为我们介绍您自己和您的工作吗？

我是一名神经病学家，在西班牙潘普洛纳的 Navarra 大学 MS 中心工作。我在巴塞罗那和加州旧金山接受的教育和培训。我工作的焦点一直都是 MS。在 MS 中心，我们试图理解 MS 的发病机制，包括展开生物研究来理解该疾病，并希望可以利用这一信息来确定生物标志和找到 MS 治疗方法。

## 您的病患向您询问干细胞研究和 MS 的情况吗？

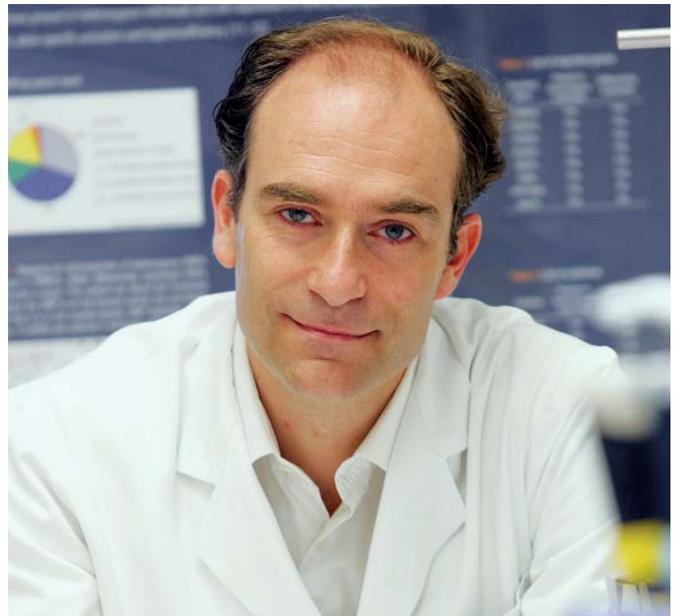
我的患者中大约有 30% 多的人会询问我有关干细胞疗法的情况，特别是那些伤残程度高的患者更会如此。现在来询问的人比以前多了，因为媒体报道了相关治疗的故事，但大家对此还是保持密切关注。许多人看待干细胞是一种能够更新身体的方法，就像重新装饰一间屋子，他们真的很感兴趣，即便他们通常不怎么喜欢服用药物这类想法。

## 他们一般会问些什么问题？

他们问的主要问题是：“干细胞疗法对我意味着什么？”，但许多人对本课题的科学复杂程度缺乏认识。他们常常读到或听到有人成功获得治疗，于是希望自己也能如此。他们并不太关心安全性问题，或者要花多少钱；但是，如果这一疗法得以应用，他们也很有可能会提出很多问题！

## 何种类型的信息需要你解释？

我通常对当前干细胞疗法和 MS 的研究情况加以解释和总结；同时说明神经病学类疾病出现的问题比其它类型的疾病要远为复杂。我也不得不经常指出，某些医疗中心已经开展了干细胞疗法，但这并不符合科学规范；这些疗法费用高昂，并且安全性问题颇为严重。但是，如果没有其它选择，病患会感觉失望而沮丧；所



Pablo Villoslada 博士

以，我们还常常为患者介绍目前那些有疗效，并且更适合的治疗方法。

## 您的病患有哪些关心的问题？

重点关心的问题就是他们是否能够获得这种治疗，是否这种疗法会帮助他们恢复行动和能力，而不仅仅是阻止 MS 症状的发展。许多人希望这一疗法会帮助他们重现过去健康的身体。还有些人关心干细胞的来源问题。

## 他们还使用了哪些其它的信息来源？

最主要是电视和报纸上的新闻报道，还有网站，以及同其他 MS 患者谈话。

## 您向前来询问干细胞研究的人们推荐任何信息来源吗？

我总是建议大家联系全国 MS 协会获得更多资讯，因为他们提供的资讯便于用户使用，同时针对各类治疗方案，他们保持中性的立场，提供没有偏见的意见。我也专门为他们推荐 MSIF 的网站来获取更多信息：[www.msif.org](http://www.msif.org)。

# 干细胞在线调查结果

在当前 MS 研究中，干细胞疗法的讨论非常热门，关注度很高。92% 以上的问卷受访者患有 MS 疾病，所以本期《MS 聚焦》在线调查激发了大家的参与兴趣，回应人数也达到最高：886 人，这比以往的任何一期调查都要高。

## 认识程度和伦理问题

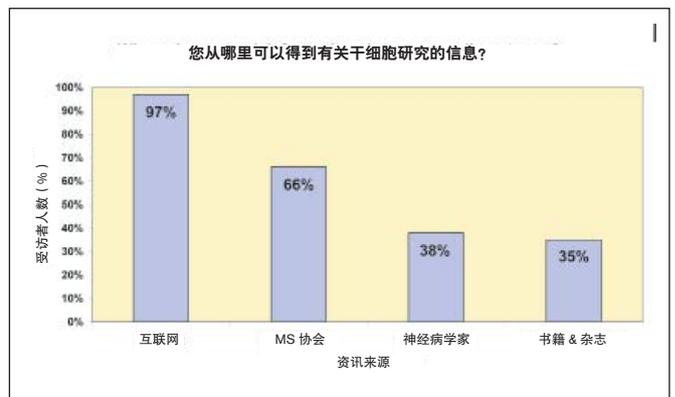
仅有 6%（50 位受访者）的人不清楚干细胞有不同类型，超过 92% 的人会考虑接受干细胞疗法，但许多人也想知道其中的风险以及安全程度，或者目前研究进展到何种程度。受访者对于何种干细胞可以应用到治疗中有明确的指定——许多人对于胚胎干细胞概念感到不安，或者完全持反对态度；尽管这里的伦理困境让很多人迷惑，但他们仍然会采纳这类疗法，“如果真的没有其它选择”。

## 信息来源

了解干细胞研究的信息来源中，互联网是非常流行的资讯来源，97%（绝大多数人）的受访者通过网络来获取信息；66%（三分之二）的人拜访各级 MS 协会来得到更多的资讯。有趣的是，通过书籍和杂志（35%）来了解干细胞研究和 MS 的人同那些直接去神经病学家（38%）获得资讯的人几乎一样多。

## 干细胞研究的未来

针对这个问题：“您认为国家 MS 协会应当资助干细胞研究吗？”，尽管 91% 的人回答“是”，但还有许多有关干细胞治疗的问题亟待解决，



例如会面临什么样的危险？治疗研究的方向应当放在哪种类型的 MS 上？并且该治疗手段的侵犯程度如何？

## 结论

整体认识度相当高，但看起来在干细胞研究领域的各类认知还不统一。相当多的受访者支持继续进行目前的研究，并且应当全面探求干细胞治疗的前景。许多人使用“治愈”一词在他们的评论中；许多人认为干细胞治疗是一种未来的治疗方法，或者，如果他们的 MS 类型疾病恶化或趋于严重，他们肯定会考虑此类疗法。总体上看，受访者对总体前景表示乐观，能够积极接受在该领域开展深度研究。

# 书评



## 干细胞网站

本网站是美国政府官方网络门户，由美国国家卫生研究院 (NIH)

主办，地址为：

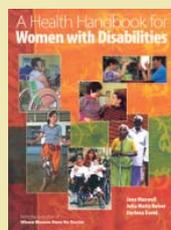
<http://stemcells.nih.gov/info/basics>。

干细胞网站 (Stem Cell Site) 致力于为浏览者提供富有吸引力，可以启迪民智的网站内容；网站形式简洁明快，索引和信息导航方便快捷，非常好用。网站讨论的主题如下：所有干细胞的独特属性、胚胎干细胞、成体干细胞、胚胎干细胞和成体干细胞之间的相似性和差异性，以及人类干细胞的潜在用途等。网站内容全面，帮助性强，还包括了其它信息浏览资源的指引导航。针对文中出现的艰涩词汇，我们编撰了术语表供您参考。但若对生物学了解不多，下列文章也许有些难。

信息非常广泛和全面，所有相关内容都纳入了讨论范围。图形 (“卡通”) 色彩丰富，很有吸引力，但要求对术语有透彻理解，并能轻松予以解释 (最好将术语表放在身边!)。对于普通人来说，只有动力十足，极具耐心的并且有着勤恳态度的人才能深入了解这些内容，并且理解其中的概念。但多数人都会发现这不是件容易的事情。医疗专业人士读这些东西应当感觉轻松些，因为他们已具备很好的科学素养和基础来了解这个话题。

主页上有 FAQ 链接，专门回答那些最常问及的问题；同时也为普通大众用更为适合的语言来提供资讯。主页第 VII 条的链接是我们在哪可以得到更多信息? (*Where can I get more information?*)。通过该链接，可以进入威斯康辛大学 (University of Wisconsin) 网站，其中撰写的内容更加适合那些对本话题所知甚少的人群：[www.news.wisc.edu/packages/stemcells/](http://www.news.wisc.edu/packages/stemcells/)。

Nancy Holland 评阅，美国 NMSS 临床项目副总裁



## 伤残女性健康手册

作者：Jane Maxwell, Julia Watts Belser 和 Darlena David

2007 © Hesperian

基金会版权所有，2007 年 2 月；

ISBN : 978-0-942364-50-7 平装本。

本书为全球数百万患有残疾的女性而作。她们有的有视觉或听觉问题、有的行走困难、有的有言语困难、还有的有学习障碍。

本书旨在帮助女性能够更好关爱她们自己，并且本书还希望能帮助家庭、朋友、社区健康工作者以及护理员来为伤残女性提供支持。

本书共有 15 章，包括心理健康、照顾您的身体、性生活、家庭计划、照顾您的宝贝、伤残人如何应对老龄问题，还论述了如何为护理员提供支持等。

本书针对不同的主题和各种可能的环境都提供了非常清晰的阐述。本书文字简洁直接，文中还附有许多插图，读起来非常容易，便于理解。

以我的意见，本书内容透彻，所有重要层面和资讯都得到论述，为伤残女性应对各种情形提供了详尽的帮助。我强烈推荐这本书，任何受到这些事务影响的人士或者任何对这些事务有关关注的人士都应当阅读这本优秀的入门手册。

这本书让我获得非常棒的阅读体验，我确信您也会发现阅读本书会感觉愉快，而且受益良多。

[www.hesperian.org](http://www.hesperian.org)

Maria Marta Castro (阿根廷 PwMSIC 会员) 评阅

# 术语表

**星形胶质细胞** —— 也通常称为“神经胶”或者胶质（在希腊语中表示“胶”），它们呈星形，是大脑里的非神经细胞；其功能包括形成血脑屏障，为神经组织提供养分；并在脑修复和愈合过程发挥作用。

**轴突** —— 神经纤维，神经细胞的突出部，从神经细胞主体（体细胞）传导出电子脉冲。

**生物标记** —— 一种用于显示生物状态的物质；任何种类的分子都可以用作生物标记来显示生物体的存在（过去或者现在）。

**细胞因子** —— 一组蛋白质和肽，生物体应用它们来发出化合信号。

**内生的** —— 在身体内部

**外生的** —— 在身体外部

## 实验性自身免疫

**脑脊髓炎 (EAE)** —— 动物实验模型，针对人类中枢神经系统 (CNS) 脱髓鞘类疾病建立，包括 MS。

**移植物抗宿主病 (GVHD)** —— 常见并发症，多发于基因不同（异基因）的个体间骨髓移植治疗。在植入骨髓中的功

能免疫细胞认为接受方为“外来的”，随之发动免疫攻击。

**造血作用** —— 血细胞状组分的；造血干细胞是所有细胞的细胞状组分的起始原点

**组织学** —— 针对动植物的微观结构展开的解剖学研究；组织的微观研究

**体外** —— 在玻璃片里；在试管内；在一个受控的环境里开展实验，在活体之外。

**体内** —— 在活体内；在活的生物体内。

**离子通道表达** —— 离子通道是起传导作用的蛋白质，可以让亲水的离子穿透细胞膜的油脂障碍，达到细胞的水性胞质区。到达那里后，离子即可促使基本的生理过程发生，例如生长、繁殖和肌肉收缩

**间质干细胞** —— 多能干细胞

**多能的** —— 细胞有能力生成为几种不同类型的细胞；多能的造血细胞可以转换成血液体系中任何类型的细胞。

**少突胶质细胞** —— 一般称为“神经胶质”细胞，属于非神经细胞，主要功能是在中枢神经系统中进行轴突髓鞘化。

# MS 聚焦



multiple sclerosis  
international federation

Skyline House  
200 Union Street  
London  
SE1 0LX  
UK

电话：+44 (0) 20 7620 1911  
传真：+44 (0) 20 7620 1922  
[www.msif.org](http://www.msif.org)  
[info@msif.org](mailto:info@msif.org)

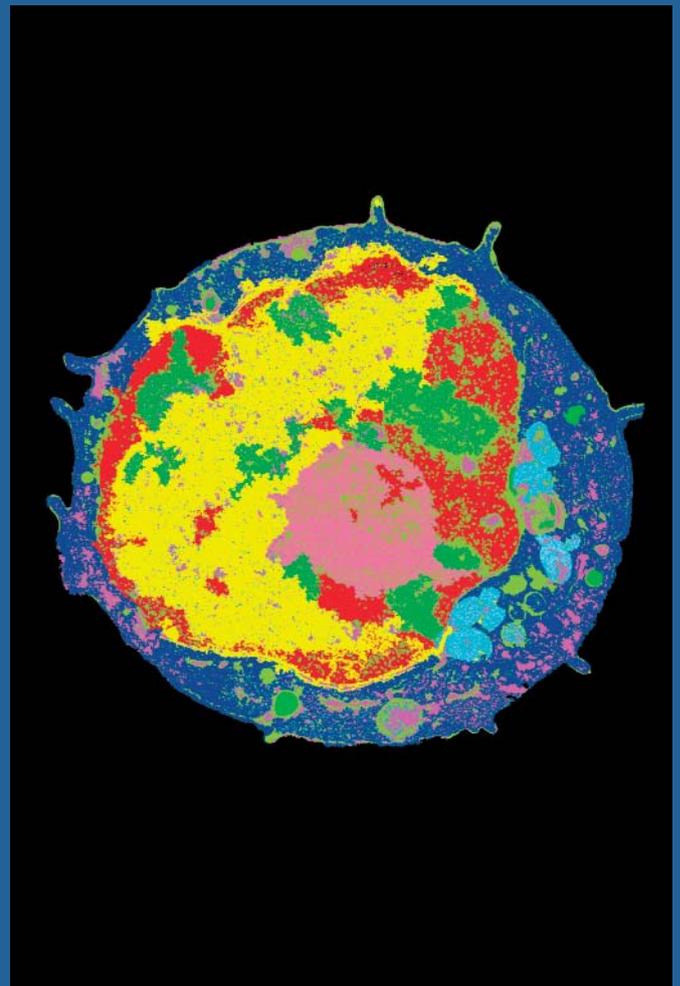
MSIF 是一家慈善机构和担保有限公司，在英格兰和威尔士注册。  
公司注册号：5088553。  
注册慈善机构号：1105321。

## 订阅

多发性硬化症国际联合会每年出版两期《MS 聚焦》。《MS 聚焦》编辑委员会汇聚国际视野，跨越文化差异，通过浅显易懂文字和提供免费订阅，为世界各地的 MS 患者及其家人朋友提供前沿资讯。请浏览 [www.msif.org](http://www.msif.org) 订阅本刊物。

## 以下各期有印刷版本，或可从我们网站下载：

- |        |               |
|--------|---------------|
| 第 1 期  | 疲劳            |
| 第 2 期  | 膀胱问题          |
| 第 3 期  | 家庭            |
| 第 4 期  | 情感和认知         |
| 第 5 期  | 健康生活          |
| 第 6 期  | 亲密关系和性生活      |
| 第 7 期  | 康复            |
| 第 8 期  | 遗传学和 MS 的遗传因素 |
| 第 9 期  | 护理工作和 MS      |
| 第 10 期 | 疼痛和 MS        |



## 更多信息请关注：

多发性硬化视神经脊髓炎病友会  
[www.msnmo.org](http://www.msnmo.org)

## 鸣谢

MSIF 衷心感谢 Merck Serono 慷慨大方、毫无保留地提供资助，使我们得以制作《MS 聚焦》杂志。