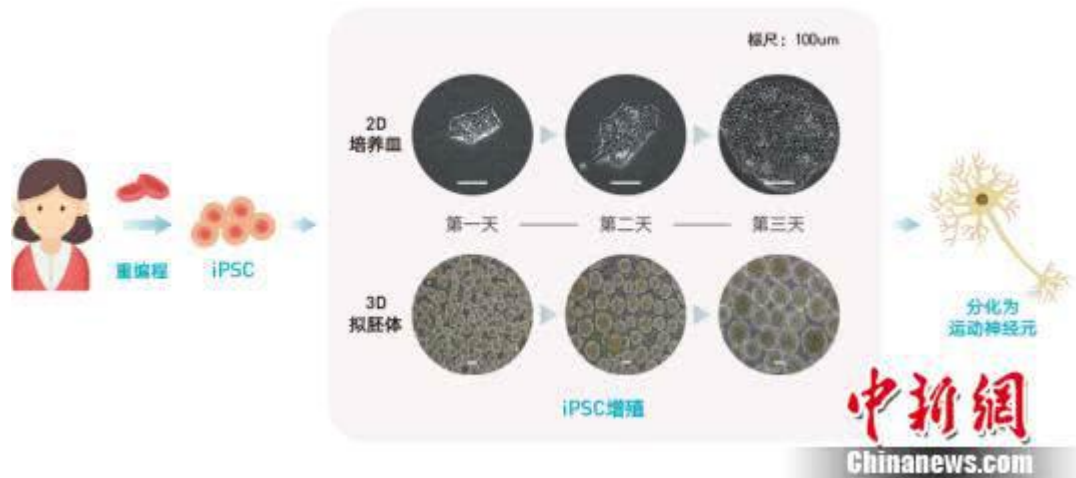


北大“渐冻症”女博士的多能干细胞将用于攻克渐冻症



中新网合肥4月8日电（记者 吴兰）记者8日从安徽省干细胞学会获悉，北大“渐冻症”女博士姜滔的细胞已被科研人员“重编程”为诱导多能干细胞（iPSC），将通过再研究以促进渐冻症的早日诊断和“精准”治疗。

渐冻症，即被称为世界五大绝症之首的肌肉萎缩性侧索硬化症（Amyotrophic lateral sclerosis, ALS），是一种渐进且致命的神经退行性疾病。由于运动神经元的损害，患者表现为骨骼肌萎缩、无力以至完全瘫痪。

2018年1月4日，身患“渐冻症”的姜滔在湖北咸丰老家病逝。她生前曾口述遗嘱：“一个人活着的意义，不能以生命长短作为标准，而应该以生命的质量和厚度来衡量。得了这个病，活着对我是一种折磨和痛苦。我要有尊严地离开，爸爸和妈妈，你们要坚强地、微笑着生活，不要为我难过。我走之后，头部可以留给医学做研究。其他所有器官，凡是可以挽救他人生命的，尽可以捐给他人使用。”

这份流传在网上的遗嘱一时感动千万人。然而由于她的身体状况欠佳，她的器官最终不符合捐赠要求，只能抱憾离世。

据了解，姜滔虽未能捐赠器官，却在去年10月19日将自己的细胞交由安徽省干细胞学会和中国科大-中盛溯源细胞医学联合实验室，以期帮助早日攻克渐冻症这一世界性难题，拯救更多渐冻症患者的生命。

通过几个月的科研攻关，实验室已将娄滔博士的细胞“重编程”为与胚胎干细胞类似的诱导多能干细胞(iPSC)。

据悉，中盛溯源下一步将会与国内干细胞和再生医学研究机构合作，将她的 iPSC 分化为运动神经元，并用于病理研究和药物筛选，以促进渐冻症的早日诊断和“精准”治疗。

一直从事 iPSC 神经定向分化的南京医科大学刘妍教授表示，通过将娄滔的 iPSC 在培养皿中分化为运动神经元，我们可以直接观察和研究渐冻症发生的机制和进展，这将为我们攻克中国人群渐冻症难关带来希望。事实上，这种研究方法在世界上已有先例。2014 年，美国波士顿儿童医院和哈佛大学干细胞研究所的 Clifford Woolf 研究组将具有特定基因突变的渐冻症患者来源的 iPSC 分化为运动神经元，并利用这些神经元筛选出相关通道激活剂 Retigabine，来抑制这些运动神经元的过度兴奋，提高了神经元的存活率。基于此研究结果，美国 FDA 迅速开放绿色通道，在不到一年的时间内审核批准 Retigabine 用于临床治疗相似遗传背景的渐冻症患者。

中盛溯源首席科学家、人类 iPSC 技术发明人之一俞君英博士认为，由于病人活体细胞的稀缺，世界范围内药物的开发和测试主要依赖于动物实验和癌细胞株，这些研究工具与生理条件下人体细胞的差异导致了新药开发在临床试验阶段的高失败率。利用携带各种罕见遗传疾病基因的患者细胞，在体外重编程为各种特定疾病的 iPSC 细胞株，可以建成中国人群疾病 iPSC 细胞库。然后利用这些疾病 iPSC 在培养皿中建立疾病细胞模型，能更直观更精确地反映疾病的病理机制，为开发新的治疗药物和有效的治疗方案提供有力工具。

新闻 URL: <http://new.qq.com/omn/20180408/20180408A1Q1B3.html>

录音 URL: <http://ttcn.co.jp/sound/text/683553.m4a>

讨论:

- 1、你知道渐冻症吗?
- 2、你对渐冻病人有什么看法?