

# 2023 医疗健康十大新闻·临床应用

## 8 脑-脊接口让瘫痪者恢复运动能力

2023年5月24日,《科学》报道,一场自行车事故导致 Gert-Jan Oskam 颈部脊髓受损,双腿瘫痪、手臂部分瘫痪12年,然而 Oskam 最近能站起来走路了。这归功于一种装置在他大脑和受伤部位下方的神经之间建立了一座“数字桥梁”。

这种将大脑与脊柱连接起来的设备被称为脑-脊接口,它建立在瑞士洛桑联邦理工学院神经系统科学家 Grégoire Courtine 和同事之前工作的基础上。2018年,他们研究证明,用电

脉冲刺激脊柱下部并结合强化训练,可以帮助脊髓受损的人重新行走。

Oskam 是那次试验的参与者之一。这个新系统利用了 Oskam 已有的脊椎植入物,并将其与插入颅骨的两个圆盘状植入物结合在一起。这样就可以将两个有64个电极的网格固定在覆盖于大脑的膜上。

当 Oskam 想走路时,颅骨植入物就会检测到大脑皮层的电活动。这个信号由 Oskam 放在背包里的一台电脑进行无线传输和解码,然后将信息

发送到脊髓脉冲发生器。

Courtine 说,之前的设备“更像是一种预先编程的刺激”,产生了机器人般的行走动作。“现在情况完全不同了,因为 Oskam 可以完全控制刺激的参数,这意味着他可以停下来、走路甚至爬楼梯。”

“以前是刺激控制着我,现在是我用我的思想控制刺激。”Oskam 说。

在使用脑-脊接口进行约40次康复治疗后,Oskam 重新获得了自主移动腿和脚的能力。仅靠刺激脊髓不



可能实现这种自主运动。这表明,这种新设备的训练课程促进了神经细胞进一步恢复,这些神经细胞在 Oskam 受伤期间并未完全被切断。如果使用拐杖,Oskam 也可以在没有设备的情况下短距离行走。

## 9 戈利昔替尼治疗 T 细胞淋巴瘤安全有效

2023年10月11日,《肿瘤学年鉴》发表了北京大学肿瘤医院大内科主任朱军作为通讯作者、北京大学肿瘤医院淋巴瘤科副主任宋玉琴作为第一作者的有关戈利昔替尼 I 期剂量递增和扩展 (JACKPOT8 PARTA) 的一项研究成果。

T 细胞淋巴瘤 (PTCL) 是一种异质性高、侵袭性高的非霍奇金淋巴瘤 (NHL),具有亚型多、易复发和预后差等特点。复发或难治性 PTCL (r/r PTCL) 患者预后不佳,生存率低,治疗选择有限,不同亚型患者疗效差异大,

目前尚无标准治疗方案。尽管近年新药不断出现,但患者生存及缓解仍不尽如人意,大多数药物单药治疗缓解率未能突破30%,3年生存率21%~28%,因此对于 r/r PTCL 患者,急需更加有效的治疗方法。

JAK/STAT 通路在包括 PTCL 在内的多种血液系统恶性肿瘤的发生、发展中具有重要作用,靶向 JAK1/STAT 通路是 PTCL 的高潜力治疗方法。戈利昔替尼是一种新一代、口服、强效、高选择性 JAK1 抑制剂,与 JAK1 结合的亲和力高,相比其他 JAK

抑制剂,对 JAK1 较其他 JAK 家族成员具有更高的选择性,同时具备较好的药代动力学特征。

I 期研究数据证实,戈利昔替尼在既往接受过多线治疗的 r/r PTCL 患者中表现出较好的安全性特征和令人鼓舞的抗肿瘤疗效,其药代动力学特征可使其在一日一次口服给药下实现对 JAK/STAT 通路的持续抑制,且安全性平衡。结果表明,戈利昔替尼是治疗 r/r PTCL 潜在的安全高效药。

宋玉琴介绍,II 期 (JACKPOT8 PARTB) 全球多中心关键注册研究入



组已结束,截至2023年2月,可评估患者88例,客观缓解率44.3%,完全缓解率高达23.9%。同时观察到主要的 PTCL 亚型,如 PTCL-NOS、AITL、NKTCL 等均获得超过45%的客观缓解率,且安全性良好,进一步验证了 I 期研究的疗效和安全性结果。

## 10 全球首款 CRISPR 疗法治疗血液疾病

2023年11月17日,全球见证了生物技术的一个全新里程碑。一款基于 CRISPR 基因编辑技术的疾病疗法,获得了英国药品和健康产品管理局 (MHRA) 的有条件上市许可,成为全世界首款获得监管机构批准上市的 CRISPR 基因编辑疗法。这款名为 Casgevy 的疗法获批用于治疗输血依赖型  $\beta$ -地中海贫血以及镰刀状细胞贫血病这两种遗传性血液疾病。

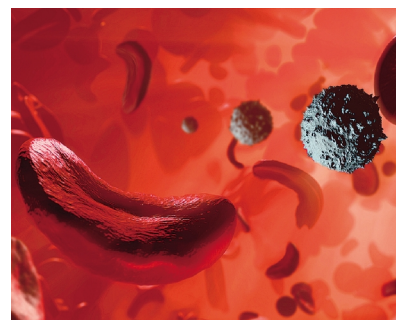
Casgevy 疗法由美国福泰制药公司与瑞士 CRISPR 治疗公司共同开发。该疗法通过从患者的骨髓中提取干细胞,然后在实验室中对细胞中的基因进行编辑,再将其输回患者体内,从而产生功能性血红蛋白。

镰刀状细胞病患者红细胞中携带氧气的血红蛋白存在缺陷,导致细胞形成镰刀状,堵塞血管。患者通常会经历剧烈疼痛、严重且危及生命的感染,

以及贫血。该病常见于非洲或加勒比族裔人群。输血依赖型  $\beta$ -地中海贫血则主要影响地中海、南亚、东南亚和中东地区的人群,可能导致严重贫血,患者通常需要每3至5周输血一次。

在长期随访中,接受治疗的患者相关疾病症状消失,并且不再有输血需求。基因编辑治疗让他们重获新生。

2023年12月9日,美国食品药品监督管理局 (FDA) 批准 Casgevy 疗法



上市用于治疗镰刀状细胞贫血病,其也成为 FDA 批准的首款 CRISPR 基因编辑疗法。这把“基因剪刀”已经成为人类对抗疾病的有力武器。