

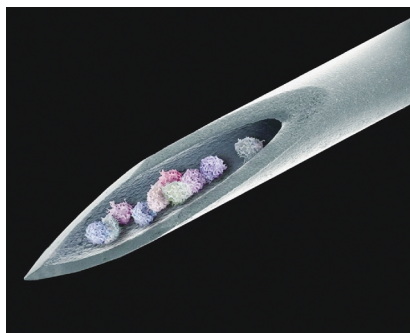
干细胞疗法可长期缓解自身免疫性疾病

本报讯 一男一女两名患有罕见且严重的自身免疫性疾病的患者,在接受干细胞移植后,病情已缓解超过15年。相关成果近日发表于《医学》。科学家表示,这种实验性疗法值得开展更大规模的临床试验。

这两人患有一种严重且可能致命的疾病,他们的免疫细胞会产生抗体,攻击脊髓及连接眼睛与大脑的神经,导致视神经脊髓炎谱系障碍(NMOSD)。其症状通常以持续数天或数月的发作形式出现,包括眼痛、视力丧失、呕吐及影响四肢的无力或瘫痪。目前可通过长期服药预防疾病发作,但这种治疗手段对两位患者无效。

在干细胞移植后,男患者的神经功能得到了改善,并恢复了正常生活,育有两个孩子。女患者则能够比治疗前更灵活地使用手臂,且不再需要服药来减轻症状。

“我认为不能说这是一种治愈方法,但它确实解决了这种疾病长期以来造成的困扰。”澳大利亚悉尼科技大学



图片来源: Steve Gschmeissner

的李娇娇(音)表示。

作为异基因造血干细胞移植治疗的一部分,该研究使用的供体干细胞是从另一个人的血液中采集的。该方法已被用于治疗某些癌症、镰状细胞病及其他血液疾病。论文作者、意大利IRCCS圣拉斐尔医院的Massimo Filippi表示,这是首次将这项技术用于治疗NMOSD。

这名男子是第一个接受异基因移植的患者,他于2009年接受了来自姐姐的干细胞移植。第二年,这名女性则接受了一位非亲属捐赠者的细胞。这两名患者均接受了一次性捐赠者干细

胞输注。

在移植前,两名患者接受了名为氟达拉滨和特罗磺胺的化疗药物,以及一种单克隆抗体药物的治疗,以清除免疫系统中产生攻击脊髓和视神经的抗体的B细胞。

此外,在干细胞移植前,他们还接受了短期的抗体和免疫抑制药物治疗,以防止供体细胞攻击受体的健康细胞。这种现象也称为移植宿主病,是干细胞移植后常见的一种并发症。李娇娇表示,这种并发症可能危及生命。作者报告称,这两人体内都未出现与NMOSD相关的抗体,并且都建立了健康的免疫系统。

李娇娇表示,这一过程完全替代了患者的免疫系统。而其他使用患者自身干细胞的治疗方式会重置免疫系统。不过,她补充道,如果产生攻击性抗体的B细胞没有被彻底清除,这些疗法可能对自身免疫性疾病患者效果不佳。

悉尼科技大学的Bruce Milthorpe表示,由于这项研究的样本量很小,

目前尚不清楚干细胞移植是否对所有NMOSD患者都有益处。此外,寻找合适的供体也颇具挑战性。但他补充说,这项研究可作为启动临床试验的依据。

Milthorpe表示,该团队直接从捐赠者的血液中获取干细胞的方法也是一项积极的进展,因为相比从人体骨髓中提取干细胞,这种方法侵入性更小。

作者表示,两名患者也出现了一些不良反应及并发症,包括淋巴结肿大、抗体缺乏症及膀胱癌。作者指出,干细胞移植后出现继发性癌症并不罕见,应该权衡风险与症状和生活质量的改善。

此外,干细胞移植本身也存在风险。治疗后出现的感染是与该疗法相关的第二大常见死因。研究团队表示,该疗法应仅限于那些接受标准治疗后未见改善或同时患有自身免疫性疾病的年轻人。

(李木子)

相关论文信息:

<https://doi.org/10.1016/j.medj.2026.101179>

两个 AI 科研助手来了

本报讯 近日,《自然》介绍了两个能够为科学研究的多个环节提供帮助的人工智能(AI)系统。它们旨在协助研究人员加快科学发现的速度,而非取代人类。

科学发现依赖于不断提出新假设、实验验证和数据分析的循环过程。随着科学主题日益复杂且相互交织,研究人员不仅需要深厚的专业素养,还需具备跨学科的广博知识。此前AI已被证明能加快单个研究步骤,如今一个单一的系统有望进一步优化整个工作流程。

此次新推出的两套独立系统——谷歌DeepMind的“Co-Scientist”和FutureHouse的“Robin”,展示了此类系统在优化科学发现流程方面的潜力。

这两款AI能够利用多个自主且专业化的AI智能体,在整个研究过程中执行不同任务。这种方法使系统能够生成假说、提出验证假说的实验方案、解读实验结果,并基于发现结果优化假说。

基于Gemini 2.0构建的Co-Scientist,是一个用于科学发现的通用多智能体系统。尽管初期验证主要集中在生物医学领域,例如,Co-Scientist针对急性髓系白血病提出了新的候选药物和联合疗法,但其设计旨在适用于所有科学学科。

论文作者Vivek Natarajan及同事指出,尽管在细

胞系实验中,这些建议的治疗方案显示出潜在益处,但仍需经过严格的临床前和临床评估以验证疗效。除了癌症研究外,Co-Scientist还发现了针对肝纤维化的新药物靶点,并揭示了抗菌药物耐药性背后的关键遗传机制。

而Robin系统则同时采用了OpenAI的o4-mini和Anthropic的Claude 3.7,旨在辅助实验生物学领域的发现工作。另一篇论文的作者Samuel Rodrigues及同事将该系统应用于药物发现研究。例如,Robin协助识别了针对干性年龄相关性黄斑变性的潜在治疗方案。该病是发达国家人群失明的主要原因之一。系统提出的建议包括识别视网膜细胞内可调节的靶向过程,并推荐使用一种此前未被提议用于治疗该疾病的候选药物。Robin还建议开展后续研究以探究潜在机制,从而发现了新的潜在药物靶点。作者指出,此类治疗方案需通过临床前测试和临床试验进行验证。

这两个团队强调,这些系统旨在与研究人员协作,且科学家始终处于决策流程之中。两个团队的实际演示为AI助手辅助科学研究的未来提供了范例。

(赵熙熙)

相关论文信息:

<https://doi.org/10.1038/s41586-026-10644-y>

<https://doi.org/10.1038/s41586-026-10652-y>

本报讯 美国得克萨斯大学的Genevieve Konopka团队研究了通过刺激调节人类大脑中与基因相关的细胞组合。相关研究成果近日发表于《自然》。

研究团队开发了一种体外平台,将微电极阵列刺激与来自接受神经外科手术患者切除的颞叶皮层的同步记录及单核基因组学分析相结合,直接探究人类脑刺激引起的神经调控机制。研究人员发现,刺激能够增强细胞群,并将这一效应与特定细胞类型特异性的基因调控网络联系起来。研究团队还通过在体内刺激后识别出人类皮层中共同的细胞类型特异性基因表达特征,验证这些发现的普遍性。这些研究结果共同为识别与生理功能相关的可靶向基因特征奠定了基础。这些基因特征可通过神经调控策略加以利用,以实现治疗效益。

(柯讯)

相关论文信息:

<https://doi.org/10.1038/s41586-026-10879-9>

研究发现
刺激调节人类大脑中基因相关的细胞群