

11月15日 世界脐带血日

首例脐带血移植背后：他的经历超乎想象

世界首例脐带血移植于1988年顺利完成

1985年，年仅2岁的马特在一次检查中首次被发现全血细胞减少，同时医生还注意到他的一系列身体异常，发育迟缓、左手多长了一个手指、左肾缺失并伴有尿道下裂。不久后，洛克菲勒大学用二环氧丁烷对他的血液细胞进行了检测，最终确诊为范科尼贫血。



据当年负责照顾马特·法罗的Joanne Kurtzberg教授回忆，马特那时正面临骨髓衰竭并需要进行移植手术，而他的一位亲姐姐却因为年龄太小而无法提供骨髓。1987年，他的父母怀上了第三个孩子，“于是我们对她体内的宝宝进行了检测，检查她是否也患有范科尼贫血，结果发现宝宝很健康，而且与患病的哥哥HLA相匹配，这也无意中促成了一次横跨大西洋的国际合作。”

“我们先安排了一位医生前往北卡罗来纳州收集脐带血，确认HLA分型结果后，便将脐带血紧急运往纽约的实验室，进行冷冻保存。在此期间，我们还联系上了巴黎圣路易医院范科尼贫血移植专家Eileen Gluckman医生，询问她是否愿意支持这场手术。在取得同意后，通过国际、行业和学术合作等形式筹集资金，终于将马特和他的家人送往巴黎完成移植手术。”负责照顾马特·法罗的Joanne Kurtzberg教授说道。

最后，这次移植手术于1988年顺利进行，同年10月6日，这份珍贵的脐带血通过静脉输注的方式进入了马特·法罗的体内。次年，这例极具开创性的手术已正式被《新英格兰医学杂志》收录。

根据《新英格兰医学杂志》的介绍，马特临床病程平稳，没有出现并发症。在脐带血输注两小时后，曾出现过短暂的寒颤、发热、低血压，但症状很快就消失了；第15天，短暂的皮疹和发烧通过甲泼尼龙治疗也得到了缓解。移植后五个月，马特正式出院，临床和实验室检查结果正常，也没有出现慢性移植排斥反应。

如今，现年42岁的马特·法罗过着普通人的日子，偶尔还会抽时间进行脐带血的公益宣传。同样参与此次项目的Joanne Kurtzberg教授，则将此后30多年的时光全部献给了脐带血，致力于将脐带血推广到不同的临床用途，不同的国家和地区，在脐带血的历史上深深刻下了自己的烙印。

“我是希望，更是未来”，今天是第七个“世界脐带血日”，脐带血移植从最初的鲜为人知，到现在被大众所了解。越来越多患者、家庭因此获得了生命新希望。

从第1例到2000例再到85000例

Joanne Kurtzberg教授介绍，有了第一例的成功经验，研究人员便开始通过使用脐带血治疗其他HLA匹配的白血病患者。结果发现，脐带血不仅有效，而且比骨髓移植更有优势，急性移植排斥宿主病的发生率更低。

在同时期的中国，脐带血的应用也有了突破。1991年，山东省脐血库首席科学家沈柏均教授完成首例混合脐带血移植，用“生命的种子”为一位4岁的脂肪肉瘤患者重新燃起“生命火花”。

视线回转，“在1993年，我们进行了全世界第一例无关供者脐带



脐带血是拥有蓬勃生命力的火种，每一份脐带血的应用，都是一次生命火种的播撒。



山东省脐血库是经国家卫健委批准设立、验收合格的7家脐血库之一。



山东省脐血库从脐带血采集、运输、入库，到出库应用，每一个环节都体现了对脐带血质量的高要求，为千万家庭建立起了全周期质量保障体系。

血移植，用于治疗一名患有白血病的小男孩。随后的30年里，我们在杜克大学一共完成了超过2000例类似手术。”Joanne Kurtzberg教授介绍，为了进一步完成脐带血研究，拓展脐带血的临床应用。“1997年，我们成功完成竞标，经过FDA的许可后，在杜克大学建立了一个名为Carolinas Cord Blood Bank的脐血库，从愿意提供宝宝脐带血的医院收集脐带血，以供有需要的人使用。”

根据Joanne Kurtzberg教授的估计，现在全球范围内的公共脐血库存储了约一百万个脐血单位，家庭库存储超过六百万个脐

血单位。而且，全球范围内已经进行了近8.5万例脐带血移植或再生医学等临床应用，越来越多患者正在从中受益。

过去的医疗废物正被重新用于治疗

在Joanne Kurtzberg教授看来，脐带血具有许多优势。首先，它可以在不对母亲、婴儿造成任何风险的情况下完成收集。“过去通常被视为医疗废物而被丢弃的东西，正被我们重新用于治疗。”

“再者，经过适当处理和储存，脐带血可以保存数十年。有证

据表明，这些细胞在三十年内仍然具有活力和潜能。而且，这些细胞对新受体适应能力更强，在移植中，它们是在无法找到完全匹配的供体的情况下，用于部分匹配的患者理想的细胞来源。”同时，Joanne Kurtzberg教授进一步介绍，经过越来越多临床研究发现，脐带血中含有许多可用于治疗其他疾病的细胞，如治疗部分脑部疾病的单核细胞，可发挥免疫效应的T淋巴细胞、NK细胞，在基因工程“改造”成CAR-T细胞和CAR-NK细胞后，能用于癌症患者的免疫治疗。

除了将脐带血作为供体进行移植研究外，Joanne Kurtzberg教授在杜克大学还研究使用未经处理的脐带血输注方法。“我们正与FDA合作，计划进行第三阶段的注册试验，测试脐带血输注对脑瘫儿童的疗效。如果试验结果积极，FDA可能会批准脐带血治疗脑瘫儿童，对此我感到非常高兴。此外，由于脐带血中，除了含有造血干细胞，也含有围产期组织，因此脐带血会被扩展到更多适应症的治疗当中。”

脐带血研究的中国力量

2023年初，Joanne Kurtzberg教授在Stem Cells Translational Medicine期刊上对脐带血三十年移植进行了总结回顾和展望。文章提到，随着采集质量提升、HLA匹配度提高，移植及术后护理水平提高，使脐带血移植成功率和患者生存率大幅提升。

其中，还特别提到了ATG（抗胸腺细胞球蛋白），根据以往经验，ATG可有效预防移植排斥宿主病，但是在脐带血移植中加入ATG反而提高了移植后的死亡率，于是最近几年的脐带血移植中基本不再采用ATG方案。

这与中国科学技术大学附属第一医院副院长、造血干细胞移植首席专家孙自敏教授提出的脐带血移植“中国方案”不谋而合。孙自敏教授曾在一次学术会议上介绍，以治疗白血病为例，通过“清髓”再移植的“中国方案”，脐带血移植的植入率高达97%。

如今中国的脐带血应用超过3万例，占据全球脐带血应用的三分之一，除了临床应用外，各种科研成果也不断涌出。2021年，中国科学技术大学附属第一医院孙自敏教授团队在Nature communications上发表论文，揭示了脐带血移植后PES(植入前综合征)的病理机制，还为重度PES患者提供了一种治疗策略；今年3月，南方医科大学南方医院杨杰教授主持的“自体脐带血单个核细胞输注干预小于28周早产儿并发症临床研究”的项目成果论文正式刊登在《柳叶刀》子刊，文章显示：自体脐带血单个核细胞可以在很大程度上预防活产的早产儿出现更严重的支气管肺发育不良(BPD)，并从长期来看也能改善神经发育结果。

“帮助到了无数后来人”

从第一例脐带血移植开始，三十多年来，在各位先驱者的推动下，脐带血的价值一步步被验证。这不仅唤起了社会大众对脐带血的重视，更使得众多疑难杂症的患者重获新生。

马特·法罗后来在一次采访中说，“我的孩子特别喜欢听我分享当年的经历，比如，我当年必须待在塑料气泡内，不能与任何人接触，而现在病人都住在正压病房内等等。他以此而自豪，因为他的父亲作为第一个(脐带血移植)患者的经历，帮助到了无数后来人。”

(本文稿由丁香园提供)