

西班牙一项临床试验表明，间充质干细胞具有减轻“蝴蝶皮肤”患者炎症的潜力

静脉输注来自家族供体的间充质干细胞是安全的，并且可以改善隐性营养不良型大疱性表皮松解症(RDEB，俗称“蝴蝶皮肤”)相关的瘙痒、睡眠障碍和疲劳等症状。这是马德里卡洛斯三世大学(UC3M)、西班牙科学、创新和大学部能源、环境和技术研究中心(CIEMAT)、希门尼斯·迪亚斯基金会健康研究所(IIS-FJD)、罕见病生物医学研究中心网络(CIBERER)以及马德里拉巴斯大学医院的研究人员开展的一项临床试验的主要结论之一。

研究团队还发现了两种生物标志物，可以预测哪些患者对这种先进疗法的临床反应会更佳。“输注的间充质干细胞能够调节免疫系统，帮助控制持续性炎症，从而改善患者的健康和生活质量，”该研究的主要负责人、CIBERER-ISCI III 和 IIS-FJD 的研究员 María José Escámez 博士解释道。研究团队表示，结果令人鼓舞：完成研究的八名儿科患者在接受三次输注后，瘙痒症状总体减轻，睡眠质量改善，疲劳程度降低。

蝴蝶皮肤(骨骺综合征)是一种罕见且影响深远的遗传性疾病，其特征是皮肤和黏膜极度脆弱，即使是轻微的摩擦也会导致水疱和伤口。它还伴有慢性全身性炎症反应，会降低患者的生活质量并影响预期寿命。据科学资料显示，目前全球约有50万人受此疾病影响。

这项研究近期发表于《免疫学前沿》(Frontiers in Immunology)杂志，由卡洛斯三世健康研究所(ISCI III)、西班牙国家研究署(AEI)以及患者协会DEBRA-Spain和Berrituak资助。马德里康普顿斯大学(UCM)和马德里格雷戈里奥·马拉尼翁大学综合医院(与伦敦大奥蒙德街医院合作)的参与也至关重要，他们将各自的临床和科研专长融入到这项研究中。

间充质干细胞主要存在于骨髓的结缔组织(基质)、脂肪组织和脐带中。它们通常具有很强的免疫调节能力和修复因子分泌能力，使其成为再生医学的关键，并引发了对炎症性和退行性疾病治疗的广泛研究。

缓解炎症的新希望

这项名为MesenSistem-EB(I/II期)的临床试验评估了使用来自家族(半相合)供体的骨髓间充质干细胞的疗法。与其他方法不同，这项研究不仅旨在补充7型胶原蛋白(C7)，而且旨在作用于患者的免疫系统。

该研究的结果证实了这种治疗的安全性，表明儿科患者对其耐受性良好，未记录到与输注相关的严重不良事件。此外，研究团队成功稳定了全身的炎症指标(如C反应蛋白和纤维蛋白原)，从而使患者的病情在为期一年的随访期间没有恶化。

研究团队发现了两种生物标志物，即MCP1和sCD40L分子，它们在血液中的水平可以预测哪些患者对治疗的反应更好。马德里卡洛斯三世大学(UC3M)和IIS-FJD生物工程系的研究员 Marcela Del Río Nechaevsky 指出：“这代表着向罕见病个性化医学迈出了重要一步。”

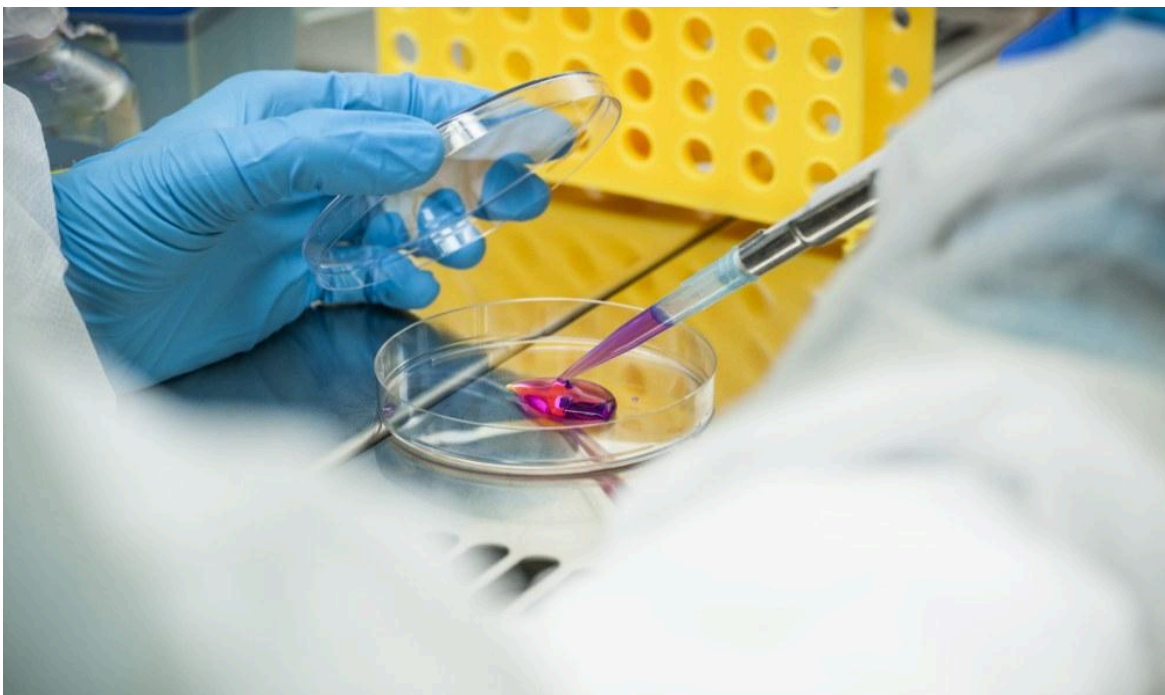
公共与社会合作 的价值

研究团队强调, 如果没有良好的合作生态 hostile 系统, 这一进步是不可能实现的。该项目得到了ISCIII和AEI的资助, 展示了公共科学投资的社会回报。

此外, 患者协会DEBRA-España和Berritxuak的作用具有特殊意义, 它们自临床试验开始以来就提供了共同资助和支持。协会表示:“对于家庭来说, 看到科学在控制疼痛、瘙痒和睡眠质量方面取得进展是一线希望。这种治疗不仅是在治疗皮肤, 更是在治疗这些男孩和女孩的日常生活。”

研究人员得出结论, 这种治疗方法可能会成为在疾病关键阶段减轻炎症升级的重要补充策略。该研究的另一位作者、马德里卡洛斯三世大学(UC3M)和IIS-FJD生物工程系的研究员Lucía Martínez Santamaría表示:“MesenSistem-EB临床试验为未来的联合方案奠定了基础, 这些方案可能会在国际上改变‘蝴蝶宝贝’的预后。”

参考文献 Escámez, María José J et al (2026). MesenSistem-EB: Systemic haploidentical mesenchymal stem cell therapy in recessive dystrophic epidermolysis bullosa associated with clinical benefits and correlated with MCP1 and sCD40L dynamics. *Frontiers in Immunology*. Volume 17. <https://doi.org/10.3389/fimmu.2026.1789537> UC3M 电子档案库: <https://hdl.handle.net/10016/50010>



卡洛斯三世大学生物工程系实验室。图片来源: 卡洛斯三世大学。