

专家观点

让干细胞技术点亮生命的曙光

韩忠朝

细胞是构成人体组织器官的基本单位,人体大约由200多种类型的60万亿个细胞构成。

揭秘干细胞

干细胞的“干”译自英文stem,有“树干”和“根源”之意。人体在发育过程中产生并保存了一些处于未分化或低分化状态的“干细胞”。

干细胞保存自己的方法就是进行“不对称分裂”,即在分裂时,一个子细胞仍然是干细胞,另一个细胞则分化成替代细胞。

早期未分化的胚胎细胞叫做胚胎干细胞,胎儿组织中的干细胞叫胎体干细胞,胎盘脐带中的干细胞为出生期干细胞。

在受精后5到7天的囊胚期,因为这时细胞外面的包层将发育成胎盘,里面的一团细胞还没有分化。

发育10个星期以上的胎儿已经开始发育出各种组织,里面含有大量的组织特异性干细胞。

新生儿出生时,胎盘、脐带组织和脐带里含有大量的造血干细胞。由于这些干细胞是在人体发育的早期形成。

成人干细胞最容易取得和应用最广泛的就是骨髓干细胞,其中包括造血干细胞和间质干细胞。



图片来源:人民网

但目前这方面仍处于研究阶段。

临床应用前景可期

异常的干细胞本身是疾病之源,比如地中海贫血等遗传性血液病,它就是由于造血干细胞基因变异。

细胞无节制地大量增殖,原因也在于干细胞阶段发生了突变。

干细胞有生成身体内所有类型的细胞的能力,当前世界上许多国家都投入大量经费研究干细胞。

的血管神经。并且尝试在体外长出骨、软骨、气管,甚至完整的器官,如心脏、肝脏、肾脏等。

储存临床用干细胞的技术平台被称为干细胞库或干细胞药房,据美国干细胞专家戴维·沃顿预测,20年后干细胞药房将遍地开花。

另外,还有胚胎干细胞库、脂肪干细胞库、宫内腺干细胞库等不断出现。

强调负责任的治疗

在干细胞的临床应用上,造血干细胞移植已经临床使用了半个多世纪,治愈了数以万计的白血病患者。

从理论上说,干细胞确实可用于许多多种疾病的治疗,不过,真正达到临床治疗的并不多。

和临床试验是有区别的。临床治疗是一种由医学共同体公认的安全、有效的办法。

科学界强调负责任的干细胞临床应用,应重点对干细胞来源、干细胞制品质量和医学伦理这三个方面负责。

第一,控制干细胞来源。这是保障干细胞疗法安全的第一步。

第二,严格控制产品质量:从“来源控制”起,用于临床的干细胞制品的每一制造步骤和最终产品都要检测分析。

第三,严格医学伦理审查:伦理审查应遵循:不伤害原则、知情同意原则、对病人有利原则、尊重原则。

(作者系国家干细胞工程技术研究中心主任)

资金掣肘是生物公司倒闭的关键

又到年末了,我们来盘点一下2011年倒闭的生物科技企业。今年倒闭的这些企业有一些共同点:它们的绝大部分问题都肇始于2009年。

这些公司的失败也在提醒着我们生物产业竞争之残酷。临床试验阶段的一个小小挫败就有可能毁掉一个小型药物开发公司。

公司名称:Advanced Life Sciences

本来在2007年时,Advanced Life Sciences前途一片光明。该公司当时已获得可靠的试验数据。

公司名称:Altair Therapeutics

2007年,Altair从Isis Pharmaceuticals中脱离出来,希望能够采用反义技术治疗哮喘等呼吸系统疾病。

公司名称:Ambrilia Biopharma

在垂死挣扎了几年之后,加拿大

Ambrilia Biopharma公司终于垮掉了。2006年,Merck公司曾与Ambrilia达成了潜在价值达2.15亿美元的交易。

2009年金融危机使加拿大生物产业受到严重影响,Ambrilia也未幸免。它将雇员削减到15人。

公司名称:ARYx Therapeutics

ARYx在2004年曾入选Fierce15强,致力于开发代谢重构,并于2007年成为上市公司。

另一个重大打击发生在2009年,ARYx研发的抗血凝药物tecarfarin在临床II/III期试验中未能表现出比华法林(warfarin)更具优势。

公司名称:Peptimmune

自2002年从Genzyme脱离出来之后,Peptimmune得到了多笔投资,用以开发其名为PI-2301的多发性硬化症治疗药。

公司名称:Phenomix

作为2007年Fierce15强企业,Phenomix吸引了多笔资金以支持其研发II型糖尿病口服药dutogliptin

(PHX1149)。该公司还有另一个治疗丙肝的研究项目。在融到了几笔风险投资之后,该公司本打算首次公开募股8600万美元。

不过,Phenomix与Forest Labs达成了价值3.4亿美元的协议,用于开发dutogliptin,其中包括7500万美元的预付款。

公司名称:安进(Amgen)

研发预算:28亿美元 与2009年相比:增长1% 研发费用占净销售额的百分比:19.2%

公司名称:生物基因(Biogen Idec)

研发预算:12.5亿美元 与2009年相比:下降2.7% 研发费用占净销售额的百分比:26.5%

公司名称:Transdel Pharmaceuticals

在生物产业奋斗了13年后,随着一次融资的失败,Transdel公司于今年6月申请破产。

公司名称:Vertex Pharmaceuticals

研发预算:6.37亿美元 与2009年相比:增长15.8% 研发费用占净销售额的百分比:444%

公司名称:Exelixis

研发预算:2.107亿美元 与2009年相比:下降10% 研发费用占净销售额的百分比:88%

研发投入十强生物企业速览

在过去的一年里,并购活动主导了生物制药产业,也改变着研发投入公司的排名。这是健赞(Genzyme)这个名字最后一次出现在研发投入排行榜上。

公司名称:健赞公司(已被赛诺菲收购)

研发预算:8.666亿美元 与2009年相比:下降0.1% 研发费用占净销售额的百分比:18%

公司名称:赛尔基因(Celgene)

研发预算:11.3亿美元 与2009年相比:增长43.1% 研发费用占净销售额的百分比:30.8%

公司名称:赛尔基因(Biogen Idec)

研发预算:12.5亿美元 与2009年相比:下降2.7% 研发费用占净销售额的百分比:26.5%

公司名称:赛尔基因(Celgene)

研发预算:11.3亿美元 与2009年相比:增长43.1% 研发费用占净销售额的百分比:30.8%

公司名称:Vertex Pharmaceuticals

研发预算:6.37亿美元 与2009年相比:增长15.8% 研发费用占净销售额的百分比:444%

断方面开展合作。

公司名称:吉利德(Gilead Sciences)

研发预算:10.7亿美元 与2009年相比:增长15.9% 研发费用占净销售额的百分比:13.3%

公司名称:安进(Amgen)

研发预算:28亿美元 与2009年相比:增长1% 研发费用占净销售额的百分比:19.2%

公司名称:生物基因(Biogen Idec)

研发预算:12.5亿美元 与2009年相比:下降2.7% 研发费用占净销售额的百分比:26.5%

公司名称:Transdel Pharmaceuticals

研发预算:6.37亿美元 与2009年相比:增长15.8% 研发费用占净销售额的百分比:444%

公司名称:Exelixis

研发预算:2.107亿美元 与2009年相比:下降10% 研发费用占净销售额的百分比:88%

公司名称:Vertex Pharmaceuticals

研发预算:6.37亿美元 与2009年相比:增长15.8% 研发费用占净销售额的百分比:444%

以来最成功的事件之一。

公司名称:Actelion

研发预算:5.39亿美元 与2009年相比:增长2.6% 研发费用占净销售额的百分比:25%

公司名称:Regeneron Pharmaceuticals

研发预算:4.89亿美元 与2009年相比:增长23% 研发费用占净销售额的百分比:126%

公司名称:CSL

研发预算:3.34亿美元 与2009年相比:增长1.6% 研发费用占净销售额的百分比:7.1%

公司名称:Exelixis

研发预算:2.107亿美元 与2009年相比:下降10% 研发费用占净销售额的百分比:88%

公司名称:Vertex Pharmaceuticals

研发预算:6.37亿美元 与2009年相比:增长15.8% 研发费用占净销售额的百分比:444%

公司名称:Exelixis

研发预算:2.107亿美元 与2009年相比:下降10% 研发费用占净销售额的百分比:88%