

干细胞移植 / 干细胞库存 (Stem Cell Transplantation / Stem Cell Banking)

卫教资料单

干细胞移植 (Stem cell transplant (SCT))，又称「高剂量化疗与干细胞抢救」或「骨髓移植」。所用的干细胞是造血干细胞，造血干细胞是一种原始的细胞，既能自我更新，也能分化为成熟的血液和免疫系统细胞。正常情况下，这些干细胞存在于骨髓当中，另外，亦有非常微量的干细胞跑到血液循环中。正因如此，骨髓移植过去是直接从骨髓抽取细胞——想想骨髓活检所得多好几倍！虽然这样的技术是有效且现在有时还会使用，现今大多数已被收集周边血干细胞的方法所取代，可藉由药物来促使干细胞从骨髓移动到血液循环中。在某些例子中，需要将干细胞库存以备将来使用（干细胞银行），也有其它例子是将这些干细胞捐赠给接受者用于某种状况的立即治疗。

什么情况会用干细胞移植治疗：

造血干细胞移植治疗最常用于多发性骨髓瘤 (multiple myeloma)、白血病 (leukemia)、淋巴瘤 (lymphoma)，和再生障碍性贫血 (aplastic anemia)。

干细胞移植的程序是什么：

干细胞移植有两种方式：自体移植 (autologous) 和异体移植 (allogeneic)。

自体移植 (又称 ASCT)，是病患本身既是捐赠者亦是干细胞接受者——干细胞的来源是该病患本人的血液；藉由生长因子或细胞因子此类生物化学试剂，来诱导存在于骨髓中的干细胞使之移至血液中。皮下注射生长因子数日后，这些干细胞即可藉由简易的分离术（类似血浆分离术）自捐赠者血液中收集而得。收集到的干细胞可以冷冻保存在液态氮中长达 20 年以上。这些干细胞若没有立即使用，则病患可以将之库存以备未来使用。若是要立即进行移植，则目标是藉由调理疗方（预备疗方），如高剂量化疗和/或放射疗法，来消灭接受者体内的癌细胞，紧接着以早先从病患本身血液收集到的干细胞进行移植，来取代或抢救骨髓。注入干细胞之后，干细胞移生植入 (colonization/engraftment) 骨髓内的速度相当快速，通常是 12-14 天。可能会花大约二到四周的时间让免疫系统重新发展对抗细菌的能力，以及更长的时间让免疫系统中抗病毒与抗真菌的部分运作得更好。

异体移植，干细胞的捐赠者是另一个人，不论是亲戚（通常是直系血亲），或是无血缘关系但其组织与干细胞接受者非常配对的其它人。异体移植如今也使用脐带血作为干细胞的来源，虽然这种技术较为困难且不常使用。异体移植收集干细胞的方式与自体移植相似，也是使用生长因子来诱导捐赠者骨髓中的干细胞，使之移至捐赠者血液中再来收集。在传统的异体移植方式中，接受者会先经历积极的化疗，可能也搭配放射疗法。这种调理方案不仅根除疾病，也有抑制免疫反应的效果，以防止接受者的免疫系统对捐赠者的干细胞产生排斥反应。标准的异体移植应用在华氏巨球蛋白血症很罕见。

一种新修正的异体移植方式是非骨髓破坏之干细胞移植 (non-myeloablative stem cell transplantation)，或称为迷你异体干细胞移植 (mini-allo transplantation)，使用对接受者（即病患）毒性较少的降低强度调理方案 (reduced-intensity conditioning regimen)。此种降低强度调

理方案并非要先完全根除病患的疾病，而是要让病患（即接受者）的免疫系统准备接受捐赠者的干细胞。这些捐赠者的干细胞才是提供治疗的主体。接受者接受了较低剂量的化疗以及可能加上放射治疗，产生使骨髓的免疫反应受抑制的效果，以防止接受者的免疫系统对捐赠者的干细胞产生排斥反应，然后再将配对的干细胞注入。经过几周后，这些捐赠者的干细胞会代替接受者的免疫系统，并在理想的情况下开始攻击癌细胞（即移植物抗肿瘤效应(graft-versus-tumor effect)），并以健康的正常细胞取代之。这种移植方式目标是提供一个完全反应（complete response）并且降低标准异体移植所产生的严重副作用和毒性。

干细胞移植的副作用：

骨髓移植之前所使用的调理方案常导致掉发、食欲不振、口干、恶心、呕吐、口腔溃疡、腹泻，以及感染的风险增加。这些副作用大多可通过药物来处理。在干细胞植入期间，接受者的免疫系统是被抑制的，因此必须非常谨慎照护，防止接受者遭到感染；抗生素、抗病毒药物、以及抗真菌的药物皆治疗皆是标准照护的一部分。正因如此，为使病患能被密集地受到照护，病患在干细胞植入期间通常是要住院的。在此期间，病患将无法制造红细胞和血小板，且可能需要接受支持性输血来补充。在移植之后常会感到疲倦好几个月。

异体移植（而非自体移植）另一个重要且有潜在严重后果的是产生移植物对抗宿主疾病（graft vs. host disease (GVHD)）。自有血缘关系者接受异体移植的病患当中，有 20-50% 会产生 GVHD。自无血缘关系者接受异体移植的病患会有更高比例会产生 GVHD。GVHD 乃 T 细胞（白细胞的一种）引起。T 细胞已设定程序可辨识何者是属于自己、何者不是。当它们侦测到对自己而言是外来者的时候，会警示免疫系统来摧毁此外来者。当捐赠者的细胞移植进入接受者体内时，也包含了一些捐赠者的 T 细胞。这些捐赠者 T 细胞会将病患(接受者)的器官和组织视为外来物，并警示免疫系统来攻击病患(接受者)的器官和组织。由于 GVHD 在异体移植是相对常见的，因此医疗团队会更密切注意病患这方面的问题；然而，有时这些症状会直到病患接受移植自医院返家后才发生。

移植物对抗宿主疾病（GVHD）有两种：急性 GVHD 和慢性 GVHD。病患可能遭遇其中的一种，或两者都发生，或是两者皆未发生。急性 GVHD 通常在移植后 3 个月内发生。开始的症状通常是病患背部、腹部、或手脚有轻微或不明显的皮疹；皮疹会扩散开来，最后就像晒伤一样剥落或起水泡。急性 GVHD 可能导致胃痛和腹痛、呕吐、抽筋、恶心，以及水样或血性腹泻。也可能影响肝脏，有时会导致口腔溃疡。为减少发生急性 GVHD 的风险，通常会给病患很强的免疫抑制药物，例如合并环孢素（cyclosporine）和甲氨蝶呤（methotrexate）、或合并他克莫司（tacrolimus）和甲氨蝶呤（methotrexate），或是合并环孢素（cyclosporine）和吗替麦考酚酸酯（mycophenolate mofetil）使用。通常也会加上强的松（Prednisone）。

如果病患产生慢性 GVHD，通常是在移植后 3-18 个月内发生。如果病患曾发生急性 GVHD，则发生慢性 GVHD 的风险最高。慢性 GVHD 可能持续几个月甚或几年，且会影响身体许多器官，

但通常是影响口腔、皮肤、眼睛和/或肺部。控制慢性 GVHD 最常使用的药物是环孢素 (cyclosporine)、强的松 (prednisone)、吗替麦考酚酸酯 (mycophenolate mofetil)，和雷帕霉素 (rapamycin)。另外也会视被攻击的组织为何来做额外的处方治疗。使用这些免疫抑制药物会导致移植病患受感染的风险增加，因此病患必须谨慎监控自己的症状并保持高度的警觉性。

干细胞移植/干细胞库存于华氏巨球蛋白血症的角色：

自体干细胞移植在治疗比较年轻而严重的华氏巨球蛋白血症 (WM) 病患已有显著效果，对一些特定病人而言也是一个适切的可以考虑的抢救治疗方法，因自体干细胞移植治疗而导致的死亡非常少，且可长期控制疾病，即便自体移植无法完全治愈 WM。虽然因异体移植而导致的死亡率较高（在迷你异体移植则较低），但因移植物抗肿瘤效应而使治疗反应达到完全而持久的可能性增加。虽然如此，异体移植用于 WM 患者的建议很罕见。

干细胞库存，即收集及储存自己的干细胞以备将来使用，正逐渐成为 WM 患者一个可行的选择。当您考虑进行任何治疗时，请和您的医师讨论此一选择；因为有些治疗对于干细胞的收集可能产生负面的效果。

注意：此信息主要是用于卫教希望有所帮忙，但国际华氏巨球蛋白血症基金会并不负担保之责，同时亦不能替代专业的医疗建议。（中文翻译：台湾国立政治大学社会学系硕士 王嘉莹。校阅：台湾高雄荣民总医院病理检验部 王志生医师。简体中文校阅：中国上海交通大学附属儿童医院皮肤科王韵茹医师）

最后更新日期: 2015-11-28