

蘇國輝：核心原料自給自足 雙腿復健能屈能伸

「藥物可減輕或消除疼痛，手術以矯正畸形為主，但這兩種方式都無法修復受損軟骨，意味着無法阻止膝骨關節炎的進展。」目前，中國有超過1.3億人被膝骨關節炎折磨，傳統藥物或手術都無法根治，香港科學家從源頭推動創新，研製一款有望逆轉膝骨關節炎、普羅大眾也負擔得起、核心原材料國產化的幹細胞新藥，有望讓患者雙腿能屈能伸、恢復健康站起來。中國科學院院士、美國國家發明家學會院士、香港大學醫學院講座教授、暨南大學粵港澳中樞神經再生研究院院長蘇國輝近日接受大公報專訪時披露，參與臨床研究並接受新藥注射治療的病人大讚新藥有效：「膝蓋不痛了，走路正常了，太神奇了！」

大公報記者 黃寶儀

蘇國輝正在與廣州賽萊拉幹細胞科技股份有限公司（下稱「賽萊拉」），共同申請一種用於治療膝骨關節炎的幹細胞新藥，名為「人臍帶間充質幹細胞注射液治療膝骨關節炎新藥」。該藥目前正在北京協和醫院和中山大學孫逸仙紀念醫院進行I期臨床試驗，完成後續臨床試驗後將向國家藥監局申請NDA新藥上市，預計2028年前可正式面世。

被世界衛生組織稱為「不死的癌症」的膝骨關節炎，是一種嚴重影響膝關節軟骨及周圍組織的退行性關節疾病，嚴重影響了生活質量。目前，全世界骨關節病患者已超過4億，中國膝骨關節炎患者人群超過1.3億。

近年，隨着人口老齡化、人群普遍肥胖的情況攀升，骨關節炎患者數量也隨之增加，且骨關節炎致殘率高達10%。與傳統藥物相比，人臍帶間充質幹細胞注射液能抗炎、能修復軟骨，甚至還有免疫調節等作用，「因此，該藥能夠阻止膝骨關節炎的進展，甚至可以逆轉膝骨關節炎，讓患者真正恢復健康站起來。」蘇國輝說。

蘇國輝一直從事視神經再生研究與脊髓損傷修復研究，他說，目前早中期患者的主要治療手段包括藥物治療及手術治療，晚期患者的主要治療手段是關節置換手術，關節置換手術費用較高且具有術後感染風險，「以香港為例，置換關節的費用高達十多萬港幣。」

憂被西方卡脖子 決意自主研製

新藥一方面為膝骨關節炎患者帶來重新站起來的希望，另一方面也讓國產幹細胞療法迎來強起來的機遇。蘇國輝告訴記者，在孫逸仙紀念醫院，有多名病人通過詳細檢查、符合標準後參與了臨床研究並接受注射治療，「效果非常好，病人的膝蓋不痛了，走路正常了，有人直接用『神奇』來形容治療效果。」蘇國輝表示，幹細胞治療膝骨關節炎在全球並非首創，目前歐美及韓國等國家都已有相關新藥在醫院使用。

據了解，目前韓國已上市的一款治療膝骨關節炎的臍帶血間充質幹細胞注射液藥物，定價約2萬美元一針，其已公開的臨床試驗研究文獻表明療效不錯，「我們自主研

發的幹細胞新藥上市後，依託幹細胞規模化製備等優勢，預計注射治療成本會大幅降低，能更好地惠及患者。」蘇國輝對新藥的前景充滿信心。

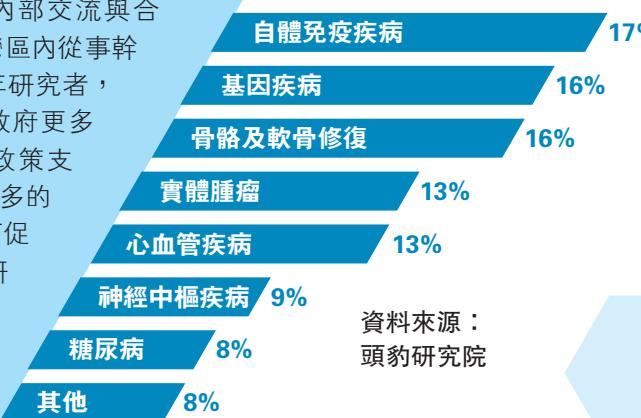
蘇國輝的研發工作，始終將患者放在第一位。內地患者數量眾多，市場市場需求龐大，面對可能遇到西方「卡脖子」的窘境，必須讓患者得到更好的治療。「在此方面，香港醫療可以發揮自身優勢，加強與灣區內地城市交流合作，共同開拓幹細胞的臨床應用和商業化市場。」

蘇國輝語重心長地告訴記者，預計到2024年，全球幹細胞市場規模將達到3000多億美元，全球都盯着這塊「大蛋糕」，美國、歐盟、韓國、日本、澳洲均已有批准上市的幹細胞藥物。雖然內地目前共有逾70款幹細胞藥物獲得臨床試驗默示許可，但仍未有一款正式上市。

幹細胞產業化 香港發揮所長

「粵港澳大灣區擁有超過7000萬的人口，市場潛力巨大。而且大灣區同時擁有內地、香港、澳門三地科創要素，有獨特的優勢，為科技創新提供了一片沃土。」蘇國輝很看重大灣區醫療合作。作為第一批在內地建立聯合實驗室的香港科學家之一，蘇國輝已在內地全職工作了11年，一直致力於搭建內地與香港、澳門溝通合作的橋樑，「我們不少項目是和港澳的高校、科研機構聯合開展的。」

在蘇國輝看來，推動幹細胞產業化，大灣區優勢得天獨厚；擁有所在幹細胞基礎研究領域處於國際領先地位的高校和科研院所，還有一批內地幹細胞產業化領域的頭部企業，且同時擁有優質的醫療資源和國際資源。「未來大灣區應該在幹細胞基礎研究及臨床轉化應用方面進行更多的內部交流與合作，我希望大灣區內從事幹細胞研究的青年研究者，未來能夠獲得政府更多的項目支持及政策支持，聯合開展更多的合作項目，從而促進更多幹細胞研究結果的產業化轉化應用。」



資料來源：
頭豹研究院

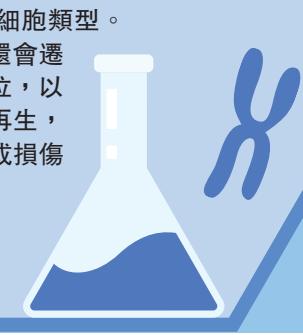
►新生兒的臍帶血
是造血幹細胞的主要來源之一。



話你知

什麼是幹細胞？

幹細胞（stem cell）是原始的、未充分分化、具有再生各種組織器官的潛在功能的一類細胞，能夠產生所有其他細胞類型，如血液細胞、神經細胞等。它們充當人體新細胞的「發源地」，協調人體內各種細胞群。在人類生命的初期階段，受精卵經歷分裂產生胚胎幹細胞，隨後分化成各種細胞類型。此外，多能幹細胞還會遷移到身體不同部位，以促進組織修復和再生，特別是對創傷或損傷作出反應。



2018-2022年中國幹細胞治療行業市場規模

單位：億元人民幣

2018	474.26
2019	522.16
2020	581.69
2021	654.40
2022	745.30

資料來源：
觀研報告網

灣區臨床試驗 最快2028年上市

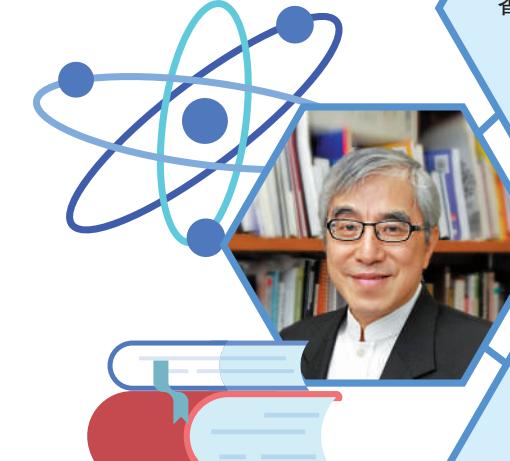
作為國家十四五科技創新規劃中重點提及的顛覆性技術創新，以幹細胞、精準醫療為核心的再生醫學，正引領一場新的醫學革命，早與幹細胞結緣的蘇國輝充滿期待：「在疾病治療方面，幹細胞可以通過發揮組織替代及修復再生、免疫調節、旁分泌、抑制炎症等功能，發揮對疾病的治療作用。」

不存在跨物种應用

使用幹細胞治療疾病，倫理問題是倍受關注的焦點。動物和植物都可提取分離獲得幹細胞，但蘇國輝團隊的幹細胞製劑源自人類，不存在跨物种應用。蘇國輝特別向大公報記者強調說，「團隊研究使用的間充質幹細胞，來源

於臍帶、骨髓、脂肪等組織，不存在倫理問題。」

新藥後續還需要開展II期及III期臨床試驗，向國家藥監局申請NDA新藥上市。為加速臨床試驗的進度及充分驗證該藥的臨床有效性和安全性，蘇國輝透露，後續的II期及III期臨床試驗將與包括香港在內的粵港澳大灣區、長三角地區的多家醫院開展多中心臨床試驗，從而更快獲得更多臨床試驗數據，支持新藥上市。「治療膝骨關節炎的新藥預計2028年前上市，以後研發的幹細胞藥物還將用於治療神經脊髓炎等。」



研究方向
致力研究探索神經保護和再生的因素，包括納米醫學、運動、中草藥提取物、其他一些小分子、免疫反應、康復訓練等

蘇國輝簡歷

- 中國科學院院士
- 暨南大學粵港澳中樞神經再生研究院院長
- 香港大學醫學院講座教授、何馮月燕基金明德教授（神經科學）、腦與認知科學國家重點實驗室（香港大學）名譽主任
- 中國脊髓損傷研究協作組董事會聯席主席
- 1977年 毕業於美國麻省理工學院，獲博士學位
- 1995年 獲得國家自然科學獎
- 1999年 獲選為中國科學院院士
- 2015年 獲美國國家發明家協會任命為發明家院士



▲中國科學院院士、香港大學醫學院講座教授蘇國輝（左二）與幹細胞新藥的科研人員一起溝通。

受訪者供圖

膝關節逆齡修復 源頭創薪幹細胞藥

千挑百選 獨愛「多能選手」

獨具慧眼
按照人類繁衍的規律來類比，幹細胞就是人體各種細胞的「祖宗」，蘇國輝以「全能選手」、「多能選手」和「單項選手」來分別形容全能幹細胞、多能幹細胞和單能幹細胞三種幹細胞的區別和作用。

「胚胎幹細胞就屬於全能類型，胚胎幹細胞的每一個細胞都能分化成為一個小孩，但是目前存在倫理爭議。」蘇國輝解釋說。單能幹細胞是最具有局限性的種類，只能分化成某一類型的細胞，目前臨床試驗主要集中在神經系統疾病。

相比「全能選手」和「單項選手」，蘇國輝更加看重的是「多能選手」。蘇國輝介紹

說，目前多能幹細胞主要分成誘導多能幹細胞、成體幹細胞這2種。出於安全性和有效性考慮，內地科研人員主要研發多能幹細胞的第二種——成體幹細胞，目前臨床試驗主要集中在心血管系統疾病、神經系統疾病、系統性紅斑狼瘡、糖尿病足、肝病和骨關節損傷等。

蘇國輝還解釋說，團隊用於研究治療膝骨關節炎的是臍帶間充質幹細胞，間充質幹細胞也被稱為MSC，是一群來源廣泛、能夠體外增殖分化的異質性細胞，能夠在體外進行大量增殖，具良好免疫調節和抗炎修復的作用，可進行同種異體接種。

大量臨床研究表明異體的MSC細胞注射後不會發生排異反應，而且便於規模化、標準化製備，利於大幅降低成本，提高幹細胞藥物的可及性。



▲浙江省湖州市某街道開展造血幹細胞捐獻宣傳活動。

「蘇院士對症下藥，原料成本大降70%」

團隊心聲
「作為團隊的首席科學家，您具體負責哪些方面工作？」對於記者的提問，蘇國輝笑了，他做出一個指引方向的動作，說自己最重要的工作就是給研究員「指指方向、分配任務」。

核心原材料國產化

「蘇院士一直很關注可能遭遇的幹細胞新藥產業化卡脖子難題，他給我們指導的時候都在強調未來新藥上市後如何更好地惠及患者，如何更大規模地製備幹細胞，如何更好地使用國產的核心原材料，如何更好地降低幹細胞生產成本。」

團隊成員說，2016年賽萊拉科研團隊開始研發幹細胞無血清培養基，就像人體的血液和奶粉，培養基作為幹細胞治療產品核心生產用材料，決定了製品質量及臨床應用的安全性，之前主要從國外進口，因此其國產化是中國幹細胞產業發展的戰略基礎與核心支撐產業。

在蘇國輝指導下，賽萊拉團隊逐步解決幹細胞貼壁、增殖、細胞老化等重大難題，最終開發了內地領先的第二代間充質幹細胞無血清培養基產品。

據了解，產品更符合國家幹細胞臨床安全應用要求，成分明確、穩定、安全、質量可控，且相比國際品牌成本降低70%以上，獲得廣東省名優高新技術產品稱號。