



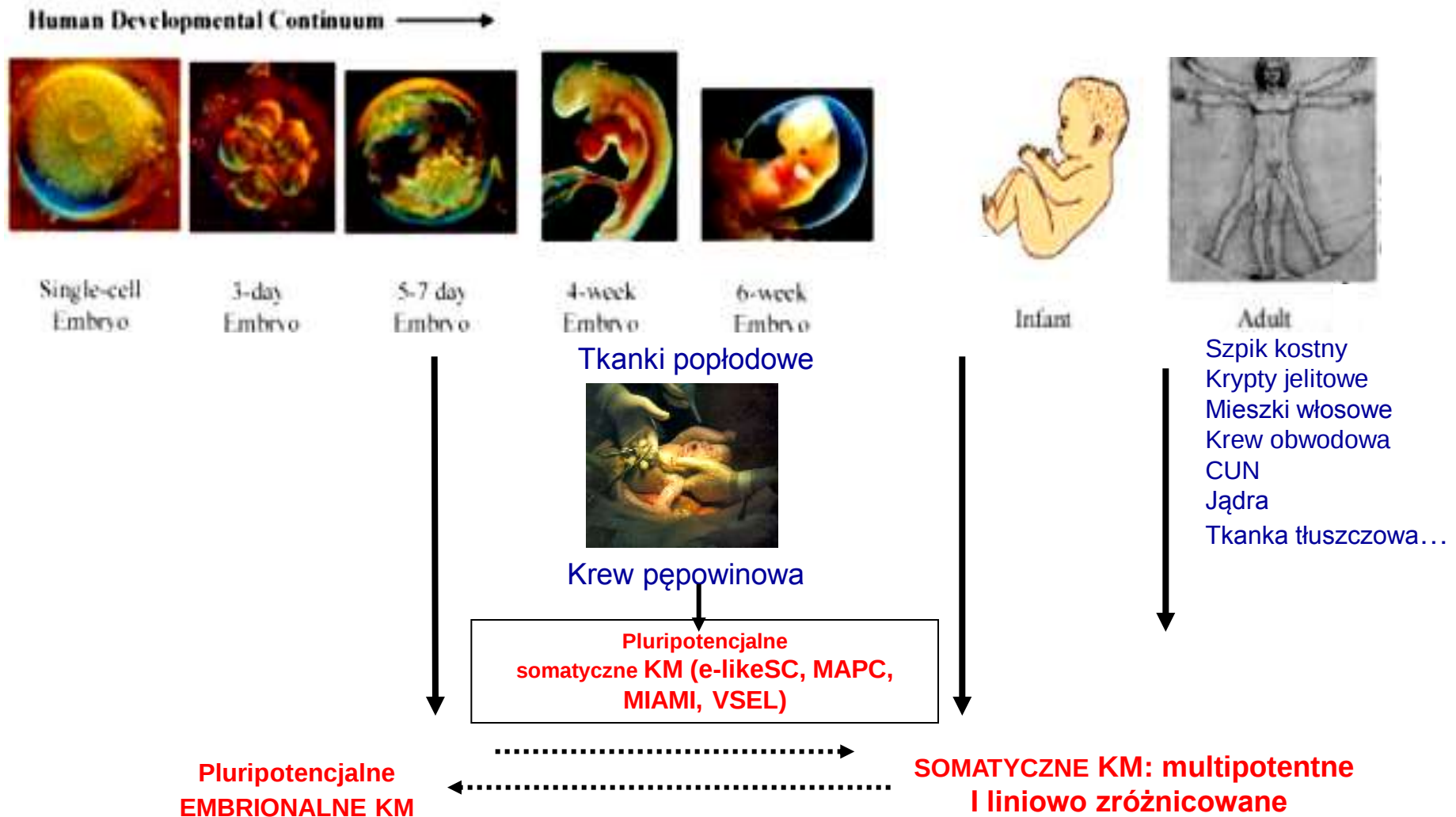
Komórki macierzyste w terapii schorzeń neurologicznych -problemy praktyczne i etyczne-

**Krystyna Domańska-Janik
ZAKŁAD NEUROIOLOGII NAPRAWCZEJ
IMDiK PAN im. Mirosława Mossakowskiego**

KONFERENCJA 07. 05. 2013

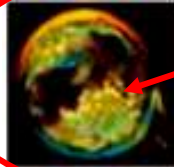
**Komitet Biotechnologii, Komitet Genetyki Człowieka i Patologii Molekularnej
Komitet Neurobiologii, Komitet Nauk Neurologicznych**

DOSTĘPNOŚĆ KOMÓREK MACIERZYSTYCH (KM) NA RÓŻNYCH ETAPACH ONTOGENEZY



PROBLEMY ETYCZNE A KOMÓRKI MACIERZyste w MEDYCYNIE

PŁASZCZYZNY SPORU



Węzeł zarodkowy → ESC
5-7 dni pf

ONTOLOGICZNA: JAKIM BYTEM JEST ZARODEK

- skrajny personalizm: status osoby
- skrajny impersonalizm: zbiór komórek

?

PRAGMATYCZNO- MEDYCZNA :

- UNIKALNOŚĆ KORZYŚCI OSIĄGANYCH PRZEZ ESC

iPS
E-like sSC ?

- DOSTĘPNOŚĆ, BEZPIECZEŃSTWO, EKONOMICZNOŚĆ

MSC i
inne sSC



"The cure to your disease came from stem cell research. Sign here if you wish to refuse treatment for moral, religious or ideological reasons."

Czy te wątpliwości ma rozstrzygać pacjent? Kto?

Porównanie **ryzyka** i **korzyści** przy zastosowaniu zarodkowych lub somatycznych KM do terapii

eKM

iPS

sKM

~~Zastrzeżenia etyczno-prawne~~

Brak zastrzeżeń

Klinicznie **niesprawdzone**

Klinicznie **bezpieczne**

Różnicowanie **wielokierunkowe**,
trudne do kontrolowania

Ograniczone różnicowanie,
kompensowane **plastycznością**

Niestabilność genetyczna,
podatność na mutacje i
zmiany nowotworowe

Bardziej stabilny genotyp,
nie tworzą guzów po TX.

Nielimitowana proliferacja
in vitro.

Nieinwazyjna i szeroka dostępność
ale **ograniczona proliferacja *in vitro***

CELE TERAPII KOMÓRKOWEJ W NEURLOGII

PODEJŚCIE KLASYCZNE

•Repopulacja tkanki i przejęcie funkcji przez transplantowane KM

- Źródła komórek:** neuralne (płodowe), szpiku kostnego, krwi pępowinowej, nabłonka węchowego- ukierunkowane neuralnie linie komórek pluripotencjalnych
- Podanie:** systemowe (iv, ia, intraventricular, intrathecal) lub miejscowe intraparenchymalne
- Mechanizm:** zróżnicowanie końcowe i integracja z tkanką biorcy i przejęcie funkcji?
- Zaawansowanie:** brak dowodów klinicznych

PODEJŚCIE „ADIUWANTOWE”

•Parakrynnе wspomożenie procesów naprawczych („low-hanging fruit”)

- Źródła komórek:** krew pępowinowa, tkanki popłodu, szpik kostny i inne MSC, nabłonek węchowy (OEG)
- Podanie:** systemowe (iv, ia, intraventricular, intrathecal) tropizm i migracja w kierunku ogniska zapalnego
- Mechanizm:** immunomodulacyjny, przeciwzapalny, cytoprotekcyjny ?
- Zaawansowanie:** pośrednie dowody korelacyjne potwierdzone klinicznie

NIEROZSTRZYGNIĘTE ZAGADNIENIA ZWIĄZANE Z TERAPĄ KOMÓRKOWĄ

(do rozstrzygnięcia jedynie w kontrolowanym eksperymencie klinicznym)

- **Ustalenie dawki i rodzaju komórek do przeszczepu**
 - ciągle brak jest rozstrzygnięć, jakie komórki najlepiej spełniają kryteria efektywności i bezpieczeństwa terapeutycznego w określonych jednostkach chorobowych
- **Optymalizacja sposobu wprowadzenia KM do uszkodzonej tkanki/narządu**
 - systemowe (do układu krążenia lub do przestrzeni płynowych mózgu i rdzenia)
 - miejscowe (intraparenchymalne)
 - z ukierunkowaną migracją komórek terapeutycznych do miejsca ich działania
- **Wydłużenie czasu przeżycia KM po przeszczepie** (monitorowane in vivo)
 - immunosupresja i zwiększenie tolerancji biorcy na przeszczep
 - zmniejszenie immunogenności przeszczepu
 - wydłużenie czasu proliferacji KM w tkance biorcy
 - inne rodzaje cytoprotekcji komórek dawcy

Zwiększenie bezpieczeństwa materiału transplantacyjnego

- ustalenie wymogów atestacji KM procesowanych in vitro przed przeszczepem
- stosowanie standardowych procedur biotechnologicznych gwarantujących biorcy bezpieczeństwo bakteriologiczne, genetyczne i cytologiczne związane z zastosowanym materiałem komórkowym

PRZYKŁADY ZAREJESTROWANYCH PRÓB TERAPII KOMÓRKOWEJ W NEUROLOGII (jesień 2012)

1. Brak zarejestrowanych prób klinicznych z zastosowaniem **eKM lub iPS**
2. Prowadzone są monitorowane próby kliniczne 1 i 2 fazy (www.clinicaltrials.gov)
oparte głównie na autologicznych **MSC** – (mezenchymalnych komórkach macierzystych):
 - Ischemic stroke (NCT00875654- **Francja**, (NCT01716481-**US**, NCT01091701- **Malezja**)
 - Neonatal brain asphyxia (NCT00593242- Duke Univ. **US**)
 - Cerebral palsy (NCT01072370- Duke Univ.**US**)
 - Spinal cord injury (NCT01162915- TCA Cell.Ther.**US**, NCT00816803- Cairo Hsp. **Egipt**, NCT01231893, Wrocław **PI**)
 - Parkinson's disease (NCT00976430- Jaslok Hospital **Indie**)
 - Multiple sclerosis (NCT00278655- Northwestern Univ. **US**, NCT0105647)
 - Pelizaeus-Merzbacher Disease (PMD) (NCT01005004- StemCell Inc. **US**)
 - Amyotrophic lateral sclerosis (NCT01142856- Mayo Clinic, **US**, NCT01051882 **Izrael**)
 - Alzheimer's Disease (NCT01547689- Peking Univ. Hospital, **Chiny**)
 - Nieliczne publikacje kazuistyczne w recenzowanych czasopismach naukowych (**wstrzymane z zalecenia NIH**)

Neurological disease	Route of delivery	No. of cases	Tx cell No.	Main findings	Comments	Reference		
Stroke acute phase	i.v.	treated group - 5 untreated group - 25 MSC	5×10^7 two doses	Side effects: no serious adverse events Clinical outcome: trend towards increased functional recovery	• follow up 1 year	Bang et al. 2005		
	i.v.	treated group - 16 untreated group - 36 MSC	5×10^7 two doses	Side effects: no serious adverse events Clinical outcome: trend towards increased functional recovery	• follow up 5 years	Lee et al. 2008		
	i.a. (MCA)	APRIL 2013 56 PAPERS !!!				up 0,5 year patients showed a clinical outcome	Friedrich et al. 2012	
	i.a. (MCA)					tx cells were labeled with Tc^{99m} is a noninvasive method	Correa et al. 2007	
	chronic phase	i.v.	APRIL 2013 56 PAPERS !!!				up 0,5 year were suspended in free media nts were lated for 8 weeks	Bhasin et al. 2011
		i.v.					up 0,5 year	Bhasin et al. 2012
		20 MSC		Clinical outcome: trend towards increased functional recovery				
	i.v.	treated group - 12 MSC	$0.6-1.6 \times 10^8$ one dose	Side effects: no serious adverse events	• follow up 1 year • tx cells were suspended in autologous human serum	Honmou et al. 2011		

MONITOROWANA TRANSPLANTACJA DOKOMOROWA NEURALNYCH KM Z KRWI

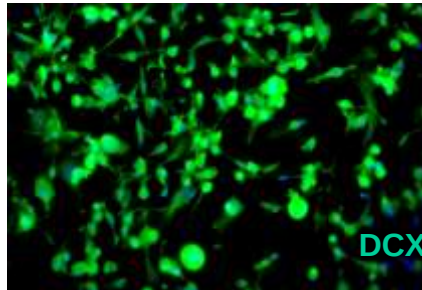
PĘPOWINOWEJ W CIĘŻKIM NIEDOKRWIENNYM USZKODZENIU MÓZGU

(S.Józwiak, Habich A. et al., Cell Medicine 2010)

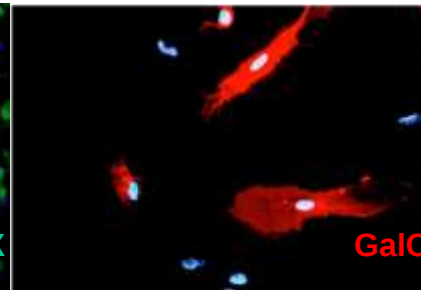
Ukierunkowanie pro-neuralne komórek krwi pepowinowej

10 dni in vitro

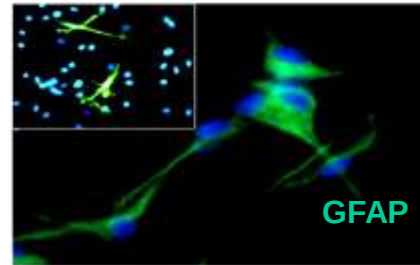
NEURON-like



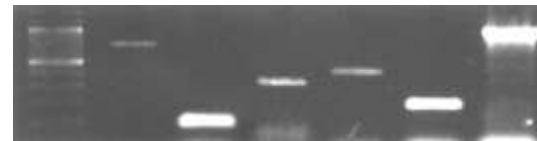
OLIGODENDROCYTE-like



ASTROCYTE-like

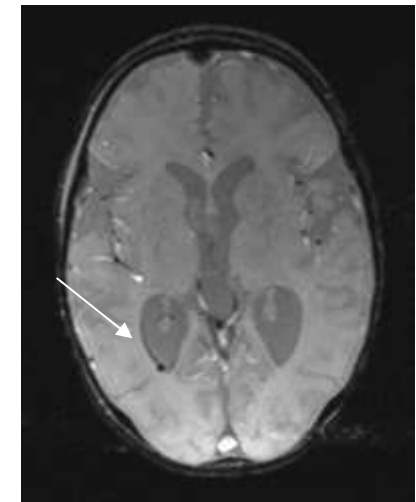


Kontrola ekspresji genów NKM



Oct3/4 Nanog Sox2 Rex1 Nestin

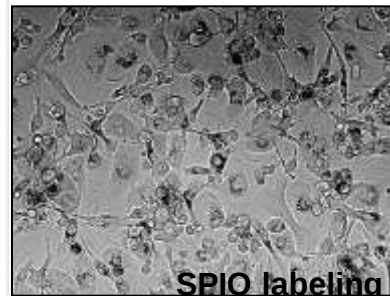
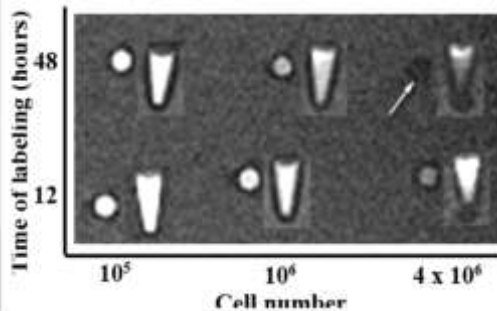
Cell deposit in MRI



Znakowanie do MR: Dextran coated Fe³⁺(Feridex)



Fantom MRI



SPIO labeling



Perl's staining

ZNAKOWANIE
Fe³⁺ Feridex

SCHEMAT POSTĘPOWANIA KLINICZNEGO

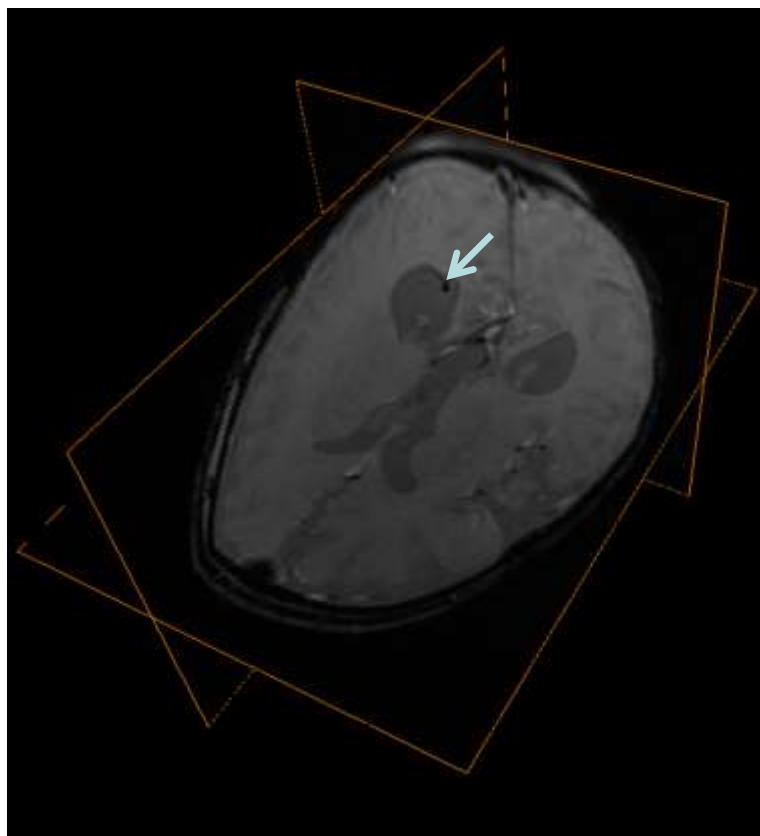
- Niestandardową terapię komórkową przeprowadzono w 2008 roku po uzyskaniu zgody Komisji Etycznej Ministerstwa Zdrowia
- Obserwację kliniczną, opiekę i badania podstawowe wykonano na Oddziale Neurologicznym Centrum Zdrowia Dziecka.
- W Klinice Neurochirurgii przeprowadzono 3 dokomorowe transplantacje komórek krwi pępowinowej pacjenta po 10 dniach hodowli w Zakładzie Neurobiologii Naprawczej IMDiK PAN. Z hodowli wycofano produkty odzwierzęce (FBS) i przeprowadzono standardową kontrolę bakteriologiczną i serologiczną stosowaną przy przeszczepach.
- **Podano** łączną dawkę 36×10^6 komórek w 3 równych, comiesięcznych iniekcjach pod kontrolą systemu radionawigacji. W pierwszej iniekcji 1/3 komórek wyznakowano znacznikiem paramagnetycznym Feridex/PLL
- Wstępną diagnostykę MR i dalsze sekwencyjne monitorowanie mózgu po przeszczepie w schemacie SWI przeprowadzono w CZD
- Ostatnie pełne badanie kliniczne przeprowadzono 33 miesiące po pierwszym przeszczepie

W N I O S K I

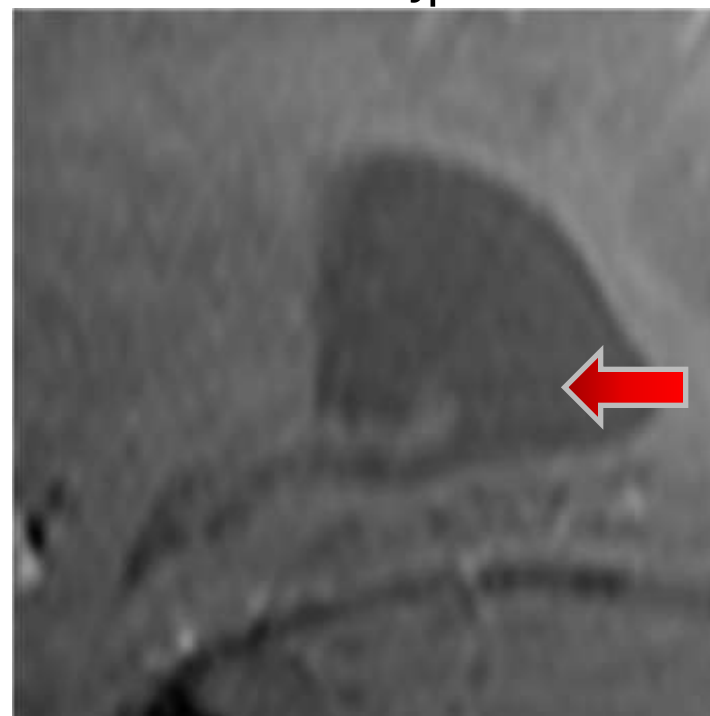
- Nie stwierdzono powikłań związanych z dokomorową transplantacją neuralnych komórek macierzystych pochodzących z autologicznej krwi pępowinowej
- Zaobserwowano po zabiegu stabilizację z nieznaczną ale postępującą poprawą stanu pacjenta w czasie 33- miesięcznej obserwacji
- Nie stwierdzono zasadniczej ewolucji obrazu radiologicznego o cechach uogólnionej, poniedokrwiennej atrofii mózgu
- Uwidoczniono w rogu potylicznym komory bocznej po stronie transplantowanych znakowanych KM zanikający sygnał MRI wskazujący na obecność $> (4 \times 10^6)$ komórek (żywych), utrzymującą się do 4 miesięcy od czasu pierwszej iniekcji.

**Monitorowana transplantacja dokomorowa neuralnych komórek z krwi pępowinowej
u dziecka z ciężkim niedokrwinnym uszkodzeniem mózgu**

Jóźwiak S. et al., Cell Medicine 2010

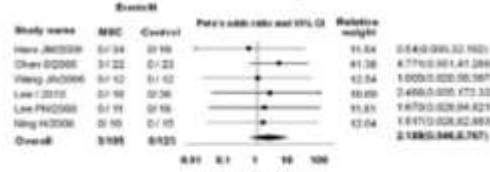


23 months



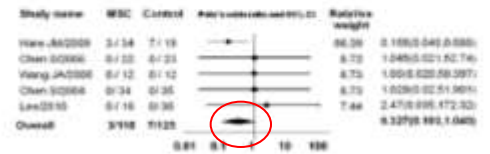
BEZPIECZEŃSTWO TERAPII KOMÓRKOWEJ (meta-analiza)

A. Acute Infusional Toxicity



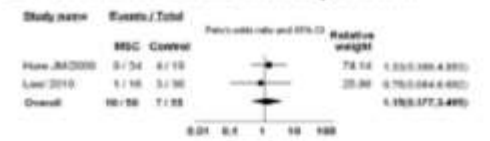
Turbine-Ischungszeit: $T = 24$ (2013-01-01 bis 2013-01-01)
 $\lambda = 0.000000$, $\mu = 0.000000$

C. Arrhythmias



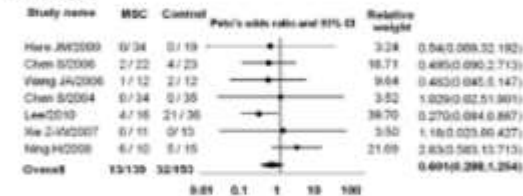
Test for independence: $\chi^2 = 20.0$ (df = 1) (3.0%)
 $\chi^2 = 20.0$ (df = 1) (3.0%)

E. Gastrointestinal and Renal Dysfunction



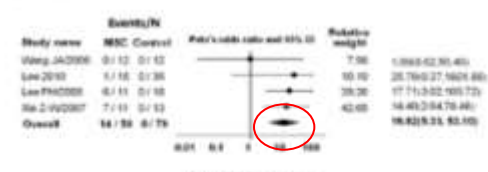
Test für Unabhängigkeit: $\chi^2 = 20.1$ (df = 1; $p < 0.001$)
 $\phi = 0.42$ (df = 1; $p < 0.001$)

G. Death



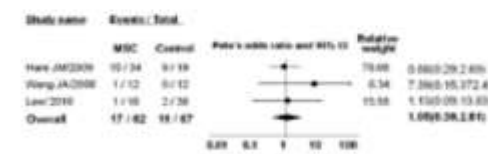
Mathematics Subject Classification: 37J46, 37J50, 37J60, 37J70, 37J78, 37J80, 37J82, 37J86, 37J90, 37J94, 37J98, 37L03, 37L05, 37L07, 37L08, 37L10, 37L15, 37L20, 37L25, 37L30, 37L35, 37L40, 37L45, 37L50, 37L55, 37L60, 37L65, 37L70, 37L75, 37L80, 37L85, 37L90, 37L95, 37M05, 37M10, 37M15, 37M20, 37M25, 37M30, 37M35, 37M40, 37M45, 37M50, 37M55, 37M60, 37M65, 37M70, 37M75, 37M80, 37M85, 37M90, 37M95, 37N01, 37N02, 37N03, 37N04, 37N05, 37N06, 37N07, 37N08, 37N09, 37N10, 37N11, 37N12, 37N13, 37N14, 37N15, 37N16, 37N17, 37N18, 37N19, 37N20, 37N21, 37N22, 37N23, 37N24, 37N25, 37N26, 37N27, 37N28, 37N29, 37N30, 37N31, 37N32, 37N33, 37N34, 37N35, 37N36, 37N37, 37N38, 37N39, 37N40, 37N41, 37N42, 37N43, 37N44, 37N45, 37N46, 37N47, 37N48, 37N49, 37N50, 37N51, 37N52, 37N53, 37N54, 37N55, 37N56, 37N57, 37N58, 37N59, 37N60, 37N61, 37N62, 37N63, 37N64, 37N65, 37N66, 37N67, 37N68, 37N69, 37N70, 37N71, 37N72, 37N73, 37N74, 37N75, 37N76, 37N77, 37N78, 37N79, 37N80, 37N81, 37N82, 37N83, 37N84, 37N85, 37N86, 37N87, 37N88, 37N89, 37N90, 37N91, 37N92, 37N93, 37N94, 37N95, 37N96, 37N97, 37N98, 37N99, 37O01, 37O02, 37O03, 37O04, 37O05, 37O06, 37O07, 37O08, 37O09, 37O10, 37O11, 37O12, 37O13, 37O14, 37O15, 37O16, 37O17, 37O18, 37O19, 37O20, 37O21, 37O22, 37O23, 37O24, 37O25, 37O26, 37O27, 37O28, 37O29, 37O30, 37O31, 37O32, 37O33, 37O34, 37O35, 37O36, 37O37, 37O38, 37O39, 37O40, 37O41, 37O42, 37O43, 37O44, 37O45, 37O46, 37O47, 37O48, 37O49, 37O50, 37O51, 37O52, 37O53, 37O54, 37O55, 37O56, 37O57, 37O58, 37O59, 37O60, 37O61, 37O62, 37O63, 37O64, 37O65, 37O66, 37O67, 37O68, 37O69, 37O70, 37O71, 37O72, 37O73, 37O74, 37O75, 37O76, 37O77, 37O78, 37O79, 37O80, 37O81, 37O82, 37O83, 37O84, 37O85, 37O86, 37O87, 37O88, 37O89, 37O90, 37O91, 37O92, 37O93, 37O94, 37O95, 37O96, 37O97, 37O98, 37O99, 37P01, 37P02, 37P03, 37P04, 37P05, 37P06, 37P07, 37P08, 37P09, 37P10, 37P11, 37P12, 37P13, 37P14, 37P15, 37P16, 37P17, 37P18, 37P19, 37P20, 37P21, 37P22, 37P23, 37P24, 37P25, 37P26, 37P27, 37P28, 37P29, 37P30, 37P31, 37P32, 37P33, 37P34, 37P35, 37P36, 37P37, 37P38, 37P39, 37P40, 37P41, 37P42, 37P43, 37P44, 37P45, 37P46, 37P47, 37P48, 37P49, 37P50, 37P51, 37P52, 37P53, 37P54, 37P55, 37P56, 37P57, 37P58, 37P59, 37P60, 37P61, 37P62, 37P63, 37P64, 37P65, 37P66, 37P67, 37P68, 37P69, 37P70, 37P71, 37P72, 37P73, 37P74, 37P75, 37P76, 37P77, 37P78, 37P79, 37P80, 37P81, 37P82, 37P83, 37P84, 37P85, 37P86, 37P87, 37P88, 37P89, 37P90, 37P91, 37P92, 37P93, 37P94, 37P95, 37P96, 37P97, 37P98, 37P99, 37Q01, 37Q02, 37Q03, 37Q04, 37Q05, 37Q06, 37Q07, 37Q08, 37Q09, 37Q10, 37Q11, 37Q12, 37Q13, 37Q14, 37Q15, 37Q16, 37Q17, 37Q18, 37Q19, 37Q20, 37Q21, 37Q22, 37Q23, 37Q24, 37Q25, 37Q26, 37Q27, 37Q28, 37Q29, 37Q30, 37Q31, 37Q32, 37Q33, 37Q34, 37Q35, 37Q36, 37Q37, 37Q38, 37Q39, 37Q40, 37Q41, 37Q42, 37Q43, 37Q44, 37Q45, 37Q46, 37Q47, 37Q48, 37Q49, 37Q50, 37Q51, 37Q52, 37Q53, 37Q54, 37Q55, 37Q56, 37Q57, 37Q58, 37Q59, 37Q60, 37Q61, 37Q62, 37Q63, 37Q64, 37Q65, 37Q66, 37Q67, 37Q68, 37Q69, 37Q70, 37Q71, 37Q72, 37Q73, 37Q74, 37Q75, 37Q76, 37Q77, 37Q78, 37Q79, 37Q80, 37Q81, 37Q82, 37Q83, 37Q84, 37Q85, 37Q86, 37Q87, 37Q88, 37Q89, 37Q90, 37Q91, 37Q92, 37Q93, 37Q94, 37Q95, 37Q96, 37Q97, 37Q98, 37Q99, 37R01, 37R02, 37R03, 37R04, 37R05, 37R06, 37R07, 37R08, 37R09, 37R10, 37R11, 37R12, 37R13, 37R14, 37R15, 37R16, 37R17, 37R18, 37R19, 37R20, 37R21, 37R22, 37R23, 37R24, 37R25, 37R26, 37R27, 37R28, 37R29, 37R30, 37R31, 37R32, 37R33, 37R34, 37R35, 37R36, 37R37, 37R38, 37R39, 37R40, 37R41, 37R42, 37R43, 37R44, 37R45, 37R46, 37R47, 37R48, 37R49, 37R50, 37R51, 37R52, 37R53, 37R54, 37R55, 37R56, 37R57, 37R58, 37R59, 37R60, 37R61, 37R62, 37R63, 37R64, 37R65, 37R66, 37R67, 37R68, 37R69, 37R70, 37R71, 37R72, 37R73, 37R74, 37R75, 37R76, 37R77, 37R78, 37R79, 37R80, 37R81, 37R82, 37R83, 37R84, 37R85, 37R86, 37R87, 37R88, 37R89, 37R90, 37R91, 37R92, 37R93, 37R94, 37R95, 37R96, 37R97, 37R98, 37R99, 37S01, 37S02, 37S03, 37S04, 37S05, 37S06, 37S07, 37S08, 37S09, 37S10, 37S11, 37S12, 37S13, 37S14, 37S15, 37S16, 37S17, 37S18, 37S19, 37S20, 37S21, 37S22, 37S23, 37S24, 37S25, 37S26, 37S27, 37S28, 37S29, 37S30, 37S31, 37S32, 37S33, 37S34, 37S35, 37S36, 37S37,

B. Fever



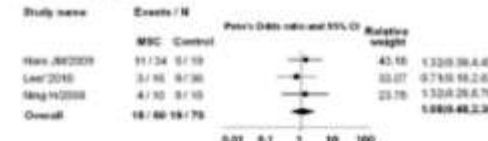
Statistical significance: $P < 0.05$ (Wilcoxon) or $P < 0.05$ (Mann-Whitney U-test).

D. Cardiac Dysfunction

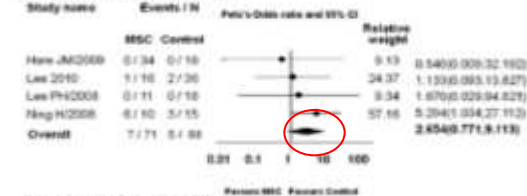


Received 12 November 2003; revised 12 February 2004; accepted 12 February 2004
© 2004 Wiley Periodicals, Inc. *J Biomed Mater Res Part B: Appl Biomater* 69B: 100–106, 2004

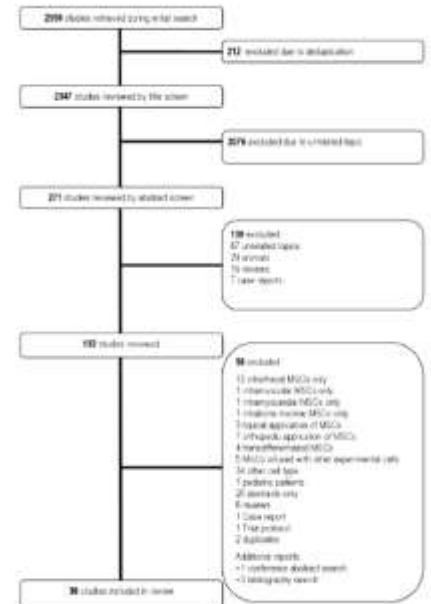
F. Infection

Test for heterogeneity: $\chi^2 = 216$ (2df) ($P < 0.001$)

H. Tumour/Malignancy



Test for independence: $\chi^2 = 34.384$ (18 df)
 $p = 2.40 \times 10^{-5}$ $p < 0.05$



Lalu MM, McIntyre L,
Pugliese C, Fergusson
D, et al. **(2012)**

A Systematic Review and Meta-Analysis of Clinical Trials. PLoS ONE

<http://www.plosone.org/article/info:doi/10.1371/journal.pone.0047559>

Data are presented as mean (95% confidence interval [CI]) differences in adverse events between control treatment and MSC treatment

Figure 2. Confidence Intervals and Meta-analysis of Adverse Events. Data are presented as mean (95% confidence interval [CI]) differences in adverse events between control treatment and MSC treatment.
doi:10.1371/journal.pone.0047559.g002

OPINIA PODSUMOWUJĄCA BEZPIECZEŃSTWO TERAPII KOMÓRKOWEJ

<http://www.plosone.org/article/info:doi/10.1371/journal.pone.0047559>

Currently, there is no clinical experience with pluripotent stem cells (i.e. **embryonal stem cells and iPSC**). Based on their characteristics of unlimited self-renewal and high proliferation rate the risks associated with a product containing these cells (e.g. risk on tumour formation) are considered high, if not perceived to be unacceptable.

In contrast, the vast majority of small-sized clinical trials conducted with mesenchymal stem/stromal cells (**MSC**) in regenerative medicine applications has not reported major health concerns, suggesting that **MSC therapies could be relatively safe**. However, in some clinical trials serious adverse events have been reported, which emphasizes the **need for additional knowledge and control**, particularly with regard to biological mechanisms and long term safety.

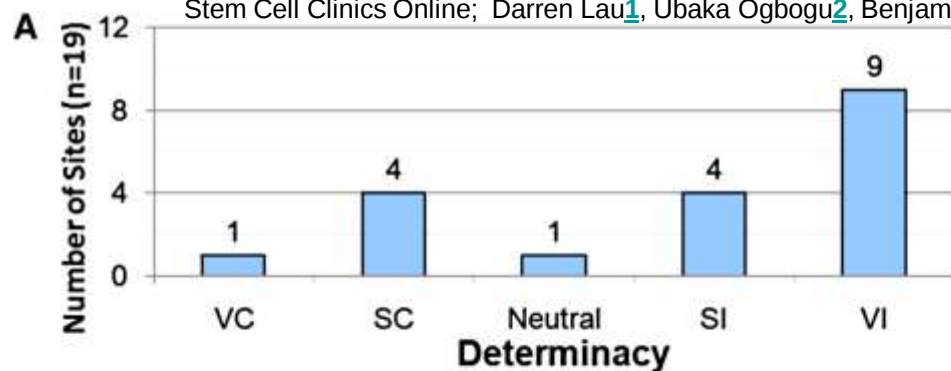
Obecnie nie posiadamy żadnego doświadczenia klinicznego w stosowaniu pluripotencjalnych (**ESC i iPS**) komórek macierzystych u ludzi. Ich charakterystyka (np.tumorogenność) i wysoki **stopień ryzyka** może spowodować całkowite wykluczenie tych komórek z użytku klinicznego.

Większość badań klinicznych wykonano z użyciem mezenchymalnych komórek macierzystych (**MSC**) w których nie wykazano poważniejszych powikłań. Można więc przyjąć, że **kontrolowane terapie oparte na somatycznych komórkach macierzystych są bezpieczne**. Nie wyklucza to jednak konieczności wyjaśnienia wszystkich przypadków w których wystąpiły jakiegokolwiek reakcje niekorzystne.

Podkreśla się też potrzebę **rozwoju naszej wiedzy podstawowej jak i sposobów kontroli** badań, ze zwróceniem szczególnej uwagi na wyjaśnienie mechanizmów biologicznych oraz na długoterminowe bezpieczeństwo tych terapii.

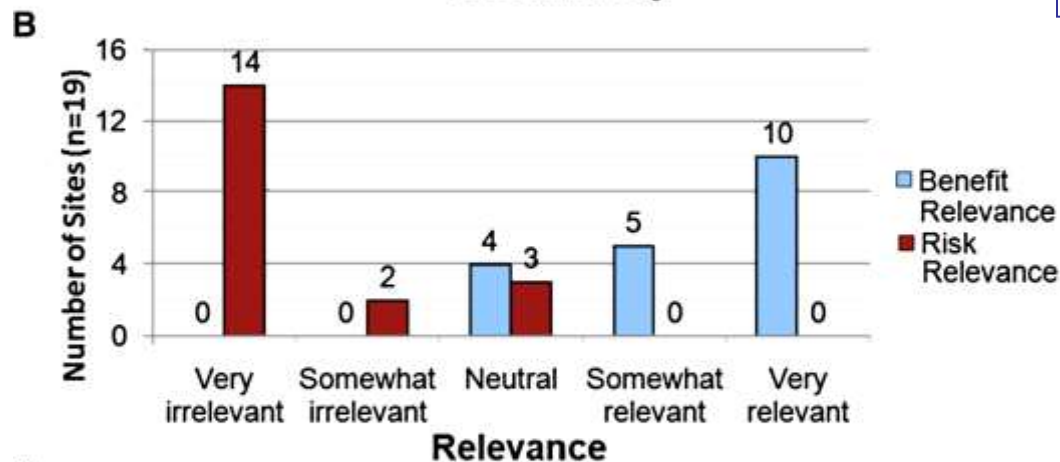
Przekłamania informacji o terapii komórkowej prowadzonej komercyjnie

Stem Cell Clinics Online; Darren Lau¹, Ubaka Ogbogu², Benjamin Taylor², Tania Stafinski¹, Devidas Menon¹, Timothy Caulfield



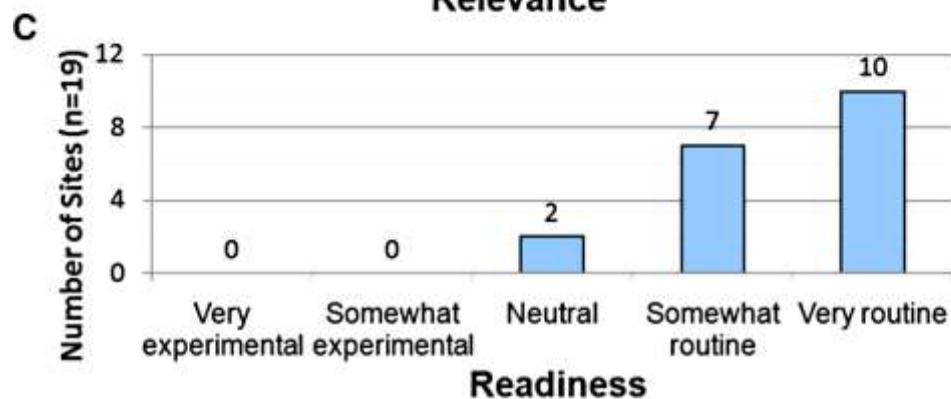
VC, very clear, **SC**, somewhat clear,
SI, somewhat unclear, indeterminate;
VI, very unclear, indeterminate „open-ended”.

Określenie wskazań i oczekiwanych efektów
 bardzo szerokie i niekonkretne



Defined as the extent to which the risk or benefit is likely in frequency or dramatic in magnitude

Przerysowanie korzyści i pomijanie ryzyka



Advertising by the “**latest medical equipment and technology**” and featuring publications, news articles, patents, and **numerous patient endorsements**, giving rise to **impressions of readiness**.

Przekłamanie informacji o stopniu
 zaawansowania stosowanej terapii

PODEJMOWANE INICJATYWY MONITOROWANIA PROWADZONYCH BADAŃ KLINICZNYCH

Informacje o rejestrze [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov)

1. [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov) jest największym rejestrem kontrolowanych badań klinicznych.
2. [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov) jest prowadzony wspólnie przez **FDA**, **NIH** i **National Library of Medicine**.
3. **Każdy sponsor badań może zgłosić ich rejestrację, a często jest to konieczny wymóg formalny** (np. wszystkie badania **NIH** muszą być rejestrowane. Również dotyczy to **FDA** i Investigational New Drug applications (INDs). Informacja dostępna online [Protocol Registration System](https://www.fda.gov/oc/ohrt/protocol-registration-system).
4. [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov) jest rejestrem prowadzonych badań a nie bazą danych o ich wynikach.

Ad 4. Popularne bazy danych o wynikach badań: PUBMED, Medline, Current Controlled Trials; Cochrane Central Register of Controlled Trials, Embase; Lilacs; CINAHL ect.

Zespół Terapii Komórkowej Chorób Układu Nerwowego

Komitetu Nauk Neurologicznych PAN

- Celem podstawowym Zespołu jest opracowanie kryteriów walidacji stosowanych procedur transplantacyjnych oraz założenie rejestru badań klinicznych prowadzonych w Polsce
- Dostosowanie się do światowych trendów zmierzających do standaryzacji nomenklatury, charakterystyki komórek i weryfikacji ich efektywności terapeutycznej
- Oczekujemy, że dodatkową wartością powołania Zespołu będzie stworzenie specjalistycznego forum opiniotwórczego umożliwiającego dyskusję nad aktualnymi problemami pojawiającymi się w związku z podejmowaną w coraz szerszym zakresie nowatorską terapią z zastosowaniem komórek macierzystych.

PROJEKT REJESTRU BADAŃ KLINICZNYCH TERAPII KOMÓRKOWEJ W NEUROLOGII

- Nazwa badania:
- Ośrodek prowadzący:
- Współprace:
- Finansowanie:
- Osoba odpowiedzialna za informacje:
- Główny cel badań:
- Cele dodatkowe:
- Rekrutacja pacjentów:
- Liczebność:
- Czas trwania próby (daty):
- Opis typu i zakresu działań:
- Rodzaj interwencji:
- Rodzaj materiału tx:
- Rodzaj prowadzonych obserwacji:
- Oczekiwane wyniki końcowe (end points):
- Istotne informacje dodatkowe:

Podsumowanie

- Terapia oparta na komórkach macierzystych (KM), pomimo że ciągle znajduje się we wczesnej fazie rozwoju, pozostaje jedną z bardziej obiecujących i innowacyjnych kierunków w medycynie regeneracyjnej
- Powinna być kontynuowana w ściśle monitorowanych i rejestrowanych próbach klinicznych prowadzonych zgodnie z zasadami EBM (medycyny opartej na faktach) i po uzyskaniu atestu jakości stosowanych procedur hodowlanych i przygotowania materiału biologicznego
- Należy również zastanowić się nad środkami formalnymi, zapobiegającymi lub minimalizującymi ryzyko związane z niekontrolowanym stosowaniem terapii opartych na KM a prowadzonymi poza renomowanymi ośrodkami klinicznymi