

Upanje v popkovnični krvi

Spodbudna raziskava o zdravljenju cerebralne paralize z matičnimi celicami

Ko se je portugalskima zakoncema pred šestimi leti rodila deklica, sta sklenila shraniti popkovnično kri. Medtem so pri otroku odkrili cerebralno paralizo. Ker za to vrsto možganske okvare, ki povzroča predvsem gibalne težave in druge razvojne motnje, ni učinkovitega zdravila, so se starši odločili za sodelovanje v klinični raziskavi, ki jo vodi skupina dr. Joanne Kurtzberg na univerzi Duke v ZDA, da bi ugotovili, kakšne so možnosti zdravljenja cerebralne paralize z matičnimi celicami iz popkovnične krvi.

DRAGICA BOŠNJAK

Portugalska deklica je ena od prvih 120 otrok, starih od enega do šest let, kolikor jih bodo predvidoma vključili v klinično raziskovanje zdravljenja z matičnimi celicami iz popkovnične krvi na omenjeni ameriški ustanovi. Možnosti za to so se pokazale lani, ko je Fundacija Robertson dodelila univerzi Duke 10,2 milijona dolarjev za razvoj naj sodobnejšega translacijskega centra za zdravljenje z matičnimi celicami.

Temeljni cilj takih translacijskih centrov, doslej širše bolj znanih predvsem v onkologiji, sicer pa uveljavljenih v številnih poljih biomedicine in drugod, je, da imajo interdisciplinarne skupine raziskovalcev možnost kar najbolj pospešiti prenos temeljnih raziskovalnih dosežkov prek kliničnih raziskav v vsakdanjo klinično prakso; v omenjenem primeru se to nanaša na raziskovanje naprednega zdravljenja z matičnimi celicami iz popkovnične krvi. **Dr. Joanne Kurtzberg** je tako oblikovala skupino raziskovalcev, v kateri sodelujejo **dr. Gordon Worley, Ricky Goldstein, Alan Song, Jessica Sun, Kate Gustafson** in **Mohamad Mikati**, in konec julija je stekla klinična raziskava, s katero želijo ugotoviti, ali bi pri malih bolnikih z enkratno intravensko infu-

zijo njihovih lastnih matičnih celic iz popkovnične krvi lahko zdravili cerebralno paralizo ali vsaj zmanjšali simptome te prirojene razvojne motnje.

Merjenje telesnih in kognitivnih sposobnosti

Dr. Kurtzbergova se s temi vprašanji ukvarja že več desetletij. Je namreč direktorica pediatričnega programa za presaditev kostnega mozga na univerzi Duke in direktorica banke popkovnične krvi Carolinas. Njena raziskovalna skupina je tako že proučevala možnosti zdravljenja z matičnimi celicami iz popkovnične krvi pri različnih drugih prirojelih boleznih pri otrocih. Omenjena, po vseh veljavnih pravilih široko zastavljena klinična študija je pri njih prva te vrste, s katero želijo verodostojno ugotoviti, ali je mogoče z enkratno presaditvijo lastnih matičnih celic iz popkovnične krvi kakorkoli vplivati na stanje bolnikov s cerebralno paralizo. Tako so oblikovali kriterije za merjenje motoričnih, kognitivnih, govornih in drugih sposobnosti obolelih, da bi potrdili – ali ovrgli – dosedanja sporadična opažanja, po katerih nekateri poročajo, da presaditev matičnih celic iz popkovnične krvi zmanjša ali celo odpravi simptome cerebralne paralize.

Če bodo z randomizirano klinično raziskavo potrdili terapevtske možnosti matičnih celic pri cerebralni paralizi oziroma še pri drugih zdaj neozdravljivih boleznih, bo po besedah dr. Kurtzbergove to spodbudilo starše, da se jih bo še več odločalo za hranjenje popkovnične krvi. Za to imajo ljudje po svetu in pri nas možnosti v javnih, zasebnih ali tako imenovanih kombiniranih bankah popkovnične krvi. Pomembno je, da v urejenih, dobro organiziranih in nadzorovanih bankah omogočajo ne le zbiranje, temveč tudi sami razvijajo oziroma podpirajo raziskovalno delo. Tako imajo na primer v vodilni banki matičnih celic v Evropi, v skupini Cryo-Save (kjer so hranili popkovnično kri portugalske deklice), zbranih več kot 170.000 vzorcev. Kot pojasnjuje izvršni direktor **Aumoud Van Toudler**, razpolagajo s tehnološko najbolj naprednimi laboratoriji v 40 državah na treh celinah; v Sloveniji jih zastopa družba Neocelica. Med drugim omogočajo tudi brezplačno hranjenje matičnih celic popkovnične krvi za družinskega člana z diagnosticirano boleznijo, ki se lahko zdravi z matičnimi celicami.

Česa so sposobne matične celice v možganih?

Temeljni cilj tovrstnih raziskav je, kot poudarja dr. Kurtzbergova, jasen: razvoj zdravila oziroma načina zdravljenja cerebralne paralize. Vendar pa je, kot je bilo že omenjeno, pot do tega dolga in zapletena. Na stvari je treba gledati z vidika multidisciplinarnih obravnave, kjer bodo strokovnjaki s področja temeljnih in kliničnih raziskav vsak s svojega zornega kota raziskovali, ali je mogoče z matičnimi celicami iz popkovnične krvi vplivati na primer na zmanjšanje ali preprečeva-

nje možganskega vnetja, spodbujati nastanek novih hormonov za obnovo oziroma nadomeščanje poškodovanih možganskih celic in drugo.

Za zdaj je dr. Kurtzbergova zelo zadovoljna z napredovanjem študije in ugodnim odzivom javnosti. Otroke s cerebralno paralizo vključujejo v študijo postopoma. Prva skupina je že prejela enkratno infuzijo matičnih celic iz lastne pop-

kovnične krvi, naslednje se bodo zvrstile v letu dni, do prihodnjega julija. V sedanjem programu je predvideno, da bodo, kot smo že omenili, vključili 120 otrok, starih od enega do šestih let, z diagnozo zaenkrat še neozdravljive spastične cerebralne paralize, katerih starši so shranili njihovo popkovnično kri. Študijo bodo predvidoma končali čez dve leti, julija 2013.

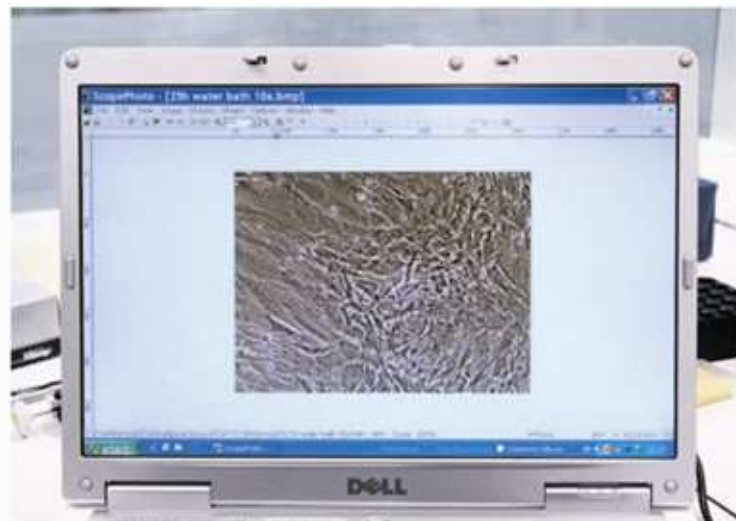
Z matičnimi celicami iz popkovnične krvi bi bilo po današnjem razumevanju biomedicine teoretično mogoče pozdraviti skoraj vse bolezni, vendar pa znanost (še) ni toliko razvita, da bi to res omogočala. Zaradi velikega potenciala, ki ga imajo matične celice, pridobljene iz popkovnične krvi, je v zadnjih letih prav vanje usmerjeno veliko raziskav, ki že potekajo pri zdravljenju ohromelosti, okvare srca, poškodb kosti in hrustanca, cerebralne paralize, parkinsonove in alzheimerjeve in še nekaterih drugih bolezni. Kot so poročali na zadnjem mednarodnem simpoziju o matičnih celicah, popkovnični krvi in posteljici v regenerativni medicini (DCTIS), v tem času poteka v svetu več kot 2.500 različnih registriranih kliničnih študij, ki uporabljajo matične celice, od tega je 864 takih, kjer uporabljajo avtologne matične celice. Največ kliničnih raziskav poteka v ZDA, sledijo pa ji EU, Kitajska in Kanada. V EU po številu kliničnih raziskav prednjači Nemčija, sledijo ji Francija in Velika Britanija. Od tega je 252 študij, ki uporabljajo matične celice iz popkovnične krvi in od tega 14 takih, kjer uporabljajo avtologno popkovnično kri kot vir matičnih celic. Avtologna popkovnična kri je bila uporabljena za terapijo v kliničnih raziskavah vsaj 340-krat. Pri nehematoloških kliničnih raziskavah prednjačijo klinične študije T1D (diabetes tipa 1), potem boleznina CNS (centralnega živčnega sistema), kar 29 študij pa poteka na limfomih in levkemijah. V teh primerih uporabljajo alogenske MC iz popkovnične krvi. V treh kliničnih raziskavah pri hudi kombinirani imunski pomanjkljivosti (SCID) so bile MC tudi gensko spremenjene in so prinesle ene boljših rezultatov pri genski terapiji. Ker večina študij še ni zaključenih, bo potrebno na rezultate počakati še 2 do 3 leta.

Po nazadnje dosegljivih podatkih se matične celice iz popkovnične krvi danes že uporabljajo pri zdravljenju različnih vrst raka, boleznina kostnega mozga, prirojene motnje hemoglobina in metabolizma, prirojene oblike imunske pomanjkljivosti in nekaterih oblik dednih bolezni. Uporabljajo se tudi za pripravo kožnih nadomestkov, pri mehanskih poškodbah tkiv in organov oziroma v regenerativni medicini.

Od prve uspešne presaditve matičnih celic iz popkovnične krvi leta 1988 so opravili več kot 20.000 presaditev. V splošnem vsako leto v svetu opravijo približno 300 presaditev in ta metoda zdravljenja se postopoma vse bolj uvaja kot standard v medicini.



V LABORATORIJU ZA RAZISKOVANJE POPKOVNIČNE KRVI.



NA RAČUNALNIŠKEM ZASLONU JE SLIKA MATIČNIH CELIC IZ POPKOVNIČNE KRVI.

Matične celice so, kot je danes že dobro znano, v najrazličnejših tkivih, predvsem v kostnem mozgu, periferni in popkovnični krvi, pa tudi v popkovnici in posteljici. Strokovna in širša javnost je zelo naklonjena raziskavam in iskanju možnosti zdravljenja z matičnimi celicami iz popkovnične krvi, ker je to najbolj dosegljiv in nesporen način njihovega pridobivanja. Njihova pomanjkljivost je, da se jih iz popkovnice lahko zbere razmeroma majhna količina, vendar pa imajo dobro lastnost, da so najbolj vitalne in najmlajše ter širše uporabne v primerjavi z matičnimi celicami odraslih, saj imajo večjo sposobnost proizvodnje različnih specializiranih celic za obnovo človeških tkiv. Sodobna medicina z matičnimi celicami že zdravi anemijo, levkemijo in druge rakave krvne bolezni ter nekatere avtoimunske bolezni.