

Komórki macierzyste: możliwości, nadzieje i ograniczenia

Prof. Józef Dulak, kierownik Zakładu Biotechnologii Medycznej Wydziału Biochemii, Biofizyki i Biotechnologii na Uniwersytecie Jagiellońskim w Krakowie, zastępca przewodniczącego Komitetu Biotechnologii PAN, pisze o ograniczeniach terapii komórkami macierzystymi i nadziejach z nimi związanych. Przypomina też stanowiska towarzystw naukowych zajmujących się terapiami komórkowymi.

Od ponad 20 lat rozbudzone są nadzieje związane ze stosowaniem komórek macierzystych. Komórek, mających zdolność do regeneracji uszkodzonych narządów, tak postrzeganych przez laików i tak definiowanych przez specjalistów. Komórek w powszechnym rozumieniu traktowanych jednak także jako panaceum na wiele nieuleczalnych dotychczas chorób. Znane są rzeczywiście skuteczne zastosowania komórek macierzystych w terapii chorób krwi, w leczeniu ciężkich uszkodzeń skóry oraz uszkodzeń rogówki. Istnieje szansa na opracowanie terapii kolejnych chorób dzięki intensywnie rozwijającej się wiedzy na temat właściwości, możliwości i ograniczeń różnych typów komórek macierzystych. Oczekiwania pacjentów oraz ich bliskich są w pełni zrozumiałe, podobnie jak chęci naukowców i lekarzy, by kosztowne badania przynosiły także efekty w postaci nowych, skutecznych sposobów leczenia, zwłaszcza niezwykle ciężkich chorób, dotykających dzieci.

Efektorem tak rozbudzonych nadziei są jednak także sytuacje, które wywołują niepokój badaczy i lekarzy zajmujących się komórkami macierzystymi. Komórki macierzyste są bowiem różne i mają różny potencjał (Dulak J., *Komórki macierzyste: zastosowania, perspektywy, nieporozumienia*, „Nauka”, 1/2020; 990-123). W szczególności ograniczony jest potencjał regeneracyjny komórek macierzystych znajdujących się w ukształtowanym już organizmie (tzw. dorosłych lub inaczej tkankowych komórek macierzystych). Komórki krwiotwórcze znajdujące się w szpiku kostnym oraz krwi pępowinowej mogą regenerować krew i stąd ich skuteczne zastosowanie w chorobach krwi, ale ich sugerowana zdolność regeneracji innych tkanek, takich jak serce czy układ nerwowy, nie znalazła potwierdzenia w badaniach klinicznych. Podobnie w świetle obecnej wiedzy nie znajdują uzasadnienia znacznie wykraczające poza kontrolowane badania kliniczne szerokie zastosowania tych komórek, a także komórek określanymi jako macierzyste, a izolowanych z innych tkanek (np. tłuszczu, sznura pępowinowego), zastosowania do leczenia niezwykle różnych, mających odmienne podłoże chorób.

Na problemy związane z pojawianiem się licznych prywatnych klinik proponujących niepotwierdzone terapie, a także na zagrożenia wynikające ze stosowania zbyt łagodnych kryteriów dopuszczania terapii eksperymentalnych na pacjentach zwracają od lat uwagę odpowiedzialne organizacje naukowe. W roku 2016 ukazały się wytyczne International Society for Stem Cell Research (ISSCR) przestrzegające przed tego rodzaju ofertami (<http://www.isscr.org/docs/default-source/all-isscr-guidelines/guidelines-2016/isscr-guidelines-for-stem-cell-research-and-clinical-translation067119731dfff6d8bb37c7ff0000940c19.pdf?sfvrsn=4>).

W następnych latach wielokrotnie na brak skuteczności komórek pobieranych z różnych narządów i stosowanych do leczenia wad wrodzonych, dziedzicznych i nabytych chorób neurologicznych, chorób mięśni, oczu, skóry i innych zwracali uwagę badacze związani z Food

and Drug Administration, amerykańską agencją rejestrującą leki. ISSCR ponowiło swoje zastrzeżenia w czerwcu ub. roku, a we wrześniu ub. roku jego prezes, prof. Deepak Srivastava, prezydent Gladstone Institute w San Francisco, w zdecydowanych słowach przestrzegając przed stosowaniem jednego rodzaju komórek na wiele rodzajów chorób (<https://www.searchnew-world.com/search/search2.html?partid=sn-schbng&p=Don%27t+believe+everything+you+hear+about+stem+cells&subid=446>).



28 kwietnia b.r. jednoznacznie stanowisko przedstawił Komitet ds. Terapii Zaawansowanych Europejskiej Agencji Leków (Committee for Advanced Therapies European Medicines Agency). Tłumaczenie tego oświadczenia ukazało się na stronie Głównego Inspektora Farmaceutycznego (<https://www.gov.pl/web/gif/ostrezenie-ema-pred-stosowaniem-niepotwierdzonych-terapii-komorkowych>). Czytamy tam m.in.: „Z uwagi na ogromny wzrost liczby terapii komórkowych reklamowanych jako leki stosowane w leczeniu wielu poważnych

schorzeń, w tym nowotworów, chorób sercowo-naczyniowych, autyzmu, porażenia mózgowego, dystrofii mięśniowej i utraty wzroku, CAT ostrzega przed stosowaniem niepotwierdzonych terapii. Terapie takie mogą być nieskuteczne, zwiększać ryzyko poważnych działań niepożądanych, w tym infekcji, niepożądanych reakcji immunologicznych, powstawania nowotworów, utraty wzroku, krwotoków mózgowych, a nawet prowadzić do śmierci”.

3 czerwca b.r. ukazał się natomiast obszerny raport przygotowany przez europejskie akademie nauk i akademie medyczne, zrzeszone w European Academies Science Advisory Council (EASAC), którego członkiem jest także Polska Akademia Nauk. Informacje o tym raporcie, w tym jego pełne polskie tłumaczenie znajdują się na stronie PAN (<https://informacje.pan.pl/index.php/informacje/materialy-dla-prasy/3026-akademie-nauk-ostrezgaja-pred-cudownymi-terapiami-komorkami-macierzystymi>). W komunikacie prasowym EASAC przygotowanym w związku z publikacją raportu czytamy: „nadziei pokładanej w nowoczesnej medycynie zagrażają «cudowne» leki i szybkie ścieżki ich zatwierdzenia”. Raport EASAC zwraca uwagę na „narastający problem nieuregulowanych usług i produktów medycznych oferowanych przez prywatne kliniki”, a także „nadmierne rozluźnienia kryteriów zatwierdzenia terapii do stosowania na pacjentach”. Autorzy raportu mówią o „wywieraniu presji na ciała regulacyjne, aby przyspieszyły procedury autoryzacji dla terapii komórkowych i genowych, co z kolei skutkuje zwiększonym ryzykiem dla pacjentów”.

Także w Polsce od lat toczy się dyskusja na ten temat. Przed komplikacjami wynikającymi ze stosowania terapii komórkowych przestrzegało Polskie Towarzystwo Okulistyczne oraz Komitet Biotechnologii PAN. Polska Akademia Nauk planuje zorganizowanie 25 listopada 2020 r. konferencji naukowej poświęconej terapiom komórkowym i medycynie regeneracyjnej.