



Medexpress, 2020-10-22 13:26

## Terapie komórkami macierzystymi- które są właściwe?



Terapie komórkami macierzystymi są ogromnym osiągnięciem współczesnej medycyny. Komórki mezenchymalne (MSC) od wielu lat są stosowane m.in. w badaniach klinicznych, jako leki zarejestrowane, a także w ramach medycznych eksperymentów leczniczych. W ciągu ostatnich 25 lat procedury, z ich użyciem, wykazały wysoki profil bezpieczeństwa. Jednak pacjenci, którzy rozważają skorzystanie z terapii komórkowej, muszą być czujni, ponieważ obok dobrze zdefiniowanych i prowadzonych m.in. w Polsce terapii eksperymentalnych z komórkami MSC, oferowane są terapie niepotwierdzone, które mają niewiele wspólnego z terapiami komórkami macierzystymi.

W ramach kampanii społecznej „**Moc Komórek - Wybierajmy Potwierdzone Terapie Komórkowe**” powstała m.in. edukacyjna strona internetowa, na której pacjenci znajdują przydatne informacje, odniesienia do publikacji naukowych oraz rzetelne wskazówki, które mają pomóc w realnej ocenie terapii komórkowej. Kampanię zainaugurowała debata ekspertów wywodzących się ze środowisk medycznych, naukowych i pacjenckich, którzy podjęli temat terapii komórkowych.

### **Pacjencie - bądź czujny i uważaj na terapię niepotwierdzoną**

Komitet ds. Terapii Zaawansowanych (CAT) działający przy Europejskiej Agencji Leków (EMA), który opublikował w kwietniu 2020 roku stanowisko dotyczące stosowania niepotwierdzonych terapii komórkowych, zwrócił uwagę na fakt, iż stosowanie niesprawdzonych i nieuregulowanych terapii komórkowych może stanowić poważne zagrożenie dla pacjentów, przynosząc im niewielkie korzyści lecznicze lub ich brak.

Mowa o terapiach stosowanych bez żadnego nadzoru, które nie przechodzą zatwierdzenia przez

komisje bioetyczne, a co za tym idzie nie sposób zweryfikować, czy są przez kogokolwiek analizowane pod kątem bezpieczeństwa i skuteczności. Pacjent może zamiast produktu leczniczego otrzymać mieszaninę różnego rodzaju komórek, zupełnie nie mających związku z komórkami macierzystymi, która jest podawana bez jakichkolwiek badań jakości produktu. Ponadto w przypadku terapii niepotwierdzonej efekty leczenia nie stanowią podstaw naukowych, lecz przywoływane są jedynie jako wypowiedzi samych pacjentów. I właśnie takie terapie mogą stanowić dla pacjentów zagrożenie.

### **Potwierdzona Terapia Komórkowa od A do Z**

Na potrzeby edukacyjne kampanii powstała nazwa własna - Potwierdzona Terapia Komórkowa - która jest wykorzystywana w tytule kampanii, aby podkreślić różnice pomiędzy terapiami dobrze scharakteryzowanymi komórkami macierzystymi (np. MSC) a terapiami niepotwierdzonymi, których zawartość komórek macierzystych jest wątpliwa.

Nazwa własna „Potwierdzona Terapia Komórkowa” rozumiana jest jako leczenie eksperymentalne (medyczny eksperyment leczniczy, MEL) określone przez The National Stem Cell Foundation of Australia, która publikując The Australian Stem Cell Handbook podzieliła leczenie komórkami macierzystymi na dwie kategorie:

- **leczenie eksperymentalne (experimental stem cell treatments),**
- **niepotwierdzone (unproven stem cell treatments).**

W przypadku Potwierdzonej Terapii Komórkowej, która najczęściej ma charakter medycznego eksperymentu leczniczego, mamy do czynienia z zastosowaniem preparatów zawierających wyłącznie lub w bardzo wysokim stopniu wspomniane już komórki mezenchymalne - MSC (nawet 95% i więcej), które wytwarzane są w certyfikowanym laboratorium przez wiele tygodni i kontrolowane pod względem jakości oraz czystości preparatu. Dzięki temu uzyskują właściwości i status tzw. produktu leczniczego terapii zaawansowanej (ATMP). Cały proces odbywa się w rygorze GMP (tzw. Dobrej Praktyki Wytwarzania), właściwym do produkcji leków.

Celem medycznego eksperymentu leczniczego jest osiągnięcie bezpośredniej korzyści dla zdrowia osoby leczonej, poprzez wprowadzenie przez lekarza nowych lub tylko częściowo wypróbowanych metod diagnostycznych, leczniczych lub profilaktycznych.

- MEL stosujemy w przypadkach, gdzie dotychczas stosowane formy terapii nie przynoszą oczekiwanych efektów. Nie każde zaburzenie neurologiczne u dziecka kwalifikuje się do terapii komórkami mezenchymalnymi. Większość moich pacjentów to osoby z mózgowym porażeniem dziecięcym, z przepukliną oponowo-rdzeniową, autyzmem. U około 70%-80% pacjentów widzimy poprawę funkcjonowania, szczególnie w obszarze funkcji poznawczych czy intelektualnych - **mówiła podczas debaty ekspertów dr hab. n. med. Magdalena Chrościńska-Krawczyk.**

W przypadku wspólnej decyzji pacjenta i lekarza prowadzącego o podjęciu terapii komórkami macierzystymi pacjent nie tylko musi zostać poinformowany o możliwościach, jak i ograniczeniach takiej terapii, ale niezbędna jest przede wszystkim zgoda Komisji Bioetycznej. Ponadto uzasadnienie naukowe eksperymentu leczniczego zawsze musi być oparte na racjonalnych podstawach (danych literaturowych), a dowody dotyczące bezpieczeństwa i skuteczności uzyskano w trakcie badań naukowych na modelach zwierzęcych. Tego typu terapię podejmuje się wyłącznie w przypadku, gdy istnieje możliwość odniesienia korzyści dla indywidualnego pacjenta i jest oferowana pacjentowi przez lekarzy specjalistów lub ośrodki w sytuacji, gdy nie ma innej, dostępnej alternatywy leczenia. Terapie prowadzone są przez doświadczonych specjalistów w danej dziedzinie medycyny, w sprawdzonych ośrodkach. Każdorazowo wymagany jest Formularz Świadomej Zgody Pacjenta, co zapewnia odpowiednie poinformowanie pacjenta o możliwych ryzykach oraz szansach powodzenia. Pacjent jest poddawany długotrwałej obserwacji do 12 miesięcy, a lekarz prowadzący oraz ośrodek przyjmują na siebie pełną odpowiedzialność za prowadzoną terapię. Ponadto efekty leczenia są publikowane jako recenzowane artykuły naukowe.

Wyłącznie spełnienie opisanych powyżej cech jest gwarantem udziału w Potwierdzonej Terapii Komórkowej, która ma charakter medycznego eksperymentu leczniczego. Porównanie cech Potwierdzonej Terapii Komórkowej oraz terapii niepotwierdzonej znajduje się na stronie kampanii.

### Terapie eksperymentalne (medyczne eksperymenty lecznicze)

- ✓ Uzasadnienie naukowe eksperymentu jest oparte na racjonalnych podstawach (danych literaturowych). Dowody dotyczące bezpieczeństwa i skuteczności uzyskano w trakcie badań naukowych na modelach zwierzęcych;
- ✓ Plan leczenia został poddany ocenie zewnętrznej (Komisji Bioetycznej);
- ✓ Możliwość odniesienia korzyści dla indywidualnego pacjenta;
- ✓ Oferowane pacjentom przez lekarzy specjalistów lub ośrodki w sytuacji, gdy nie ma innej, dostępnej alternatywy leczenia;
- ✓ Prowadzone przez doświadczonych specjalistów w danej dziedzinie medycyny, w sprawdzonych ośrodkach;
- ✓ Wymagany Formularz Świadomej Zgody Pacjenta, co zapewnia odpowiednie poinformowanie pacjenta o możliwych ryzykach oraz szansach powodzenia;
- ✓ Pacjent jest poddawany długotrwałej obserwacji do 12 miesięcy;
- ✓ Lekarz prowadzący oraz ośrodek przyjmują na siebie pełną odpowiedzialność za prowadzoną terapię;
- ✓ Efekty leczenia są publikowane jako recenzowane artykuły naukowe.

### Terapie niepotwierdzone

- ✗ Brak możliwości weryfikacji uzasadnienia naukowego;
- ✗ Plan leczenia nie jest poddawany zewnętrznej opinii Komisji Bioetycznej;
- ✗ Brak badania planu leczenia przez Komisję Bioetyczną sprawia, że nie ma kontroli nad tym czy terapia ma szansę przynieść korzyść dla pacjenta;
- ✗ Brak gwarancji, że terapia oferowana jest przez odpowiednio doświadczonych lekarzy, a w skrajnych przypadkach oferowana wyłącznie przez marketing bezpośredni (np. przez Internet);
- ✗ Brak gwarancji wykonywania przez ośrodki o odpowiednim doświadczeniu w leczeniu komórkami macierzystymi;
- ✗ Brak gwarancji odpowiedniego poinformowania pacjenta o możliwych ryzykach oraz szansach powodzenia (m.in. w związku z brakiem Formularza Świadomej Zgody Pacjenta);
- ✗ Brak gwarancji odpowiednio długiej opieki po terapii;
- ✗ Odpowiedzialność za terapię może być rozmyta;
- ✗ Efekty leczenia nie stanowią podstaw publikacji naukowych, lecz przywoływane są jako wypowiedzi samych pacjentów, co utrudnia wiarygodną ocenę skuteczności terapii z perspektywy naukowej.

Pacjent, aby móc podjąć świadomą decyzję o skorzystaniu z terapii komórkowej, potrzebuje rzetelnych i jasnych informacji o przebiegu takiej terapii, korzyściach, ograniczeniach z nią związanych, ale także informacji, jakie cechy posiada sprawdzona i potwierdzona terapia komórkowa. Dlatego w ramach kampanii powstał Poradnik Pacjenta, przygotowany przez Instytut Komunikacji Zdrowotnej, który jest dostępny na stronie internetowej [www.mockomorek.pl](http://www.mockomorek.pl). Zawiera on m.in. przydatne wskazówki jak rozmawiać z lekarzem o terapiach komórkami macierzystymi. Na stronie internetowej znajduje się też wiele przydatnych informacji, m.in. porównanie cech, jakie posiada potwierdzona terapia komórkowa i tych, których brakuje w terapii niepotwierdzonej. Organizatorem kampanii społecznej jest Instytut Komunikacji Zdrowotnej, a patronat honorowy nad kampanią objęła Federacja Pacjentów Polskich, partnerami są: Instytut Terapii Komórkowych, RegenMed, Centrum Medyczne Klara, Life Institute oraz Polski Bank Komórek Macierzystych. Patronem medialnym jest Medexpress.

Źródło: Informacja prasowa