

# Pacjenci w badaniach

<https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/aktualnosci/aktualne-wydarzenia-i-i/1985,Zastosowanie-komorek-macierzystych-w-leczeniu-chorob-neurodegeneracyjnych-medycy.html>  
2023-03-20, 09:38

## Zastosowanie komórek macierzystych w leczeniu chorób neurodegeneracyjnych – medycyna transplantacyjna cz. II

Transplantologia jest jedną z wielu dziedzin terapeutycznych, w których prowadzi się badania kliniczne. Chociaż pierwsze przeszczepy narządów w Polsce miały miejsce już ponad pięćdziesiąt lat temu (więcej informacji w części I artykułu), a od tego czasu zarówno ilość jak i rodzaj wykonywanych zabiegów systematycznie rosła, wciąż jest miejsce na dalszy rozwój i wprowadzanie innowacji.

Doskonałym przykładem obrazującym rolę i znaczenie badań klinicznych w poszukiwaniu nowych rozwiązań terapeutycznych jest projekt koordynowany przez Pomorski Uniwersytet Medyczny w Szczecinie, dotyczący zastosowania komórek macierzystych oraz biokompatybilnych, polielektrolitowych nanocząstek uwalniających neurotrofiny (małe białka fizjologicznie wydzielane przez układ nerwowy) w leczeniu adjuwantowym (uzupełniającym) chorób neurodegeneracyjnych (zespół chorób uszkodzających komórki nerwowe).

Celem projektu jest ocena bezpieczeństwa i skuteczności innowacyjnej terapii łączonej w chorobach neurodegeneracyjnych. Terapia oparta jest na komórkach macierzystych/progenitorowych oraz nanocząstkach zbudowanych z polielektrolitów uwalniających neurotrofiny. Projekt obejmuje dwa [badania kliniczne](#) fazy II: randomizowane, kontrolowane [placebo](#) i podwójnie zaślepienie. Pierwsze z nich to wieloośrodkowe, wieloramienne badanie z udziałem pacjentów ze stwardnieniem zanikowym bocznym, drugie to jednoośrodkowe badanie z udziałem pacjentów ze zwyrodnieniem barwnikowym siatkówki. Ośrodki kliniczne biorące udział w projekcie wykazały dotychczas w niekomercyjnych badaniach klinicznych, na małych grupach pacjentów, bezpieczeństwo proponowanej terapii komórkowej.

Stwardnienie zanikowe boczne to najczęstsza degeneracyjna choroba neuronu ruchowego u dorosłych, prowadząca do uszkodzenia dróg korowo-rdzeniowych i komórek rdzenia. W ciągu kilku lat dochodzi do porażenia kończyn, anartrii (zaburzenia mowy), afagii (niezdolność połykania) i niewydolności oddechowej. Pomimo narastającej niesprawności fizycznej, większość chorych zachowuje sprawność intelektualną. Częstość występowania wynosi 2,1-3,8 na 100 000 osób/rok, z tendencją wzrostową. W Polsce roczna zapadalność utrzymuje się na poziomie 850-1500 osób. Średnia wieku chorych to zazwyczaj 54-69 lat, a czas przeżycia wynosi ok. 4 lat. Dotychczas zarejestrowano dwa leki modyfikujące chorobę: riluzol, który przedłuża przeżycie o 3 miesiące oraz edarawon, niezarejestrowany w Polsce, spowalniający chorobę w podgrupie z łagodnym fenotypem.

W badaniu klinicznym ma wziąć udział 80 pacjentów, którzy zostaną podzieleni na trzy grupy. Wszyscy otrzymają placebo lub terapię komórkową.

Bibliografia:

1. Materiały źródłowe ABM

Autor: Maciej Janiec- specjalista ds. badań klinicznych

[Poprzedni Strona](#)

[Następny Strona](#)