

## Össejt terápia sclerosis multiplexben

### **Amit az őssejtekről tudni kell:**

Az őssejteknek (ún. pluripotens embrionális őssejt) figyelemre méltó képességük van arra, hogy számos különböző típusú sejté, azaz a szervezetet alkotó valamennyi sejtípusá fejlődjenek a szervezetben. Mintegy javítórendszerként szolgálnak, elméletileg végtelen számban tudnak osztódni, hogy újra „lecserélhessenek”, tehát pótoljanak más beteg sejteket.

Amikor az őssejt osztódik, a keletkező új sejtekben megvan az a képesség, hogy vagy őssejtek maradjanak, vagy pedig egy másfajta, szakosodott szerepű sejté váljanak, mint például izomsejt, vörös- vagy fehérvérsejt, illetve agysejt.

A felnőtt szövetekben is található olyan sejtek, amelyek normálisan is folyamatosan osztódnak és sérülés vagy betegség esetén, elkülönülésük révén képesek aktívan részt venni az őket körülvevő szövet gyógyulásában. Az ilyen sejtek aktiválása a szervezeten belül vagy beadása kívülről a szervezetbe, fontos szerepet játszhat a ma még gyógyíthatatlannak hitt, vagy nehezen kezelhető betegségek kezelésében.

Ma már tudjuk, hogy az idegi eredetű őssejtek nemcsak a fejlődő központi idegrendszerben, hanem valamennyi kifejlett emlős agyában, így a felnőtt emberi agyban is léteznek. Születés után az új idegsejtek képződése következetesen két helyhez kötött: az agykamrák körüli területhez és a halántéklebeny körülírt helyéhez. A keletkezett sejtek képesek idegsejtek és támasztósejtek létrehozására egyaránt. Ez a regenerációs kapacitás azonban korlátozott, amennyiben ezek a sejtek nem képesek megfelelő módon osztódni és pótolni a pusztulást, vagy a sejthalál meghaladja a sejtosztódás mértékét, az egyensúly felborul, betegség alakul ki.

### **Az őssejt kezelés lehetőségei:**

A kezelések egyik lehetősége az idegi eredetű őssejteket közvetlenül az agyba, agykamrákba juttatni, mellyel fokozhatják az SM góciókban elpusztult sejtek ill. myelin újraépülését.

A kezelések másik lehetősége a vérképzőszervi őssejtek felhasználásával az immunrendszer „újjaépítése”. Az első ilyen jellegű vizsgálatok 1995-ben kezdődtek, azóta több mint 400 beteget kezeltek világszerte. Egyelőre azonban nem létezik egységes, bizonyítottan hatékony kezelési ajánlás.

A vérképzőszervi őssejteket közvetlenül a csontvelőből, vagy akár a perifériás vérből egy egyszerű vérvétel során is nyerhetünk. Utóbbi esetben, mivel ezek a sejtek a vérben jóval kisebb számban vannak jelen, speciális növekedési faktor adásával először mozgósítjuk őket a csontvelőből, és az így kiáramló sejteket összegyűjtjük. Ezt követően úgynevezett kondicionáló kezelést alkalmazva elpusztítjuk az immunrendszer kóros működéséért felelős sejteket, amely négy különböző citosztatikus készítmény egymást követő intravénás beadását jelenti. Mivel a gyógyszerek nem válogatnak a jó és rossz sejtek között, ilyenkor a csontvelőben a vérképzés valamennyi sejtvonala károsodik és vészes vérszegénység, vérzékeny állapot, valamint a fertőző ágensekkel szembeni fogékonyság alakulhat ki, ezért ezeknek a betegeknek a környezettől való elkülönítése szükséges. A káros sejtek pusztulását követően a beavatkozás előtt kinyert és tisztított vérképzőszervi őssejteket egy intravénás infúzió formájában adják vissza a betegeknek.

Az eddigi eredmények alapján úgy tűnik, hogy ez a kezelési módszer néhány évig a betegek kb. 60 %-ban megakadályozza az idegrendszeri tünetek további rosszabbodását, mérsékeli a

gyulladásos aktivitást. Az agysorvadás mértéke azonban átültetést követő évben a korábbiakhoz képest fokozódott, feltehetően a gyulladás kiterjedésének csökkenése miatt.

Azért fentiekből az is kiderül, hogy egyáltalán nem veszélytelen eljárásról van szó. A kezelés során a betegség fellángolhat, a létrehozott csontvelő elégtelenség legsúlyosabb szövődménye fertőzések állapotok és vérzékenység kialakulása lehetnek, amelyek akár a beteg halálát is okozhatják. Később másodlagos daganatos, és egyéb autoimmun betegségek létrejöttével kell számolnunk. A kezelési módszerek fejlődésével és a sokkal óvatosabban végzett betegbeválogatási követelmények alkalmazásával az 1995-2000 közötti időszakban észlelt 7% körüli halálozási arány 2001-2007 között 2-3 %-ra csökkent.

### **Vérképzőszervi őssejt kezelés mérlegelése**

Tekintettel arra, hogy egy krónikus, az élettartamot alapvetően nem befolyásoló betegségről van szó sclerosis multiplexben, még a szövődményként jelentkező alacsony halálozási arány is komoly megfontolásra kell, hogy késztesse. Ezért napjainkban a csontvelői őssejt átültetéssel végzett kezelés olyan betegeknek javasolható, akik a betegség relapszáló-remittáló, progresszív-relapszáló kórformában szenvednek, a jelenleg alkalmazható immunmoduláns, immunszuppresszív készítmények (béta interferonok, glatiramer acetat, mitoxantron, natalizumab) mellett is gyakori, súlyos progressziót eredményező relapszusok jelentkeznek, de még mozgásképes állapotban vannak és gyulladásos, Gadolinium halmozó aktív góccok láthatók az MRI felvételen. 40 év alatti betegek esetén szignifikánsan jobb a kimenetel, függetlenül a betegség fennállásának az idejétől.

Igazán hatékony és végleges gyógyulást az SM-ben nem szenvedő, egészséges donor egyéntől vett csontvelői őssejtek átültetése eredményezne, azonban az immunrendszeri különbségek miatt az eljárás jóval nagyobb kockázatokat hordoz, mint a saját sejtek visszajuttatása, 5-10 %-os halálozási adatokról számolnak be.