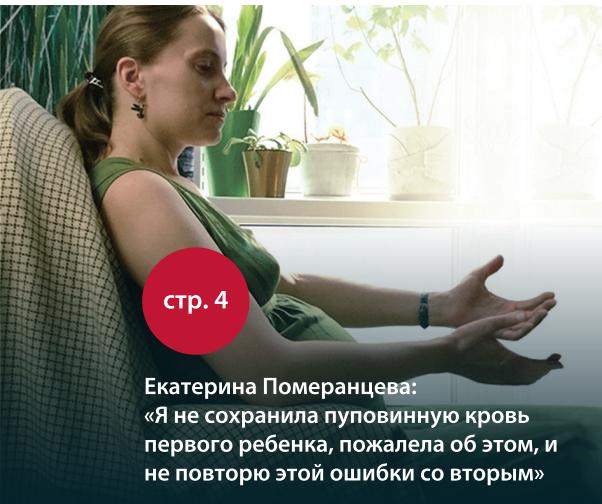


ДАЙДЖЕСТ клеточных технологий

№1 2018



Екатерина Померанцева:
«Я не сохранила пуповинную кровь
первого ребенка, пожалела об этом, и
не повторю этой ошибки со вторым»



Размножение стволовых клеток
пуповинной крови: новые
исследования и клинические
случаи применения



Стволовые клетки пупочного канатика:
количество исследований уникальных свойств
мезенхимальных стволовых клеток увеличилось
на 50% за последние пять лет

стр. 6

В НОМЕРЕ:

стр. 2

Ученые планируют лечить
рассеянный склероз
стволовыми клетками
пупочного канатика

стр. 2

Итоги второй фазы
клинического
исследования
эффективности
пуповинной крови при
лечении аутизма

стр. 3

Иммунитет
восстанавливается
быстрее после
трансплантации
размноженных клеток
пуповинной крови

стр. 3

Трансплантация клеток
пуповинной крови
эффективна при циррозе
печени

стр. 12

Первый опыт лечения
наследственного
заболевания обмена
веществ размноженными
клетками пуповинной
крови.

Гемабанк в социальных сетях:



Новости коротко

Ученые планируют лечить рассеянный склероз стволовыми клетками пупочного канатика

В марте 2018 года ученые представили результаты исследования, которые доказывают безопасность и терапевтический эффект от трансплантации мезенхимальных стволовых клеток пупочного канатика пациентам с рассеянным склерозом. Результаты опубликованы в *Journal of Translational Medicine*.

В исследовании приняли участие 20 пациентов, которым выполнили семь инфузий стволовых клеток в течение недели. Улучшения были зафиксированы уже через месяц после трансплантации, а также сохранялись в течение последующего года. Ученые отметили как общие перспективные изменения состояния здоровья пациентов, так и конкретные улучшения в работе мочевого пузыря, кишечника, а также сексуальной функции. Спустя год МРТ-обследование показало наличие уже неактивных очагов поражения головного мозга и шейного отдела спинного мозга у 83% пациентов.

Ученые планируют продолжить исследования на большей выборке пациентов для обоснования конкретных преимуществ терапии рассеянного склероза клетками пупочного канатика.

Рассеянный склероз — хроническое аутоиммунное заболевание, при котором поражается миелиновая оболочка нервных волокон головного и спинного мозга. Заболевание может возникнуть в любом возрасте, но обычно проявляется в 20-40 лет. Мезенхимальные стволовые клетки, например, костного мозга уже применяются в течение в последних 10 лет для лечения некоторых аутоиммунных заболеваний, в связи с чем данное клиническое исследование вселяет надежду на успешные результаты в ближайшем будущем.

Отчет о результатах исследования:

<https://translational-medicine.biomedcentral.com/articles/10.1186/s12967-018-1433-7>



Итоги второй фазы клинического исследования эффективности пуповинной крови при лечении аутизма

В феврале 2018 года американские ученые опубликовали результаты второй фазы клинического исследования по изучению эффективности клеток пуповинной крови для лечения детей с аутизмом.

Проведенное рандомизированное плацебо-контролируемое исследование доказало безопасность трансплантации стволовых клеток пуповинной крови детям с расстройствами аутистического спектра. В исследовании приняли участие 29 детей в возрасте от 2 до 6 лет, где каждый участник получил как инфузию собственных стволовых клеток пуповинной крови, так и плацебо — с разницей в 12 недель. Оценка результатов проходила в два этапа: через 12 и 24 недели после трансплантации.

Результаты исследования показали, что аутологичные стволовые клетки пуповинной крови безопасны и потенциально могут положительно влиять на социализацию детей с аутизмом. В частности, у детей были отмечены улучшения в навыках общения и восприятия. По мнению ученых, требуется дальнейшее изучение потенциала клеточной терапии при педиатрических неврологических заболеваниях.

Данное исследование является первым рандомизированным, двойным слепым плацебо-контролируемым исследованием для оценки возможностей лечения детей с аутизмом с помощью стволовых клеток пуповинной крови. В настоящее время имеется определенный дефицит плацебо-контролируемых исследований, поэтому ценность данных результатов для ученых велика.

Напомним, что в настоящее время также ведется масштабная исследовательская программа по клеточной терапии детей с расстройствами аутистического спектра в университете Дьюка (США) под руководством всемирно известного трансплантолога Джоан Курцберг. В прошлом году завершилась первая фаза исследований, которая доказала безопасность и эффективность лечения с использованием гемопоэтических стволовых клеток пуповинной крови. Следом было запущено аналогичное исследование, уже с использованием мезенхимальных стволовых клеток пупочного канатика.

Отчет о результатах исследования:

<https://stemcellsjournals.onlinelibrary.wiley.com/doi/full/10.1002/sctm.17-0042>

Иммунитет восстанавливается быстрее после трансплантации размноженных клеток пуповинной крови

Ученые представили новые аналитические данные по лечению онкогематологических заболеваний с применением технологии NiCord® на 44-й ежегодной встрече Европейского общества Трансплантации крови и костного мозга (EBMT).

Спустя год после завершения промежуточной фазы финального клинического исследования по альтернативной трансплантации гемопоэтических стволовых клеток взамен классической трансплантации костного мозга, ученые из Университета Дьюка (США) представили новые данные об успешном и быстром восстановлении иммунной системы у пациентов с онкогематологическими заболеваниями после трансплантации размноженных клеток пуповинной крови.

Более 90% пациентов достигли быстрого иммунного восстановления, уже через 100 дней после трансплантации, даже по сравнению с более молодыми пациентами, которые обычно добиваются подобных результатов быстрее, чем взрослые. Средний возраст исследуемой группы составил 41,5 года. Данные сравнивались с рандомизированной группой подростков и молодых пациентов с гематологическими злокачественными новообразованиями из медицинского центра Университета Уtrecht, получивших «обычную» трансплантацию пуповинной крови и костного мозга.

Ученые отмечают, что иммунное восстановление после трансплантации имеет решающее значение для борьбы с заболеваниями и вирусами, а быстрое приживление нейтрофилов и тромбоцитов после трансплантации с применением технологии NiCord® открывает новые возможности для восстановления пациентов после трансплантации пуповинной крови.

Напомним, что технология заключается в экспансии пуповинной крови методом ex vivo (в искусственной среде) благодаря препаратуре NiCord® израильской компании Gamida Cell. Сейчас препарат NiCord дает возможность осуществлять трансплантацию ГСК большему числу пациентов.



Отчет о результатах исследования:
https://www.gamida-cell.com/press_release/gamida-cell-to-present-immune-reconstitution-data-for-its-nicord-program-at-the-2018-ebmt-annual-meeting/

Трансплантация клеток пуповинной крови эффективна при циррозе печени

Ученые из Китая доказали безопасность и эффективность терапии гемопоэтическими стволовыми клетками пуповинной крови для пациентов с циррозом печени. Результаты исследования опубликованы в Therapeutics and Clinical Risk Management.

Исследование проходило в несколько этапов, в котором в совокупности приняли участие более 600 пациентов с циррозом печени. Участников поделили приблизительно поровну, где часть пациентов получала только стандартную поддерживающую терапию, в то время как другая группа совмещала ее с трансплантацией стволовых клеток пуповинной крови. В результате пациенты, получавшие комбинированную терапию, продемонстрировали больший эффект от лечения, по сравнению с группой, которой выполнялась стандартная терапия. У них улучшилась функция печени, наблюдалось повышение аппетита, уменьшение отеков и асцита, снижение общей слабости.

В ходе исследования также были оценены свойства не только гемопоэтических стволовых клеток (ГСК) пуповинной крови, но и мезенхимальных стволовых клеток (МСК), которые могут быть выделены как из жировой ткани, так и из пупочного

канатика. Ученые отметили, что ГСК и МСК могут дифференцироваться в функциональные гепатоцитоподобные клетки, а их противовоспалительный эффект может положительно влиять на функцию печени. Кроме того, терапия МСК может усиливать регенерацию печени, а также облегчать общее состояние при циррозе печени.

Таким образом, успех клинических исследований доказывает, что лечение гемопоэтическими стволовыми клетками пуповинной крови пациентов с циррозом печени является безопасным и эффективным, а также может являться перспективной адъювантной терапией.



Отчет о результатах исследования:
<https://www.dovepress.com/therapeutics-and-clinical-risk-management-journal>

Интервью



Екатерина Померанцева:

«Я не сохранила пуповинную кровь первого ребенка, пожалела об этом, и не повторю этой ошибки со вторым»

Биострахование ребенка – не праздный вопрос, а важное решение, которое принимается один раз и на всю жизнь. Сегодня стволовыми клетками пуповинной крови лечат около 90 тяжелых заболеваний, включая рак крови, ДЦП, наследственные заболевания, а в будущем, благодаря успеху регулярных клинических исследований, этот список только увеличится. Опытная мама и известный врач-генетик Екатерина Померанцева расскажет свою историю, как она приняла решение о биостраховании второго ребенка и какие возможности лечения есть у российских семей уже сейчас.

Сейчас Вы на уже 9 месяце беременности. Как Вы себя чувствуете?

- Все хорошо, я продолжаю работать и готовлюсь к рождению второго ребенка.

Расскажите немного о своей семье.

- Мой первый сын родился шесть лет назад в США. Тогда я там работала, изучая возможности преимплантационного генетического тестирования (ПГТ).

Пуповинную кровь первого ребенка мы не сохранили. Ирония заключается в том, что около 10 лет назад я писала и рассказывала про возможности стволовых клеток пуповинной крови в своем блоге. Я биолог и медик, ко мне часто обращались за консультацией и советом, и я в целом считала, что это полезное дело. Однако сохранять пуповинную кровь при рождении старшего ребенка не стала, мне казалось, что вероятность их использования для нашей семьи мала, да и просто не до того было. Но у меня родился сын, у которого диагностировано расстройство аутистического спектра. И когда я узнала, что ведутся клинические испытания применения пуповинной крови для лечения аутизма, то, конечно, локти себе сгрызла.

Сейчас я понимаю, что в критический момент любой родитель будет готов отдать душу, чтобы биологическая страховка была у его ребенка. Но такое решение нужно принимать вовремя – сохранить пуповинную кровь можно только в момент рождения.

Вы приняли решение о сохранении пуповинной крови для второго ребенка, потому что в данный момент появилась возможность терапии детей с аутизмом стволовыми клетками?

В настоящее время проводятся несколько клинических исследований по изучению возможностей использования пуповинной крови для лечения детей с таким диагнозом, однако решение было принято не столько по этой причине. Все же я надеюсь, что у второго ребенка аутизма не будет. Теперь очевидно, что сделать это просто имеет смысл для расширения возможностей поддержания здоровья ребенка в будущем. Я планирую хранить эти клетки как можно дольше, потому что я уверена, что клеточная терапия имеет огромный потенциал. Вполне вероятно, что врачи научатся лечить множество заболеваний с помощью этого биоматериала. И люди, у которых такая биостраховка есть, смогут пользоваться расширенными возможностями медицины будущего.

Расскажите будущим родителям, зачем еще нужна услуга биострахования? Что лечат стволовые клетки пуповинной крови?

- В настоящее время клетками пуповинной крови лечат около 90 заболеваний. В первую очередь, это онкогематологические и наследственные заболевания, болезни крови и иммунной

системы. Например, в 2016 году с помощью клеток пуповинной крови родного брата удалось вылечить старшую сестру с тяжелейшим генетическим заболеванием – синдромом Швахмана-Даймонда. Единственным эффективным методом лечения этого редкого синдрома является трансплантация гемопоэтических стволовых клеток. Трансплантация проводилась в России, в НИИ им. Р.М.Горбачевой. Тканевая совместимость эмбрионов, полученных при помощи ЭКО, с больной сестрой, была проверена с помощью метода преимплантационного генетического тестирования (ПГТ). Это было сделано одновременно с проверкой, что эмбрион не унаследовал мутации, приводящие к синдрому Швахмана-Даймонда. В результате родился здоровый брат и его клетки полностью прижились. Это очередное доказательство применимости пуповинной крови как биологического материала для лечения.

Вы провели в США несколько лет, изучая возможности ПГТ. Расскажите, кому действительно это необходимо, как ПГТ помогает родителям зачать ребенка без определенной генетической мутации?

- Прожив несколько лет в США, я вернулась в Россию, чтобы работать в Институте стволовых клеток человека. На сегодняшний день мы создали самую современную лабораторию для проведения ПГТ с системой поэтапного контроля и перепроверок – все технологии последнего поколения доступны у нас в России в лаборатории Genetico.

Мы выполняем тестирование на хромосомные аномалии – выясняем, есть ли у эмбриона полноценный набор хромосом, а также выявляем моногенные мутации для исключения ряда таких тяжелых заболеваний, как, например, спинальная мышечная атрофия. Благодаря ПГТ мы можем выбрать оптимальные эмбрионы для последующего переноса в полость матки. Таким образом, в семьях с высоким риском рождения больного ребенка ПГТ позволяет выявить у эмбриона генетические отклонения в ходе ЭКО, что снижает риск рождения ребенка с генетической болезнью.

ПГТ также проводится, если старшему ребенку показана трансплантация пуповинной крови. В этом случае родители решаются на рождение второго ребенка, с помощью методов ПГТ удается исключить конкретное генетическое заболевание и родить здорового ребенка, который к тому же тканесовместим со старшим больным, и его пуповинная кровь используется для лечения брата или сестры.

В Израиле есть государственная программа поддержки, когда в семье планируют второго ребенка для лечения стволовыми клетками пуповинной крови старшего. В России, к сожалению, такого нет, но как Вы оцениваете – много ли подобных случаев в нашей стране?

- К сожалению, в России действительно нет подобных программ и активной поддержки семей, которым необходима трансплантация стволовых клеток. Люди решают проблему самостоятельно, обращаясь в регистры доноров костного мозга и пуповинной крови. Однако это может быть долгим процессом, который не всегда завершается успешно. Не каждый может найти совместимого донора для лечения. Тем не

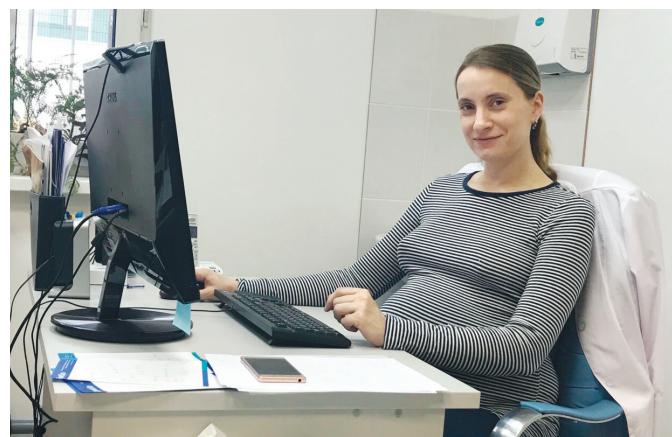
менее, случаи целенаправленного планирования беременности для сохранения пуповинной крови для лечения в России есть.

Почему Вы решили сохранять пуповинную кровь в Гемабанке?

- Это рациональное решение – в Гемабанке самое надежное криохранилище в России с максимальной степенью защиты биообразцов. Другой важный аргумент – клетки пуповинной крови из Гемабанка не раз применялись для трансплантаций в России и за рубежом. Все случаи применения были успешными. Это говорит о высоком качестве хранения биоматериала. В конечном итоге, это два принципиально важных критерия при выборе биобанка. Однако кроме этого, я лично знакома со специалистами Гемабанка – это профессионалы самого высокого уровня. Я доверяю им хранить биологическую страховку своего ребенка.

Дайте, пожалуйста, совет российским родителям, которые также принимают решение о биостраховании для своей семьи.

- Давать совет сложно, поскольку у каждой семьи свои возможности и приоритеты в жизни. На мой взгляд, гинеколог обязан проинформировать будущую маму о биостраховании, но решение семья принимает самостоятельно. Если возможность есть, то сохранять клетки я рекомендую. За этим будущее медицины.



В Гемабанке самое надежное криохранилище в России с максимальной степенью защиты биообразцов. Другой важный аргумент – клетки пуповинной крови из Гемабанка не раз применялись для трансплантаций в России и за рубежом. Все случаи применения были успешными

Тема номера

Стремительный рост числа клинических исследований свойств мезенхимальных стволовых клеток пупочного канатика

Количество исследований увеличилось на 50% за последние пять лет

Один из крупнейших реестров клинических исследований - CellTrials.org - провел анализ зарегистрированных испытаний по изучению свойств мезенхимальных стволовых клеток за последние годы. Выяснилось, что в период с 2013 по 2017 год количество исследований увеличилось на 50%, и в настоящий момент их насчитывается около 150 в год. При этом первое исследование было опубликовано на CellTrials.org в январе 2011 года.

Кроме роста количества исследований изменился и подход ученых к изучению потенциальных свойств клеток для различных заболеваний. До 30% увеличились исследования, где источником мезенхимальных стволовых клеток является ткань пупочного канатика. Ученые возлагают большие надежды на данный биоматериал, клетки которого являются самыми молодыми и активными, по сравнению с клетками костного мозга или жировой ткани.

По итогам 2017 года был составлен список стран, где исследования МСК наиболее активны. К ним относятся: Китай, Южная Корея, США, Германия, Иордания.

Поданным на 1 января 2018 года, зарегистрированы и активны около 630 клинических исследований, где единственным источником терапии являются мезенхимальные стволовые клетки. Следует отметить, что это значительный скачок в масштабах мирового научного сообщества. В будущем следует ожидать расширения научных исследований по спектру заболеваний.

Первое исследование свойств мезенхимальных стволовых клеток пупочного канатика было опубликовано на CellTrials.org в 2011 году, а спустя шесть лет их насчитывается уже более 630. Это настоящий прорыв, который подтверждает колоссальный потенциал биоматериала

#Главные Цитаты 2018



Александр Приходько, директор Гемабанка – крупнейшего в России и СНГ персонального банка хранения стволовых клеток:

Стремительный рост количества исследований является следствием не только потенциала биоматериала, но и успеха многолетних испытаний свойств МСК. Только в одном 2017 году зарегистрировано несколько ключевых результатов в разных странах. Актуальные исследования свойств мезенхимальных стволовых клеток заявляют о новых возможностях в лечении таких заболеваний, как аутизм, сердечная и почечная недостаточность, инсульт, болезни обмена, а также онкогематологические и наследственные заболевания. Потенциал МСК огромен: они способны превращаться в мышечные клетки, давать начало клеткам костей, хрящей, сухожилий, а по некоторым данным – клеткам печени и мозга.

12 причин сохранить стволовые клетки пупочного канатика при рождении •••

● **Российские ученые разрабатывают новый метод «управления» мезенхимальными стволовыми клетками человека для лечения онкологических заболеваний:** в мезенхимальные стволовые клетки человека помещаются особые магнитоуправляемые капсулы с лекарством, которые благодаря приложеному в нужном месте магнитному полю перемещаются в опухоль и локально выделяют противоопухолевое средство. Этот подход позволит избирательно подавлять рост опухолевых клеток без сильного вреда для остального организма. Исследование проводится на базе Томского политехнического университета.

● **Стволовые клетки пупочного канатика улучшают работу сердца и эффективны при лечении сердечной недостаточности:** лечение мезенхимальными стволовыми клетками пупочного канатика доказало свою эффективность и безопасность. В настоящее время ученые из Чили завершили первую фазу рандомизированного клинического исследования, в котором у всех пациентов улучшилось общее состояние здоровья и работа сердца.

Исследование опубликовано в Circulation Research Journal.

Исследование опубликовано на Onlinelibrary.wiley.com

- Ученые из университета Дьюка (США) запустили **клиническое исследование по лечению детей с расстройствами аутистического спектра клетками пупочного канатика**. Цель программы – доказать эффективность и безопасность мезенхимальных стволовых клеток пупочного канатика для лечения детей с расстройствами аутистического спектра. В исследовании примут участие 12 детей, которым будут проведены от одной до трех трансплантаций стволовых клеток. На сегодняшний день в США действует крупная исследовательская программа по терапии расстройств аутистического спектра стволовыми клетками под руководством известных международных трансплантологов

Данные по исследованию опубликованы на Clinicaltrials.gov

- **Клеточная терапия с использованием мезенхимальных стволовых клеток пупочного канатика может открыть уникальные возможности при трансплантации почки:** международная группа ученых опубликовала результаты первой фазы клинических исследований. Результаты показали, что стволовые клетки пупочного канатика могут использоваться как клинически осуществимая и безопасная терапия для пациентов при пересадке почки для уменьшения задержки начала функционирования трансплантированного органа, а также для профилактики острого отторжения. По мнению ученых, клетки обладают мощным противовоспалительными, регенерирующими и иммуномодулирующими свойствами, поэтому есть возможность снизить риск отторжения и уменьшить задержку начала работы органа после трансплантации.

Результаты опубликованы в Journal of Translational Medicine

- **Лечение метаболического синдрома:** новое клиническое исследование, в котором будет изучаться безопасность и эффективность применения мезенхимальных стволовых клеток пупочного канатика для лечения метаболического синдрома – состояния, при котором организм становится невосприимчивым к инсулину. Заболевания проявляется в виде развития сердечно-сосудистых заболеваний, им страдает около четверти населения западных стран.

Данные по исследованию опубликованы на Clinicaltrials.gov

- **Инъекция стволовых клеток способна снизить алкогольную зависимость:** ученые из Университета Чили доказали, что однократная инфузия мезенхимальных стволовых клеток способна сократить потребление алкоголя до 90%, а также снизить зависимость от спиртного. Кроме того, инъекции уменьшили нейровоспаление, вызванное алкоголем. Ученые делают вывод, что внутривенное введение мезенхимальных стволовых клеток может стать новым эффективным методом лечения расстройств, связанных со злоупотреблением алкоголем, которые являются частой причиной преждевременной смертности во многих странах мира.

Тесты проводились на животных
Результаты исследования опубликованы в Nature.

- **Стволовые клетки пупочного канатика могут быть эффективны при почечной недостаточности и патологии спинного мозга:** индонезийские ученые представили результаты клинического применения мезенхимальных стволовых клеток пупочного канатика для лечения пациентки с параличом нижних конечностей и хронической почечной недостаточностью. В результате, уже спустя три недели после трансплантации, у пациентки улучшилась работа почек, появились первые признаки восстановления двигательной функции на пальцах ног.

Исследование опубликовано в Journal of Medical Case Reports.

- **Мезенхимальные стволовые клетки возвращают возможность движения после инсульта:** клинические исследования доказали, что инъекции стволовых клеток могут восстанавливать повреждения мозга после ишемического инсульта, возвращать подвижность и улучшать речь. Исследование было проведено в 2016 году учеными медицинской школы Стенфордского университета, в котором приняли участие 18 пациентов. Уже через месяц после трансплантации стволовых клеток у пациентов стала восстанавливаться двигательная функция. Некоторые пациенты смогли отказаться от постоянного использования инвалидной коляски, хотя до операции они не могли даже пошевелить пальцем.

Исследование проведено учеными медицинской школы Стенфордского университета.

Пупочный канатик

– ценный биологический материал, который содержит высокоактивные мезенхимальные стволовые клетки. Спектр заболеваний, который можно лечить этими клетками, огромен: инфаркты, инсульты, переломы, артрозы, цирроз печени и многие другие тяжелые и трудноизлечимые болезни.

Мезенхимальные стволовые клетки можно получить и во взрослом состоянии, но они уже не будут такими активными и молодыми, как при рождении. Помимо этого, клетки при рождении имеют самый высокий потенциал к делению.

Гемабанк предлагает услугу криоконсервации мезенхимальных стволовых клеток пупочного канатика в Москве и Московской области, Санкт-Петербурге и Ленинградской области, Нижнем Новгороде, Владимире, Иванове, Костроме, Ярославле, Твери, Смоленске, Калуге, Брянске, Орле, Туле, Липецке и Рязани.

- **Терапия мезенхимальными стволовыми клетками может обеспечить эффективное лечение синдрома преждевременного истощения яичников:** ученые из Китая представили промежуточные результаты клинического исследования по изучению свойств мезенхимальных стволовых клеток пупочного канатика для лечения синдрома истощения яичников. В результате лечения у женщин наблюдались значительные улучшения в функции яичников. Была отмечено повышение концентрации эстрadiола, улучшение фолликулярного развития, а также увеличение количества антравальных фолликулов. Кроме того, у ряда участниц исследования наступила успешная клиническая беременность.

Результаты опубликованы в *Science China Life Sciences*

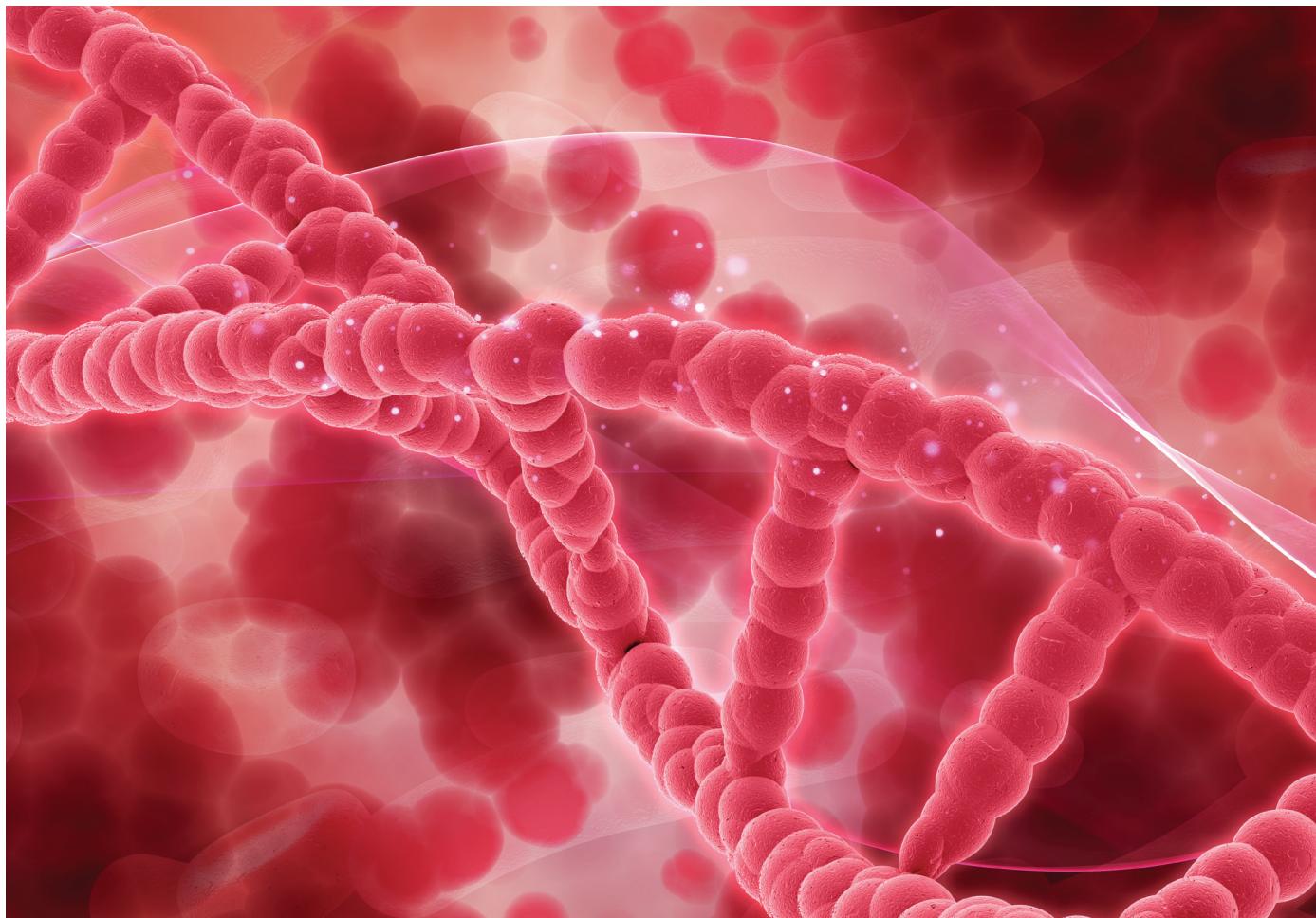
- **Исследование корейских ученых подтвердило эффективность мезенхимальных стволовых клеток пупочного канатика при болезни Крона – хроническом воспалительном заболевании кишечника.** Ученые делают вывод, что лечение безопасно для пациентов, значительно улучшает их общее состояние и качество жизни, а также снижает дозу гормональных препаратов.

Исследование опубликовано в *Gut and Liver Journal*.

- **Трансплантации мезенхимальных стволовых клеток замедляют старение организма:** ученые из США и Австралии доказали безопасность и эффективность трансплантаций мезенхимальных стволовых клеток для коррекции старческой астении. По мнению ученых, мезенхимальные стволовые клетки способны компенсировать многие признаки старения, а результаты исследования могут привести к созданию новаторского терапевтического подхода.

Результаты опубликованы в *The Journals of Gerontology*.

- **Трофические язвы лечат собственными мезенхимальными стволовыми клетками:** ученые из Беларуси проводят лечение тяжелейших недугов с использованием собственных стволовых клеток. По мнению ученых, новая технология является революцией по сравнению с существующими длительными и дорогостоящими методами. Уже через пару месяцев после операции у пациентов существенно повышается качество жизни.



Интервью



Пуповинная кровь помогла ребенку с ДЦП

История 8-летнего мальчика Дани и его родителей – Анастасии и Сергея, которые вместе борются с ДЦП и вдохновляют другие семьи продолжать жить обычной жизнью и верить в лучшее.

Расскажите, когда вы узнали о диагнозе?

- Окончательный диагноз нам поставили только спустя пять месяцев после родов, однако травма случилась именно в момент рождения. Сейчас мы понимаем, что было потеряно самое драгоценное время, ведь терапия ДЦП может начинаться буквально с первых дней жизни, однако тогда мы даже не думали об этом. В России очень слабая поддержка родителей, которые столкнулись с данной проблемой у ребенка. Нет никакой системы. Всю информацию о традиционных и нетрадиционных методах лечения мы искали самостоятельно, изучили весь интернет, консультировались с врачами. Начинали со стандартной реабилитации, спустя какое-то время проводили ее даже в Китае. Выполняли иглоукалывание, массаж, ЛФК – делали все, что требуется. Радикальных результатов мы не наблюдали, поэтому стали искать другие возможности. Вскоре мы узнали, что в США проводится исследование по лечению ДЦП пуповинной кровью. Мы задумались над этой возможностью, т.к. у Дани как раз была сохранена пуповинная кровь при рождении.

Знали ли вы до родов о возможностях пуповинной крови?

- Мы не думали об этом, а решение сохранить пуповинную кровь было довольно импульсивным. Буквально за несколько дней до родов я наткнулась на новость в интернете о стволовых клетках, и мы приняли решение сохранить этот биоматериал на будущее, ведь из них уже сейчас выращивают органы. Мы и не представляли, что клетки пригодятся так скоро. Разумеется, имея в наличии собственный биоматериал, мы начали искать возможности для лечения в этом направлении.

Где и как проходило лечение? Как Дания перенес трансплантацию?

- Мы часто удивляемся, что эта процедура называется трансплантацией. По сути это внутривенная инъекция, которая проходит за час или около того, после чего ребенка можно забирать домой. Однако этому предшествовала длительная подготовка.

В тот момент в Университете Дьюка проводилось клиническое исследование, где как раз изучались возможности пуповинной крови для лечения детей с нашим диагнозом. К сожалению, в само исследование мы не успели, однако нас пригласили на лечение в индивидуальном порядке. Мы начали оформление документов, озабочились вопросом перевозки клеток в США. На тот момент это заняло много времени, но нам помогали наши друзья и знакомые, а также сотрудники Гемабанка. В результате в феврале 2013 года была проведена первая трансплантация, а в декабре того же года вторая. К счастью, клеток хватило на две инфузии, т.к. сохраненный биоматериал был изначально качественно собран и его не пришлось дополнительно «очищать». Обе трансплантации сын перенес хорошо. Уже через несколько дней мы улетели обратно в Россию.

С момента трансплантации прошло пять лет. Как ребенок чувствует себя сейчас?

- У сына серьезное поражение, поэтому мы не ожидали, что он встанет и пойдет сразу после трансплантации. Кардинальных изменений мы не увидели, возможно, в силу возраста или тяжести ДЦП, однако вскоре заметили, что у Дани улучшился мышечный тонус. Кроме того, стали появляться ощутимые результаты после традиционной реабилитации, которых мы не видели ранее. Ведь так важно понимать, что лечение дает свои плоды, а затраченные усилия и деньги окупаются. В итоге с того момента мы отметили, что прогресс пошел. А еще, к пяти годам

Даня заговорил. Это сложно связать с чем-то конкретным, но это был большой рывок вперед.

Как проходит первый год обучения в школе?

- Мы ходим в специальную школу, где три дня в неделю занимаемся очно и два – дистанционно онлайн. При этом учимся на общей программе - интеллект ребенка полностью сохранен. Не могу сказать, что год прошел легко, но мы в целом довольны. У Даня для своего возраста полноценный словарный запас, хотя трудности в речи по-прежнему есть. Уроки по письму проходят на виртуальной клавиатуре с помощью специального джойстика. Могу сказать, что тяжело именно с точки зрения скорости, а в остальном обучение проходит хорошо.

В чем заключается поддерживающая терапия в настоящий момент?

- Наша регулярная поддерживающая терапия сейчас это: ЛФК, массаж, посещение логопеда и дефектолога. Это огромная работа и она не прекращается с момента постановки диагноза. Каждый ребенок индивидуален, а диагноз ДЦП очень собирательный, поэтому эффект может появиться в любой момент. В будущем мы также рассматриваем возможности новых трансплантаций пуповинной крови. У Даня есть две сестры-близняшки, которым мы также сохранили пуповинную кровь, но их клетки, к сожалению, оказались несовместимыми. Однако есть и другие возможности. Например, размножение клеток пуповинной крови. Мы будем изучать и рассматривать все варианты.

Что вы посовете родителям, которые столкнулись с подобным диагнозом?

- Совет один – никогда не опускать руки. ДЦП – диагноз, который требует полной самоотдачи от родителей и огромных усилий ребенка. Мы использовали, наверное, все существующие на данный момент возможности современной медицины, но все равно смотрим в будущее с оптимизмом. Даня уже сейчас демонстрирует нам свой характер и упорство, он «выжмет» из себя все соки, но будет работать над собой. Это и наше вдохновение и мотивация.

Мы считаем, что история нашей семьи самая обыкновенная, но будем искренне рады, если она окрылит других родителей найти в себе силы бороться каждый день.

Мы узнали, что в США проводится исследование по лечению ДЦП пуповинной кровью, и задумались над этой возможностью, т.к. у Даня как раз была сохранена пуповинная кровь при рождении

Клеток хватило на две инфузии, т.к. сохраненный биоматериал был изначально качественно собран и его не пришлось дополнительно «очищать». Обе трансплантации сын перенес хорошо. Уже через несколько дней мы улетели обратно в Россию



Duke University

Результаты клинических исследований

Более чем в 300 раз ученые увеличили количество стволовых клеток пуповинной крови в одном образце и успешно применили их для трансплантации

Успешно завершилась вторая фаза клинических исследований по изучению эффективности трансплантации размноженных стволовых клеток пуповинной крови с использованием технологии MGTA-456.

В конце 2017 года американская биотехнологическая компания Magenta Therapeutics представила отчет о результатах второй фазы клинических исследований по размножению стволовых клеток пуповинной крови с помощью препарата MGTA-456. В исследовании приняли участие 18 пациентов с онкогематологическими заболеваниями. Результаты первой фазы были опубликованы в начале 2017 г.

В результате было доказано более чем 300-кратное увеличение числа стволовых клеток пуповинной крови в одном образце.

Участники исследования (18 человек) перед трансплантацией получили стандартную химиотерапию (кондиционирование). В результате у всех пациентов без исключения после трансплантации наблюдалось быстрое приживление трансплантата.

Ученые также зарегистрировали быстрое восстановление иммунитета у всех пациентов. Кроме того, были отмечены низкие показатели реакции «трансплантат против хозяина» и рецидивов заболевания, а показатели общей выживаемости в течение двух лет были сопоставимы с результатами «обычной» трансплантации костного мозга.

Технология экспансии стволовых клеток пуповинной крови с помощью препарата MGTA-456 заключается в обработке клеток в культуре веществом StemRegenin-1. В результате блокируется работа арилгидрокарбонового рецептора, отвечающего за дифференцировку гемопоэтических клеток, и происходит стимулирование их деления с сохранением плюрипотентности клеток.

Успех второй фазы клинических исследований открывает возможность для ученых продолжить изучение эффективности технологии для других заболеваний, а также повысить востребованность пуповинной крови.

Отчет о результатах исследования:
<https://stemcellsjournals.onlinelibrary.wiley.com/doi/full/10.1002/sctm.17-0042>

#ГлавныеЦитаты2018



Александр Приходько, директор Гемабанка – крупнейшего в России и СНГ персонального банка хранения стволовых клеток:

Способность в 300 раз увеличивать количество гемопоэтических стволовых клеток в одном образце имеет огромный потенциал для решения проблемы малых доз стволовых клеток. В настоящее время проходят несколько клинических исследований по изучению безопасности и эффективности методики культуральной экспансии клеток пуповинной крови для расширения их сферы применения. Например, весной 2017 года завершился один из этапов третьей фазы клинических исследований, который доказывает преимущества применения размноженных клеток пуповинной крови по технологии компании Gamida Cell по сравнению с обычной трансплантацией.

Мы надеемся, что в ближайшие годы результаты этих исследований позволят большему количеству пациентов проводить трансплантации гемопоэтических стволовых клеток пуповинной крови без привлечения доноров костного мозга. Безопасное размножение клеток пуповинной крови - перспектива ближайших лет для всех обладателей собственной биостраховки.

Результаты клинических исследований

Первый опыт лечения врожденного дефекта обмена веществ размноженными клетками пуповинной крови

Ученые объявили о первом случае лечения пациента с наследственным заболеванием обмена веществ с использованием только пуповинной крови, клетки которой были предварительно размножены по технологии MGTA-456.

В апреле 2018 года ученые из биотехнологической компании Magenta Therapeutics в рамках второй фазы клинических исследований представили результаты трансплантации размноженных гемопоэтических стволовых клеток пуповинной крови пациенту с врожденным наследственным дефектом метаболизма. Экспансия клеток выполнена по американской технологии MGTA-456, благодаря которой ученые в начале 2018 года успешно увеличили количество стволовых клеток пуповинной крови в одном образце более чем в 300 раз, после чего успешно применили их для трансплантации.

Проведенная трансплантация – первая в своем классе аллогенная терапия стволовыми клетками, состоящая только из



предварительно размноженной пуповинной крови. Ученые отмечают, что трансплантация ГСК пуповинной крови является более предпочтительной, по сравнению с костным мозгом, поэтому благодаря экспансии клеток пуповинной крови по технологии MGTA-456, у пациентов после трансплантации снижается риск осложнений, а восстановление организма проходит быстрее. Ученые запланировали провести на базе университета Миннесоты 12 трансплантаций в рамках этого исследования: для лечения пациентов с синдромом Гурлера, адренолейкодистрофией и некоторыми другими врожденными дефектами метаболизма.

Отчет о результатах исследования:
<https://www.magentatx.com/press-releases/magenta-therapeutics-announces-first-patient-transplanted-with-mgta-456-in-phase-2-study-in-inherited-metabolic-disorders/>



gemabank.ru 8 (800) 500 46 30

Гемабанк является товарным знаком ООО «ММЦБ»
Лицензия Департамента здравоохранения г. Москвы № ЛО-77-01-010570 от 10 июля 2015 г.

г. Москва, 119333, ул. Губкина, д. 3, корп. 1
+7 (495) 646-80-76 www.hsci.ru

Данный материал является информацией, предназначеннной только для специалистов здравоохранения, исследователей и сотрудников компании. Данный материал не может служить источником информации, необходимой для оказания медицинской помощи, диагностирования заболеваний и лечения пациентов. Все продукты и технологии, в соответствии с законом, имеют право быть рекомендованы пациентам и применяться в практическом здравоохранении только после получения официальных разрешений и регистрационных удостоверений.

Имеются противопоказания. Необходима консультация специалиста