EuroStemCell

Ostatnia aktualizacja: 30.11.2016

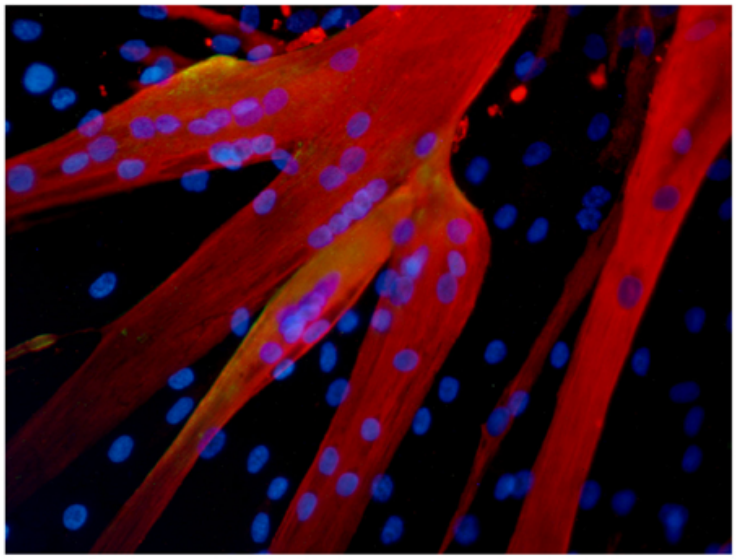
Dystrofia mięśniowa: jak pomóc mogą komórki macierzyste?

Co wiadomo?

Dystrofie mięśniowe to grupa chorób o podłożu genetycznym, powodujących osłabienie i postępujący zanik mięśni serca oraz mięśni szkieletowych.

U chorych z dystrofią mięśniową Duchenne'a obserwuje się brak białka o nazwie dystrofina, co zwiększa podatność mięśni na uszkodzenia. Uszkodzenia prowadzą do powstawania stanów zapalnych, które powodują dalsze zniszczenia w tkance mięśniowej.

U osób zdrowych komórki macierzyste mięśni, zwane komórkami satelitarnymi, tworzą mioblasty, które naprawiają zniszczone włókna mięśniowe.
W przypadku pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a komórki satelitarne nie nadążają z produkcja mioblastów i zostają szybko wyczerpane.



Włókna mięśniowe stworzone w laboratorium przez ludzkie mezoangioblasty.

Zdjęcie: dzięki uprzejmości OptiStem i Giulio Cossu.

Co analizują badacze?

Obecnie naukowcy badają szczegółowo komórki satelitarne i przyczyny uszkodzeń mięśni, jak również leki mogące zredukować niszczenie mięśni, takie jak leki przeciwzapalne.

W badaniach naukowcy skupiają się na znalezieniu sposobów na zachowanie i przywrócenie prawidłowego funkcjonowania mięśni poprzez przeszczepienie pacjentom komórek produkujących dystrofinę. Komórki te mogą pochodzić zarówno od zdrowych dawców, jak i od samych pacjentów - po modyfikacji genetycznej.

Indukowane pluripotentne komórki macierzyste (iPS)są badane pod kątem ich przydatności do produkcji znacznych ilości komórek ze zdrowymi genami dystrofiny.

Na czym polegają trudności?

Największym wyzwaniem dla leczenia opartego na przeszczepie komórek dawcy jest potencjalne odrzucenie przeszczepu przez układ immunologiczny pacjenta. Leczenie chorych z użyciem ich własnych komórek (zmodyfikowanych genetycznie lub komórek iPS) może wyeliminować ryzyko odrzucenia, jednak niesie ze sobą inne zagrożenia.

U pacjenta wszystkie mięśnie są osłabione i wymagają leczenia. Równomierne rozprowadzenie komórek do wszystkich mięśni ciała stanowi ogromne wyzwanie dla terapii z wykorzystaniem komórek macierzystych.

Terapie z wykorzystaniem komórek macierzystych mają stosunkowo małą efektywność zagnieżdżania się przeszczepianych komórek w uszkodzonych mięśniach (tzw. “niskie zasiedlenie”).

Aby uzyskać więcej informacji, odwiedź stronę: **www.eurostemcell.org/pl/dystrofiamiesniowa**