

Choroba Huntingtona: Jak mogą pomóc komórki macierzyste?

Co wiadomo?

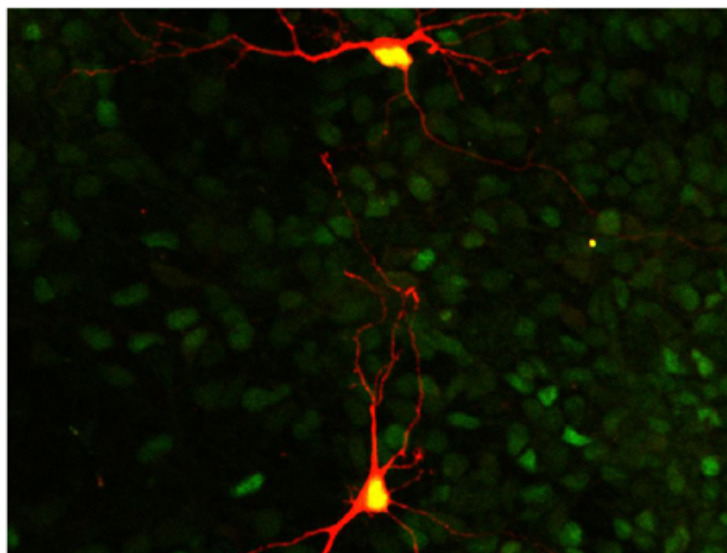
Choroba Huntingtona (ang.: HD) to genetyczna choroba dziedziczna, która niszczy średnie neurony kolczaste (ang.: MSNs) w mózgu powodując zmiany emocjonalne, zakłócenia procesów intelektualnych oraz zaburzenia ruchowe.

Symptomy często pojawiają się u osób pomiędzy 35-50 rokiem życia.

HD występuje na skutek zbyt dużej (>40) ilości powtórzeń sekwencji 'CAG' w genie huntingtyny.

Obecnie nie ma skutecznej terapii leczenia choroby Huntingtona.

Komórki macierzyste są nieocenionym narzędziem w badaniu wielu aspektów HD, od zrozumienia jak dochodzi do śmierć komórek MSN po testowanie nowych terapii.



Ludzkie średnie neurony kolczaste wyhodowane w laboratorium z embrionalnych komórek macierzystych.

Zdjęcie: Charles Arber, University College London

Co analizują badacze?

Gen huntingtyny odpowiada za powstanie białka ważnego dla neuronów. Naukowcy ciągle starają się zrozumieć, za co odpowiada to białko i dlaczego zbyt duża ilość powtórzeń 'CAG' powoduje śmierć komórek MSN.

Używając MSN stworzonych z indukowanych pluripotencjalnych komórek macierzystych (ang.: iPSC) można obserwować jak postępuje choroba HD. iPSC są także używane do testowania nowych leków lub terapii szybciej niż było to możliwe przed pojawieniem się iPSC.

Nowe badania dotyczą możliwości przeszczepiania nerwowych komórek macierzystych do mózgu osoby chorej, aby odnowiły zniszczone komórki MSN.

Na czym polegają trudności?

Obecnie żadna metoda leczenia HD komórkami macierzystymi nie jest zatwierdzona. Przeszczepy nerwowych komórek macierzystych testowane są w leczeniu osób z HD, ale muszą przejść jeszcze wiele badań, aby wykazać swoją skuteczność i bezpieczeństwo.

Etyczne i pewne źródła nerwowych komórek macierzystych muszą zostać opracowane. iPSC i embrionalne komórki macierzyste mogą wytwarzać większą ilość nerwowych komórek macierzystych, ale komórki te muszą być bezpieczne, przewidywalne. Jeśli nie będą odpowiednio przetestowane PSC mogą przekształcić się w nowotwory lub powodować inne groźne komplikacje.