

Informacja dla pacjentów

Wersja 1 – 22.02.2022

Terapie komórkowe i zastosowania komórek macierzystych stanowią olbrzymią szansę w medycynie i są nadzieją dla pacjentów cierpiących na nieuleczalne dotychczas choroby. Terapie komórkowe udowodniły swoją skuteczność w leczeniu ciężkich chorób krwi (białaczek, niedokrwistości, niedoborów odporności), pomagają ciężko oparzanym pacjentom lub osobom, które utraciły wzrok na skutek uszkodzenia nabłonka rogówki. W terapiach tych stosuje się komórki, których działanie w tych chorobach jest znane. Komórki te są odpowiednio dobrane do choroby i pacjenta. Dlatego np. komórki rąbkowe oka (czyli komórki macierzyste nabłonka rogówki) są w stanie zregenerować uszkodzony nabłonek rogówki, ale nie mogą być wykorzystane do leczenia ślepoty spowodowanej uszkodzeniem komórek siatkówki oka. Komórki działają wtedy, gdy ich zastosowanie nie rodzi ryzyka odrzucenia ich jako przeszczepu, czyli wtedy gdy są to komórki własne pacjenta, np. komórki macierzyste skóry pobrane z nieuszkodzonego obszaru ciała i użyte w laboratorium do namnożenia własnych komórek naskórka pacjenta (czyli gdy są to komórki autologiczne). Możliwe jest zastosowanie przeszczepów od obcego dawcy, ale musi być poprzedzone odpowiednią analizą podobieństwa genetycznego biorcy i dawcy i zastosowane wtedy, gdy taki przeszczep (zwany allogenicznym) jest uzasadniony (np. w chorobach krwi), a spodziewane korzyści z podania obcych komórek, potwierdzone wieloletnimi badaniami i obserwacjami przewyższają potencjalne ryzyko dla pacjenta.

Wiara we wszechmoc komórek macierzystych stała się jednak także sposobem na oferowanie zabiegów niepotwierdzonych, potencjalnie niebezpiecznych i często bardzo kosztownych. Przed tym ostrzegają odpowiedzialne towarzystwa naukowe (w Polsce np. Polskie Towarzystwo Okulistyczne, Komitet Biotechnologii PAN) oraz instytucje regulujące terapie. W szczególności zwracamy uwagę na stanowisko Komitetu Zaawansowanych Terapii Europejskiej Agencji Leków (CAT EMA) dostępne na stronie Głównego Inspektoratu Farmaceutycznego¹ oraz raport Rady Naukowej Europejskich Akademii Nauk i Akademii Medycznych (ESAC-FEAM), dostępny na stronie Polskiej Akademii Nauk^{2,3}.

Zespół Naczelnej Rady Lekarskiej, w trosce o zdrowie pacjentów oraz jakość badań medycznych i naukowych w Polsce przygotował informacje, które mamy nadzieję będą pomocne w podejmowaniu decyzji pacjentów

Działania nasze podyktowane są troską o zdrowie chorych oraz samopoczucie ich bliskich, w celu ochrony ich przed zabiegami nie mającymi uzasadnienia w świetle obecnej wiedzy naukowej, przed

eksperymentalnymi terapiami nie potwierdzonymi w rzetelnych badaniach i przed ponoszeniem kosztów, nie pozostających w związku z korzyściami, jakie są sugerowane z oferowanymi zabiegami.

Zwracamy uwagę na liczne wątpliwości środowiska medycznego i naukowego dotyczące ofert komercyjnych zabiegów, w których ten sam rodzaj komórek (np. tzw. komórki mezenchymalne z pępowiny czy krew pępowinowa) oferowane są do leczenia bardzo wielu chorób. Jest bardzo mało prawdopodobne, by jeden rodzaj komórek mógł być panaceum. Jest bardzo mało prawdopodobne, by komórki pełniące inne funkcje, pochodzące z jednego narządu (np., pępowiny) mogły poprawić stan zdrowia chorych cierpiących na choroby neurologiczne, tracących wzrok itp. Dotychczas brak przekonujących wyników badań potwierdzających takie zastosowania. Nie mogą być za takie uznane przytaczane czasem publikacje naukowe, bowiem nie zostały one we właściwy sposób zweryfikowane i ocenione, a terapie nie są zatwierdzone przez instytucje rejestrujące. Zwracamy także uwagę, że w tych zabiegach często oferuje się podawanie komórek od obcych dawców (czyli allogenicznych – a więc różnych genetycznie od pacjenta) i niezależenie od sugestii, iż nie stanowi to problemu dla pacjenta (biorcy), należy być świadomym, że jest to przeszczepianie obcych komórek.

Zdajemy sobie sprawę, że w szczególnych sytuacjach, pacjent ma prawo skorzystać z eksperymentalnej terapii, którą na własną odpowiedzialność może zaproponować i zastosować lekarz w ramach tzw. eksperymentu leczniczego. Pacjenci rozważający poddanie się eksperymentowi leczniczemu z wykorzystaniem komórek macierzystych powinni otrzymywać pełną i rzetelną informację. Przestrzegamy przed poleganiem na informacjach internetowych, w szczególności akcjach reklamowych, w których w sposób trudny lub wręcz niemożliwy do odróżnienia dla niespecjalisty informacje o uzasadnionych zastosowaniach komórek (np. komórek krwiotwórczych w leczeniu chorób krwi) mieszane są z sugestiami leczniczego działania tych samych lub wręcz innych komórek w innych schorzeniach, np. neurologicznych, ślepcie itd.

Opierając się na autorytecie uznanych instytucji rejestrujących leki i terapie (europejska CAT EMA, amerykańska FDA), oraz stanowiskach towarzystw naukowych, zwracamy uwagę i zachęcamy do zapoznania się z następującymi dokumentami:

1. Stanowisko Komitetu ds. Terapii Zaawansowanych Europejskiej Agencji Leków (*Committee for Advanced Therapies European Medicines Agency*) z 28 kwietnia 2020 roku.

W stanowisku tym, przetłumaczonym na stronie Głównego Inspektoratu Farmaceutycznego. <https://www.gov.pl/web/gif/ostrzezenie-ema-przed-stosowaniem-niepotwierdzonych-terapii-komorkowych> czytamy „Z uwagi na ogromny wzrost liczby terapii komórkowych reklamowanych jako leki stosowane w leczeniu wielu poważnych schorzeń, w tym nowotworów, chorób sercowo-naczyniowych, autyzmu, porażenia mózgowego, dystrofii mięśniowej i utraty wzroku, CAT ostrzega przed stosowaniem niepotwierdzonych terapii (podkreślenie nasze). *Terapie takie mogą być nieskuteczne, zwiększać ryzyko poważnych działań niepożądanych, w tym infekcji, niepożądanych*

reakcji immunologicznych, powstawania nowotworów, utraty wzroku, krwotoków mózgowych, a nawet prowadzić do śmierci.” (koniec cytatu).

Raport EASAC-FEAM z 2 czerwca 2020 roku – przetłumaczony i dostępny na stronie Polskiej Akademii Nauk. <https://informacje.pan.pl/index.php/informacje/materialy-dla-prasy/3026-akademie-nauk-ostzegaja-przed-cudownymi-terapiami-komorkami-macierzystym>

Raport ten, dotyczący medycyny regeneracyjnej zwraca uwagę na poważne problemy związane z oferowaniem niepotwierdzonych i potencjalnie niebezpiecznych terapii komórkowych, zwanych popularnie terapiami komórkami macierzystymi. Podkreśla, co oczywiste, zagrożenia tkwiące w nieuzasadnionych ofertach komercyjnych, ale zwraca także uwagę na niebezpieczeństwa wynikające z faktu zbyt łagodnego podejścia instytucji regulujących, zezwalających na terapie eksperymentalne bez wystarczających podstaw. Należy zaznaczyć, że takie procedury, określane mianem eksperymentów leczniczych, wiążą się często z dużymi kosztami ponoszonymi przez pacjentów. Warto w tym miejscu dokładnie zacytować kolejny fragment stanowiska EASAC-FEAM:

Medycyna regeneracyjna oferuje szanse na leczenie i nadzieję dla pacjentów, ale nie jest wolna od wątpliwości. Po pierwsze, w niektórych krajach narasta problem klinik komercyjnych, które oferują nieuregulowane prawem usługi i produkty, o słabo udokumentowanej skuteczności i wątpliwym uzasadnieniu terapeutycznym, obiecując przy tym szerokie korzyści. Kliniki takie kierują się głównie chęcią zysku. Po drugie, zgoda na zastosowania komercyjne niektórych terapii podejmowana jest przedwcześnie na podstawie niekompletnych dowodów, ponieważ istnieje presja firm na umożliwienie szybkiego dostępu do terapii (koniec cytatu – strona 2).

W świetle powyższych informacji zwracamy uwagę, że wydanie przez Główny Inspektorat Farmaceutyczny zgody na wytwarzanie komórek do celów leczniczych (czyli wytwarzanie tzw. produktu ATMP – produktu leczniczego terapii zaawansowanej) nie oznacza zgody na jego podawanie i nie jest równoznaczne z uznaniem terapii z takimi komórkami za uprawnione. Zgodę na podanie komórek (podanie ATMP) może wydać tylko uprawniona komisja bioetyczna – w szczególnych przypadkach, na zasadzie tzw. wyjątku szpitalnego, w ramach tzw. eksperymentu leczniczego. Z samego terminu „wyjątek szpitalny” wynika jego wyjątkowość – zatem nie można tych samych komórek oferować przez wiele lat licznym pacjentom.

W świetle przytoczonego wyżej stanowiska CAT EMA Zespół NRL zwraca także uwagę, że oferowane zabiegi, których zdaniem CAT EMA nie można uznać za uprawnione terapie, nie stają się powszechnie uprawnionymi na podstawie zgody Komisji bioetycznej na przeprowadzenie eksperymentu leczniczego odnoszącego się zawsze do konkretnego przypadku. Takie zabiegi nie mogą być reklamowane ani oferowane na dużą skalę.

W przypadku wątpliwości proponujemy konsultację ze specjalistami – zwrócenie się o opinię takich poprzez lokalną Komisję Bioetyczną czy Naczelną Radę Lekarską.