



INFORMACJA DLA PACJENTA DOTYCZĄCA TERAPII STWARDNIENIA ZANIKOWEGO BOCZNEGO

O TERAPII

Terapia prowadzona przez Instytut Terapii Komórkowych ma charakter medycznego eksperymentu leczniczego (MEL).

MEL polega na wprowadzeniu przez lekarza nowych lub tylko częściowo wypróbowanych metod diagnostycznych, leczniczych lub profilaktycznych w celu osiągnięcia bezpośredniej korzyści dla zdrowia osoby leczonej. Może on być przeprowadzony, jeżeli dotychczas stosowane standardowe metody leczenia nie są skuteczne lub jeżeli ich skuteczność jest niewystarczająca. Eksperyment leczniczy ma więc na celu polepszenie zdrowia pacjenta i jest niekiedy jedyną szansą na wyleczenie.

JAKI JEST CEL TERAPII?

1. leczenie Pacjentów
2. potwierdzenie bezpieczeństwa i skuteczności stosowania komórek w danej jednostce chorobowej
3. opracowanie nowej metody leczenia

NA CZYM POLEGA TERAPIA?

Terapia obejmuje 3 podania mezenchymalnych komórek macierzystych (ang. Mesenchymal Stem Cells, dalej: MSC, Produkt) do kanału kręgowego drogą nakłucia lędźwiowego podczas 3 wizyt w Instytucie oraz udział pacjenta w Programie Badawczym mającym na celu monitorowanie stanu zdrowia i jakości życia Pacjenta.

SKĄD POCHODZĄ KOMÓRKI STOSOWANE W TERAPII?

Terapia prowadzona jest z wykorzystaniem Produktu opartego o mezenchymalne komórki macierzyste. Komórki te izolowane są ze sznura pępowinowego i stanowią bazę do wytworzenia Produktu dedykowanego dla konkretnego pacjenta.

Sznur pępowinowy pozyskiwany jest podczas porodu od zdrowych dawców po przeprowadzeniu wcześniej wywiadu medycznego z matką dawcy, badań krwi matki dawcy i uzyskaniu pisemnej zgody matki dotyczącej pobrania tkanki sznura pępowinowego i zrzeczenia się praw do tego materiału biologicznego. Dostawcą komórek stosowanych w Terapii jest Laboratorium Polskiego Banku Komórek Macierzystych, które posiada stosowne pozwolenia Głównego Inspektoratu Farmaceutycznego i Krajowego Centrum Bankowania Tkanek i Komórek. Produkt wytwarzany jest indywidualnie dla każdego pacjenta na zamówienie lekarza z Zespołu Medycznego Instytutu. Czas wytworzenia Produktu to ok. 1 – 1,5 miesiąca.

Istnieje możliwość wykorzystania w Terapii komórek od dawców spokrewnionych, którzy posiadają zbankowany materiał w Polskim Banku Komórek Macierzystych. W takim wypadku konieczne jest zachowanie odpowiedniego stopnia pokrewieństwa między dawcą spokrewnionym a biorcą (dawca = dziecko, podczas porodu którego pobierany jest sznur pępowiny, biorca = Pacjent poddający się Terapii). Takie komórki mogą być wykorzystane w Terapii u biologicznych rodziców tego dziecka lub dziadków.

JAK PRZEBIEGA PODANIE KOMÓREK?

Komórki podawane są do kanału kręgowego drogą nakłucia lędźwiowego.

1. Ułożenie Pacjenta na kozetce w pozycji umożliwiającej wykonanie nakłucia lędźwiowego.
2. Wprowadzenie igły do kanału kręgowego do uzyskania wypływu płynu mózgowo-rdzeniowego.
3. Podanie komórek przez igłę punkcyjną.
4. Wprowadzenie części płynu mózgowo-rdzeniowego do kanału kręgowego dla optymalnego przesunięcia komórek do kanału kręgowego.
5. Zdezynfekowanie nakłutego miejsca i założenie opatrunku.

Po podaniu komórek zaleca się Pacjentowi zachowanie pozycji leżącej przez 2 -3 godziny. Pacjent zostaje pod opieką pielęgniarską. Następnego dnia po podaniu komórek lekarz Instytutu ocenia stan chorego i decyduje o wypisie do domu.

JAKIE SĄ KORZYŚCI Z UDZIAŁU W TERAPII?

Oczekujemy, że zastosowanie mezenchymalnych komórek macierzystych w przypadku Pacjentów ze Stwardnieniem Zanikowym Bocznym (SLA) będzie miało klinicznie pozytywne efekty w postaci spowolnienia rozwoju procesu chorobowego. Istnieją przesłanki wskazujące, że proponowana Terapia może mieć wyższą skuteczność od dotychczas stosowanych ze względu na cechy, które posiadają mezenchymalne komórki macierzyste.

Przybywa dowodów na działanie MSC wspierające przeżycie neuronów motorycznych w przebiegu SLA. Komórki te są bardzo dobrze tolerowane przez system immunologiczny. MSC mają zdolności regeneracyjne oraz przeciwzapalne. Wykazują także cechy progeneratywne - ograniczają procesy neurodegeneracyjne.

Szczegółowa analiza wyników dotychczas przeprowadzonych badań klinicznych na ponad tysiącu pacjentach udowodniła bezpieczeństwo zastosowania komórek mezenchymalnych w różnych chorobach.

Należy jednak podkreślić, że SLA jak dotychczas pozostaje chorobą nieuleczalną.

PROGRAM BADAWCZY INSTYTUTU

Jako Instytut Terapii Komórkowych prowadzimy kompleksowy program badawczy obejmujący monitorowanie stanu zdrowia i jakości życia Pacjentów w trakcie podań komórek jak i po zakończeniu podań. W ramach programu prowadzona jest wieloaspektowa ocena pacjenta:

- a) funkcjonalna z wykorzystaniem skal:
 - ALSFRS-R-EX przeznaczonej do monitorowania stanu zdrowia chorych na stwardnienie zanikowe boczne
- b) neurologopedyczna z wykorzystaniem dedykowanych skal pomiaru zaburzeń dysfagii i dysfagii (mowy i połykania)
- c) jakości życia z wykorzystaniem skali:
 - SF-36 ver. 2 i WHOQOL;

Ponadto w ramach programu badawczego Pacjent zostanie objęty opieką psychologiczną oraz logopedyczną. Specjalnie dla naszych Pacjentów przygotowaliśmy także zestaw ćwiczeń logopedycznych.

Badania wykonywane są podczas każdej wizyty w Instytucie. Ocena funkcjonalna oraz wsparcie psychologiczne trwa około roku po ostatnim podaniu.

JAKIE SĄ POTENCJALNE DZIAŁANIA NIEPOŻĄDANE LUB EWENTUALNE RYZYKO ZWIĄZANE Z UDZIAŁEM W TERAPII?

Ryzyko wystąpienia zdarzeń niepożądanych po podaniu komórek jest minimalne, ponieważ nie były dotychczas obserwowane istotne objawy uboczne związane z podawaniem Produktu. Nie można jednak wykluczyć wystąpienia objawów ubocznych związanych z podaniem komórek.

Możliwe zdarzenia niepożądane:

- a) natychmiastowe
 - ogólna reakcja alergiczna: gorączka, dreszcze, pokrzywka
 - zespół popunkcyjny
 - niewydolność oddechowa
 - miejscowe powikłania: krwiak, infekcja, przejściowe zaburzenia czucia w miejscu wstrzyknięcia

- b) opóźnione
 - lokalne powstawanie nowotworu w kanale kręgowym
 - posocznica spowodowana przypadkowym zakażeniem bakteryjnym
 - przeniesienie zakażenia innymi czynnikami zakaźnymi.

CZY W KAŻDEJ CHWILI MOGĘ ZREZYGNOWAĆ Z UDZIAŁU W TERAPII?

Udział w Terapii jest całkowicie dobrowolny. Pacjent może zrezygnować z uczestnictwa w Terapii w dowolnym momencie jego trwania. Instytut zapewnia, że w przypadku rezygnacji z dalszego uczestnictwa w Terapii decyzja ta w żaden sposób nie wpłynie na możliwość i jakość dalszego leczenia w wybranej przez Pacjenta placówce. Decyzja o rezygnacji z udziału w eksperymencie powinna być wcześniej dobrze przemyślana.

W przypadku rezygnacji z Terapii wpłacone wcześniej należności do Instytutu zostaną zwrócone pacjentowi zgodnie z Cennikiem Terapii i hospitalizacji Instytutu.

KTO PRZEPROWADZA I NADZORUJE TERAPIĘ?

Podanie Produktu przeprowadzone zostanie przez Zespół Medyczny Instytutu.

Terapia objęta jest nadzorem Komisji Bioetycznej (KB) przy Uniwersytecie Warmińsko-Mazurskim w Olsztynie.

.....
Podpis Pacjenta