

Stamceltherapie: behandeling van de toekomst?

Als ouder van een kind met een aangeboren afwijking hoop je dat nieuwe behandelingen de kwaliteit van zijn of haar leven kunnen verbeteren. Pim Pijnappel is moleculair bioloog en werkt als onderzoeker bij het Erasmus MC in Rotterdam. Zijn onderzoeksgroep werkt aan stamceltherapie als behandeling voor stofwisselingsziekten. Wat is stamceltherapie en wat kunnen we ervan verwachten?

Bij stamceltherapie worden cellen of weefsels, gekweekt in het laboratorium, gebruikt om beschadigde cellen of weefsels in het lichaam te vervangen of te herstellen. Dit gebeurt met behulp van zogenaamde stamcellen. Een stamcel is als het ware een voorlopercel, die zich kan vermenigvuldigen en specialiseren tot elke willekeurige cel. De bekendste stamcellen zijn de cellen die aanwezig zijn in vroege embryo's, dit zijn embryonale stamcellen. En in de navelstreng van een pasgeborene zijn ook stamcellen te vinden.

Pijnappel: 'Volwassenen hebben ook (adulte) stamcellen, deze bevinden zich bijvoorbeeld in spieren, darmen, huid, en het beenmerg. Deze stamcellen zorgen voor herstel bij schade maar ook voor weefselvernieuwing. Momenteel wordt in het laboratorium onderzocht of het mogelijk is om adulte stamcellen te isoleren uit weefsels, om die vervolgens te transplanteren in zieke weefsels om die te herstellen.' Pijnappel vervolgt: 'Sinds 2006 bestaat ook de mogelijkheid om verschillende soorten cellen van volwassenen, bijvoorbeeld huidcellen verkregen door een huidbiopt, in het laboratorium om te vormen naar zogenaamde iPS-cellen: geïnduceerde Pluripotente Stamcellen. iPS-cellen lijken sterk op embryonale stamcellen, en kunnen alle cellen van het lichaam vormen. Ook kunnen ze zich vermenigvuldigen. Cellen van een donor hebben altijd risico op afstoting, cellen van de patiënt zelf worden niet afgestoten wanneer je ze terug brengt in het lichaam. Daarnaast is het niet nodig om cellen van embryo's te gebruiken, wat stuit op ethische bezwaren.'

Hoe werkt stamceltherapie?

Door stamceltherapie komen nieuwe cellen in plaats van beschadigde of zieke cellen. Soms weten stamcellen spontaan welke cellen ze moeten vormen en is het voldoende om stamcellen in te spuiten op de plaats van beschadiging. Bij andere ziekten is het nodig om stamcellen eerst in het laboratorium te ontwikkelen tot de juiste cellen en weefsels. Deze weefsels kan men dan inbrengen op de plaats waar ze nodig zijn.



Onderzoek

Pijnappel: 'Twee dingen zijn echt heel belangrijk bij stamceltherapie en daar wordt nog veel onderzoek naar gedaan. Ten eerste kunnen stamcellen wanneer ze zich in een verkeerde omgeving bevinden ongecontroleerd gaan groeien en tumoren gaan vormen. Dit kan voorkomen worden door voor de transplantatie het juiste celtype te isoleren. Daarnaast is het belangrijk dat de cellen die ingebracht worden uiteindelijk echt gaan doen wat je wilt. Gaan ingebrachte spiercellen bijvoorbeeld echt functioneren zoals de andere spiercellen? Wanneer cellen alleen een stofje hoeven af te geven is dat gemakkelijker. Deze cellen kunnen bijvoorbeeld werkzaam zijn in plaats van een enzymvervangstherapie.' Pijnappel vervolgt: 'Momenteel wordt er veel onderzoek bij muizen gedaan met behulp van iPS cellen. Het uiteindelijke doel is om deze cellen te gebruiken bij de behandeling van ziekten. Pas als dierproeven succesvol zijn, kan het onderzoek worden uitgebreid naar mensen. Ook worden iPS cellen vaak gebruikt als ziektemodel, ze worden omgevormd tot cellen met een bepaalde ziekte en vervolgens wordt onderzocht wat er mis is en wat mogelijk effect kan hebben. Daarnaast kunnen bestaande medicijnen op iPS cellen worden getest om te kijken of ze voor meer afwijkingen kunnen helpen.'

Verskil stamceltherapie en gentherapie

Stamceltherapie is niet hetzelfde als gentherapie. Beide behandelingen hebben als doel om ziekten te genezen en/of te voorkomen, maar zijn nog in de onderzoeksfase. Bij stamceltherapie worden nieuwe cellen en weefsels gekweekt uit stamcellen. Bij gentherapie wordt genetisch materiaal in de cel gebracht om genen die niet goed werken te vervangen of te veranderen. Pijnappel: 'Combinaties van stamcel- en gentherapie worden ook onderzocht in het laboratorium. Soms gebruikt men bij stamceltherapie cellen waarvan het DNA (erfelijk materiaal) met behulp van gentherapie is veranderd. Momenteel maakt gentherapie gebruik van virussen die het goede gen in een cel kunnen inbrengen. Een risico hierbij is ook weer dat wanneer dit virus met het extra gen in het DNA van de cel gaat zitten een patiënt kanker kan ontwikkelen. Zeer recent zijn nieuwe methoden ontwikkeld die zonder het gebruik van virussen genen kunnen inbrengen. Deze methoden worden momenteel op brede schaal getest in het laboratorium en verder ontwikkeld.'

Waarvoor kan stamceltherapie dienen?

Stamceltherapie kan in theorie voor uiteenlopende medische problemen een oplossing bieden. Stamceltherapie zou een oplossing kunnen zijn voor organen die zelf niet kunnen herstellen, zoals hersenen en het hart, en voor het inbrengen van cellen die het lichaam zelf niet (meer) aanmaakt, zoals de alveolaircellen bij suikerziekte. Pijnappel: 'Zowel stam- als gentherapie zijn therapieën van de toekomst. Stamceltherapie wordt nog niet gebruikt. De eerste gentherapie is sinds kort tot de Europese markt toegelaten. Het wordt op kleine (test)schaal gebruikt bij de stofwisselingsziekte Lipoproteïne Lipase deficiëntie waarbij het vettransport in het bloed defect is. Een virus dat zich niet inbouwt in het DNA brengt een gen in spiercellen in. De spiercellen geven het ontbrekende enzym af aan het bloed waardoor vetten weer normaal getransporteerd kunnen worden. Wel is nog onduidelijk hoelang deze behandeling blijft werken.' Pijnappel vervolgt: 'Bij een aantal andere ernstige ziekten is gentherapie getest bij patiënten. Bij MLD (Metachromatische

Het is belangrijk dat de cellen die ingebracht worden uiteindelijk echt gaan doen wat je wilt.

Leukodystrofie, een stofwisselingsziekte van spieren en hersenen) wordt klinisch onderzoek verricht om te kijken of cellen rechtstreeks kunnen worden ingebracht in de hersenen. Bij Cystic Fibrosis (taaislijmziekte) wordt momenteel een inhalator getest waarmee je virussen inhaleert, die in je longen gaan zitten. Het defecte gen wordt via dit virus opgeheven waardoor je longen beter gaan functioneren.' Zelf werkt Pijnappel aan de toepassingen van stamceltherapie bij lysosomale stapelingsziekten. Dit is vooral laboratoriumonderzoek waarbij iPS cellen worden gebruikt als ziektemodel, en waarbij onderzocht wordt of deze cellen in de toekomst gebruikt kunnen worden voor therapieën.

De vooruitzichten?

Pijnappel verwacht dat stamcellen in de toekomst steeds meer toegepast zullen worden. Onderzoekers proberen om alle mogelijke soorten cellen en weefsels te maken. Wel is daarvoor nog heel veel onderzoek nodig en heeft elke nieuwe behandeling goedkeuring nodig voor het op de markt kan. De grootste uitdaging daarbij is of getransplanteerde cellen uiteindelijk hun beoogde functie gaan uitoefenen. Pijnappel is positief. 'Ik verwacht dat stamcellen in de toekomst een bijdrage kunnen gaan leveren aan therapieën. De toekomst zal uitwijzen welk type cellen en weefsels het meest geschikt zijn voor behandeling met stamcellen.'



Ir. Caroleen Schuurman,
freelance voedingskundige en tekstschrijver