

#### • ENFERMEDAD DE CROHN

El objetivo de la terapia con células madre consiste en explotar su capacidad conocida para **restaurar y reeducar el sistema inmunológico**. Esta característica de las células madre se descubrió tras comprobarse que pacientes con enfermedades hematológicas y que padecían la enfermedad de Crohn **mejoraban su estado después de haberse sometido a un trasplante de células madre. Los pacientes que ya han recibido la terapia entran en una remisión que es, en algunos casos, total.**

Las células madre mesenquimales también pueden ofrecer una oportunidad para el tratamiento de esta enfermedad. Está demostrada su capacidad cicatrizadora y para migrar de forma natural hacia los tejidos lesionados, **controlando la inflamación y promoviendo su reparación**. Por esta razón, se está estudiando su uso para el tratamiento de las fístulas, **investigación que se desarrolla en el Hospital La Paz de Madrid.**

**Identificadores de los principales ensayos clínicos:**

NCT01155362 - trasplante de células madre placentarias (EEUU)

NCT00271947 - trasplante autólogo (EEUU)

NCT01240915 - células madre mesenquimales para el tratamiento de la colitis ulcerosa (EEUU)

#### Lesiones tisulares:

La **parálisis cerebral y otras lesiones del tejido nervioso** pueden impedir que se desarrollen correctamente algunas funciones motoras o intelectuales. El trasplante de células madre permite disminuir la inflamación de la zona lesionada, estimular las células para facilitar su supervivencia y forman nuevos vasos sanguíneos que irrigan el tejido, facilitando la auto-reparación del mismo.

#### • PARÁLISIS CEREBRAL Y OTROS DAÑOS CEREBRALES PEDIÁTRICOS

Las células madre expresan factores celulares que pueden ser parcialmente responsables de la reparación funcional del cerebro. Este descubrimiento impulsó la investigación del uso terapéutico de la SCU en diversas enfermedades neurológicas. **Desde 2005, varios cientos de niños alrededor del mundo han recibido el tratamiento experimental con sus propias células madre de cordón umbilical para la Parálisis Cerebral y** desórdenes similares. La mayor parte de estos tratamientos se han realizado como parte de los ensayos clínicos liderados por la Dra. Kurtzberg en la Duke University de Durham, Carolina del Norte (EEUU).

Existe evidencia de que las células madre de la SCU **estimulan las células del tejido lesionado**, mejorando la funcionalidad. También actúan **reduciendo la inflamación** y se ha comprobado que **promueven el crecimiento de nuevos vasos sanguíneos**, mejorando por tanto el aporte de nutrientes a las células.

**Identificadores de los principales ensayos clínicos:**

NCT01147653 - sangre de cordón autóloga en Parálisis Cerebral (EEUU)

NCT01528436 - sangre de cordón autóloga en Parálisis Cerebral (Korea)

NCT00593242 - sangre de cordón autóloga en Encefalopatía Hipóxico-Isquémica (EEUU)

Sevibe con las familias

## Ensayos Clínicos

Más de 400 Ensayos Clínicos abiertos muestran el futuro prometedor para el tratamiento de enfermedades.



Sevibe Cells, Conservación de células madre

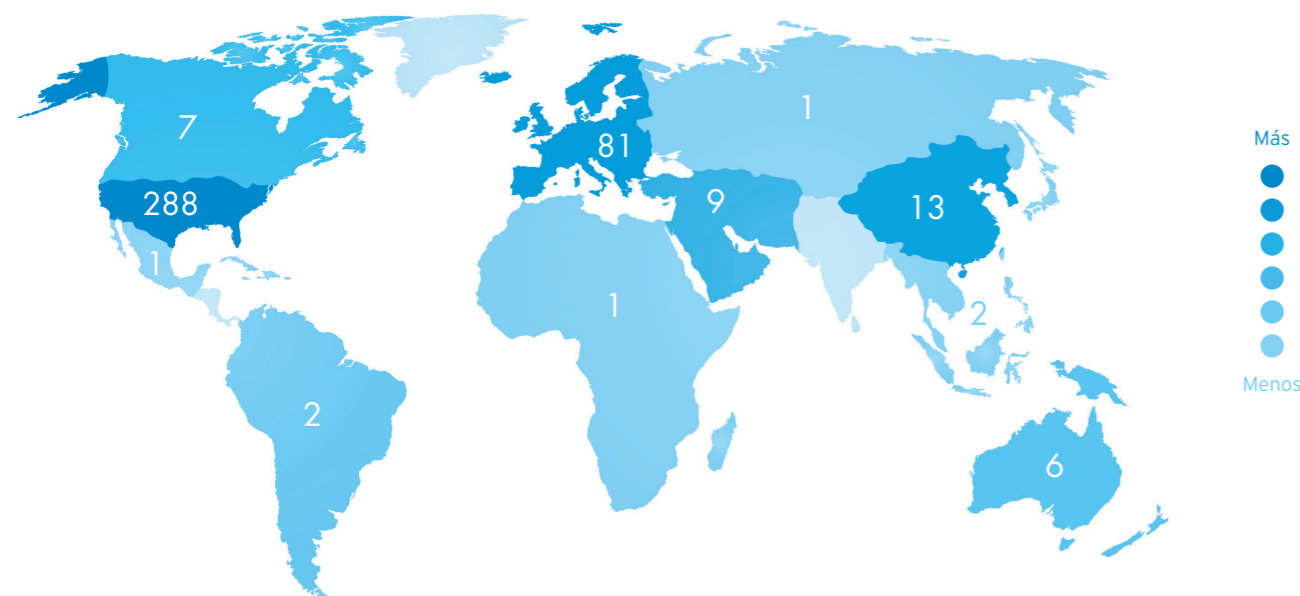
## Principales ensayos clínicos

En los ensayos clínicos se aplican nuevas terapias para las cuales el tratamiento con células madre puede ser beneficioso, pero su uso todavía no ha sido adoptado como terapia estándar. Para algunas de estas enfermedades el trasplante de células madre sólo ralentiza el progreso de la enfermedad pero no produce una cura. Para otras, el trasplante puede ayudar a la curación pero todavía es necesaria una investigación más profunda para determinar las condiciones más eficientes para el tratamiento.

La forma más segura para los pacientes de acceder a estas terapias innovadoras es a través de la participación en un Ensayo Clínico autorizado por las autoridades sanitarias competentes. La conservación del cordón umbilical en un banco familiar permite el acceso de las familias a muchos de estos ensayos clínicos.

Más de 400 ensayos clínicos con células madre desarrollándose en el mundo.

## Ensayos clínicos en el mundo



Los colores indican la cantidad de ensayos por país, de menos a más

## Enfermedad de injerto contra huésped:

La Enfermedad de Injerto Contra Huésped (GvHD) se produce tras un trasplante de células madre en la médula ósea. El sistema inmunológico del donante ataca a las células sanas del paciente receptor. Es la principal complicación de los trasplantes hematopoyéticos.

Las células madre mesenquimales tienen la capacidad de regular la respuesta inmunitaria, disminuyendo el ataque a las células sanas y favoreciendo un correcto injerto de las células madre donadas en la médula ósea del receptor. Por esta razón, las células madre mesenquimales de cordón umbilical se están utilizando en diversos ensayos clínicos para neutralizar los efectos de la Enfermedad de Injerto contra Huésped una vez hecho el trasplante y para prevenirla, co-trasplantándolas junto a las células hematopoyéticas.

Identificador del ensayo: NCT00759018 - ensayo de trasplante de células mesenquimales para GvHD. (También los casos clínicos de PBKM)

## Enfermedades autoinmunes:

Las enfermedades autoinmunes son aquellas en las que el sistema inmunológico se altera y ataca a las células sanas. Dependiendo del tipo de célula o tejido que ataque, los síntomas y evolución de la enfermedad serán distintos.

Las células madre de sangre de cordón y especialmente las mesenquimales, pueden regular y re-equilibrar el sistema inmunológico (inmunomodulación), esta característica les confiere capacidad terapéutica para el tratamiento de las enfermedades autoinmunes.

### • DIABETES DE TIPO 1

Se están desarrollando ensayos clínicos para el tratamiento de la Diabetes infantil **con células madre propias de sangre de cordón umbilical**. Estos ensayos se basan en su **capacidad para detener la destrucción de las células beta pancreáticas productoras de insulina**. En el primero de estos ensayos clínicos, realizado en las universidades de Sao Paulo (Brasil) y Northwestern (EEUU) se trataron 23 pacientes y se les sometió a un seguimiento durante más de dos años. **Los pacientes mejoraron su control glucémico y el 87% de ellos pudo prescindir de la insulina durante al menos un año.**

Identificadores de los principales ensayos clínicos:  
NCT00873925 - trasplante autólogo de SCU en Florida (EEUU)  
NCT00989547 - trasplante autólogo de SCU en München (Alemania)

### • ESCLEROSIS MÚLTIPLE

El uso de estas células se centraría en el desarrollo de una **terapia neuroprotectora** en Esclerosis Múltiple, que permitiría utilizarlas para detener el ataque a las vainas de mielina (gracias a la **capacidad inmunomoduladora** de las células madre) y para facilitar la regeneración del tejido dañado o **remielinización** (gracias a los factores que secretan estas células y a su capacidad para diferenciarse a otros tipos celulares).

En los ensayos clínicos en los que se ha utilizado el trasplante autólogo de células madre para tratar la enfermedad, se han obtenido resultados muy favorables, **deteniendo la progresión de la enfermedad hasta en 3 años en algunos pacientes**. Esto supuso un alto impacto en la calidad de vida de estas personas.

Principal artículo relacionado:  
Haematologica. 2010 February; 95(2): 284-292.  
*Autologous hematopoietic stem cell transplantation for autoimmune diseases: an observational study on 12 years' experience from the European Group for Blood and Marrow Transplantation Working Party on Autoimmune Diseases*  
Dominique Farge, Myriam Labopin, Alan Tyndall, Athanasios Fassas, Gian Luigi Mancardi, Jaap Van Laar, Jian Ouyang, Tomas Kozak, John Moore, Ina Kötter, Virginie Chesnel, Alberto Marmont, Alois Gratwohl, and Riccardo Saccardi

### • ARTRITIS REUMATOIDE

**Las células madre**, especialmente las **mesenquimales**, **tienen capacidad inmunomoduladora y anti-inflamatoria**, característica que se está explotando en los ensayos clínicos para el tratamiento de la artritis. De esta manera se pretende detener la destrucción de cartílago en las articulaciones afectadas, regular el sistema inmunológico alterado y promover la regeneración del tejido afectado.

Identificador del principal ensayo clínico:  
NCT01261403 - trasplante de células madre placentarias (EEUU)