

Cumbre Mundial sobre Células Madre (WSCS por su sigla en inglés) 16 - Día 3 - Aplicación innovadora de la sangre del cordón umbilical y tejidos del parto en medicina regenerativa

Ensayos con células de la sangre del cordón umbilical (SCU) autólogas en Duke

- **Seguridad**
 - SCU críopreservada, 184 pacientes
 - Sun y otros, Transfusión, 2010.
- **Estudio EHI “Babybac”**
 - Fresco, VR, RR, SCU
 - Cotten y otros, J.Peds, 2014
- **Hidrocefalia congénita**
 - Dosis múltiple de SCU autóloga
 - Sun y otros, Investigación Pediátrica, 2015.
- **Síndrome del corazón izquierdo hipoplásico (SCIH) /Oxigenación por membrana extracorpórea (OMEC)**
 - Fresco y críopreservado
- **Parálisis cerebral**
 - Críopreservado
- **Autismo**
 - Críopreservado
 - Estudio de búsqueda en curso sobre la seguridad / criterio de valoración en 25 pacientes

Cumbre Mundial sobre Células Madre (WSCS por su sigla en inglés) 16 - Día 3 - Aplicación innovadora de la sangre del cordón umbilical y tejidos del parto en medicina regenerativa

Terapias Derivadas del Cordón Alogénico

En curso:

DUOC-01

Apoplejía aguda en adultos

Incompatible con el Antígeno Leucocitario Humano (HLA por su sigla en inglés)

Compatible con grupo sanguíneo /Rh

3 sitios

10 pacientes tratados

Hermanos con parálisis cerebral

15 pacientes tratados

Planificados:

Mejor donante - Autismo Fase II

Parálisis Cerebral Alogénica Fase II

Tejido del cordón que contiene células madre mesenquimales (MSC por su sigla en inglés) - Autismo Fase II

MCS vs. Sangre del Cordón - Autismo Fase II

Cumbre Mundial sobre Células Madre (WCS por su sigla en inglés) 16 - Día 3 - Aplicación innovadora de la sangre del cordón umbilical y tejidos del parto en medicina regenerativa

Cordón Autólogo para Parálisis Cerebral - Resumen del Estudio

Estudio prospectivo, doble ciego, aleatorizado, controlado con placebo, de sangre del cordón autólogo en niños pequeños con parálisis cerebral

- 63 pacientes
- Edades 1 a 6 años
- Unidad apta de sangre de cordón autólogo
 - 16 bancos
- Parálisis cerebral espástica, Sistema de Clasificación de la Función Motriz Gruesa (GMFCS por su sigla en inglés) niveles I - IV
- Diseño cruzado, controlado con placebo, aleatorizado
 - Placebo = TC199 + 1% DMSO
- Conclusión primaria: modificación en el puntaje de Medición de la Función Motriz Gruesa (GMFM por su sigla en inglés)
- Seguimiento al año y a los dos años

Cumbre Mundial sobre Células Madre (WSCS por su sigla en inglés) 16 - Día 3 - Aplicación innovadora de la sangre del cordón umbilical y tejidos del parto en medicina regenerativa

Conclusiones

- Las infusiones de SCU autólogo en pacientes con parálisis cerebral son seguras y viables.
- Se desarrollaron las especificaciones para la aptitud de las unidades.
- Los niños que recibieron dosis de cordón umbilical ≥ 25 millones de células/kg tuvieron una respuesta positiva ($p= 0,0007$) en la conclusión primaria (modificación del puntaje GMFM).
- Este resultado no recibió el impacto de la edad del paciente en el tratamiento (1 a 6 años); o severidad de la parálisis cerebral.
- Teniendo en cuenta que muchos niños no tendrán una Unidad de Sangre del Cordón autólogo, se necesita un enfoque alogénico.
- Se demostró la seguridad en 15 niños que recibieron SCU de hermanos.

Planificado: ensayo de SCU alogénico, controlado con placebo, Fase II

PC Parálisis Cerebral
CA Estudio de la Sangre
de Cordón Autólogo

Cumbre Mundial sobre Células Madre (WSCS por su sigla en inglés) 16 - Día 3 - Aplicación innovadora de la sangre del cordón umbilical y tejidos del parto en medicina regenerativa

En resumen

- Las terapias con sangre del cordón muestran resultados promisorios para el tratamiento de enfermedades para las que no se dispone de terapias en la actualidad.
- Los resultados que utilizaron células autólogas en bebés y niños con EHI, Parálisis Cerebral y Autismo revelan eficacia.
- Se ha demostrado la seguridad de las células alogénicas.
- Se han comenzado estudios de eficacia con células alogénicas.
- Las regulaciones de las células autólogas y alogénicas necesita mayor definición.

Cumbre Mundial sobre Células Madre (WCSM por su sigla en inglés) 16 - Día 3 - Aplicación innovadora de la sangre del cordón umbilical y tejidos del parto en medicina regenerativa

En resumen...

- Los tejidos provenientes del parto se están desarrollando en datos preclínicos y ensayos clínicos.
- Se están investigando los tejidos del parto y los estudios como aplicación disponible para la venta.
- Las células tienen potencial en relación con la plasticidad y el control de las células (es decir, no teratomas).
- Se están evaluando células, tejidos, citocinas y exosomas para un futuro desarrollo terapéutico.
- La consulta con su autoridad regulatoria es importante para un camino eficaz hacia la tarea clínica.

Fundación Medicina Regenerativa

WSCS16 - Día 4 Terapia Celular - Perspectiva industrial y proceso biológico de las células madre en el Instituto Nacional de Salud (NIH por su sigla en inglés)

“Medicina basada en células que busca dirigir la disfunción orgánica o nivel celular reemplazando o apoyando las células que se están muriendo o aquellas disfuncionales con células saludables como agente terapéutico.”