



Las células madre y su uso en seres humanos.

Recientemente, la opinión pública en Costa Rica se ha expuesto al tema del uso de células madre para tratar diferentes enfermedades. La discusión está matizada por los relatos de pacientes que han recibido este tipo de tratamiento para esclerosis múltiple, lesiones por trauma de la médula espinal, autismo y parálisis infantil entre otras. A la polémica contribuye el cierre ordenado por el Ministerio de Salud de un Instituto que daba tratamiento a nacionales y extranjeros, con este tipo de terapia, y la presencia en el país de dos bancos de células de cordón umbilical que ofrecen la posibilidad de guardar cordón umbilical al nacimiento para futuros tratamientos. La falta de información adecuada impide que los costarricenses desarrollen una opinión informada y basada en evidencia sobre esta nueva tecnología y se ven inducidos a buscar y utilizar tratamientos sin respaldo científico.

La célula madre existe en todos los seres humanos como el origen de todas las células que circulan en la sangre y como un componente del sistema de regeneración que tienen los diferentes órganos y tejidos. Las células madre son las que tienen la habilidad de dividirse y diferenciarse en células especializadas y pueden residir en diferentes tejidos y órganos y tener diferentes fases de diferenciación. Las células madre pueden ser de varios tipos: embrionarias, adultas, de cordón umbilical (o intermedio) y adultas reprogramadas. Las embrionarias son las que se obtienen de los embriones sobrantes de la fertilización *in vitro* y existen grandes impedimentos éticos para su uso. Las células madre adultas, que se pueden encontrar en diferentes tejidos como la médula ósea, la sangre periférica, la grasa, la piel y otros, se pueden obtener en forma relativamente fácil y en buena cantidad con mínimo riesgo en su obtención, permitiendo la formación de bancos de donantes. Las células de cordón son fáciles de obtener y tienen un riesgo mínimo, pero sus cantidades son escasas y muchas veces se necesita más de un donador para tratar un paciente adulto; el tiempo de preservación de las mismas es desconocido, y los bancos de sangre de cordón públicos no son para uso por sus donadores sino para uso en pacientes que las necesiten para tratamiento de enfermedades de la sangre.

Por esta razón, es que se habla de células madres embrionarias y adultas que pueden ser hematopoyéticas, neuronales, epidérmicas, retinianas, intestinales o mesenquimatosas. Las células madre hematopoyéticas son las que se utilizan en los trasplantes de médula ósea para reconstruir la producción de células de la sangre en enfermedades como leucemias e inmunodeficiencias. Las células madre mesenquimatosas responden al daño local en órganos y tejidos con división y diferenciación en células del hueso, cartílago, músculo y grasa. Recientemente se ha demostrado que es posible también reprogramar células diferenciadas y obtener células madre pluripotenciales inducidas.

Toda la investigación y desarrollo tecnológico relacionados con las células madre, hacen pensar que en el futuro se va a dar una revolución en el tratamiento de muchas de las enfermedades que afectan al ser humano. Sin embargo, hay una serie de eventos que se deben dar para aplicar la tecnología derivada de este conocimiento al ser humano. La investigación de laboratorio se debe traducir en aplicaciones terapéuticas. El traductor de este proceso es el estudio de investigación clínica, que es el instrumento que permite probar que el uso de células madre en el

tratamiento de alguna enfermedad es seguro –no produce daños al paciente a corto y largo plazo-, es eficaz –produce una mejoría en los síntomas o calidad de vida al compararlo con el tratamiento estándar- y no compromete la ética del ejercicio de la medicina ni de la investigación. El paciente que participa de un estudio de investigación clínica es adecuadamente informado de los riesgos conocidos y de los beneficios de la investigación y da su consentimiento informado para participar y lo hace en forma gratuita. El acto médico permite a los médicos ofrecer y aplicar a sus pacientes tratamientos que se han demostrado que cumplen con los tres requisitos anotados y en los que los beneficios para el paciente superan los riesgos derivados del uso de una terapia. No permite, sin embargo, aplicar terapias que no han sido demostradas seguras y eficaces por estudios clínicos adecuados.

El uso de células madre hematopoyéticas, obtenidas de la médula ósea, de cordón umbilical o inducido en sangre periférica, para tratar pacientes con enfermedades de la sangre, metabólicas o del sistema inmune, es una indicación demostrada con gran beneficio terapéutico. Es un procedimiento que se ha traducido correctamente de los resultados en el laboratorio al paciente, por estudios de investigación clínica, que ha demostrado que los pacientes tratados se curan y que el beneficio supera en mucho a los riesgos. Esta terapia se aplica además utilizando un protocolo de tratamiento que identifica el tipo de célula que se va a utilizar y que contiene las dosis, los medicamentos y los procedimientos que se han demostrado por estudios clínicos como efectivos y seguros para tratar la enfermedad que aqueja al paciente.

El uso de células madre adultas en reconstitución de tejidos en casos de enfermedades neurológicas (esclerosis múltiple, lesiones traumáticas de la médula espinal, autismo o parálisis cerebral infantil), lesiones isquémicas de corazón o Síndrome de Down entre otras, no ha completado la fase de investigación clínica y no tiene evidencia de que pueda utilizarse como terapia en los seres humanos. Las iniciativas en Costa Rica de estos tipos de tratamiento deben plantearse

al paciente como estudios de investigación clínica y deben cumplir con toda la normativa que el país exige para la investigación en seres humanos. Usualmente estos procedimientos, sin la calidad necesaria, se ofrecen a una población que es muy vulnerable a utilizar tratamientos que ofrecen una cura aunque no tengan el contenido de información por investigación que demuestra su eficacia y seguridad.

La discusión de este tema dentro de la Academia Nacional de Medicina nos ha permitido concluir que el uso de células madre adultas en el tratamiento de enfermedades diferentes a las tratadas con células madre hematopoyéticas, es una promesa de terapia que requiere que se completen los estudios de investigación en seres humanos y que no debe ser ofrecida a pacientes como un tratamiento sino como un protocolo de investigación clínica, en el cual la participación sea gratuita. El Ministerio de Salud ha procedido en forma responsable al evitar que se apliquen células madre, en instituciones del país, en indicaciones para las que no se cuenta con los estudios clínicos de investigación que demuestran su eficacia y seguridad en seres humanos. Estas decisiones van encaminadas a sacar a Costa Rica del grupo de países con regulaciones médicas y de investigación permisivas. Es importante recomendar a los pacientes que deben informarse adecuadamente y consultar a sus médicos sobre los tratamientos y procedimientos que se les ofrecen y que deben tener claro cuando la oferta es participar en un estudio de investigación clínica, cuando se les ofrece una terapia demostrada como eficaz y segura para la enfermedad que padecen y cuando la oferta es una innovación médica no probada.

Opinión de la Academia Nacional de Medicina de Costa Rica

Dr. Carlos Arrea B, presidente ACANAMED

Dr. Oscar Porras (PhD)

Dra. María Paz León-Bratti (PhD)

Miembros de Número ACANAMED