

ÖSSEJTEK AZ ORVOSI KUTATÁSBAN ÉS TERÁPIÁBAN*

Sarkadi Balázs

az MTA levelező tagja, az EMA–CAT magyar tagja,
Országos Vérellátó Szolgálat, MTA–Semmelweis Egyetem
Membránbiológiai Kutatócsoport
sarkadi@biomembrane.hu

A Magyar Tudományos Akadémia Biológiai és Orvosi Osztályának védnökségével és az elnökség kiemelt támogatásával jött létre ez az angol nyelvű nemzetközi konferencia, amely az MTA székházában, a Díszteremben került megrendezésre. A konferencia különleges lehetőségét az adta, hogy az előző napokban a magyar EU- elnökség keretében Budapesten ülésezett az Európai Gyógyszerügynökség (EMA) Fejlett Terápiás Bizottsága (CAT), amely európai szinten felelős a sejt- és génterápiás készítmények engedélyezéséért. A 2009 eleje óta érvényes szabályozás értelmében valamennyi EU-országban ilyen készítmények csak központilag engedélyezhetőek, így a hatékonyság és a minőség biztosítása kiemelt szintre került. A konferencia időszerűségét bizonyította, hogy *az etikai viták keresztüztizében álló őssejtkutatások és -kezelések ígéretes lehetőséget hordoznak a ma még gyógyíthatatlan betegségek leküzdésében, de csak a további vizsgálatok vezethetnek szélesebb körű sikerekhez.*

A konferenciát Pálinkás József, az MTA elnöke nyitotta meg, aki hangsúlyozta, hogy mivel az őssejtkezelések nagy ígéretekkel ke-

csegtetnek, mind a kapcsolódó kutató-, mind az orvosi munka a nyilvánosság érdeklődésének középpontjában áll. Ez a fokozott figyelem azonban még nagyobb felelősséget kíván az őssejtkutatásokban részt vevő szakemberektől. Így ők felelősséggel tartoznak a kutatósaik, a munkatársaik, de mindenekelőtt az ebben a munkában bízó, gyógyulást kereső embertársaik iránt is. Az is látszik, hogy az emberekben olyan magas elvárások élnek az őssejtkezelésekkel kapcsolatban, amelyeket a tudomány a mai helyzetben még nem tud teljesíteni. Így csak a mélyreható kutatómunka fedheti fel a lehetőségek pontos határait, ugyanakkor a nyilvánosság számára szükséges, hogy az őssejtkutatások fontosságát és az azokra épülő gyógyítás jelenlegi korlátait a laikusok is megismerhessék.

A konferencia szakmai nyitóelőadását *Christian Schneider*, az Európai Gyógyszerügynökség Fejlett Terápiákkal Foglalkozó Bizottságának (CAT) elnöke tartotta. Mint elmondta, a CAT lassan két és fél éves működése azzal indult, hogy a megfelelő szakmai fogalmak, eljárások, módszertani bizonytalanságok tisztázásra kerüljenek, de még ma is jelentős kihívást okoz a megfelelő elbírálás ezekben az újonnan kifejlesztett terápiás be-

* Az MTA védnökségével 2011. június 1-jén rendezett nemzetközi tudományos konferencia.

avatkozásokban. Kizárólag a kutatások eredményei alapján dönthető el, mi a valóság és mi a tudományos fantasztikum, de ami orvosi alkalmazásra kerül, abban legfontosabb a rizikóalapú elbírálás. Így érhető el, hogy egy-egy fejlett terápiás termék minél több hasznot, és kevesebb káros mellékhatást okozzon.

A szakemberek egybehangzó véleménye szerint az össejterápiával kapcsolatban ma még sok a megválaszolatlan kérdés. Az élő sejt rendkívül összetett és bonyolult rendszer, amelynek korántsem értjük minden részletét – hangsúlyozta Christian Schneider, hozzátéve, hogy a természetes környezetéből kiemelt sejteknek megváltozik a viselkedésük. Bár az össejtek elvileg bármilyen sejtípussá átalakulhatnak, úgy tűnik, a folyamatot befolyásolhatja, hogy eredetileg milyen szövetből származnak, továbbá előfordulhat az is, hogy a már differenciálódott össejtek visszaalakulnak, illetve az immunrendszer megtámadhatja, és elpusztíthatja ezeket. Sok munka és kutatás kell még ahhoz, hogy kiderüljön, valóban megtaláltuk-e az orvoslás Szent Grálját – vélekedett Christian Schneider.

Az előadó külön is felhívta a figyelmet az ún. össejturizmus veszélyes jelenségére. A világ számos, kevésbé ellenőrzött területén egyre több olyan klinika nyílik, ahol pontosabban nem ismert össejtkészítményeket alkalmaznak megfelelően nem dokumentált, bizonyítatlan eredményű kezelésekben. Bár súlyos betegségben szenvedők ezrei indulnak ilyen távoli klinikákra, az ilyen vállalkozások többsége csupán álmokat árul a gyógyulást keresőknek.

Ezt a témát folytatta előadásában *Alastair Kent*, az EMA–CAT betegszervezeteket képviselő tagja. Sok ígéret, és egyelőre viszonylag kevés eredmény, így jellemezte az össejtkezelések jelenlegi helyzetét. Elmondta, hogy az

össejterápiához forduló betegek gyakran nem kapnak hiteles szakmai útmutatást, így nem tudják, mire számítsanak. A kétségbeesett ember akár már néhány perces internetes keresés során is számos fantasztikus ígérettel és csodakúrával találkozhat. Igen fontosnak tartja a páciensek és családtagjaik egészséges kritikai érzékének erősítését, éppen az orvosok segítségével. A betegszervezetek azt szeretnék elérni, hogy a páciensek felismerjék, ha valami túl jól hangzik ahhoz, hogy igaz legyen. Ha meg akarjuk őrizni az össejtkutatás és a gyógyítás iránti társadalmi bizalmat, keményen és határozottan fel kell lépniünk a csupán üzleti hasznon alapuló csodamódszerek és azok terjesztőivel szemben – figyelmeztetett Alastair Kent.

A következő előadások a szakmai és társadalmi kihívások után éppen az új kutatási lehetőségeket mutatták be, gyakran lélegzetelállító eredmények ismertetésével. Dinnyés András az akadémiai-egyetemi kutatás és a kisvállalkozói fejlesztések nehézségei után a pluripotens össejtek világába kalauzolta a hallgatókat. Bemutatta a „mindenre képes” össejtek legújabb előállítási lehetőségeit, az indukált pluripotens össejtek változatos formáit. Ma már hazánkban is lehetőség ezeknek a bőrsejtekből vagy egyéb felnőtt szöveti sejtekből előállított össejteknek a tenyésztése vagy akár célzott differenciációja. Az egyébként nem újraképződő szöveink közül így a szívizomsejtek, de akár az idegsejtek is előállíthatók laboratóriumi körülmények között. Persze innen még igen hosszú az út a gyakorlati, gyógyító alkalmazáshoz.

Izsvák Zsuzsanna előadása igazi példája volt annak, hogyan lehet közérthetően elmondani és bemutatni a molekuláris sejtbiológia legújabb eredményeit is. Férjével, Ivics Zoltánnal mintegy tizenöt éve ők fedezték fel,

hogy emlős, de akár emberi sejtek esetében is alkalmazható eredményes génbevitelre a halakból újjáélesztett „Csipkerózsika” (*Sleeping Beauty*) transzpozon rendszer, amely a kívánt génszakaszt bejuttatja a sejtek genomális DNS-ébe. Ez a rendszer a génterápia egyik ígéretes lehetőségét adja, de ezen kívül a sejtek genetikai módosításának egész tárházát nyitja meg. A sok ábrával illusztrált nagyszerű előadás a transzpozon rendszer legújabb, már klinikai jellegű kísérleti alkalmazására is kitért.

Az előadásokat követő panel megbeszélés témái a szakemberek, de a laikusok számára is igazán izgalmasak voltak, hiszen elsősorban a szabályozás vagy nem szabályozás kérdéseiről folyt a vita. *Paula Salmikangas*, a finn CAT-alelnök a bizottság gyakorlati problémáit mutatta be a betegeket védő szigorúság, de az új terápiás támogatásának határán. *Egbert Flory* elmondta, hogy egy német „össejt-klinikát” épp a konferencia előtt záratott be a szakhatóság, mert bizonyítatlannak látta, hogy a korábban engedélyezett beavatkozások bármi hasznot hoznának, viszont egy régebbi engedély alapján új és új, egyre kevésbé megvizsgált módszereket kezdtek alkalmazni. *Aszteriosz Ciftszoglu* (*Asterios Tsiftoglou*) görög CAT-tag annak szükségességét hangsúlyozta, hogy a szervezetbe beadott össejtek követése, beépülésük vagy helyi hatásaik ellenőrzése fontos következő lépése a gyógyító beavatkozások előkészítésének. *Thierry Vanden Driessche* a pluripotens össejtek esetleges alkalmazási lehetőségeiről és egyben jelentős kérdéseiről szól.

Végül a panel tagjaként *Masszi Tamás* transzplantációs főorvos hatalmas követ dobott a már lenyugodni látszó vizekbe: azt a

véleményét fejtette ki, hogy a szigorú szabályozásnál nincs veszélyesebb az orvostudomány fejlődésében! Ha harminc-negyven évvel ez előtt már ilyen szabályozás élt volna, soha nem jutottunk volna el a csontvelői, vérképző össejtek sikeres alkalmazásához. Az, hogy ma a világban évente több tízezer daganatos vagy immunhiányos beteg életét menti meg a vérképző-össejtek átültetése, azoknak a korai klinikai kísérleteknek köszönhető, amelyek még csak kevés esetben jártak sikerrel, és minimális sejtbioológiai háttérrel indultak el. Tanulságos hozzászólás volt ez az esetleg elbizakodó, keményen beavatkozó „regulátorok” számára is. A vita jól megmutatta a téma időszerűségét, az össejtgyógyítás igazi forrongó helyzetét.

A konferencia szervezését és helyszíni moderálását *Rajnavölgyi Éva* professzorral ketten vállaltuk, az MTA ingyenesen biztosította a teremhasználatot, néhány lelkes támogató a cégek világból adta hozzá a további, viszonylag szerény rendezési költségeket. Bár utazási vagy szállástámogatást senkinek nem tudtunk biztosítani, a fentiekből is kitűnik, hogy kiemelkedő külföldi és hazai előadók tették magas színvonalúvá a konferenciát. A megrendezés és lebonyolítás alapját persze igazából az önkéntes közreműködők, PhD-hallgatók és fiatal kutatók, valamint *Andrási Zsuzsanna* és *Baki Katalin* lelkes munkája adta meg. Köszönjük valamennyi résztvevőnek és támogatónak, hogy ez a tudományosan és a gyakorlat szempontjából is értékes konferencia létrejöhett.

Kulcsszavak: *össejtkutatás, helyreállító orvoslás, össejtturizmus, génterápia, pluripotens össejtek, vérképző össejtek, szöveti össejtek*

A LIFEWATCH BIODIVERZITÁS- KUTATÁSI INFRASTRUKTÚRA-HÁLÓZAT HAZAI KIÉPÍTÉSÉNEK LEHETŐSÉGEI

Török Katalin

Dr. habil., tudományos főmunkatárs,
MTA Ökológiai és Botanikai Kutatóintézet
kati@botanika.hu

Bevezetés

Amikor kutatási infrastruktúrákról beszélünk, legtöbbször nagyműszerekre vagy jól felszerelt laboratóriumokra gondolunk. Létezik azonban olyan törekvés, mely a különböző országokban, intézményekben hosszú évek alatt felhalmozott tudásnak, adatoknak a megosztását célozza, ún. hálózatos kutatási infrastruktúrák formájában. Az utóbbi évtized kiemelkedő kutatási eredményeit megalapozó programok, mint például a Mars Rover, a Cassini, a Large Hadron Collider, a klímaváltozás előrejelzése (az IPCC koordinálásával) és a tengeri biodiverzitást kutató program (Census of Marine Life) mind nemzetközi tudáshálózaton alapulnak. Ilyen az a kezdeményezés is, mely az európai nagyberendezésekkel foglalkozó kutatási infrastruktúra útiterv (ESFRI Roadmap [URL1]) részeként a biológiai sokféleséggel (biodiverzitással) összefüggő információ és tudás mobilizálását célozza. A LifeWatch program olyan európai elektronikus tudás és technológiai infrastruktúra kialakítását célozza, amely összeilleszti a gyűjteményekből, tengeri és szárazföldi monitorozó helyekről és más forrásokból

származó biodiverzitás-adatokat a modellező eszközökkel és virtuális laboratóriumokkal. Az élőhelyek és fajok adatainak jelenlegi elérhetősége ugyanis erősen korlátozott, valamint az adatsorokban időbeli és térbeli hiányosságok vannak, ami gátja a nagy léptékű elemzéseknek, modellezéseknek.

A LifeWatch kutatási infrastruktúra (KI) kialakítását egy 7. Keretprogram projekt készítette elő (URL2), mely 2011. január végén zárult, és eredményeképpen elkészült az infrastruktúra kiépítésének részletes terve. A kiépítés, ahogy más hálózatos infrastruktúráknál is, egy legalább három ország elkötelezettségével aláírandó konzorciumi szerződéssel (*European Research Infrastructure Consortium – ERIC [URL3]*) kezdődhet meg, mely megadja a hálózatos működéshez a jogi kereteket. A LifeWatch ERIC még nem került aláírásra, a kiépítés előkészítésének folyamatosságát azonban egy ún. *start-up* kezdeményezés szolgálja. Ebben öt ország, köztük Magyarország is, korlátozott pénzügyi kerettel, megkezdik a rendszer kiépítését. Ezzel párhuzamosan, a hazai kutatási infrastruktúra fejlesztésének stratégiáját kialakító NEKIFUT-program regiszterébe a biológiai sokféleséggel kapcso-