

## NÖRODEJENERATİF HASTALIKLARDA KÖK HÜCRE TEDAVİSİ

Zeynep YILMAZ<sup>1</sup>

Olca ÜNVER<sup>2</sup>

### GİRİŞ

Nörodejeneratif hastalıklar nöronların sayı ve işlevinin progresif kaybı ile karakterize hastalıklardır. Ne yazık ki şu anda mevcut olan tedavi seçenekleri nörodejeneratif süreçlerin durdurulmasında yetersiz kalmaktadır. Aynı zamanda nörodejeneratif bozukluklara yönelik başarılı iyileştirici tedavilerin olmayışı yüksek bir ekonomik yüke yol açmaktadır. Geçtiğimiz 20 yılda, kök hücre tedavisi olarak da bilinen rejeneratif hücre terapisi, nörodejeneratif hastalıkların tedavisine yönelik potansiyel olarak güçlü yenilikçi stratejileri araştırmak için mükemmel bir fırsat sağladı.<sup>1</sup>

Kök hücreler kendini yenileme yetenekleri olan multiple hücre soyuna farklılaşma özelliği gösterebilen hücrelerdir. Kendi kendine yenilenme (self renewal), klon oluşturabilme (cloning), çoğalma (proliferasyon) ve farklılaşma (diferansiyasyon) özelliklerine sahip hücrelerdir.

Normal vücut hücreleri sınırlı sayıda çoğalma veya hiç çoğalamama özelliği gösterirken kök hücreler neredeyse sonsuza kadar bölünme ve çoğalma yeteneğine sahiptirler. Normal vücut hücreleri bir görevi yapmak için özelleşmişlerdir; kök hücreler ise henüz farklılaşmamışlardır. Bunun

yanında normal vücut hücreleri bir başka hücre tipine dönüşmezken kök hücreler özelleşmiş hücrelere dönüşebilirler.

Kök hücre tedavileri, nörodejeneratif hastalıklar için bir tedavi seçeneği olarak önerilmiştir, ancak en iyi kök hücre kaynağı ve nörodejenerasyon için terapötik etkinlik belirsizliğini korumaktadır. Nöral hücreleri verimli bir şekilde üretebilen embriyonik kök hücreler ve nöral kök hücreler iyi adaylar olabilir ancak etik ve pratik sorunlar mevcuttur. kök hücre tedavisinden sonra immünrejeksiyon ve teratom gelişimi gibi durumlar da bildirilmiştir. Nörodejeneratif hastalıkların tedavisinde kök hücrenin kullanılmasındaki amaç hasar görmüş hücrelerin yerine yenisini kazandırarak mevcut hasarın önlenmesi ve fonksiyonunun geri kazandırılmasıdır. Bu hücrelerin insan kaynaklı olmaları önerilmektedir.

Nörodejeneratif hastalıklarda hastalığın erken döneminde yapılan allojenik hematopoetik kök hücre nakli ile morbiditede azalma, yaşam kalitesinde düzelleme ve yaşam süresinde uzama olduğu gösterilmiştir. Bununla birlikte, kök hücre naklinde kullanılan hazırlık rejimleri ve immünolojik reaksiyonlar nedeniyle işlemin morbidite ve mortalitesi çok yüksektir. HLA tam uyumlu

<sup>1</sup> Dr., Marmara Üniversitesi Pendik Eğitim ve Araştırma Hastanesi, ORCID iD: 0000-0002-2679-0501

<sup>2</sup> Doç. Dr., Marmara Üniversitesi, Tıp Fakültesi, Dahili Tıp Bilimleri Bölümü, Çocuk Sağlığı ve Hastalıkları AD., olcaymd@hotmail.com, ORCID iD: 0000-0003-3035-7433

## KAYNAKLAR

1. Sivandzade F, Cucullo L. Regenerative Stem Cell Therapy for Neurodegenerative Diseases: An Overview. *Int J Mol Sci.* 2021 Feb 22;22(4):2153. doi: 10.3390/ijms22042153. PMID: 33671500; PMCID: PMC7926761.
2. Kruer MC, Pearce DA, Orchard PJ, Steiner RD. Prospects for stem cell therapy in neuronal ceroid lipofuscinosis. *Regen Med.* 2013 Sep;8(5):527-9. doi: 10.2217/rme.13.46. PMID: 23998746; PMCID: PMC4421893.
3. Hawkins-Salsbury JA, Cooper JD, Sands MS. Pathogenesis and therapies for infantile neuronal ceroid lipofuscinosis (infantile CLN1 disease). *Biochim Biophys Acta.* 2013 Nov;1832(11):1906-9. doi: 10.1016/j.bbadis.2013.05.026. Epub 2013 Jun 6. PMID: 23747979; PMCID: PMC4573397.
4. Lin G, Tepe B, McGrane G, Tipon RC, Croft G, Panwala L, Hope A, Liang AJH, Zuo Z, Byeon SK, Wang L, Pandey A, Bellen HJ. Exploring therapeutic strategies for infantile neuronal axonal dystrophy (INAD/PARK14). *Elife.* 2023 Jan 16;12:e82555. doi: 10.7554/eLife.82555. PMID: 36645408; PMCID: PMC9889087.
5. Eichler F, Duncan C, Musolino PL, Orchard PJ, De Oliveira S, Thrasher AJ, Armant M, Dansereau C, Lund TC, Miller WP, Raymond GV, Sankar R, Shah AJ, Sevin C, Gaspar HB, Gissen P, Amartino H, Bratkovic D, Smith NJC, Paker AM, Shamir E, O'Meara T, Davidson D, Aubourg P, Williams DA. Hematopoietic Stem-Cell Gene Therapy for Cerebral Adrenoleukodystrophy. *N Engl J Med.* 2017 Oct 26;377(17):1630-1638. doi: 10.1056/NEJMoa1700554. Epub 2017 Oct 4. PMID: 28976817; PMCID: PMC5708849.
6. Sivandzade F, Cucullo L. Regenerative Stem Cell Therapy for Neurodegenerative Diseases: An Overview. *Int J Mol Sci.* 2021 Feb 22;22(4):2153. doi: 10.3390/ijms22042153. PMID: 33671500; PMCID: PMC7926761.