

Raeka Aiyar, PhD, Symposium Moderator

Stamcellen en de toekomst van de geneeskunde.

https://youtu.be/r6bPlo7I_YQ

OK, er zijn wat emotionele speeches geweest. Ik was daar niet helemaal klaar voor. Ik ben erg blij dat ik hier weer ben, bij deze geweldige bijeenkomst. Ik ben Ron dankbaar dat hij me heeft uitgenodigd om terug te komen. [Kunnen jullie dit niet horen? Sorry.] [OK, ja, ik zal wat harder praten.] Sorry, ik ben wat emotioneel na het horen van de speeches van deze ochtend. Ik ben Ron en de rest van de gemeenschap erg dankbaar dat ik hier weer terug mocht komen. Ik ben erg enthousiast dat ik hier ben. Het was een erg inspirerende bijeenkomst vorig jaar. En vorig jaar rond deze tijd werkte ik, zoals hij [Ron] al zei, met hem op Stanford en met dit geweldige team. En ik wil u graag wat vertellen vandaag - voor we van wal steken met lezingen die op ME/CVS gefocust zijn - waar ik me sinds die tijd mee bezig heb gehouden. Omdat ik niet alleen maar weggekaapt was. Ik werd aangetrokken tot een ander erg interessant onderzoeksdomein dat denk ik enorme implicaties zal hebben voor onderzoek naar ziekten, inclusief voor ME/CVS. En ik kijk ernaar uit om u daar vandaag over te vertellen. Ik werk nu op het gebied van stamcel- onderzoek, wat volgens mij de potentie heeft om de manier waarop we onderzoek doen en ziekten behandelen absoluut te transformeren, op eenzelfde manier als we genomica onderzoek hebben zien transformeren. En dat was iets waar ik aan mocht deelnemen tijdens mijn vroege carrière als onderzoeker, mijn doctoraat, en natuurlijk in Ron's lab als een van de voortrekkers daarvan. Ik denk dat stamcelonderzoek op het punt staat hetzelfde te gaan doen. Het is nog te vroeg om er echt wat over te kunnen zeggen, maar het is erg boeiend. Ik wil dat enthousiasme en potentieel met u delen. Op dit moment werk ik bij de New York Stem Cell Foundation. We zijn een non-profit stichting. Wij zijn een organisatie voor patiëntenbehartiging. Onze CEO is de moeder van een patiënt, net zoals bij de OMF het geval is. En zoals bij veel organisaties die ME/CVS steunen. En onze missie is om een genezing van de belangrijke ziektes van onze tijd te versnellen door middel van stamcelonderzoek. We kunnen dit op verschillende manieren doen. De eerste is dat we een

wereldwijde gemeenschap van innovators hebben die we over de hele wereld financieren. Dit omvat onderzoekers die aan het begin van hun carrière staan in stamcel- en neurowetenschappelijk onderzoek. Het is een geweldige gemeenschap. We laten ze elk jaar samenkomen, ongeveer hetzelfde als wat we hier doen, en proberen om samenwerking en het uitwisselen van ideeën te promoten. Er is ook een enorme focus op hulpverlening via onze conferenties en symposia. Wij houden ook een jaarlijkse conferentie met ongeveer 500 mensen. We hebben veel evenementen die allemaal bedoeld zijn om patiënten te informeren over verschillende ziekten waar we onderzoek naar doen, en hoe stamcelonderzoek hen kan helpen. En tot slot hebben we een Onderzoeksinstituut, waar we ons onderzoek in-house doen. Dus het is een enigszins uniek model. Ik was daar erg tot aangetrokken omdat het een kans is voor zowel onderwijs als hulpverlening, iets waar ik enorm van ben gaan houden door mijn werk binnen de ME/CVS gemeenschap, en omdat ik deel kan nemen aan baanbrekend onderzoek binnen dit nieuwe gebied van stamcelonderzoek. We hebben ook deze samenwerkingen over de hele wereld. Ik hoop dat ik daar ook een aantal van kan opzetten binnen deze gemeenschap nu ik hier ben om stamcelonderzoek te promoten, en het vinden van een geneesmiddel echt te versnellen.

Wat onderzoeken we bij de New York Stem Cell Foundation ? We doen veel verschillende gebieden, inclusief botregeneratie, kanker. We hebben suikerziekte, wat een van de originele programma's voor auto-immuun onderzoek was. We hebben ook een programma voor maculadegeneratie om het zicht van patiënten met leeftijd gerelateerde maculadegeneratie te herstellen. Onze hoofdfocus ligt op neurologische aandoeningen, en dat is met name erg boeiend voor mij omdat ik hoop dat er een aantal lessen zullen zijn die we ook kunnen toepassen vooral op ziekten zoals multiple sclerose, tot ME/CVS. Maar we werken ook aan andere neurodegeneratieve aandoeningen, zoals Parkinsons en Alzheimers evenals neuro-psychiatrische aandoeningen. Het is dus een heel breed aantal ziekten die je beter kan bestuderen met stamcelonderzoek. Ik realiseer me dat niet iedereen zal weten wat ik bedoel met stamcelonderzoek, omdat er veel dingen zijn die mensen bedoelen als ze dat zeggen, dus ik wil jullie een korte video laten zien om uit te leggen waarom we dit zo boeiend vinden. Stamcellen zijn de superhelden van het cellulaire universum. Ze zijn de enige cellen in het menselijk lichaam met het vermogen om te veranderen in meer dan 200 celtypen, inclusief hart, hersenen, ruggenmerg, nier, lever, ogen, huid en meer. Stamcellen hebben ook het vermogen om oneindig te regenereren, zodat ze deze hele ruimte waarin

we nu zitten kunnen vullen. Deze cellen zijn uniek in hun kracht omdat ze ons in staat stellen om drie dingen te doen die we nooit eerder konden doen. Ten eerste, door de stamcellen van patiënten te bestuderen, kunnen we zien hoe deze cellen beschadigd raken, en ziekte veroorzaken. Ten tweede kunnen we de veiligheid en effectiviteit van medicatie op deze zieke cellen van patiënten testen. En ten derde leren we hoe we deze cellen bij ziekte kunnen vervangen door gezonde cellen van de patiënt zelf. Stel je voor dat je je eigen cellen kan gebruiken om organen, bot en ander beschadigd weefsel te vervangen. Niet door te wachten op een transplantatie- match die misschien nooit zal komen, maar door een veilig, natuurlijk proces om gezond weefsel en organen te regenereren. [Muziek, einde video] Om samen te vatten wat u net in de video zag. Er zijn 3 hoofdgebieden waar we ons op focussen bij stamcelonderzoek. Een daarvan is onderzoek naar de ziekte, de moleculaire basis van de ziekte te begrijpen. Wat we van Ron en veel anderen onder ons gehoord hebben de afgelopen drie dagen, is dat als we een ziekte zoals ME/CVS willen genezen, we moeten begrijpen hoe het werkt. En we moeten proberen om dat te doen op verschillende manieren. Een ander hoofdgebied is het ontdekken van nieuwe geneesmiddelen. Wij geloven dat door geneesmiddelen op cellen van patiënten te testen, je een idee kan krijgen welke geneesmiddelen effectief zullen zijn voor welke patiënten, en dat is vooral belangrijk bij een ziekte die zo heterogeen is als ME/CVS. En tot slot is er celvervangings therapie. Zoals ik zei, werken we hier aan bij maculadegeneratie en er zijn mensen die hier aan werken voor Parkinsons, om cellen te vervangen die verloren gegaan zijn. Nu is dat volgens mij nog geen mogelijkheid bij ME/CVS omdat we niet weten welke cellen beschadigd raken, of moeten regenereren. Maar als we daar achter komen, zoals bij Parkinsons ook gebeurd is, waar ontdekt is dat de dopaminergische neuronen in de middenhersenen de voornaamste cellen zijn die verloren gaan, dan kunnen we daarop voortgaan. En ik wil nog wat benadrukken over Parkinsons. Toen het voor het eerst ontdekt werd, dacht men dat het een psychosomatische ziekte was, aangestuurd door een virale infectie. Veel van dezelfde dingen werden gezegd. Dus we kunnen best eens op dezelfde plek zijn als dat was 50 jaar geleden. De reden dat dit allemaal mogelijk is, is door technologische revoluties. We kunnen nu jouw stamcellen maken van je eigen huid of bloed. We kunnen ze induceren en daarom heten ze geïnduceerde pluripotente stamcellen. Dit was een ontdekking die in 2006 gedaan is door Shinya Yamanaka. En zes jaar later won hij de Nobelprijs voor geneeskunde. Dat is een enorm snelle doorlooptijd voor een Nobelprijs, en dat komt door de belofte die ze

hebben laten zien om een revolutie teweeg te brengen in onderzoek. Waarom is dit boeiende technologie ? Omdat we geen invasieve operaties hoeven te doen. We kunnen een huidbiopt of bloedcellen gebruiken en daar je stamcellen van maken in een petrischaaltje en ze dan omzetten in al deze verschillende celtypes die door ziekte aangetast zijn om te begrijpen wat er aan de hand is. Dit is hoe uw huidcellen eruit zien Ze zijn eigenlijk best mooi als je inzoomt met een microscoop. En dan kunnen we ze omzetten naar deze geïnduceerde pluripotente stamcellen. Dit om u een wat beter idee te geven wat ik bedoel hier. Dit geeft u een beetje meer inzicht op de ziekte. Wanneer je stamcellen omzet in een lab, kan je ze omzetten naar de specifieke cellen die door een ziekte aangetast zijn. Dus bij neurodegeneratieve ziekte betekent dit neuronen, microglia, astrocyten, oligodendrocyten, en alle belangrijke celtypen die betrokken zijn. En je kan die in een schaalte bestuderen. Dit geeft echt een goede inzicht op verschillende ziekten. Als je dit op een patiënt-specifieke manier doet, kan je verschillende geneesmiddelen op deze cellen testen in het lab, en kijken wat de effecten daarvan zijn. En zoals ik wou benadrukken, vooral bij ME/CVS. Dit kan ons helpen om een idee te krijgen welke geneesmiddelen voor welke patiënten kunnen werken. Nogmaals, wanneer we de fenotypes of karakteristieke kenmerken kunnen zien die deze cellen anders maken dan de gezonde controles, en ik denk dat we dat op korte termijn zullen kunnen doen. Ik wil u een voorbeeld van cardiomyocyten laten zien. Dit zijn hartspiercellen. Wanneer je ze van stamcellen kweekt in een petrischaaltje, kloppen ze in hetzelfde ritme als het menselijk hart. Je kan geneesmiddelen op deze cellen testen, je kan meten of een geneesmiddel bij sommige mensen hartritmestoornissen veroorzaakt of niet. Je kan neuronen maken en kijken hoe goed hun elektrische potentieel het schaalte door reist, en hoe verbonden ze zijn. Er zijn een heleboel boeiende eigenschappen van deze cellen waarmee je patiënten van gezonde controles kunt onderscheiden. Zonder dat je echt naar binnen hoeft te gaan om neuronen uit de hersenen te halen, wat voor iedereen hier zeker enorm de voorkeur zal hebben. Tot slot zoals ik zei over celvervangings therapie Als we zouden ontdekken dat ME/CVS een of andere degeneratieve ziekte is. Als bepaalde cellen beschadigd worden, dan zal wat nu mogelijk is voor maculadegeneratie - dit is wanneer een specifiek type cel in het oog verloren gaat - En klinische proeven beginnen nu hoopvolle resultaten te krijgen met betrekking tot het herstellen van het zicht bij sommige van deze patiënten, door van stamcellen afgeleide versies van deze cellen te gebruiken. Het idee is hetzelfde in neurodegeneratieve ziekten. En

er worden nu onderzoeken gedaan voor Parkinsons om dopaminergische neuronen te vervangen die verloren zijn gegaan. En we zijn net een preklinisch programma begonnen om aan maculadegeneratie te werken. We werken samen met de Parkinsons onderzoekers die ik eerder noemde. Dus het is een erg spannende periode. Bij ons Instituut proberen we te streven naar modellen van "ziekte in een schaalte" en "klinische proef in een schaalte" om dit erg te versnellen. En een extra modelsysteem te kunnen maken om ME/CVS te bestuderen, en de moleculaire basis ervan te begrijpen. En dit op een patiënt-specifiek niveau te begrijpen zodat we betere behandelingen kunnen vinden die voor elke patiënt werken. En we hebben echt een mandaat om al dit onderzoek binnen de hele gemeenschap te versnellen. Ik was van plan om u dit nog snel te laten zien. We hebben een volledig robotisch systeem dat deze stamcellen van huid- of bloedcellen kan genereren. Ik zal hier door lopen. Nog een laatste voorzichtige aantekening. Er zijn een boel klinieken die stamceltherapieën aanbieden voor verschillende ziektes. Ik zou willen benadrukken dat voorzichtigheid gebaat is hier, omdat deze behandelingen nog niet goedgekeurd zijn, en juist schade zouden kunnen toebrengen Deze klinieken maken financieel misbruik van wanhopige patiënten. Dus het is belangrijk om te onthouden dat als in dit stadium iemand die stamceltherapie of injecties voor ME/CVS promoot, ik adviseer om erg voorzichtig te zijn omdat dit nog niet goedgekeurd is. Maar we zijn hoopvol dat dit de toekomst van de geneeskunde is, en dat we jullie ziekte met jullie eigen cellen kunnen behandelen. We zullen jullie ziekte met jullie eigen cellen kunnen bestuderen, en het op dat niveau ook beter kunnen begrijpen. Ik wil de gemeenschap die dit allemaal mogelijk heeft gemaakt bedanken, en ik wil u allemaal bedanken voor uw aandacht.