

TERAPIA PENTRU BOALA HIRSCHPRUNG BAZATA PE CELULE STEM



Viorel Tandea, Silviu Constantinoiu

Spitalul Clinic de Urgenta pentru Copii "Grigore Alexandrescu"-Bucuresti, Spitalul Clinic "Sfanta Maria"-Bucuresti

Boala Hirschsprung (HSCR) este o anomalie congenitală a colonului care rezultă din eșecul formării sistemului nervos enteric, care duce la un segment disfuncțional îngustat al colonului cu lungimi variabile și care necesită intervenție chirurgicală. Fiziopatologia de bază include un defect în migrarea, proliferarea și diferențierea celulelor crestei neurale, parțial explicate prin modificări genetice și epigenetice identificate. În ciuda ratei ridicate de succes a intervențiilor chirurgicale curative, acestea sunt asociate cu rezultate adverse semnificative, precum enterocolita, incontinența fecală și constipația cronică. În plus, unei pacienți suferă de variante letale extinse ale bolii, toate acestea justificând necesitatea unui tratament alternativ. În ultimii 5 ani, s-au înregistrat progrese considerabile în cercetarea terapiei bazate pe celule stem a HSCR. Cu toate acestea, multe probleme importante rămân nerezolvate. Această revizuire va oferi informații generale concise despre HSCR, va sublinia viitoarele abordări ale terapiei pe bază de celule stem a HSCR, va revizui publicațiile cheie recente, va discuta provocările tehnice și etice cu care se confruntă domeniul înainte de interpretarea clinică și va aborda aceste provocări propunând soluții și evaluând abordările existente pentru a progrădui în continuare.

Cuvinte cheie: Hirschprung, Celule stem, terapie

STEM CELL THERAPY FOR HIRSCHPRUNG DISEASE

Viorel Tandea, Silviu Constantinoiu

Emergency Clinical Hospital for Children "Grigore Alexandrescu"-Bucharest, "Sfanta Maria" Clinical Hospital-Bucharest

Hirschsprung disease (HSCR) is a congenital anomaly of the colon that results from failure of enteric nervous system formation, leading to a constricted dysfunctional segment of the colon with variable lengths, and necessitating surgical intervention. The underlying pathophysiology includes a defect in neural crest cells migration, proliferation and differentiation, which are partially explained by identified genetic and epigenetic alterations. Despite the high success rate of the curative surgeries, they are associated with significant adverse outcomes such as enterocolitis, fecal soiling, and chronic constipation. In addition, some patients suffer from extensive lethal variants of the disease, all of which justify the need for an alternative cure. During the last 5 years, there has been considerable progress in HSCR stem cell-based therapy research. However, many major issues remain unsolved. This review will provide concise background information on HSCR, outline the future approaches of stem cell-based HSCR therapy, review recent key publications, discuss technical and ethical challenges the field faces prior to clinical translation, and tackle such challenges by proposing solutions and evaluating existing approaches to progress further.

Keywords: Hirschprung, Stem Cell, Therapy