



## **Uma breve visão do estudo**

Kadimastem é uma empresa localizada em Israel que está testando atualmente um produto de células de astrócitos de grau clínico, chamado AstroRx®. AstroRx® consiste em astrócitos em suspensão, derivados de células-tronco embrionárias humanas. Astrócitos são células vizinhas (gliais) que fornecem suporte aos neurônios motores quando saudáveis.

Os dados de um grupo inicial de indivíduos tratados (Grupo A) foram apresentados em um comunicado à imprensa de 24 de setembro de 2019. O Grupo A consistiu em cinco participantes com ELA tratados por via intratecal (no líquido cefalorraquidiano) com uma dose de células AstroRx® e avaliados quanto à taxa da progressão da doença ao longo de seis meses em comparação com a progressão observada nos três meses anteriores ao tratamento. Os resultados afirmaram que houve um “declínio estatisticamente significativo na progressão da doença durante os primeiros 3-4 meses após o início do tratamento” e que serve como evidência para o AstroRx® fornecer “benefício clínico significativo”. Kadimastem afirma que estes resultados estão “sugerindo que uma dose mais alta e / ou tratamentos repetidos podem alcançar eficácia prolongada”.

Em 23 de dezembro de 2019, Kadimastem anunciou que o tratamento com uma dose maior de células AstroRx® foi fornecido a todos os cinco indivíduos do Grupo B com avaliação definida para os próximos seis meses. O Grupo C foi inscrito e envolveu a administração de doses repetidas separadas por 2-3 meses. Em 3 de agosto de 2020, os resultados do Grupo B foram fornecidos em um comunicado à imprensa que indicava que o objetivo principal de segurança foi atendido, mas também incluía alegações sobre a eficácia. No entanto, deve-se notar que este foi um estudo de apenas 5 pessoas em cada grupo e foi projetado principalmente para testar a segurança do tratamento. Portanto, **é muito importante que os dados informados neste comunicado não sejam extrapolados pelo público para indicar evidências sobre a capacidade das células AstroRx® de retardar a progressão de ALS / MND.**

Uma série de mensagens fornecidas pelo Kadimastem podem estimular perguntas de pessoas afetadas por ALS / MND. Kadimastem usa o slogan “células para curar doenças” e o site explica que os objetivos do tratamento com AstroRx® incluem “substituir células com defeito” e “restaurar a funcionalidade”. The Chief Scientist afirma online que “Esta terapia celular regenerativa promete levar tratamento e cura a milhões de pacientes em todo o mundo”. AstroRx® também é chamado de “terapia celular inovadora”.

## **Recomendação**

**O SAC reconhece a capacidade potencial dos astrócitos saudáveis de fornecer suporte à saúde do neurônio motor. Dado o pequeno tamanho dos Grupos A e B e o tratamento aberto dos participantes, não há evidências suficientes para determinar a eficácia do AstroRx® em ALS / MND. Atualmente, não há evidências adequadas de eficácia com o tratamento com AstroRx, nem foram apresentadas evidências de que o AstroRx® pudesse substituir células com mau funcionamento ou restaurar a funcionalidade em humanos. Deve-se ter cuidado ao interpretar os resultados até agora e continuar até que um ensaio clínico maior e devidamente controlado seja concluído.**