

Folketinget – Udvalget for Videnskab og Teknologi

Udvalgssekretariatet

Christiansborg, den 8. maj 2007

Udvalget for Videnskab og Teknologi

UVT alm. del - Bilag 162

Offentligt

Til

udvalgets medlemmer og stedfortrædere.

Videnskabsudvalgets høring om forskningsperspektiver og –strategier vedr. stamceller

På høringen 2. maj 2007, kl. 13 – 15 var dansk stamcelleforskere, organiseret i DASCDOC (Danish Stem Cell Research Doctoral School, se www.dascdoc.dk) inviteret til at fremlægge en oversigt over det danske stamcelleforskningssamarbejde og mulighederne for dets fortsatte udvikling. Følgende eksperter deltog:

- Direktør Marilyn Robertson, Scottish Stem Cell Network,
- professor Jens Zimmer Rasmussen, Syddansk Universitet, leder af Dansk Center for Stamcelleforskning og forskerskolen for stamceller,
- professor Moustapha Kassem, Odense Universitetshospital,
- professor Jens Høiriis-Nielsen, Københavns Universitet,
- lektor Hanne Cathrine Bisgaard, Københavns Universitet,
- forskningsleder Ole D. Madsen, Hagedorn Research Institute (et NOVO Nordisk ejet forskningsinstitut),
- Lars Wahlberg, COO, NsGene A/S og
- forskningsleder Lars H. Pedersen Bioneer A/S.

Mary Robertson fremlagde den skotske model for akademisk-industrielt samarbejde og forskningsudvikling på området, herunder de nationale/regionale initiativer, og Jens Zimmer Rasmussen gav hovedindlægget vedr. status i Danmark, og inddrog sammenligninger med den skotske model, suppleret af indlæg fra de øvrige forskere, inkl. Ole Madsen, Hagedorn vedr. nationalt og internationalt samarbejde omkring diabetes og celleterapi, Lars Wahlberg, NsGene A/S vedr. neurale stamceller og neurodegenerative sygdomme og Moustapha Kassem vedr. igangværende danske kliniske studier.

Der deltog 7 udvalgsmedlemmer fra Videnskabsudvalget, Sundhedsudvalget, Erhvervsudvalget og Udvalget vedr. Det Ethiske Råd i høringen.

Stamcellegruppen ville efterfølgende sende formanden for Videnskabsudvalget, Hanne Severinsen et visionspapir om stamcelleforskningen i Danmark.

Med venlig hilsen
Finn Skriver Frandsen,
udvalgssekretær.

Vedlagt:


Bilag 1: Mary Robertson: Skotsk stamcelleforskningsstruktur og samarbejdsformer, 17 slides

Bilag 2: Jens Zimmers indlæg: Stem Cell Research in Denmark, 13 slides

Bilag 3: Introduktion til celler og stamceller med diagrammer og ordliste, 3 s.

Bilag 4: Stamceller som ny medicin, 1 s.






Scottish Life Sciences - Overview

- Second Largest UK Cluster (1)
- 590 Organisations Employing > 30,000 people (2)
- 215 'Core' Life Science Companies (2)
- CRO (Contract Research) support capability
- 56 Life Science Academic & Research Institutes
- \$700M Research Funding per annum
- Life Sciences = 50% Total Scottish Research Expenditure
- Strong performance in UK Research Assessment Exercise
- Easy Access to High Levels of Skilled Staff
- Existing substantial international Life Sciences Presence in Scotland

1 Ernst & Young, May 2004
2 Scottish Enterprise, Jan 2007



Key Strengths in Life Sciences

Connectivity and critical mass: 'One Scotland'

Government focus and support

Investment in science and infrastructure to support key research

Strong Technology Capabilities

- Analytical, Bioinformatics, Genomics, Imaging & Proteomics

Focus on Regenerative Medicine

Clinical Expertise & Contract Research in academia, NHS Scotland

& commercial firms

Established global collaborative approaches:

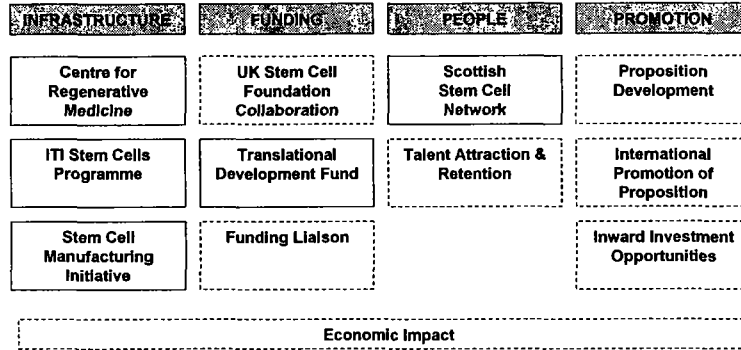
- Translational Medicine Research Consortium (Wyeth + 4 Scottish Universities)
- Signal Transduction Consortium (ITI; Glasgow University and Cellartis AB)
- Scottish Stem Cell Network

Scottish Enterprise: setting the right direction towards commercialisation...

- Encouraging interactions between scientists, clinicians and the business community
- Highlighting emerging areas of interest and identifying collaboration opportunities
- Developing "joined up thinking" between all interested parties
- Funding: people and infrastructure

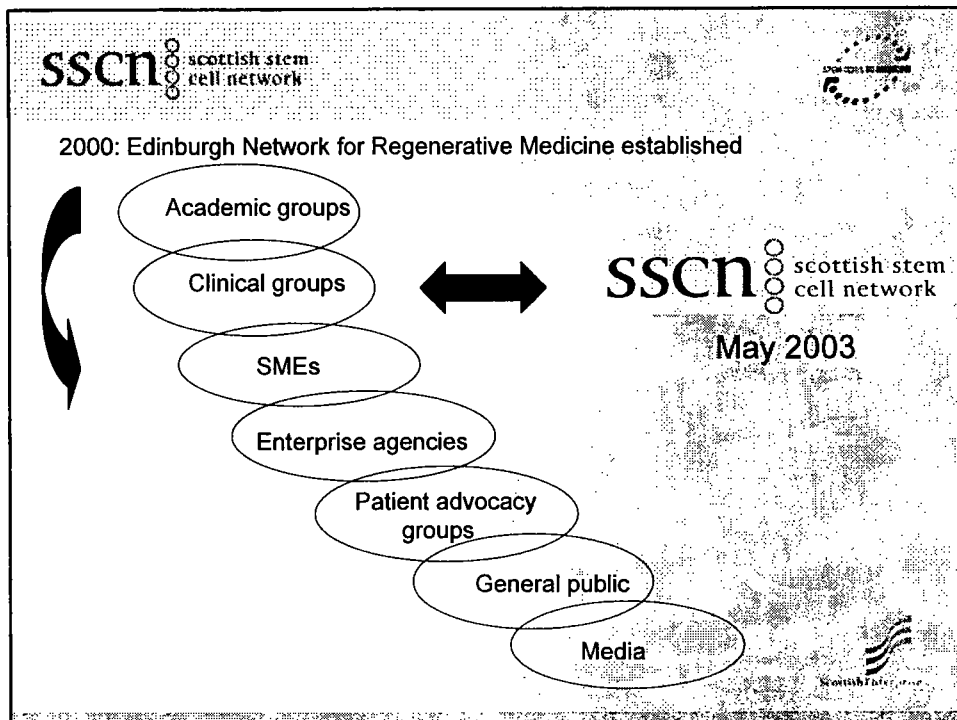
Stem Cell Intervention Framework

Create the conditions in Scotland for securing, developing and attracting people, technologies, facilities and funding that will catalyse economic development



The Scottish Stem Cell Network

The aim of the Network is to encourage and develop the interdisciplinary relationships that will enable advances in stem cell biology to be rapidly translated to deliver new treatments for degenerative diseases.



sscn scottish stem cell network

SCOTTISH GOVERNMENT

Launched in May 2003 as a 2-year "experiment" with £200K funding

Nov 05 : 10-year funding commitment of approx £2m: constitution of SSCN as a Not for profit company, with Board of Directors and Executive team.

Key objectives are to:

- Co-ordinate networking activity between scientists and clinicians in industry and academia
- Raise profile with funding bodies
- Raise awareness of capabilities internationally.
- Become the main "point of contact" for stem cell info within Scotland.
- Establish a database of capabilities and potential partners (for basic research, and clinical development)
- Inform the public debate about stem cell technology in Scotland

Scottish Enterprise

Case study 1

Working with Innogen, RSA and BIA to create an informed public debate on stem cell technology, through regional town and gown events, Café Scientifique and other public workshops and at Edinburgh International Science Festival

- no one opinion dominates
- all points of view expressed
- balance of ethical, commercial, clinical and academic perspectives



Public acceptance of the technology in Scotland
Understanding of controversial issues; willingness to keep open minds and engage in debate

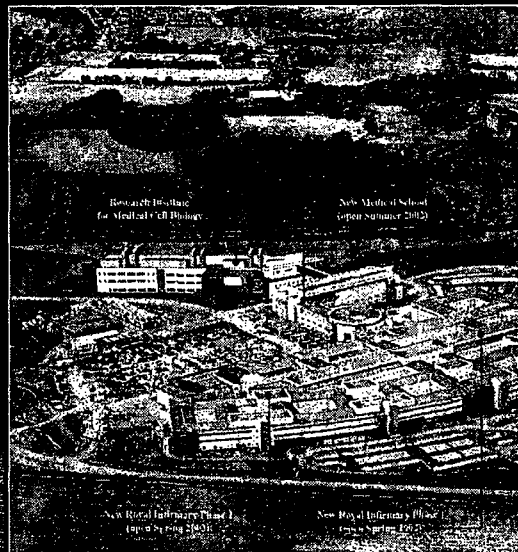
Case study 2

Scottish Centre for Regenerative Medicine

- SSCN facilitated the initial discussions between University, SME's and SEEL in the development of stem cell activities which will form SCRM; "neutral broker" role.
- worked with UK Stem Cell Foundation to review translational research funding requirements within the UK in response to Pattison report (Nov 05). Scottish projects within SCRM currently under review.
- support visits within SCRM and work with their teams to promote the Centre internationally.

The Scottish Centre for Regenerative Medicine

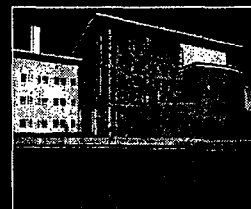
- Establishment of a major new multi-disciplinary “flagship” centre
 - To support 220 academic researchers with pre-clinical animal testing facilities
 - Will house a centre for “scale-up” development/manufacturing of cells to GMP
 - Multi-occupancy space to house commercial regenerative medicine research organisations and spin-outs
- **£59m** funding package announced by First Minister and Deputy First Minister in January 07
- In one location (CBR), provides all support for development of regenerative medicine technologies “from bench to bedside”
- Co-located with clinical facilities at Royal Infirmary of Edinburgh
- Co-located with state-of-the-art imaging facilities
- Co-located with prestigious MRC Reproductive Sciences Unit and Centre for Inflammation Research



Aerial View of Research Institute
in Context of New Royal Infirmary of
Edinburgh, at Little France



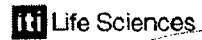
UNIVERSITY of EDINBURGH
RESEARCH INSTITUTE, LITTLE FRANCE



Boswell Mitchell & Johnston
Chartered Accountants
18 W. Colinton Terrace, Colinton, Edinburgh, Scotland
Tel: 0131 4752 380 Fax: 0131 321 1106
e-mail: enquiries@boswelljohnston.co.uk

ITI Stem Cell Programme

- ITI use market foresighting to identify, construct programmes, fund and control packages of IP valuable to the Scottish economy
- ITI fully funded by Scottish Enterprise
- Aim to produce high quality human stem cells for use in pharma research
- £9.5m over 3 years
- Initial collaborators University of Glasgow, Cellartis AB
- Cellartis R&D facility in Dundee creating up to 75 jobs



Stem Cells – Translational Development Fund

- Nov 2005 : SE Approved a dedicated “Translational Development” Fund
 - £5m over 5 years
 - Will support activities required to translate stem cell development into clinical practice
 - Will “co-invest” in Scottish projects alongside other funders
 - Can fund or invest in research or commercial activities





2007: Scotland as a Centre for Regenerative Medicine

At the CBR: Scottish Centre for Regenerative Medicine, Edinburgh

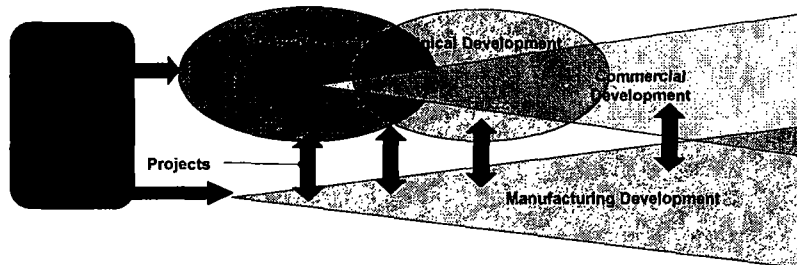
- ISCR groups working on the basic science of embryonic stem cells
- University and NHS groups working on translational studies in specific areas:
 - Muscular skeletal repair group: funded by UK SCF
 - Corneal stem cells
 - liver regeneration and repair
- Stem Cell Sciences plc investing in stem cell growth and differentiation for therapeutics and drug discovery
- Roslin Cells: production of therapeutic grade human ES cells

In Dundee and Glasgow:

- Geron investment in hepatocyte derivation from ES cells for drug discovery, in collaboration with CXR BioSciences in Dundee and University of Edinburgh.
- Stem Cell Technologies programme, an ITI funded collaboration between University of Glasgow and Cellartis AB, based in Dundee



Stem Cells – Key Components Model







**Stem Cell Research in Denmark
Organization and research training**

Danish Center for Stem Cell Research
(DASC, www.dasc.dk)

An multidisciplinary center for basic and applied research in stem cells
(Univ. of Southern Denmark, Aalborg University, Copenhagen University, Odense University
Hospital, NsGene A/S, Hagedorn Research Institute)

&

Danish Stem Cell Research Doctoral School
(DASCDOC, www.dascdoc.dk)

A nationwide, Danish stem cell PhD-program and research network

**Danish Stem Cell Research Center
DASC, www.dasc.dk**

• Established April 1, 2002 by 5 year 23.6 mill. kr. grant awarded by the Danish Research Agency via the program "Større tværgående forskergrupper", and co-financed by the involved partners. (Project competed with 253 proposals in prequalification round and was one of 6 finally funded).

• Organized as a "centre without walls", including 9 research groups located at the Universities of Aalborg, Southern Denmark (Odense) and Copenhagen, Odense University Hospital, NsGene A/S and Hagedorn Research Institute (NOVO Nordic).

• Devoted to **basic** and **applied** research on *tissue-derived* ("adult", *somatic*) *stem cells*, present in mature, adult tissue, developing fetal tissue and umbilical cord blood. (Research on human embryonic stem cells in DK first allowed from Sept. 1, 2003)

• Focus on tissue-derived stem cells and progenitor cells with the potential of becoming

- insulin producing cells,
- brain cells, in particular dopaminergic neurons,
- liver cells,
- cartilage, bone and connective tissue cells,
- skeletal muscle cells.



Danish Stem Cell Research Center Objectives

- Employ a multidisciplinary approach to obtain new knowledge on stem cells and tissue-derived progenitor cell differentiation.
- Provide a solid scientific basis for cell therapy in
diabetes type 1
Parkinson's Disease,
liver failure and damage,
skeletal muscle degeneration and damage,
joint and bone disorders and malfunction
- and develop markers and tools for stem cell research
- Promote **research training** in stem cell biology and stem cell based cell therapy.
- Communicate **factual knowledge** about stem cells and the potential use of stem cell therapy **to the public**, improving the basis for individual and public decision making.

 DASC

 DASC

Danish Stem Cell Research Doctoral School (DASCDOC) www.dascdoc.dk

Established January 1, 2003 by a 5-year grant from the National Research Agency after application to the Danish Research Training Council.

Aim

to train PhD-students in the field of stem cell research and related technologies, including early embryonic development, molecular and structural developmental biology, transgene technologies and cell replacement therapies in regenerative medicine.

DASCDOC offers a national, **interdisciplinary PhD-program**. By May 2007 DASCDOC includes **26 research groups** from Danish universities and university hospitals, veterinary research institutions, sector research institutions, and biotech industry.

48 PhD students currently enrolled.



DASCDOC objectives

- To train Danish and foreign PhD students engaged in stem cell research and related technologies at a high international and competitive level
- To take a leading position in Danish stem cell research, supporting interdisciplinary interaction and approaches in basic and applied sciences
- To maintain and promote a high standard of ethics and stimulate interaction with the public and political life by providing a knowledge basis for discussions and decisions
- To collaborate where relevant and possible with corresponding international centers and research exchange and training programs



DASCDOC focus areas

- Early embryonic and fetal development
- Transgene and other gene technologies
- Stem cell isolation and differentiation in relation to stem cell-based therapies, including brain, liver, pancreas, intestines, mesenchymal tissues (skeletal muscle, cartilage, bone, heart), blood and the immune system - and development of cell lines for drug and tox screening

Stem cell sources

- *tissue-derived stem cells* from developing (fetal) and mature tissues and organs
- *embryonic stem cells* derived from the early embryo (blastocyst) of rodents and domestic animals and donated human embryos.

HRI participation in organized network of collaborations

Controlled beta cell maturation
 translating developmental biology of the β -cell into β -cell therapy
 Hagedorn Research Institute (HRI) is part of the *JDRF/EU and BCBC consortia (NIH/NIDDK)*

JDRF/EU Center for Beta Cell Therapy in Diabetes NIH Beta Cell Biology Consortium
www.betacelltherapy.org www.betacell.org

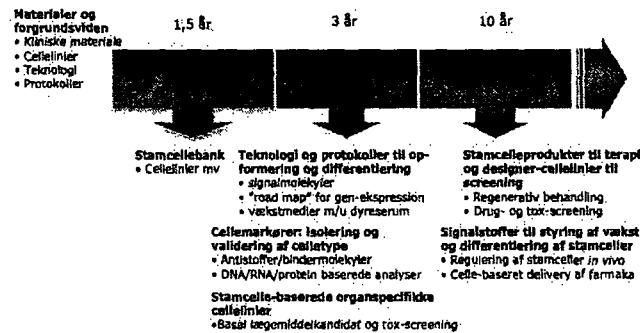
Hagedorn Research Institute

- HRI leder & administrerer internationale 5-årige forskningsprojekter, som pt har årlige budgetter på ~1 mil. € (EU) og ~1,2 mil. \$ (NIH). Embryonale stamceller er her nøglen til en fremtidig celleterapi for diabetes.
- Den danske infrastruktur med DASC og DASCDOC er og har været af altafgørende betydning for udbygningen af et fundament inden for anvendt stamcelle biologi – også på HRI.
- DASC er nu udløbet – vi mangler akut en national fokusering på embryonal stamcelle teknologi. Dette kunne være i form af et fornyet mandat til DASC med nær tilknytning til DASCDOC.
- Afd. for udviklingsbiologi: Af 35 (akademikere, studerende og laboranter) er 80% ansat på eksterne fondsmidler (20% på HRI budget). NIH er historisk set den største eksterne støtte af HRI's forskning.
- Mister vi vores danske base indenfor basal stamcelle biologi – så vil det kraftigt kompromittere vores internationale konkurrencedygtighed.

Stamcelleforskning: Produkter, teknologiudvikling og økonomi (1)

Innovation forms the backbone of the knowledge-based economy and stem cell research represents a substantial opportunity for future innovation in the life sciences
 Første sætning i Executive Summary (s.5) in Report & Recommendations of The UK Stem Cell Initiative, Nov. 2005; www.advisorybodies.doh.gov.uk/uksci/

I rapporten "Teknologisk fremsyn om bio- og sundhedsteknologi", udgivet af Ministeriet for Videnskab, Teknologi og Udvikling marts/april 2003, blev stamcelleområdet udpeget som et af de 4 indsatsområder, hvor investering af samfundets og erhvervslivets ressourcer formodes at have størst effekt og nytteværdi.



Stamcelleforskning: Produkter, teknologiudvikling og økonomi (2)

Produktområder	Produkter & Teknologiudvikling	Tids-horisont 1. produkt	Europa marked Mio \$
Stamcellebank og cellelinier Biobank for isolerede primære (donor) celler, stamcellelinier og opførerede specifikke cellelinier til forsknings- og screeningformål med tilknyttet database.	Produkter: Kvalitets sikret cellemateriale til fkt el. licensbetalt brug i R&D og prækliniske tests. Teknologiudvikling: Optimeret kryopreservation. Database med cellekarakteristika (gen-profil, funktionelle markører)	1 - 5 år	75
Kvalitets sikringsredskaber Molekyler, detektionsmetoder og funktionelle testmodeller til identifikation af bestemte celletyper og afprøvning af deres egenskaber.	Produkter: Antistoffer, kits for gen-ekspression, signalstoffer, designmolekyler for interaktion med gener og signalveje. Modificerede cellelinier med reporter-molekyler. Teknologiudvikling: Detektionsmetoder for DNA- og proteinekspression. Funktionelle test-modeller for cellers udviklingspotentiale.	2 - 5 år	25
Teknologi til dyrkning af stamceller Udspecialiserede dyrkningsmedier og -materialer, udstyr og protokoller til dyrkning af stamceller i alle faser fra isolering til anvendelse.	Produkter: Vækstmedier, signal- og vækstfaktorer. Teknologiudvikling: Modulation af dyrkningsoverflader og -medier, procedurer og materialer for såvel masseopformering og klonal opformering af enkeltceller.	2 - 5 år	40
Cellelinier fra stamceller til screening Celle-baserede testsystemer til screening for lægemiddel-kandidater og toksiske stoffer.	Produkter: Cellelinier udviklet fra embryonale og vævs-baserede stamceller med egenskaber og reaktionsmønstre som nerveceller og pancreas/lever celler. Teknologiudvikling: Udvikling af screenings-relevante, event. gen-modificerede cellelinier med tilhørende set-up for detektion og kvantitering af påvirkning.	2 - 5 år	25
Stamceller til terapi Celler og protokoller for celletransplantation for sikker behandling af patienter	Produkter: Stabile, funktionelle celler udviklet fra stamceller under GMP forhold, med forudgående "proof of concept" indenfor diabetes og Parkinsons sygdom. Teknologiudvikling: GMP behandling af stamceller mhp prækliniske/kliniske forsøg og test af delivery metoder.	3 - 10 år	100
Terapeutisk påvirkning af stamceller Medikamentel stimulation af kroppens egne stamceller mhp øget evne til erstatning af tabte celler.	Produkter: Biologisk aktive molekyler som specifikt aktiverer/hæmmer gener el. signalveje i stamceller. Teknologiudvikling: In vivo test af kandidatmolekyler og -gener fundet in vitro (se ovenfor) og udvikling af disse eller derivater deraf som lægemiddel.	3 - 10 år	5.000

Tabel 1: Oversigt over produktområder, produkter og teknologiudvikling, tidshorisont for første produkt, og aktører i produktudviklingen. Det europæiske marked, opgjort for 2005, udgør ca. 25% af verdensmarkedet, der forventes 5-8-doblet i 2010. Reference: Business Insights Management Report (2006) "Opportunities In Stem Cell Research and Commercialization".

Behov og anbefalinger

Formulere en dansk strategi for stamcelleforskning og -innovation

Implementere strategien national og internationalt

Udnytte og udvikle den eksisterende infrastruktur inden for dansk stamcelleforskning og -innovation

(basal og anvendt forskning, biobank, klinisk applikation, drug og tox screening, teknisk udvikling, kommerciel udvikling)

**Afsætte nødvendige ressourcer til at give strategien indhold
(Globaliseringspuljen, Strategisk Forskningsråd)**

INTRODUKTION TIL CELLER OG STAMCELLER med diagrammer og ordliste

HVAD ER CELLER?

Celler er kroppens mindste levende enhed eller byggesten. I kroppen findes knap 300 forskellige celler, specialiserede til at udføre bestemte opgaver, - for eksempel *nerveceller*, der er grundlaget for hjernens og rygmarvens funktioner, *muslin-producerende fibre-celler* i bugspytkirtlen, som styrer andre cellers optag og forbrug af sukker, og *hjertermuskler*, der ved at trække sig sammen pumper blodet rundt i blodårerne i kroppen. Når celler indenfor samme type ligger sammen, danner de væv, som f. eks. epitelvæv, der ligger yderst i hud og slimhinder. Vore forskellige *organer*, som f. eks. tarmen eller hjertet og blodårerne, er bygget op af forskellige væv (epitelceller, muskelceller og bindevævs-celler).

I cellernes kerne findes arvematerialet, *generne*, som består af DNA. Generne styrer cellernes udseende og funktion. Helt fra det befrugtede æg gives de samme gener videre til alle celler og deres efterkommere gennem celledeling. Men allerede fra starten af fosterudviklingen begynder cellerne at *specialisere* sig i forskellige hovedretninger, for ved fødslen at danne de knap 300 forskellige celler, som varetager de forskellige funktioner i vores krop.

Udvidningen af forskellige celler sker, idet cellerne i fosteret gensidigt påvirker hinanden til at åbne og lukke forskellige dele af genmaterialet. De forskellige celler ender på den måde med at blive som forskellige bøger på et bibliotek, som alle er bøger, men alligevel forskellige. En *muskulcelle*, som har evnen til at trække sig sammen, kan således være enten en skeletmuskelcelle, en hjertemuskelcelle eller en glat muskelcelle.

Når fosteret er båret og vokser, og når døde og nedslidte celler erstattes af nye, f. eks. i huden, tarmen eller blodet, sker væksten eller udskiftningen af celler ved at der dannes nye celler ud fra umodne forstadier til de pågældende celler. Disse celler kaldes *stamceller*.

HVAD ER STAMCELLER?

Stamceller er celler, som både kan danne nye kopier af sig selv (selvfornyelse) og give ophav til andre typer af celler.

Stamceller findes fra starten af fosteret (det befrugtede æg), senere i fosteret, hos den nyfødte og i stort set alle væv hos voksne dyr og mennesker. Stamceller er således udgangspunktet for den tidlige udvikling og vækst af fosteret og fosterets forskellige væv og organer. Stamceller er samtidig grundlaget for vækst og vedligeholdelsen af væv og organer efter fødslen og i hele voksenlivet.

Begrebet "*stamcelle*" dækker altså ikke én, men mange forskellige slags stamceller, som bedst kan sikres fra hinanden på grundlag af

- deres forkomst i det helt tidlige fosterlæg (kaldet *embryonale stamceller*) eller i de nydannede væv og organer i den efterfølgende fosterperiode, hos voksne og i navlestregblod (kaldet *voksne stamceller*, eller *somatisk* eller *vævs-deriverede stamceller*)
- deres forskellige evne (potentialer) til at give ophav til mange eller få forskellige andre celler

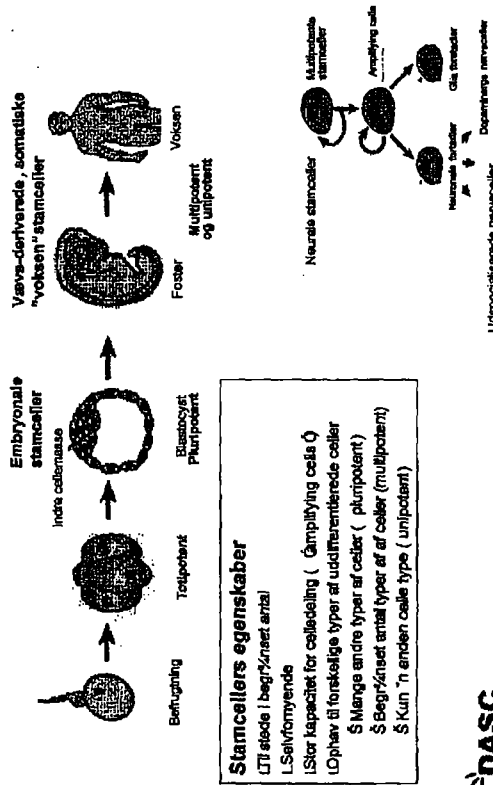
Når den befrugtede ægcelle og i løbet af få dage gennemledningen har dannet en gruppe celler, en "cellebold" eller blastocyst, er der allerede forskel på cellerne. De celler der ligger yderst vil danne moderkagen og fosterhinderne, mens cellerne i den *indre cellemasse* vil danne selve fosteret.

De *embryonale stamceller*, som findes i den indre cellemasse, kaldes *pluripotente*, og har som nævnt potentialet til at kunne udvikle sig til alle celler og vævstyper i organismen. De kan dog ikke ved udtagning og genindsættelse i en livmoder udvikle sig til et nyt levende fosterlæg, da de har mistet evnen til at danne fosterhinder og moderkage.

Stamceller fra vævene hos voksne individer eller isoleret fra navlestregblod eller fra aborterede fostre kaldes *multipotente*. Udvidningspotentialer for disse "*voksne stamceller*" eller "*vævs-deriverede stamceller*" er mere begrænsede til den type af væv, hvori de findes, og formentlig større i fosteret, hvor de findes i stort antal, end i voksent væv. Alt efter hvor de findes, og hvilket væv de normalt giver ophav til, kan de *multipotente stamceller* opdeles i f. eks. *mesenchymale stamceller*, der kan danne knogler, brusk, muskel, fedt og andet bindevæv, *bloddannende stamceller*, der kan danne de forskellige blodlegemer, og *neurale stamceller*, der kan danne nerveceller og glia-celler.

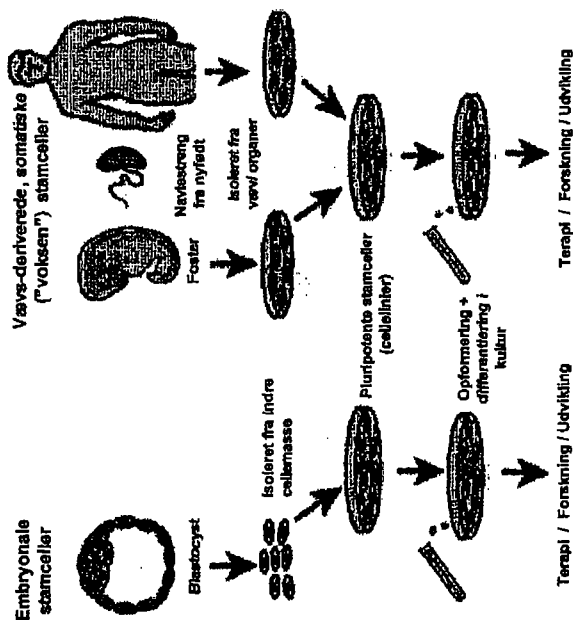
Når *multipotente stamceller* differentierer sig yderligere, så de kan udvikle sig til få eller én enkelt celttype i et bestemt væv eller organsystem, som f.eks. nerveceller i hjernen eller muskelceller i skeletmuskulatur, kaldes de *unipotente*.

Stamceller



Bilag 3

DASC Kilder til stamceller



I nogle tilfælde har man beskrevet, at multipotente "voksenstamceller" fra etablerede organer eller fra nævlesmørblod kan danne celler fra et andet vævssystem, f.eks. dannelse af leverceller og hjerneceller fra stamceller i den røde knoglemarv, eller dannelse af bloddannende celler fra hjernens stamceller. Betegnelsen herfor er transdifferentering. Om en sådan transdifferentering (stift i udvikling) af multipotente stamceller til mere pluriipotente stamceller virkelig kan forekomme er stadig til diskussion. En del af de beskrevne tilfælde er siden tilbagevist og tilskrives nu utilsiktede metoder i analysen eller sammensætning af stamcellerne med normalt forekommende celler i de pågældende væv, f.eks. i leveren. Andre mener fortsat, at det i visse væv, f.eks. i knoglemarven findes et lille antal stamceller som har en større plasticitet og evne til at blive til andre celler end de almindelige multipotente stamceller udt i vævene.

Med tanke på behandling var det ønskeligt om voksen stamceller fra et væv kunne danne celler tilhørende et andet væv eller organ. Man kunne så forestille sig udtagning af stamceller fra f.eks. knoglemarven, omprogrammering af disse i retning af hjerneceller og derefter brug af cellerne i en celleerstatningsterapi til erstatning af f.eks. tabte nerveceller efter et hjernebledning eller rygmarvsskade. Dette er næppe muligt, men noget tyder på at stamceller fra knoglemarven kan have en gunstig virkning gennem en cellefabrik-funktion. Det er således vist ved dyreforsøg, at stamceller fra knoglemarven

virkelig kan have en gunstig virkning på skadede områder i hjernen og hjertet ved at indlejre sig i områderne og producere signalstoffer og vækstfaktorer, der beskytter de skadede celler og stimulerer reparationen og aktiviteten af vævets egne stamceller.

ORDLISTE

Blastocyst: Et tidligt, 5-7 dage gammelt fosteranlæg (embryon), der endnu ikke er fasthæftet i livmoderen. En blastocyst består af et ydre cellelag (trophoblast), et væskfyldt hulrum og en samlet masse af celler på indersiden af det ydre cellelag (den indre cellemasse).

Celledeling: En proces hvor én celle deler sig til to. Der findes to former for celledeling: mitose (alm. vækst) og meiose (dannelse af kønsceller).

Cellkultur: Dykning af celler udenfor kroppen i særlige flasker eller plastikskåle tilsat dyrkningsmedie med henblik på op-formering og/eller eksperimentelle undersøgelser.

Celleline: Population af ensartede celler, der kan dyrkes og overleve i cellkultur.

Differentering: En proces hvorved en mindre specialiseret celle udvikler et udseende og funktioner i retning af bestemte specialiserede celletyper, som f.eks. nerveceller, hjerteceller eller leverceller.

DNA: Kroppens arvemateriale, der findes i cellens kerne.

Dyrkningsmedie: Næringsvæske for celler i celle- eller vævskultur, som indeholder næringsstoffer og forskellige andre kemiske stoffer, der er nødvendige for cellernes overlevelse. Til dyrkningsmediet kan også tilsættes specielle vækstfaktorer og andre signalstoffer, der fremmer bestemte ændringer i cellerne – for eksempel differentiering i en bestemt retning.

Ektoderm: Det yderste kimblad dannet fra blastocystens indre cellemasse. Fra ektodermen dannes nervesystemet, sansesorganerne og huden med hår og svedkirtler.

Embryo: Betegnelse for det tidlige foster i perioden fra ægget befrugtes indtil slutningen af svangerskabsets 8. uge.

Embryoid bodies: Klumper af celler med forskellige egenskaber svarende til mere modne celler, der dannes spontant af embryonale stamceller dyrket i cellkultur.

Embryonale stamceller: Primitivt ikke-differenterede celler, som normalt findes i den indre cellemasse af blastocysten 5-8 dage efter befrugtningen. Embryonale stamceller dannes først med alle dens celletyper under svangerskabet, men kan også isoleres i fra den indre cellemasse og i cellkultur induceres til at danne forskellige modne celletyper. Celler betegnes pluripotente, fordi de normalt er ophav til alle kroppens ca. 280 forskellige celletyper.

Endoderm: Det inderste kimblad dannet fra den indre cellemasse. Fra endoderm udvikles bl. a. lunger, mave-tarmkanal, lever og bugspytkirtel.

Hematopoietiske stamceller: Bloddannende stamceller, som hos fostre findes i lever og milt og hos voksne i den røde knoglemarv. Stamcellerne kan efter knoglemarvstransplantation sætte en ny produktion af blodceller igang hos modtageren.

In vitro: Dyrkning af celler uden for kroppen i form af celle- eller vævsdyrkning. *In vitro* er latin og betyder "i glas".

Indre cellemasse: Klump af celler på indersiden af blæstocysten. Cellerne i den indre cellemasse er de normalt forekom-mende embryonale stamceller og er som sådan ophav til alle celletyper i organismen. Den indre cellemasse er gennem udtagning af cellerne (med samtidig sølelegelse af det tidlige fosteranlæg) kilde til stamceller til forskning og mulig behandling.

Kimblad: Som led i den fortsatte udvikling af fosteret fra den indre cellemasse dannes 3 primitive lag af celler, kaldet kimblade. Kimbladene benævnes efter beliggenhed i forhold til hinanden og fosteranlæggets yder- og inderside for endoderm, mesoderm og ectoderm.

Klon: Kloner er arvemæssigt (genetisk) identiske kopier af celler eller individer. Når begrebet "klon" anvendes om dyrkede celler betegner en klon en cellulær eller gruppe af celler, som stammer fra den samme ene celle. Betegnelsen klon bruges også om dyr dannet ved kloning ("kernetransplantation"). Fåret Dolly er et eksempel på reproduktiv kloning.

Kloning: Ved kloning forstås en teknik, hvor cellerkernen i en ægcelle fjernes og erstattes med cellerkernen og dermed arve-massen fra en almindelig celle (f. eks. en bindevævs-celle). Den "klone-de" ægcelle stimuleres derefter til deling med henblik på dannelse af et tidligt fosteranlæg. Ved repro-duktiv kloning (forhult på mennesker) indsættes fosteranlægget i en forberedt livmoder med samme teknisk som ved *in vitro* fertilisering med henblik på dannelse af nyt individ med samme arvemasse, som den transplanterede cellekerne. Ved terapeutisk kloning isoleres den indre celle-masse fra blastocysten udvirket fra den klonede ægcelle med henblik på dannelse af embryonale stamceller med en arvemasse svarende til den transplanterede cellekerne. Terapeutisk kloning til fremstilling af stamceller er kun tilladt på dyr i Danmark, men også med æg fra mennesker i England og Sverige.

Knoglemarvs-celler: Der skelnes mellem hæmatopoietiske bloddannende stamceller og stromale bindevævs-celler, som begge er udviklet fra det mesodermale kimblad. De stromale celler er en blanded masse af mesenchymale stamceller, der ikke danner blodceller, men danner knogle-væv, brusk, fedt og bindevæv. Det er fortsat uklart om de stromale mesenchymale stamceller, som nogle har rapporteret, kan danne f. eks. leverceller, som normalt er udviklet fra endoderm.

Køns-celler (gameter): Fællesbetegnelse for mandens sædceller og kvindens æg.

Markører: Proteiner inde i celler eller på deres overflade, som er specielle for den bestemte celletype, og derfor kan bruges til at synliggøre cellerne ved særlige færvninger eller til at opsamle cellerne ud fra blandingen af celler. Gode markører er vigtige for identifikation og isolering af stamceller.

Mitose: Celledeling som del af dannelsen af køns-celler, som medfører, at køns-celler har halvdelen af det normale antal kromosomer. Ved befrugtningen med sammensmeltning af æg og sæd-celler bliver antallet af kromosomer igen normalt.

Mesenchymale stamceller: Stamceller, der findes i det umodne bindevæv hos fostre og knogle-mær hos voksne, samt i mindre antal i navlestrengs-blod. Cellerne kan ud-specialiseres til knogle-, brusk-, bindevævs- og muskelceller.

Mesoderm: Betegnelse for det midterste kimblad under den tidlige fosterudvikling. Mesoderm giver ophav til knogler, brusk, muskler, bindevæv og knoglemarv, herunder blodets celler.

Multi-potent: En stamcelles evne til at give ophav til mere end én celletype.

Mitose: Celledeling hvor der dannes to ens datterceller. Herved kan antallet af celler øges (vækst) eller nye celler dannes til erstatning af nedslidte eller døde celler (fornyelse).

Navlestrengs-blod: Blod fra den nyfødte som bliver tilbage i navlestrengen efter fødslen, og som derfor indeholder den nyfødtes blodceller, bloddannende stamceller og mesenchymale stamceller.

Neurale stamceller: Stamceller, der findes i den udviklende hjjerne- og rygmarvs-anlæg, og stadig forekommer i mindre antal i udvalgte områder af hjernen (f. eks. hippocampus) og i cell-laget, der beklæder hjernens hulrum (den subventrikulære zone). De neurale stamceller er ophav til de forskellige typer af nerveceller (neuroner) og glia-celler (støtt-celler).

Neuroner: Nerveceller, der gennem dan-nelsen af indbyrdes forbindelser og forbindelser til sans-organe, muskler og indvolds er grundlaget for bearbejdning af information i nervesystemet.

Pluripotent: En stamcelles evne til at give ophav til alle de forskellige celletyper, der findes i kroppen. Pluripotente embryonale stamceller kan ikke danne de celletyper, der findes udenfor og omkring fosteret (moderterge og fosterhinder). Embryonale stamceller kan derfor ikke danne et nyt individ ved ind-sættelse i en forberedt livmoder, som f. eks. et befrugtet (totipotent) ægcelle.

Signalstoffer: Interne og eksterne faktorer, der styrer ændringer i cellers struktur og funktion.

Somatisk celle: Fællesbetegnelse for alle kroppens celler, bortset fra køns-celler.

Somatisk stamcelle: Betegnelse for vævs-deriverede stamceller eller voksne stamceller.

Stamceller: Celler, der er karakteriserede ved en særlig evne til at forny sig selv, og give ophav til en eller flere andre celletyper.

Totipotent: En totipotent celle kan give ophav til alle de celletyper, der findes i kroppen, samt de celletyper der udgør det ekstra-embryonale væv. En befrugtet ægcelle er totipotent, cellerne i de helt tidlige stadier efter den befrugtede ægs deling. Resultatet heraf er én-æggede tvillinger.

Transdifferencer: Betegnelse for at en stamcelle, der normalt giver ophav til celler indenfor et bestemt kimblad eller indenfor et bestemt væv, under særlige forhold kan dan-ne helt andre typer af celler. Der har således været rapporter om dannelse af hjertemu-skelceller fra bloddannede celler, med det siden tilbagevist.

Voksen-stamceller: Se vævs-deriverede stamceller.

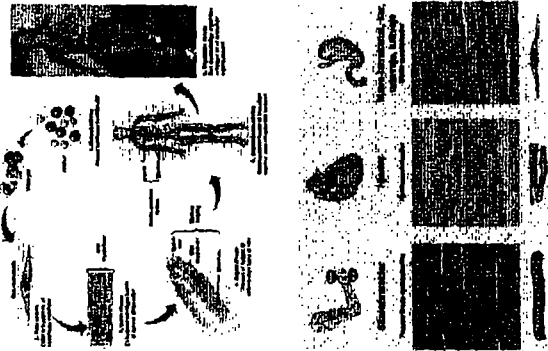
Unipotent: Betegnelse for en stamcelles evne til kun at kunne danne én type af efterfølgende specialiseret celle.

Væv: Samling af celler af samme type, som f. eks. skeletmusk-celler, der danner muskelvæv.

Vævs-deriverede stamceller: Vævs-deriverede eller somatiske eller voksne stamceller er stamceller, der findes i udviklende eller allerede udviklede væv og organer hos fostre og voksne individer og i navlestrengs-blod. Allt efter graden af ud-specialisering i retning af modne celler kan disse stamceller være multipotente eller unipotente, bestemt af deres evne til at give ophav til en enkelt eller flere typer af celler i det væv, de findes i og kan isoleres fra.

Stamceller som ny medicin – fakta og fiktioner

Celler – væv – organer



Celler

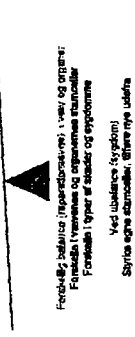
Cellerne er i sig selv mindre levende enheder eller byggesten. Der findes kun 200 forskellige typer af celler, som udlever bestemte opgaver. Eksempler er: nerveceller, der er grundlaget for hjernens og rygmarvens funktioner, muskel- og blodceller, der transporterer og leverer ilt til alle andre celler, og blodplader, der fungerer som blodets blodplaster.

Når celler af samme slags ligesammen, dannes de væv, som f. eks. epitelvæv, der ligner huden og slimhinder. Væv kan videre udvikles til forskellige typer af væv (epitelvæv, muskelvæv og bindevæv).

Udviklingen af forskellige vævstyper begynder i fosterstadiet. I den første halvdel af graviditeten dannes alle de forskellige væv i kroppen. De forskellige væv udvikles derefter til de forskellige organer, som f. eks. hjertet og blodkarrene, der bygges op af forskellige væv (epitelvæv, muskelvæv og bindevæv).

Regenerativ medicin

Celler og væv
Afhjælpning af skade
Afhjælpning af sygdomme
Støtte til væv
Støtte til organer



Forskellige behandlinger (transplantation, væv og organer) kan bruges til at erstatte eller reparere væv og organer. Ved hjælp af stamceller kan man skabe nye væv og organer. Dette kan være en mulighed for at behandle sygdomme som Parkinson's sygdom, diabetes og hjertesygdomme.

Andre sygdomme som diabetes, hjertesygdomme og Parkinson's sygdom kan også behandles med stamceller. Ved hjælp af stamceller kan man skabe nye væv og organer, der kan erstatte de gamle og defekte væv og organer.



Cellerterapi mod Parkinson's sygdom

Klinisk "proof-of-concept" for effektiv behandling af Parkinson's sygdom ved brug af dopaminproducerende celler. Behandlingen er sikker og effektiv. Behandlingen er sikker og effektiv. Behandlingen er sikker og effektiv.

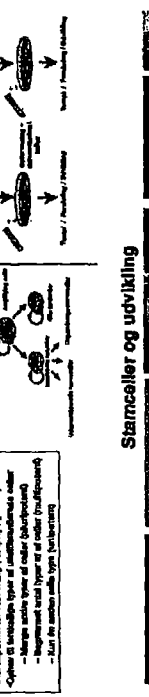
Effektiv behandling af Parkinson's sygdom ved brug af dopaminproducerende celler. Behandlingen er sikker og effektiv. Behandlingen er sikker og effektiv. Behandlingen er sikker og effektiv.

Stamceller

Stamceller er celler, som både kan danne nye celler af sig selv (selvfornyelse) og give opstigning til andre typer af celler. De findes i alle væv og organer. De kan bruges til at erstatte eller reparere væv og organer. De kan bruges til at behandle sygdomme som Parkinson's sygdom, diabetes og hjertesygdomme.

Stamceller er celler, som både kan danne nye celler af sig selv (selvfornyelse) og give opstigning til andre typer af celler. De findes i alle væv og organer. De kan bruges til at erstatte eller reparere væv og organer. De kan bruges til at behandle sygdomme som Parkinson's sygdom, diabetes og hjertesygdomme.

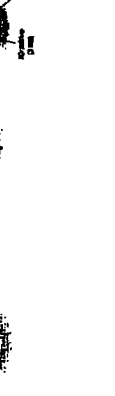
Stamceller er celler, som både kan danne nye celler af sig selv (selvfornyelse) og give opstigning til andre typer af celler. De findes i alle væv og organer. De kan bruges til at erstatte eller reparere væv og organer. De kan bruges til at behandle sygdomme som Parkinson's sygdom, diabetes og hjertesygdomme.



Terapeutisk kloning

Produktion af embryonale stamceller med patientens eget genetiske materiale og vævstype. Dette kan bruges til at behandle sygdomme som Parkinson's sygdom, diabetes og hjertesygdomme.

Terapeutisk kloning er et felt i Sverige og England. Reproductiv kloning af mennesker er forbudt. Dette kan bruges til at behandle sygdomme som Parkinson's sygdom, diabetes og hjertesygdomme.



Klinisk-terapeutisk brug af stamceller

Transplantation til behandling af cancer og HIV. Transplantation til behandling af Parkinson's sygdom, diabetes og hjertesygdomme. Transplantation til behandling af hjertesygdomme, diabetes og Parkinson's sygdom.



Andre anvendelser af stamceller. Stamceller kan bruges til at behandle sygdomme som Parkinson's sygdom, diabetes og hjertesygdomme. Stamceller kan bruges til at behandle sygdomme som Parkinson's sygdom, diabetes og hjertesygdomme.

Forudsætninger og begrænsninger ved stamcellerterapi

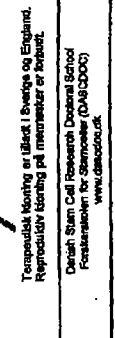
Behov for et stort oplysningsniveau. Forudsætninger og begrænsninger ved stamcellerterapi. Forudsætninger og begrænsninger ved stamcellerterapi.

Behov for et stort oplysningsniveau. Forudsætninger og begrænsninger ved stamcellerterapi. Forudsætninger og begrænsninger ved stamcellerterapi. Forudsætninger og begrænsninger ved stamcellerterapi.

Terapeutisk kloning

Produktion af embryonale stamceller med patientens eget genetiske materiale og vævstype. Dette kan bruges til at behandle sygdomme som Parkinson's sygdom, diabetes og hjertesygdomme.

Terapeutisk kloning er et felt i Sverige og England. Reproductiv kloning af mennesker er forbudt. Dette kan bruges til at behandle sygdomme som Parkinson's sygdom, diabetes og hjertesygdomme.



Bilag 4