1. Nazwa projektu: **„Innowacyjne zastosowanie komórek macierzystych oraz biokompatybilnych polielektrolitowych nanocząstek uwalniających neurotrofiny w leczeniu adjuwantowym chorób neurodegeneracyjnych” – NeOStem**
2. Projekt realizowany będzie w ramach zadań Agencji Badań Medycznych, o których mowa
w art. 15 ust. 2 Ustawy o Agencji Badań Medycznych (Dz. U. 2019, poz. 447)
3. Środki finansowe na realizację Projektu zostaną pokryte w 100% ze środków Agencji Badań Medycznych;
4. Projekt realizowany przez Konsorcjum:

Lider : Pomorski uniwersytet Medyczny w Szczecinie

1.Instytut Medycyny Doświadczalnej i Klinicznej im. M. Mossakowskiego PAN

2. Warszawski Uniwersytet Medyczny

3. Uniwersytet Warmińsko-Mazurski w Olsztynie

1. Podział zadań
2. Przygotowanie protokołu badania i jego rejestracja
3. Zarządzanie projektem
4. Prototypowanie wyrobu medycznego terapii zaawansowanej w postaci komórkowo-neurotrofinowej
5. Realizacja badania klinicznego - okres rekrutacji i badań przesiewowych
6. Realizacja badania klinicznego - okres leczenia
7. Realizacja badania klinicznego -okres obserwacji i zakończenia badania
8. Zarządzanie, monitorowanie, koordynacja realizacji oraz obsługa badania klinicznego i projektu
9. Analiza naukowa

**okres realizacji - 01.01.2021 - 31.12.2025**

1. Celem projektu jest ocena bezpieczeństwa i skuteczności innowacyjnej terapii łączonej w chorobach neurodegeneracyjnych. Terapia oparta jest na komórkach macierzystych/progenitorowych (KM) oraz biokompatybilnych nanocząstkach zbudowanych z polielektrolitów uwalniających neurotrofiny (NTs), wzmacniających efekt adiuwantowy komórek. Projekt obejmuje dwa badania kliniczne fazy II: randomizowane, kontrolowane placebo i podwójnie zaślepione. Pierwsze z nich to wieloośrodkowe, wieloramienne badanie z udziałem pacjentów ze stwardnieniem zanikowym bocznym (SLA) – 60 pacjentów + 20 grupa kontrolna / po 20 pacjentów na ośrodek/ . Drugie to jednoośrodkowe badanie z udziałem pacjentów ze zwyrodnieniem barwnikowym siatkówki (RP) – 30 pacjentów + 10 grupa kontrolna (PUM).
2. Ośrodki kliniczne biorące udział w projekcie wykazały dotychczas w niekomercyjnych badaniach klinicznych, na małych grupach pacjentów, bezpieczeństwo proponowanej terapii komórkowej. W przedstawionych w projekcie badaniach efekt adiuwantowy komórek macierzystych zostanie wzmocniony przez podanie nanocząstek o unikatowej, innowacyjnej strukturze, zapewniającej powolne wydzielanie neurotrofin w organizmie. Ponadto, dzięki temu, że każdy z trzech ośrodków kliniczno-naukowych posiada indywidualne doświadczenie w terapii komórkowej pacjentów z SLA, po raz pierwszy, w jednym badaniu klinicznym zostaną porównane właściwości terapeutyczne trzech różnych populacji KM. W tym celu badanie będzie prowadzone w każdym ośrodku w oparciu o wspólny protokół.