



Roma, 20

giugno 2024 - L'IRCCS Casa

Sollievo della Sofferenza Opera di San Pio da Pietrelcina e Revert ONLUS, hanno presentato oggi due nuove prospettive di trattamento

per la Sclerosi Laterale Amiotrofica (SLA) e la Sclerosi Multipla (SM), attraverso il trapianto di cellule staminali cerebrali. In

occasione di un evento presso la sede della Pontifica Accademia per la Vita

alla presenza del Ministro della Salute on. Orazio Schillaci, di sua Eccellenza Mons. Vincenzo Paglia, Presidente della Pontifica Accademia per la

Vita, del Direttore Amministrativo dell'Agenzia Italiana del Farmaco, Giovanni Pavesi, del Presidente e del

Direttore della Fondazione Casa Sollievo della Sofferenza, rispettivamente

l'Arcivescovo Franco Moscone e Gino Gumirato e il Presidente della

Fondazione Revert Onlus, avv. Gaetano

Tasca, sono stati illustrati gli importanti risultati del trial clinico

di Fase 1 per la SM secondaria progressiva e il recente inizio della sperimentazione

di fase 2 per la SLA.

Il trattamento con cellule staminali cerebrali rappresenta, ad oggi, una delle terapie potenzialmente più

efficaci contro queste patologie. La metodologia messa a punto e le ricerche condotte dal prof. Angelo Luigi Vescovi - Direttore Scientifico dell'IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza Opera di San Pio da Pietrelcina, Presidente del comitato nazionale di Bioetica e Fondatore di Revert ONLUS - hanno infatti mostrato che il trapianto intracerebrale di cellule staminali cerebrali può normalizzare il quadro fisiopatologico mediante il rilascio di sostanze trofiche e antinfiammatorie.

Per quanto riguarda la ricerca per la terapia della SLA, a gennaio 2024 è iniziato il reclutamento dei pazienti per la sperimentazione clinica di fase 2 con le stesse cellule. Sotto la direzione della prof.ssa Letizia Mazzini, tra marzo e maggio del 2024, il team ospedaliero del dott. Leonardo Gorgoglione e del dott. Giuseppe d'Orsi ha trapiantato due pazienti, e il terzo intervento si terrà a luglio.

Questo importante traguardo è stato raggiunto grazie agli incoraggianti risultati ottenuti con la fase 1 della sperimentazione, iniziata nel 2012 e che ha visto per la prima volta al mondo, il trapianto di cellule staminali cerebrali in differenti aree del midollo spinale di pazienti affetti da SLA. La sperimentazione condotta dal gruppo di ricerca del prof. Vescovi è l'unica al mondo ad essere approdata alla fase 2.

Il costo di questa nuova fase sperimentale è di 4,3 mln di euro. Un finanziamento di 1mln di euro è stato ricevuto grazie a un bando PNRR europeo (il progetto si è classificato primo su 300 presentati).

“In questa nuova fase sperimentale il trapianto di cellule non sarà più effettuato mediante iniezioni a livello del midollo spinale - come nella fase 1 - ma con una procedura chirurgica molto più semplice e sicura per i pazienti - ha spiegato il prof. Angelo Vescovi

- Le cellule staminali verranno inoculate nei ventricoli cerebrali mediante l'impiego di un catetere collegato ad un reservoir di Ommay. L'estremità del catetere verrà posizionata nel ventricolo, mentre il serbatoio sotto il cuoio capelluto. Si tratta di una procedura chirurgica consolidata e utilizzata routinariamente nella chirurgia dei tumori e che è stata applicata anche nell'ambito del trial clinico di fase 1 per la Sclerosi Multipla, condotto sempre dal mio team e portato a termine nel 2021 senza che siano stati rilevati eventi avversi”.

“Questo approccio, meno invasivo e potenzialmente più efficace in quanto permette alle cellule di raggiungere più motoneuroni ammalati, rappresenta un’importante evoluzione nella ricerca sulla terapia cellulare per i pazienti affetti da Sclerosi Laterale Amiotrofica, di cui siamo stati pionieri ormai 20 anni fa”, ha aggiunto la prof.ssa Letizia Mazzini, Direttrice della SCDU Neurologia e del Centro Esperto SLA dell’Azienda ospedaliero-universitaria di Novara.

Per quanto riguarda invece, la sperimentazione per il trattamento della SM, il team di ricerca guidato dal prof. Vescovi ha portato a termine un trial clinico di fase 1 con cellule staminali cerebrali umane, i cui risultati sono stati pubblicati a novembre 2023 sull’autorevole rivista *Cell Stem Cell*. Grazie agli incoraggianti risultati ottenuti è possibile a questo punto procedere con la fase 2 della sperimentazione che sarà mirata a consolidare i risultati sulla sicurezza del trattamento ottenuti nella fase 1, ma sarà progettata anche per fornire alcune indicazioni utili a valutare il dosaggio e la possibile efficacia terapeutica delle cellule.

Il team di lavoro del prof.

Vescovi è impegnato nella stesura del protocollo che verrà sottoposto ad AIFA per ottenere le autorizzazioni necessarie per dare inizio alla seconda fase del trial clinico.