



Nel 60% dei pazienti è stata bloccata la progressione della malattia senza aggravamenti della disabilità dopo dieci anni dal trapianto e miglioramenti del quadro neurologico



Milano, 23 marzo 2022 - Le cellule staminali per uso autologo rappresentano ad oggi una grande risorsa in costante evoluzione. Uno studio* realizzato in Italia dall'Università di Genova e dell'Ospedale San Martino condotto dal prof. Gianluigi Mancardi e dal dott. Giacomo Boffa utilizza cellule staminali autologhe per malattie autoimmuni come la sclerosi multipla, concentrandosi sui casi in cui la malattia si manifesta con una forma particolarmente aggressiva, a rapida evoluzione e poco rispondente alle attuali terapie.

La sclerosi multipla è una patologia che si manifesta quando, erroneamente, le difese immunitarie iniziano a reagire con strutture del Sistema Nervoso Centrale (SNC) non riconoscendole come facenti parti dell'organismo. Le strutture del SNC identificate in modo anomalo, come non self (estrane) sono la mielina, ossia la guaina che circonda le fibre nervose, gli oligodendrociti, ovvero le cellule specializzate nella produzione di mielina e le fibre nervose stesse. Questa anormale reazione immunitaria determina delle lesioni caratteristiche alla mielina denominate placche.

L'equipe medica impegnata nello studio ha dimostrato per la prima volta l'efficacia a lungo termine del trapianto autologo di cellule staminali ematopoietiche in pazienti con sclerosi multipla aggressiva. Grazie all'infusione di cellule staminali ematopoietiche autologhe è stata bloccata la progressione della malattia ed è stato ripristinato il sistema immunitario.

Sono stati sottoposti allo studio 220 pazienti con sclerosi multipla aggressiva che hanno subito un trapianto in Italia dal 1998 al 2019 e sono stati seguiti per un follow up medio di circa 6 anni.

I dati hanno dimostrato che oltre il 60% dei pazienti non ha subito un aggravamento della disabilità dopo dieci anni dal trapianto e in molti casi si è osservato anche un miglioramento del quadro neurologico duraturo nel tempo.

La Sclerosi Multipla è una patologia autoimmune che colpisce circa 2,8 milioni di persone nel mondo, 1,2 milioni in Europa e circa 130.000 in Italia. Le donne sono maggiormente colpite rispetto agli uomini e l'età media di esordio è tra i 20 e i 40 anni. Le cellule staminali ematopoietiche non sono ancora completamente differenziate, "pluripotenti", e possono dare origine a tutte le cellule del sangue e del sistema immunitario: globuli rossi, globuli bianchi e piastrine e sono in grado di adattarsi per svolgere il ruolo riparatorio del "danno".

"L'infusione di cellule staminali ematopoietiche è una procedura in grado di cambiare la storia della malattia di questi pazienti, poco rappresentati negli studi clinici - spiega la dott.ssa Stefania Fumarola, biologa e responsabile scientifica di In Scientia Fides - con effetti positivi che si protraggono per anni dopo il trattamento. Le cellule staminali ematopoietiche hanno un valore inestimabile, grazie alla loro immaturità immunologica che gli permette di differenziarsi in una qualsiasi cellula del sangue e riprodursi per poter ripristinare il sistema immunitario".

"Una volta iniettate, sono in grado di "sentire" se e dove qualcosa non va, di interloquire con l'ambiente danneggiato e di agire su di esso. Possono rimpiazzare le cellule danneggiate, promuovere il supporto trofico del tessuto responsabile della sopravvivenza dei neuroni, e la plasticità sinaptica compromessa dalla malattia, finanche diventare cellule della mielina per produrre nuova mielina. Non sono cellule specializzate per questi compiti, ma sono in grado di adattarsi per svolgere ciascuno di essi quando intercettano un danno", conclude la dott.ssa Fumarola.

**Long-term Clinical Outcomes of Hematopoietic Stem Cell Transplantation in Multiple Sclerosis.*

Giacomo Boffa, Luca Massacesi, Matilde Inglese, Alice Mariottini, Marco Capobianco, Lucia Moiola, Maria Pia Amato, Salvatore Cottone, Francesca Gualandi, Marco De Gobbi, Raffaella Greco, Rosanna Scimè, Jessica Frau, Giovanni Bosco Zimatore, Antonio Bertolotto, Giancarlo Comi, Antonio Uccelli, Alessio Signori, Emanuele Angelucci, Chiara Innocenti, Fabio Ciceri, Anna Maria Repice, Maria Pia Sormani, Riccardo Saccardi, Gianluigi Mancardi. Neurology Feb 2021, 96 (8) e1215-e1226; DOI: 10.1212/WNL.00000000000011461 of Hematopoietic Stem Cell Transplantation in Multiple Sclerosis. Neurology. February 23, 2021