



**OSPEDALE POLICLINICO SAN MARTINO**

Sistema Sanitario Regione Liguria

Largo Rosanna Benzi, 10 - 16132 GENOVA

*Lo studio ha rivelato uno studio retrospettivo multicentrico italiano, pubblicato sulla prestigiosa rivista *Neurology* e coordinato dall'IRCCS Ospedale Policlinico San Martino e dal Dipartimento di Neuroscienze, Riabilitazione, Oftalmologia, Genetica e Scienze Materno-Infantili (DINOEMI) dell'Università di Genova*



Genova,  
21 gennaio 2021 - Lo studio del prof. Gianluigi Mancardi e del dott. Giacomo Boffa, dell'Università di Genova e dell'IRCCS Ospedale Policlinico San Martino, ha dimostrato per la prima volta l'efficacia a lungo termine del trapianto autologo di cellule staminali ematopoietiche: persone con sclerosi multipla (SM) aggressiva sottoposti al trapianto hanno una remissione di malattia duratura nel tempo.

I risultati dello studio retrospettivo, che ha coinvolto 20 centri italiani, hanno un'enorme rilevanza nell'ambito della ricerca sulla SM, perché nonostante esistano terapie in grado di rallentare la progressione della malattia, non è ancora possibile bloccarla del tutto.



*Prof. Gianluigi Mancardi*

La SM colpisce circa 3.400 persone ogni anno in Italia, con un'età di esordio generalmente tra i 20 e i 40 anni. La maggior parte delle persone con SM presenta una forma di malattia in cui il danno a livello neurologico si accumula molto lentamente. Su questa forma di SM si sono sviluppate tutte le terapie approvate oggi. Esiste invece una piccola parte di pazienti, quasi il 10% dei casi, che presenta forme di SM particolarmente aggressive e che risponde poco alle terapie. In questi pazienti è necessario agire velocemente, in quanto la malattia può causare danni irreparabili in poche settimane o pochi mesi.

Lo studio retrospettivo, in parte finanziato dalla Fondazione Italiana Sclerosi Multipla (FISM) e pubblicato su *Neurology*, ha analizzato l'efficacia nel tempo del trapianto autologo di cellule staminali ematopoietiche, che prevede il prelievo di cellule staminali dal paziente a cui vengono re-infuse dopo un trattamento chemioterapico. Il lavoro prevedeva un'intensa immunosoppressione iniziale, per eliminare l'infiammazione del sistema nervoso che caratterizza la SM, seguita da una re-infusione delle cellule staminali ematopoietiche precedentemente raccolte dal paziente stesso, per la formazione di un nuovo sistema immunitario, più tollerante e meno aggressivo. Sono stati studiati tutti i pazienti con SM aggressiva che hanno subito un

trapianto in Italia dal 1998 al 2019 che sono stati seguiti per un follow up medio di circa 6 anni.

I

dati dimostrano che oltre il 60% dei pazienti non ha un aggravamento della disabilità dopo 10 anni dal trapianto e in molti casi si osserva anche un miglioramento del quadro neurologico duraturo nel tempo.

“I

risultati ottenuti sono di fondamentale importanza nel contesto attuale della malattia perché i pazienti presi in esame hanno una forma di sclerosi multipla particolarmente aggressiva e che, per questo, spesso vengono esclusi dalle sperimentazioni cliniche. Tutto ciò spiega le poche terapie disponibili per loro - afferma il dott. Giacomo Boffa, che prosegue - inoltre ad oggi il nostro è lo studio con il più lungo follow up dopo trapianto, molti pazienti sono stati seguiti per oltre dieci anni: aspetto fondamentale per la SM, che è una malattia molto lenta e cronica. Infatti, sono necessari lunghi periodi di osservazione prima di riuscire a comprendere se un trattamento ha avuto effetto, perché molti pazienti possono andare incontro ad una progressione ‘silente’ di malattia, che spesso non è evidente nei primi anni di terapia”.

II

prof. Gianluigi Mancardi, uno dei pionieri del trapianto autologo di cellule staminali in persone affette da SM, ha visto così cambiare negli anni la procedura: “All’inizio ci si rivolgeva a soggetti con una malattia in fase avanzata che si rispecchiava in una grave disabilità. Ora invece il target è composto da pazienti aggressivi, quelli che non rispondono alle terapie, anticipando il trapianto autologo nel tempo: nel momento in cui ci si accorge che la persona non risponde alle terapie tradizionali, il trapianto autologo è una delle opzioni più importanti. Ciò permette anche di intervenire quando il paziente ha ancora delle possibilità di recupero. Il problema principale della terapia rimane il rischio di mortalità, che però sta progressivamente diminuendo nel tempo e ora è intorno allo 0,3%”.

Conclude

la prof.ssa Matilde

Inglese, responsabile del Centro Sclerosi Multipla del San Martino e dell’Università di Genova: “I risultati raggiunti dimostrano come il trapianto

di staminali ematopoietiche sia una procedura in grado di cambiare la storia della malattia di questi pazienti, poco rappresentati negli studi clinici, con effetti positivi che si protraggono per anni dopo il trattamento”.