

Cari amici e sostenitori di REVERT Onlus,

la presente per darvi un aggiornamento sullo svolgimento della sperimentazione di fase 1 con trapianto di cellule staminali cerebrali umane in pazienti affetti da Sclerosi Laterale Amiotrofica.

Come ben sapete, ISS AIFA e i Comitati Etici hanno autorizzato l'avvio del trapianto nel secondo gruppo di pazienti (sei), conclusosi poi lo scorso marzo, che prevedeva l'inoculazione in regione cervicale, a livello delle vertebre C3-C4. Questo trapianto, più complesso, era diretto a un'area del midollo più rilevante per il decorso della malattia e quindi foriera, da un punto di vista terapeutico, di risultati più significativi. Sono stati trattati 6 pazienti colpiti da SLA, deambulanti con ausili o assistenza; i primi 3 pazienti sono stati inoculati in 3 punti da un solo lato del midollo, gli altri 3 hanno ricevuto l'inoculazione bilateralmente per un totale di 6 punti, ricevendo rispettivamente 2,5 e 5 milioni di cellule in totale, come da protocollo. La seconda parte della sperimentazione è terminata positivamente, senza eventi avversi imputabili alla procedura chirurgica o alle cellule trapiantate.

La nostra equipe ha ottenuto dall'Istituto Superiore di Sanità e dall'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) l'autorizzazione ad avviare la terza e ultima parte del trial clinico di fase 1, attualmente in corso, che prevede il trapianto nella stessa regione, in pazienti con uno stadio clinico della malattia un po' meno avanzato del gruppo precedente.

Tre dei 6 pazienti reclutati, che hanno queste caratteristiche cliniche, sono stati trattati e stanno attualmente effettuando il ciclo di fisioterapia previsto. Contiamo di concludere la terza ed ultima parte del trial entro novembre 2014, così da completare la sperimentazione di fase 1. **[AGGIORNAMENTO - Settembre 2014]**

Ricordiamo che i pazienti non possono essere reclutati e trattati contemporaneamente, ma uno alla volta perché i tempi di osservazione e di preparazione al trattamento sono lunghi e la malattia è purtroppo progressiva. Ribadiamo, inoltre, che, al momento, lo studio è solo di verifica della sicurezza e questa fase viene necessariamente svolta in tutto il mondo solo su un piccolo campione di pazienti.

Rinnoviamo i ringraziamenti per il vostro supporto per questa iniziativa che, come sapete, è estraneamente complessa. Se, come speriamo, la fase I in questione si concluderà senza problemi, sarà quindi possibile avviare la fase II, su di un numero più ampio di pazienti, finalizzata alla valutazione degli effetti neurologici del trapianto sulla malattia, oltre ovviamente ad ampliare la raccolta dati su quelli sulla sicurezza. Si tratterebbe di un grosso passo in avanti e, al momento, l'evoluzione dello studio di fase I sembra proprio puntare in quella direzione.

Per ogni dubbio potete chiamare il numero verde: **800.011.011** o inviare una mail all'indirizzo [trials@revertonlus.org](mailto:trials@revertonlus.org)

Angelo Vescovi

Letizia Mazzini