

Alcuni ritengono che le malattie neurodegenerative siano senza ritorno.

*Revert vuole dimostrare il contrario.*



## REVERT: I PROGETTI

### 1) IL PRIMO TRAPIANTO AL MONDO DI CELLULE STAMINALI CEREBRALI UMANE PER LA CURA DELLA SLA

- Per la **SLA** ed in generale per le malattie neurodegenerative, **non esistono attualmente terapie**, ma solamente trattamenti che agiscono a livello della sintomatologia andando sì a migliorare le condizioni di vita del paziente, talvolta rallentando anche il decorso delle malattie stesse, ma non risolvendole completamente.

Il **trapianto di cellule staminali** in generale, e staminali **neurali** in particolare, costituisce una **reale possibilità di trovare finalmente la cura** per le malattie neurodegenerative.

La prima applicazione della ricerca sponsorizzata da Revert è stata proprio l'implementazione di un **protocollo di sperimentazione clinica di Fase I per il trapianto di staminali cerebrali umane su pazienti colpiti da Sclerosi Laterale Amiotrofica (SLA)**.

Lo studio sperimentale è stato condotto secondo i più rigorosi criteri scientifici ed etici, per una malattia neurologica mortale. La sperimentazione si è svolta secondo la normativa internazionale vigente, in accordo alle regole **EMA-European Medicine Agency** e con cellule prodotte in stretto regime **GMP (Good Manufacturing Practice, Norme di Buona Fabbricazione**, vale a dire riconosciute dalle commissioni di competenza sanitaria nazionale come idonee all'utilizzo in trial clinici di fase I), con certificazione **AIFA**.

Il trial di Fase I si è concluso a giugno 2015 con il diciottesimo trapianto delle cellule staminali neurali nel midollo spinale e apre la strada ad un trial clinico di fase II, in cui è previsto il trapianto di 60-80 pazienti SLA.

### 2) LA BANCA DELLE CELLULE STAMINALI CEREBRALI UMANE DI TERNI

La Banca di cellule staminali cerebrali umane fondata nel 2006 da Revert, in collaborazione con la Fondazione Cellule Staminali di Terni e l'Ospedale Santa Maria di Terni, permette di investigare l'enorme potenziale terapeutico delle cellule staminali neurali nella cura di pazienti.

Inoltre può costituire una sorgente preziosa di materiale biologico per lo studio in parallelo degli effetti tossici e del meccanismo d'azione dei farmaci riducendo notevolmente sia i costi sia i tempi necessari agli studi sugli animali e allo sviluppo di nuove terapie farmacologiche.

### 3) ISBREMIT

Il 13 Settembre 2015 è stato inaugurato a San Giovanni Rotondo l'Istituto di Medicina Rigenerativa ISBReMIT (Institute for Stem-cell Biology, Regenerative Medicine and Innovative Therapies)

Nato sulla base dell'esperienza del Direttore Scientifico Prof. Angelo Vescovi nel settore della medicina rigenerativa, punta a diventare polo di eccellenza integrato nel tessuto scientifico, clinico, produttivo e sociale a livello regionale, nazionale e internazionale, con la produzione di cellule staminali umane di grado clinico (Good Manufacturing Practice o GMP).

L'istituto è dotato di impianti ad elevata tecnologia per la produzione di cellule per sperimentazioni e terapie su pazienti. Il nuovo polo scientifico fungerà inoltre da incubatore per società spin-off e start-up in ambito biotecnologico e bioindustriale e da "trait d'union" tra ricerca accademica e di base nel settore biotecnologico, clinico e farmacologico generando ritorni di indotto rilevanti per il territorio.

Fiore all'occhiello del complesso di laboratori sarà un'officina farmaceutica in cui verranno prodotte cellule staminali di grado clinico per il trapianto nei pazienti secondo le normative, nazionali e internazionali, AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco) ed EMA (European Medicines Agency).

L'Istituto di Medicina Rigenerativa ISBReMIT è stato finanziato dal Ministero dell'Istruzione, dell'Università e della Ricerca nell'ambito del programma PON R&C di potenziamento strutturale.

Alcuni ritengono che le malattie neurodegenerative siano senza ritorno.

*Revert vuole dimostrare il contrario.*



#### **4) PROTOCOLLO SCLEROSI MULTIPLA**

Il protocollo per la sperimentazione sulla sclerosi multipla verrà a breve depositato all'AIFA.

Il progetto scientifico, il numero e i criteri di inclusione dei pazienti, le modalità di trapianto e la tipologia di cellule dovranno essere approvati dall'AIFA ed in seguito dai Comitati Etici.

Acquisiti i pareri positivi di tutti gli organi preposti, sarà possibile dare l'avvio alla sperimentazione e al reclutamento dei pazienti.

#### **5) FASE II SPERIMENTAZIONE SULLA SLA**

La sperimentazione di Fase II (terapeutica-esplorativa) indaga l'attività terapeutica del potenziale farmaco ed è volta a comprendere sia quale sarà la dose efficace, sia a determinare l'effetto del farmaco su alcuni parametri clinici considerati indicatori della salute del paziente.

In prima istanza il protocollo di sperimentazione dovrà essere depositato all'ISS e approvato dall'AIFA.

Per una sperimentazione di così ampia portata, sarà necessaria la creazione del network di centri italiani di neurologia, neurochirurgici e di produzione cellulare e l'individuazione di un centro unico di coordinamento che si occuperà di gestire i centri di reclutamento coinvolti e di coordinare l'elevato numero di pazienti che prenderanno parte al trial di Fase II (indicativamente tra i 60 e gli 80).

La Fase II prevede che il trapianto cervicale bilaterale venga effettuato in pazienti con uno stadio clinico della SLA non eccessivamente avanzato.

I pazienti saranno sottoposti a costante monitoraggio clinico-strumentale per tutta la durata della sperimentazione.

Visto l'elevato numero di pazienti coinvolti nella Fase II, il processo di trapianto e monitoraggio avrà durata almeno biennale e prevedrà il raddoppiamento del personale medico coinvolto e del personale coinvolto nella produzione cellulare.