

Alcuni ritengono che le malattie neurodegenerative siano senza ritorno.

Revert vuole dimostrare il contrario.

Ricerca, azione
Revert 

LA SLA: LE TAPPE DELLA SPERIMENTAZIONE

Il primo trapianto al mondo di cellule staminali cerebrali umane per la cura della SLA

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)**.

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**.

Le tappe della sperimentazione

- Sono stati costituiti ed istituiti a norma di legge i **laboratori** necessari alla **produzione** e alla conservazione delle **cellule staminali** secondo gli standard **GMP** (Norme di Buona Fabbricazione).
- Sono state prodotte linee di cellule staminali neurali in regime di Ricerca e Sviluppo, per poter poi avviare la produzione secondo gli standard GMP ed il **22 luglio 2010 è stata ottenuta dall'AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco) l'autorizzazione** alla produzione di farmaci per terapie cellulari avanzate (aM 101/2010), riconoscimento necessario per avviare la coltura intensiva di cellule staminali neurali idonee e sicure per la successiva sperimentazione sull'uomo.
- Il **25 marzo 2011** la commissione competente presso **l'Istituto Superiore di Sanità ha approvato la richiesta di procedere con la sperimentazione clinica di fase I**: il trapianto di cellule staminali cerebrali umane in pazienti affetti da SLA. E' stato quindi effettuato – secondo obbligo di legge – l'invio del dossier scientifico della sperimentazione ai comitati etici dei vari centri ospedalieri coinvolti nello studio. Compito dei comitati etici è quello di vagliare il protocollo e di esprimere il loro parere in tempi plausibilmente contenuti. Questa procedura è obbligatoria ed è posta a tutela dei pazienti coinvolti: serve infatti ad analizzare definitivamente la sicurezza del trial in relazione ai mezzi e alle strutture ospedaliere a disposizione degli sperimentatori. I comitati etici inoltre forniscono un fondamentale contributo per definire i criteri di selezione e reclutamento dei pazienti.
- Il **25 agosto 2011** i comitati etici hanno espresso parere favorevole allo svolgimento del trial clinico.
- Il **7 dicembre 2011** è cominciata la fase di selezione e reclutamento dei pazienti affetti da SLA ed il loro follow up pre-intervento.
- Il **25 giugno 2012** l'equipe coordinata dal Prof. Angelo Luigi Vescovi e, per la parte neurologica, dalla Dr.ssa Letizia Mazzini Responsabile del Centro SLA dell'Ospedale Maggiore della Carità (Novara), ha portato a termine **il primo trapianto al mondo di cellule staminali del cervello umano da aborto spontaneo nel midollo spinale del primo dei diciotto pazienti affetti da Sclerosi Laterale Amiotrofica (SLA)**, reclutato nel trial clinico di fase 1 autorizzato dall'Istituto Superiore di Sanità. In seguito, sono stati effettuati interventi analoghi su 5 rimanenti pazienti del primo gruppo, con cadenza quasi mensile. E' previsto l'impianto di cellule staminali cerebrali in un totale di diciotto pazienti SLA, in aree diverse del midollo spinale.

Alcuni ritengono che le malattie neurodegenerative siano senza ritorno.

Revert vuole dimostrare il contrario.



- **La prima fase di questo protocollo è terminata con successo il 22 marzo 2013**, non rilevando eventi avversi importanti imputabili alla procedura chirurgica o alle cellule trapiantate. Alla luce di quanto emerso, l'Istituto Superiore di Sanità e l'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) hanno autorizzato l'avvio della seconda parte della sperimentazione che prevede il trapianto in zone più alte del midollo spinale, cioè in regione cervicale.
- La seconda parte della sperimentazione di Fase 1 si è conclusa nel **marzo 2014** con il trattamento degli ultimi tre pazienti che hanno ricevuto l'inoculazione sempre in regione midollare cervicale, ma bilateralmente, in 6 punti per un totale di 5 milioni di cellule. Anche questa parte della sperimentazione è terminata positivamente, senza eventi avversi imputabili alla procedura chirurgica o alle cellule trapiantate. Revert Onlus 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, che prevedeva il trapianto nella stessa regione, in pazienti con uno stadio clinico della malattia meno avanzato del gruppo precedente.
- **5 Giugno 2015:** è stato trapiantato nel midollo spinale cervicale, con cellule staminali cerebrali, **il diciottesimo ed ultimo paziente affetto da Sclerosi Laterale Amiotrofica (SLA)**. Questo intervento ha concluso la parte dei trapianti della sperimentazione, mentre il monitoraggio delle condizioni dei pazienti trapiantati continuerà, per valutare l'evoluzione della malattia dopo il trattamento e la sicurezza ed innocuità del medesimo.
- La conclusione della fase I apre la porta alla preparazione di un protocollo sperimentale di **Fase II, in cui si prevede che saranno arruolati tra i 60 e gli 80 pazienti e che sarà finalizzata a valutare il miglioramento del dosaggio delle cellule e la loro potenziale efficacia terapeutica.**