



CONFERENZA STAMPA DI PRESENTAZIONE DI XELLBIOGENE DEL 20.2.2014

Sintesi dell'intervento della Dr.ssa Maria Ester Bernardo sull'impiego delle cellule staminali mesenchimali per la cura della malattia del trapianto contro l'ospite

Le cellule staminali mesenchimali (MSC) sono cellule multipotenti in grado di differenziarsi sia *in vitro*, in presenza di appropriate condizioni di coltura, sia in modelli animali, nei vari tessuti che originano dal foglietto mesodermico, quali osso, tessuto adiposo e cartilagine. Le MSC possono essere isolate da numerosi tessuti: primo fra tutti il midollo osseo nel quale contribuiscono a costruire lo stroma midollare, il tessuto adiposo, il muscolo, l'osso trabecolare, la polpa dentaria e il sangue placentare. Le MSC dispongono di spiccate proprietà immunomodulatorie attraverso le quali interagiscono con le cellule del sistema immunitario di tipo adattativo ed innato, regolandone la funzione. Recentemente è stato dimostrato che le MSC sono in grado di registrare lo stato infiammatorio presente in un tessuto/ambiente e di comportarsi, attraverso la produzione di fattori di crescita e citochine, oltre che attraverso il contatto con altre cellule, come cellule anti-infiammatorie, stimolando il riparo del tessuto sede di danno.

In considerazione del loro potenziale differenziativo ed immunomodulatorio, e della loro capacità di riparare tessuti danneggiati o infiammati, nel corso degli ultimi anni le MSCs hanno sollevato significativo interesse per il loro impiego nell'ambito sia del trapianto di cellule staminali emopoietiche (HSCT) sia della Medicina Rigenerativa. La loro capacità di sostenere e promuovere la crescita e la differenziazione dei progenitori emopoietici nel microambiente midollare è stata dimostrata in molteplici studi, sostenendone l'utilizzo nel contesto dell'HSCT, al fine sia di promuovere l'attecchimento sostenuto nel tempo delle cellule staminali emopoietiche del donatore sia di ridurre l'incidenza e la severità della malattia del trapianto contro l'ospite acuta (graft-versus-host disease, GvHD). La GvHD acuta rappresenta una complicanza invalidante e potenzialmente letale dell'HSCT, legata all'aggressione, da parte dei linfociti T del donatore, dei tessuti del ricevente, in particolare cute, apparato gastroenterico e fegato. E' stato dimostrato, in studi sperimentali di fase I/II condotti dal nostro gruppo in collaborazione con altri centri europei, che la somministrazione per via endovenosa di MSC espanse in laboratorio in pazienti affetti da GvHD acuta non responsiva ai trattamenti convenzionali è in grado di determinare la guarigione della GvHD in oltre il 70% dei soggetti (adulti e pediatrici).

Xellbiogene srl - Sede Legale: Largo Agostino Gemelli, 8 - 00168 Roma

Capitale Sociale: 1.000.000,00 euro i.v. - Registro Imprese, Codice Fiscale e P. IVA: 12622371008 - REA: RM-1388719
mail: info@xellbiogene.com | pec: xellbiogene@legalmail.it | www.xellbiogene.com



Sulla base di questi promettenti risultati, è in fase di lancio una sperimentazione clinica di fase III, randomizzata, europea, nella quale le MSC verranno impiegate come terapia di seconda linea in associazione ad un trattamento standard nei pazienti non responsivi alla terapia steroidea di prima linea. I pazienti, adulti e pediatrici, arruolati verranno randomizzati per ricevere la terapia di seconda linea in associazione alle MSC oppure la terapia di seconda linea in associazione a placebo. Questa studio, basato sull'impiego di un prodotto per terapia avanzata (le MSC espanse in laboratorio), rappresenta la prima sperimentazione multicentrica di tipo accademico in questo ambito e ci permetterà di definire se le MSC consentono di ottenere risultati paragonabili o migliori rispetto alle terapie standard nel trattamento della GvHD acuta steroide-resistente.

Dr. Maria Ester Bernardo
Dipartimento di Onco–Ematologia Pediatrica
IRCCS Ospedale Pediatrico Bambino Gesù
Direttore Prof. Franco Locatelli

