

7 dicembre 2011

A seguito del parere favorevole ottenuto dai Comitati Etici dei centri coinvolti si avvierà il reclutamento dei pazienti con SLA per lo studio di trapianto intramidollare di cellule staminali neurali umane come terapia putativa per la SLA: proposta di un trial clinico di fase Iö.

Responsabile e coordinatore dello studio è il prof Angelo Vescovi (Direttore IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza San Giovanni Rotondo).

I ricercatori clinici responsabili del reclutamento e monitoraggio dei pazienti sono la dott. Letizia Mazzini (Responsabile Centro Regionale Esperto SLA di Novara) e il dr Gianni Sorarù (Responsabile Ambulatorio Malattie del Motoneuroni di Padova).

Lo studio è promosso dall'Azienda Ospedaliera Santa Maria di Terni ed è stato autorizzato dall'Istituto Superiore di Sanità per una fase 1, cioè si propone di verificare se il trapianto di cellule staminali cerebrali nel midollo spinale possa comportare dei danni (**si intende quindi verificare la sicurezza e non l'efficacia del trattamento chirurgico e dell'inoculo di cellule**). Lo studio è altamente innovativo e non è mai stato effettuato sull'uomo. Sia il tipo cellulare, infatti, che la modalità di iniezione sono sperimentali. L'impianto delle cellule è una condizione irreversibile (le cellule non possono essere rimosse dopo essere state trapiantate). I ricercatori non sono in grado di prevederne le reazioni nell'uomo. Al fine di evitare una reazione immunitaria da rigetto sarà inoltre necessaria l'assunzione di farmaci ad azione immunosoppressiva per tutta la vita. L'assunzione di questi farmaci rende più vulnerabili a complicanze infettive che nella SLA possono anche essere fatali.

Le cellule staminali cerebrali umane coltivate in laboratorio saranno reimpiantate attraverso intervento chirurgico a livello del midollo spinale in anestesia generale. L'intervento sarà effettuato con la Neurochirurgia dell'Ospedale Santa Maria di Terni dove è ubicato il Laboratorio Cellule Staminali dove sono attualmente in produzione le cellule da impiantare.

Verranno reclutati 18 pazienti che saranno divisi in gruppi di 6 pazienti di diversa gravità funzionale, che riceveranno il trapianto a blocchi ed in modo progressivo. Il passaggio da un gruppo

al successivo deve essere autorizzato dall'Istituto Superiore di Sanità sulla base degli eventi avversi manifestati dai pazienti del gruppo precedente.

Attualmente stiamo effettuando solo il reclutamento dei pazienti del I gruppo.

Il primo gruppo (**Gruppo A**) includerà pazienti che non sono in grado di deambulare. I pazienti appartenenti a questo gruppo devono avere una spirometria con un valore di Capacità Vitale Forzata >60% del predetto oppure essere portatori di tracheotomia da almeno 3 mesi ed essere comunque in grado di respirare anche autonomamente per lunghi periodi al fine di consentire l'esecuzione della Risonanza Magnetica Nucleare.

Tutti i pazienti dovranno inoltre soddisfare questi criteri di inclusione:

1. Diagnosi di SLA definita
2. Età: 20-75 anni
3. Documentata progressione di malattia negli ultimi 6 mesi
4. Assenza di patologie concomitanti complicanti il quadro clinico
5. Paziente già seguito presso il Centro SLA di reclutamento o che sia residente in area geografica facilmente accessibile e che offra sufficienti garanzie di adesione al protocollo
6. Paziente in grado di comunicare verbalmente o con l'utilizzo di un sistema di comunicazione non verbale

La presenza di uno dei seguenti criteri è **motivo di esclusione** dallo studio:

1. Malattie neurologiche o psichiatriche concomitanti;
2. Malattie sistemiche o neoplastiche concomitanti;
3. Controindicazioni a Risonanza Magnetica Nucleare (RMN)
4. Test ematici positivi per Epatite B or C, or HIV
5. Trattamento con corticosteroidi, immunoglobuline o immunosoppressori.
6. Pregresso intervento sul rachide
7. Inclusione in altre sperimentazioni cliniche.
8. Presenza di disturbi della sfera cognitiva o comportamentale documentati alla valutazione neuropsicologica
10. Incapacità a comprendere il consenso informato e le finalità dello studio
11. Donne in gravidanza o che possano diventare gravide durante il trattamento.

Questa sperimentazione prevede che prima dell'intervento di trapianto ci sia un periodo di osservazione di 3 mesi che permetta di documentare la storia naturale della malattia. Nel corso di tale periodo sono previste visite mediche multidisciplinari ed alcuni esami strumentali tra cui l'Elettromiografia e la Risonanza Magnetica

Dopo l'intervento sono previsti controlli mensili per 1 anno. Dopo 12 mesi dall'intervento i controlli saranno trimestrali. Tutti i controlli saranno effettuati in regime di Day Hospital e proseguiranno a vita.

In caso di decesso è previsto l'esame autoptico al fine di verificare eventuali modifiche strutturali del sistema nervoso e degli altri organi interni riferibili all'impianto di cellule staminali.

L'aderenza ai criteri di inclusione ed esclusione e alle procedure delineate nel protocollo sarà sorvegliata dall'Istituto Superiore di Sanità, dai Comitati Etici Competenti e da un apposita commissione scientifica di sorveglianza costituita da esperti della materia indipendenti.

Prof. Angelo Vescovi

Dr.ssa Letizia Mazzini

Dr. Gianni Sorarù

I pazienti che, dopo aver verificato i criteri sopra riportati, rientrano nel gruppo A (solo il gruppo A) e sono interessati a proporsi per lo studio possono contattare il seguente numero di telefono:



Tutti i martedì ed i mercoledì dalle 9 alle 13 e dalle 14 alle 17

Alternativamente è possibile inviare una mail al seguente indirizzo:

trialSLA@neurothon.it

Si ringraziano per il loro sostegno Neurothon ONLUS, la Fondazione Cellule Staminali di Terni, la Fondazione Borgonovo ONLUS, la Fondazione MILAN, la Fondazione CARIT di Terni e l'Associazione ProRoberto.