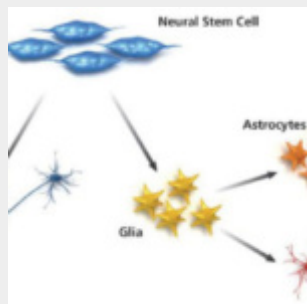


Nuove speranze per la cura della Sclerosi Multipla – parte 1

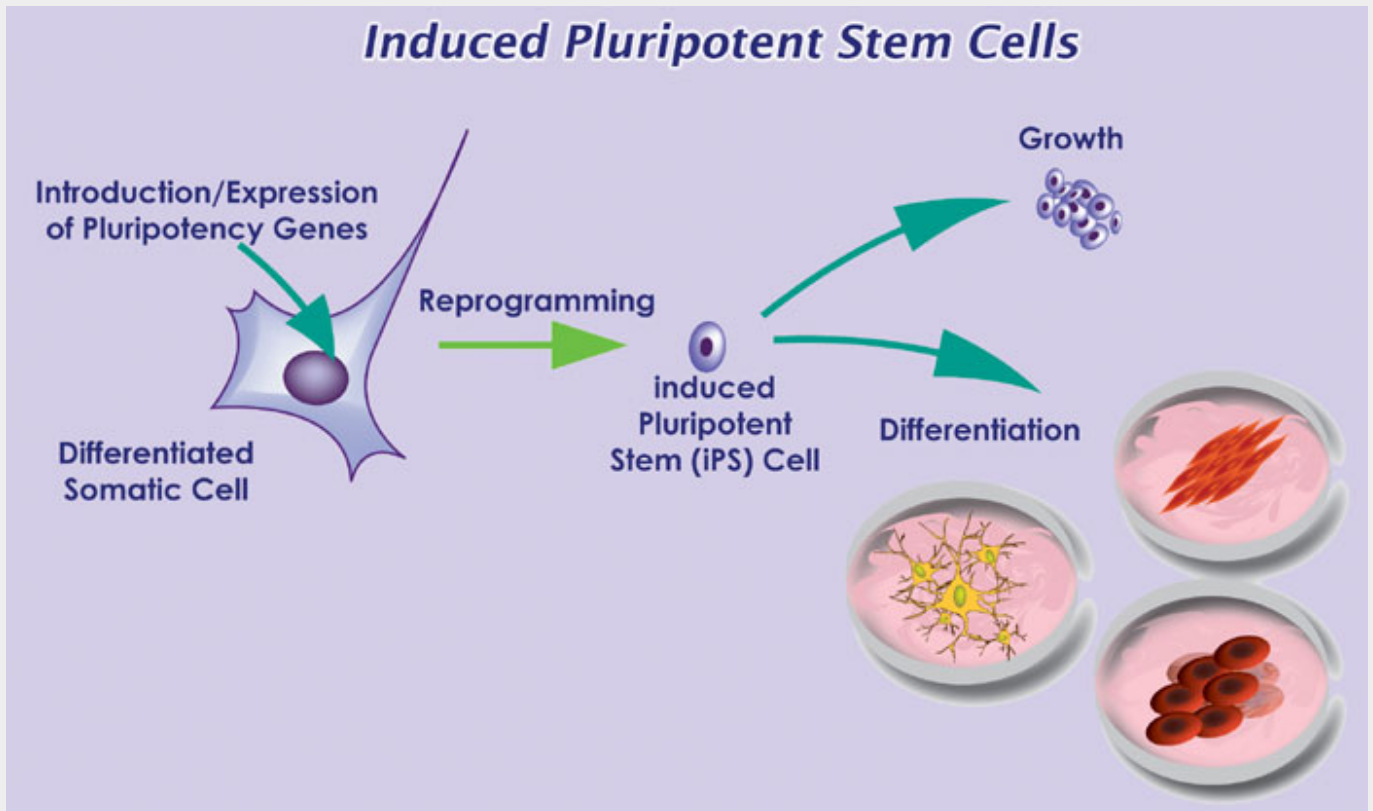


di Roberto Dominici

Nei prossimi due articoli faremo il punto sul potenziale uso terapeutico di cellule staminali neurali nella **sclerosi multipla** e nella **malattia di Parkinson**. Le **cellule neurali staminali** sono cellule staminali multipotenti del tessuto nervoso presenti cioè nel sistema nervoso centrale. Esse hanno la caratteristica di differenziarsi in vari tipi cellulari a seconda degli stimoli dell'ambiente dando origine ai tipi cellulari presenti nel cervello i neuroni, astrociti e oligodendrociti. I

n questo primo articolo parleremo della **Sclerosi Multipla**: questa (SM), **chiamata anche sclerosi a placche**, sclerosi disseminata (polisclerosi), è una malattia, che colpisce il sistema nervoso centrale causando un ampio spettro di segni e sintomi. La malattia ha una prevalenza che varia tra i 2 e 150 casi per 100 000. Ogni 4 ore nel mondo una persona riceve una diagnosi di questo tipo. In Italia sono oltre 65mila le persone colpite dalla SM, di cui 43 mila sono donne con un rapporto di 3 a 1, con un forte impatto socio economico: 2 miliardi e 400 milioni di euro/anno.

Induced Pluripotent Stem Cells

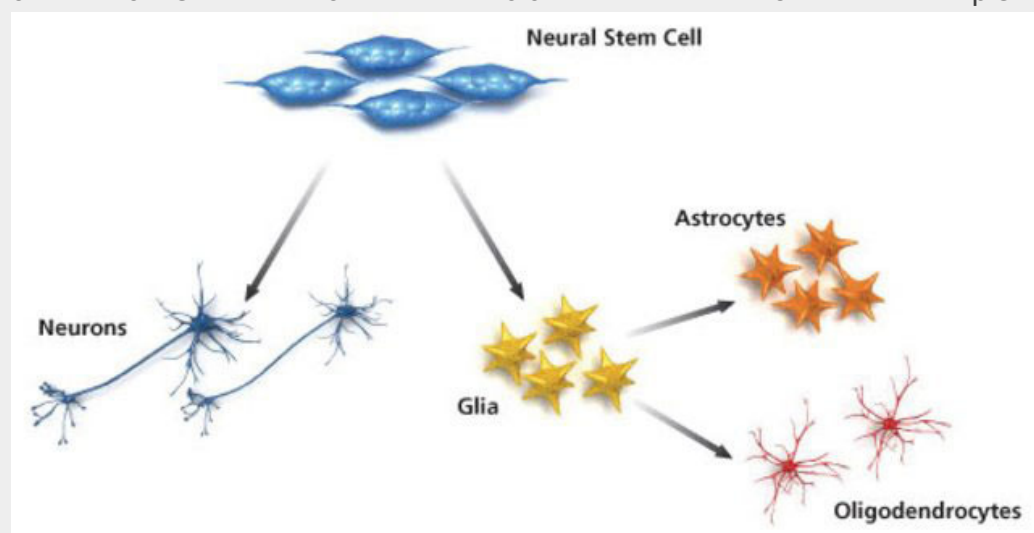


E' una malattia cronica autoimmune demielinizzante del sistema nervoso centrale spesso progressivamente invalidante ed **una delle più frequenti cause di disabilità nelle persone giovani**. L'esordio è tra i 15 e i 50, ma spesso si manifesta tra i 20 e i 30 anni. Dal punto di vista fisiopatologico è caratterizzata da un processo infiammatorio ricorrente che provoca il danneggiamento della mielina, la guaina protettiva che avvolge ed isola le fibre nervose e che permette loro di condurre gli impulsi dalle diverse aree del sistema nervoso centrale alla periferia e viceversa. Poi progressivamente si danneggiano anche le fibre e le cellule nervose.

Il **nome sclerosi multipla deriva dalle cicatrici** (sclerosi, meglio note come placche o lesioni) che si formano nella materia bianca del cervello e del midollo spinale. Anche se il meccanismo con cui la malattia si manifesta è stato ben compreso, l'esatta eziologia è ancora ignota. Le diverse teorie propongono cause sia genetiche, sia infettive; inoltre sono state evidenziate delle correlazioni con fattori di rischio ambientali. La malattia può manifestarsi con una vastissima gamma di sintomi neurologici e può progredire fino alla disabilità fisica e cognitiva. La sclerosi multipla può assumere varie forme, tra cui quelle recidivanti e quelle progressive. A tutt'oggi non esiste una cura in grado di permettere la guarigione delle persone che ne sono colpite ed alcuni trattamenti farmacologici sono disponibili per evitare nuovi attacchi e prevenire le disabilità.

Nel Maggio 2017 durante la giornata iniziale del congresso annuale della Fondazione Italiana Sclerosi Multipla a Roma, è stato dato l'annuncio che per la prima volta al mondo un paziente affetto da sclerosi multipla cronica in

stadio avanzato ha ricevuto una **terapia a base di cellule staminali neurali**. La terapia è stata ideata a Milano, sotto la guida di **Gianvito Martino** direttore scientifico del San Raffaele e del Dipartimento di Neuroscienze, e che mi onora della sua amicizia, con la sua equipe di ricerca che da 15 anni sta lavorando a quella che all'inizio sembrava davvero una scommessa impossibile. Questa nuova terapia denominata **STEMS** consiste in un'infusione di cellule staminali neurali, cellule progenitrici in grado di specializzarsi in tutti i tipi di cellule nervose. L'infusione avviene attraverso una puntura lombare che le immette direttamente nel liquido cerebrospinale, attraverso il quale possono raggiungere il cervello e il midollo spinale che sono i luoghi deputati allo svolgimento della loro azione. Si tratta di uno studio cosiddetto di fase I, cioè uno studio che valuta la sicurezza del trattamento, e non la sua efficacia. A oggi è stata eseguita la prima infusione su un solo paziente, ma lo studio coinvolgerà in tutto 12 persone suddivise in 4 gruppi, di 3 pazienti l'uno, che riceveranno un numero di cellule crescente, da circa 50 milioni di cellule per il primo gruppo fino ad arrivare a 400 milioni per l'ultimo.



Ma cosa fanno le staminali neurali? Il ragionamento di base è semplice: nelle forme progressive di malattia sappiamo che continua a essere presente una sorta di attività infiammatoria dannosa sia a livello cerebrale che midollare. Le cellule staminali neurali, nei modelli animali di malattia, hanno dimostrato di **riuscire a combattere questo tipo di infiammazione**. In più, sempre negli animali, sappiamo che, una volta entrate nel tessuto nervoso, queste cellule sono anche in grado di stimolare la produzione di sostanze neuroprotettive, che **possono prevenire e ridurre il danno della mielina** e, conseguentemente, degli assoni. Non è quindi escluso che entrambi questi meccanismi d'azione si possano attivare con il trapianto. È la cosiddetta '**plasticità terapeutica**' delle staminali, descritta proprio grazie ai lavori del team di Martino alla base di quella che è definita medicina rigenerativa.

Oggi, sulla base dei risultati ottenuti in Italia e poi confermati nel corso

degli anni da molti altri gruppi nel mondo, è cambiato il modo di percepire le potenzialità curative delle staminali una volta trapiantate, grazie al monitoraggio continuo e costante della sicurezza di questa procedura.

4 ottobre 2017