

MESOANGIOBLASTI – Fase 1/2a

Italia

Questa sperimentazione si basa sull'impiego dei mesoangioblasti, un particolare tipo di cellule staminali muscolari isolate dalle pareti dei vasi sanguigni. Studi precedenti condotti nel topo e nel cane, modelli preclinici per la distrofia muscolare, hanno dimostrato che queste cellule, se iniettate nel circolo sanguigno, sono in grado di uscire dai vasi e raggiungere i diversi distretti muscolari riparandoli, a condizione che i muscoli non siano troppo compromessi.

In che fase di sviluppo è questo studio?

Questo è uno studio clinico di fase 1/2a concluso per il quale sono stati reclutati 5 pazienti.

Qual è stato l'obiettivo di questo studio?

Il principale scopo di questo studio è stato determinare la sicurezza relativa al trapianto dei mesoangioblasti, provenienti da un fratello/sorella donatore immunocompatibile, in pazienti DMD. Nei pazienti è stata anche valutato l'effetto del trapianto sulla forza muscolare.

Chi ha finanziato questo studio e dove si è svolto?

Lo studio è stato finanziato dalla Comunità Europea (Progetto Optistem), da Telethon, da Parent Project onlus, dal Ministero della Salute e, in passato, la parte preclinica è stata finanziata anche da CureDuchenne, l'AFM, ICE, la Regione Trentino e la MDA. Lo studio è stato guidato dal Prof. Giulio Cossu e si è svolto in Italia presso l'Istituto San Raffaele di Milano.

Chi ha preso parte allo studio?

La partecipazione a questo studio non presentava restrizioni legate al tipo di mutazione. I 5 pazienti selezionati avevano un'età compresa tra i 9 e i 14 anni e, criterio essenziale, dovevano avere un fratello/sorella donatore HLA-identico/a (ovvero immunocompatibile). I pazienti reclutati hanno effettuato un periodo di studio "osservazionale", della durata di un anno, durante il quale sono stati raccolti i dati necessari a descrivere l'evoluzione della malattia e a poter prevedere il suo decorso. Questa prima fase ha avuto un ruolo cruciale ai fini della valutazione obiettiva dei dati che sono stati raccolti nel corso della sperimentazione clinica vera e propria e del follow up.

Quali sono stati i risultati dello studio ?

I risultati dello studio indicano che il trattamento è sicuro e non produce eventi avversi seri, rispetto all'efficacia è stato evidenziato un effetto modesto e transiente. Due dei cinque pazienti trattati, hanno mostrato una stabilizzazione temporanea della patologia. Dei tre restanti pazienti, uno non ha mostrato stabilizzazione e due avevano già perso la deambulazione prima dell'inizio del trial e non hanno mostrato cambiamenti in seguito alle infusioni.

L'analisi delle biopsie ha evidenziato la presenza di distrofina che in un caso origina sicuramente dal donatore. I risultati ottenuti indicano che ai fini del successo della terapia, sarà importante lavorare ancora ottimizzando tutti gli step del protocollo di somministrazione.

Dove posso ottenere ulteriori informazioni in merito a questo studio?

Le informazioni sono disponibili sul sito www.clinicaltrialsregister.eu Numero 2011-000176-33 e sul sito di Parent Project onlus www.parentproject.it

(scheda aggiornata a gennaio 2016)