

15 marzo 2013 18:14

## ITALIA: Staminali. Pubblicati i primi dati sui trattamenti contro atrofia muscolare spinale

Dei primi cinque bambini con l'atrofia muscolare spinale (Sma) trattati con cellule staminali mesenchimali nell'ospedale Burlo Garofolo di Trieste per decisione del Tribunale, due sono morti dopo aver cominciato il trattamento. Gli altri tre hanno avuto bisogno di terapie di supporto per respirazione e nutrizione, tanto che nel dicembre 2011 il comitato etico dell'ospedale ha deciso di bloccare il reclutamento dei pazienti. E' quanto emerge dalla pubblicazione dei primi dati sulla rivista Neuromuscular Disorders.

I dati pubblicati sulla rivista specializzata internazionale piu' prestigiosa nel campo delle malattie neuromuscolari riguardano i primi cinque bambini reclutati dall'ospedale Burlo Garofolo in seguito alla decisione del Tribunale nel periodo compreso fra il dicembre 2010 e il dicembre 2011: un maschio e quattro femmine di eta' compresa fra tre e 20 mesi, tutti affetti da Sma.

Le cellule staminali mesenchimali utilizzate per trattare i bambini sono state fornite dalla struttura specializzata dell'ospedale San Gerardo di Monza e somministrate secondo una procedura che prevede un'infusione al mese per sei mesi.

'Uno dei cinque pazienti che ha partecipato allo studio, arruolato all'eta' di 13 mesi, e' morto per insufficienza respiratoria all'eta' di 18 mesi, un mese dopo la seconda iniezione', scrivono gli autori della pubblicazione. 'La famiglia di un altro paziente ha chiesto di bloccare il trattamento dopo la quinta iniezione, all'eta' di otto mesi, ed e' morto all'eta' di 12 mesi per insufficienza respiratoria'.

Gli altri tre pazienti hanno completato il trattamento per i sei mesi previsti. 'Durante questo periodo - scrivono ancora i medici - in tutti e tre e' stato necessario iniziare una terapia di sostegno, con supporto per nutrizione e respirazione. In tutti e tre i pazienti si e' verificato un progressivo declino della funzione motoria'.

Le analisi del liquido cerebrospinale eseguite su ciascun paziente dopo ogni trattamento indicano infine che 'non ci sono stati cambiamenti riproducibili nella concentrazione delle proteine prima, durante e dopo il trattamento'. A questo punto l'ospedale si e' rivolto ad un comitato scientifico esterno, che comprendeva anche esperti di cellule staminali e di Sma, per una revisione comune dei risultati. 'Il decorso clinico dei pazienti trattati non ha mostrato segni di miglioramento', rilevano gli autori della pubblicazione. Così, 'a causa della mancanza di efficacia, nel dicembre 2011 l'ospedale, in accordo con il Comitato etico, ha deciso di sospendere il reclutamento dei pazienti'.