

20 febbraio 2015 14:54

## ITALIA: Staminali e vista. Primo farmaco

E' 'made in Italy' ed è frutto di una partnership pubblico-privato il primo farmaco a base di cellule staminali autorizzato nel mondo occidentale. La Commissione europea ha infatti notificato a Chiesi Farmaceutici Spa l'autorizzazione condizionata per l'immissione in commercio di una terapia avanzata a base di cellule staminali autologhe in grado di restituire la vista a pazienti con gravi ustioni della cornea. Il farmaco (Holoclar\*) è prodotto nei laboratori di Holostem terapie avanzate s.r.l., spin off dell'università di Modena e Reggio Emilia, presso il Centro di medicina rigenerativa 'Stefano Ferrari' (Cmr) dell'ateneo modenese. "Questo primato - dice Andrea Chiesi, direttore R&D portfolio management di Chiesi Farmaceutici Spa e amministratore delegato di Holostem Terapie Avanzate - ci dimostra che la partnership tra pubblico e privato non solo è possibile, ma è anche la sola vincente in un campo complesso come quello delle cellule staminali, in particolare autologhe, e della medicina rigenerativa. Holostem si pone ora come business model internazionale per portare in clinica i risultati della ricerca scientifica in questo campo".

Alla base del nuovo farmaco ci sono più di vent'anni di ricerca d'eccellenza, si legge in una nota. "L'iter autorizzativo, in cui siamo stati veri e propri pionieri, è stato lungo e complesso, ma il risultato ottenuto oggi ci dimostra che le cellule si possono coltivare secondo standard farmaceutici in grado di garantire ai pazienti sicurezza ed efficacia - aggiunge Michele De Luca, direttore scientifico e cofondatore di Holostem oltre che direttore del Cmr dell'ateneo modenese - e, in un periodo di grande confusione sulle reali possibilità terapeutiche delle cellule staminali come quello che stiamo vivendo, poter dimostrare che curano davvero e senza rischi per la salute è più importante che mai". "Dopo aver messo a punto colture cellulari a base di cellule staminali epiteliali per la cura di diverse patologie a carico degli epitelii di rivestimento, dalla pelle per i grandi ustionati alla ricostruzione dell'uretra, abbiamo scoperto che le cellule staminali che consentono la rigenerazione della cornea risiedono in una piccola area al confine tra la cornea (la parte trasparente al centro dell'occhio) e la congiuntiva (la parte bianca attigua) che si chiama limbus", spiega Graziella Pellegrini, coordinatrice della terapia cellulare al Cmr nonché direttrice R&D e cofondatrice di Holostem, che ha ideato, insieme al professor De Luca, tutte le fasi di sviluppo del prodotto.

"Quando ustioni termiche o chimiche della superficie oculare - aggiunge - danneggiano irreversibilmente la riserva di staminali la superficie corneale smette di rigenerarsi e la congiuntiva a poco a poco comincia a ricoprire la cornea con una patina bianca che rende impossibile la visione e provoca dolore e infiammazione cronici. Se almeno in uno dei due occhi del paziente è rimasto anche un residuo piccolissimo di limbus non danneggiato, siamo in grado di ricostruire in laboratorio l'epitelio che ricopre la superficie corneale, grazie alle cellule staminali raccolte da una biopsia di 1-2 mm<sup>2</sup>. Questo lembo di epitelio, Holoclar\* appunto, che assomiglia ad una sorta di lente contatto, viene poi trapiantato nel paziente e consente di ottenere una cornea trasparente stabile nel tempo e un pieno recupero della capacità visiva, senza provocare nessuna reazione di rigetto perché costituito dalle cellule del paziente stesso". La terapia, applicata per la prima volta sull'uomo in via sperimentale negli anni Novanta e riconosciuta come farmaco orfano nel 2008, grazie alla registrazione ottenuta oggi potrà essere in un prossimo futuro disponibile per tutti i pazienti europei che abbiano subito incidenti sul lavoro, incidenti domestici o, nei casi di aggressione con agenti chimici. Il prossimo obiettivo del team di ricercatori e imprenditori emiliani è quello di sviluppare nuovi prodotti di terapie avanzate, come la terapia genica per la cura dell'Epidermolisi bollosa o 'Sindrome dei Bambini Farfalla', applicata fino ad ora con successo sui primi due pazienti al mondo. E sviluppare nuovi protocolli sperimentali e clinici con altre cellule staminali degli epitelii di rivestimento come congiuntiva, uretra, mucosa orale ed epitelii respiratori.