

## CONVEGNO "SLA: OBIETTIVO VITA"

**PRESENTATI I RISULTATI DELLA PRIMA PARTE DELLA SPERIMENTAZIONE SULLA SCLEROSI LATERALE AMIOTROFICA (SLA), PRIMO TRAPIANTO AL MONDO DI CELLULE STAMINALI CEREBRALI UMANE SCEVRE DA PROBLEMATICHE ETICHE E MORALI: NESSUN EFFETTO AVVERSO. ISS E AIFA AUTORIZZANO IL RECLUTAMENTO DEL SECONDO GRUPPO DI PAZIENTI**

*6 i pazienti trapiantati, da giugno a marzo, nell'ambito del trial clinico di fase 1 autorizzato dall'Istituto Superiore di Sanità e promosso dall'Associazione Neurothon Onlus, in collaborazione con la Fondazione Cellule Staminali, l'Ospedale di Terni e l'IRCCS Casa Sollievo Della Sofferenza.*

*Con questa tecnica, tutta italiana, il nostro Paese conferma un ruolo d'avanguardia nella ricerca mondiale sulle staminali.*

*Da oggi l'Associazione Neurothon Onlus amplia la propria missione e cambia nome in REVERT, per sottolineare ancora di più il proprio impegno nel trovare una cura per le malattie neurodegenerative*

Roma, 24 giugno 2013 – Si è conclusa la prima parte del trial clinico di fase 1 sulla sclerosi laterale amiotrofica (SLA), autorizzata dall'Istituto Superiore di Sanità e concepita dall'Associazione Neurothon Onlus (da oggi Revert), l'Associazione fondata nel 2003 e diretta dal Professor Angelo Luigi Vescovi per finanziare, promuovere ed incentivare la ricerca sulle cellule staminali cerebrali ed avviare la sperimentazione clinica sull'uomo per trovare delle cure per le malattie neurodegenerative.

La prima parte della sperimentazione in corso sulla SLA, **iniziata il 25 giugno 2012 con il primo trapianto al mondo di cellule staminali cerebrali umane scevre da qualunque problematica etica e morale, è terminata con successo il 22 marzo 2013. Non sono stati rilevati eventi avversi importanti imputabili alla procedura chirurgica o alle cellule trapiantate, con risultati clinico-chirurgici significativamente migliori della sperimentazione parallela che si tiene in contemporanea negli Stati Uniti.**

Alla luce di quanto emerso, **l'Istituto Superiore di Sanità e l'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) hanno autorizzato l'avvio della seconda parte della sperimentazione che prevede il trapianto in zone più alte del midollo spinale, cioè in regione cervicale.**

**Angelo Luigi Vescovi**, professore di biologia cellulare all'università Bicocca di Milano, Direttore Scientifico di Neurothon e direttore scientifico dell'IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza di San Pio (San Giovanni Rotondo) ha commentato: *"Siamo soddisfatti e orgogliosi di aver mantenuto la promessa fatta ai nostri sostenitori, ai malati e alle loro famiglie di avviare una sperimentazione clinica di terapia cellulare sulla SLA. Il nostro è uno studio sperimentale condotto secondo i più rigorosi criteri scientifici ed etici, per una malattia*

*neurologica mortale. La sperimentazione viene svolta secondo la normativa internazionale vigente, in accordo alle regole EMA-European Medicine Agency e con cellule prodotte in stretto regime GMP (Good Manufacturing Practice, Norme di Buona Fabbricazione, vale a dire riconosciute dalle commissioni di competenza sanitaria nazionale come idonee all'utilizzo in trial clinici di fase 1), con certificazione AIFA, confermando l'Italia fra i Paesi che fanno ricerca e sperimentazione d'avanguardia nell'ambito delle staminali".*

**S.E. Monsignor Vincenzo Paglia** Presidente del Pontificio Consiglio per la Famiglia e **Presidente di Neurothon**, ha sottolineato: *"La ricerca del Professor Vescovi, che sostengo da oltre 10 anni, è unica nel suo genere. Le malattie neurodegenerative sono terribili e c'è bisogno di tanta solidarietà, verso i malati e verso le loro famiglie. Per continuare, questo progetto ha bisogno dell'aiuto di tutti quanti vogliono contribuire a dare a chi ne ha bisogno la speranza di una cura".*

*"Il passo successivo – ha aggiunto Vescovi – sarà avviare la seconda parte della sperimentazione, eseguendo il trapianto in regione midollare cervicale, più complesso ma diretto a una regione del midollo più rilevante per il decorso della malattia e quindi foriero, da un punto di vista terapeutico, di risultati più promettenti".*

I risultati della sperimentazione sulla SLA sono stati presentati oggi nell'ambito del convegno *"SLA: OBIETTIVO VITA"* promosso dall'Associazione Neurothon Onlus (da oggi REVERT), dall'Ospedale Casa Sollievo Della Sofferenza Opera Di San Pio da Pietrelcina e dalla Fondazione Cellule Staminali.

Dopo i saluti di **S.E. Monsignor Vincenzo Paglia**, del **Prof. Enrico Garaci**, Presidente della Fondazione Cellule Staminali, di **Leopoldo di Girolamo**, Sindaco di Terni e del Ministro della Salute, **On. Beatrice Lorenzin**, la sperimentazione e i suoi esiti del momento sono stati relazionati dal **Prof. Angelo Luigi Vescovi** che la coordina insieme, per la parte neurologica, alla **Dr.ssa Letizia Mazzini** Centro Esperto SLA Azienda Ospedaliera Universitaria "Maggiore della Carità" Novara e, per la parte chirurgica, al **Dott. Alessandro Carletti**, Primario del reparto di neurochirurgia dell'Ospedale di Terni. A commentare la relazione anche il Dott. **Domenico Crupi**, Direttore Generale dell'Ospedale Casa Sollievo della Sofferenza Opera di San Pio da Petralcina.

Obiettivo della **sperimentazione**, come in ogni studio di fase 1, è **solo ed esclusivamente quello di valutare la sicurezza delle procedure di trapianto e l'innocuità delle cellule innestate**. Non si tratta, quindi, di valutare in questa fase l'efficacia del trapianto per influenzare il decorso della malattia né tantomeno di trovare già una cura per la SLA.

### **La tecnica**

La **tecnica tutta italiana**, messa a punto nel 1996 dal Prof. Vescovi, **impiega cellule staminali cerebrali scevre da qualunque problematica etica** poiché provenienti da un tessuto

**cerebrale prelevato da feti deceduti per cause naturali**, utilizzando una procedura analoga a quella della donazione volontaria di organi negli individui adulti. Le cellule prodotte nella **Banca delle Staminali Cerebrali di Terni**, saranno sufficienti per l'intera sperimentazione in corso sulla SLA e per quelle successive che la stessa equipe sta già organizzando su altre malattie neurodegenerative, in collaborazione anche con cliniche europee e statunitensi.

Il **trattamento**, in questo primo momento dello studio, è stato effettuato nei 6 pazienti reclutati, **trapiantando** le cellule staminali cerebrali umane nel midollo spinale lombare. In particolare, secondo il protocollo, i primi 3 pazienti hanno ricevuto l'inoculazione in 3 punti da un solo lato del midollo mentre i rimanenti 3 pazienti hanno ricevuto l'inoculazione bilateralmente per un totale di 6 punti, ricevendo, rispettivamente 2,5 e 5 milioni di cellule in totale. Le cellule staminali sono state trapiantate in prossimità delle cellule nervose chiamate motoneuroni, che nella SLA muoiono gradualmente, paralizzando progressivamente i muscoli, fino a causare la morte del paziente.

## **RISULTATI**

Dal punto di vista della **sicurezza della tecnica utilizzata e della procedura chirurgica**, non si sono manifestate complicanze intraoperatorie e anestesologiche. Nell'immediato post-operatorio nessun paziente ha mostrato disturbi della sensibilità o sfinterici e la RMN non ha mostrato segni di danno tissutale, raccolte ematiche o fistole liquorali. **In media i pazienti sono stati dimessi dal reparto di neurochirurgia dopo soli 10 giorni e avviati ai reparti di riabilitazione.**

Dal punto di **vista del follow-up clinico non sono emersi sintomi o segni indicativi** di malattia complicazioni/problemi riferibili alla procedura sperimentale. **Nei pazienti trattati finora nell'ambito dello studio italiano non è stato osservato nessun effetto avverso apprezzabile.** Questo risultato è significativamente migliore rispetto a quanto riportato nell'**analogo studio americano condotto alla Emory University di Atlanta.**

Due pazienti sono purtroppo deceduti per l'evoluzione naturale della malattia rispettivamente 7 e 8 mesi dopo il trapianto. Entrambi i pazienti hanno rifiutato il posizionamento della PEG e la tracheotomia. I dati autoptici hanno confermato che la causa del decesso non è in alcun modo riferibile alle cellule trapiantate o alla procedura sperimentale.

## **Associazione Neurothon Onlus: da oggi REVERT**

A margine del convegno, è stato presentato il nuovo brand dell'Associazione presieduta da Mons. Vincenzo Paglia, che da oggi si chiamerà **Revert**.

*“La decisione di cambiare il nome dell'Associazione da Neurothon in **Revert** – ha sottolineato **Vescovi** – vuole segnare un'importante evoluzione nel percorso che abbiamo avviato nel 2003: a 10 anni dalla nascita dell'Associazione Neurothon e dopo aver mantenuto la nostra*

*prima promessa, il nostro impegno continuerà per cercare di trovare una cura alla SLA e per molte malattie neurodegenerative, che affliggono ormai una larga parte della popolazione. Vogliamo sottolineare fin dal nostro nuovo nome la nostra mission e tutto il nostro commitment: alcuni ritengono che queste malattie siano senza ritorno. Noi vogliamo dimostrare il contrario”.*

Il nuovo nome **Revert** e la nuova identità sono state ideate da Landor Associates.

**Per ulteriori informazioni:**

**Ufficio Stampa Neurothon - H+K Strategies:**

**Annalisa Nunziata – 380 3248284 [annalisa.nunziata@hkstrategies.com](mailto:annalisa.nunziata@hkstrategies.com)**

**Nicoletta Vulpetti – 340 6730754 [nicoletta.vulpetti@hkstrategies.com](mailto:nicoletta.vulpetti@hkstrategies.com)**