

GiovedìScienza

33^a edizione

la scienza in diretta settimana per settimana

Giovedì 7 Febbraio 2019

CELLULE CHE CURANO

Terapia cellulare e genica in medicina rigenerativa

Michele De Luca

Ordinario di Biochimica, direttore del Centro di Medicina Rigenerativa “Stefano Ferrari” e del Centro Interdipartimentale Cellule Staminali e Medicina Rigenerativa dell’Università di Modena e Reggio Emilia, ha fondato e dirige lo spin-off universitario Holostem Terapie Avanzate. È autore di oltre 130 pubblicazioni. Pioniere nella terapia cellulare e nella terapia genica, per primo in Europa ha usato le cellule staminali epidermiche per salvare la vita dei grandi ustionati. È considerato uno dei più eminenti ricercatori sulle staminali epiteliali per applicazione clinica.

WEB

Il centro di medicina rigenerativa: www.cmr.unimore.it

Uno spin-off (dell’Università di Modena e Reggio Emilia) dedicato allo sviluppo di prodotti basati su colture di cellule staminali epiteliali per terapia cellulare e genica: www.holostem.com

CELLULE CHE CURANO

La medicina rigenerativa basata sull'utilizzo di cellule staminali per la ricostruzione dei tessuti raccoglie una sfida importante, cioè lo sviluppo di terapie avanzate efficaci per malattie rare, malattie genetiche e patologie degenerative ad oggi incurabili.

Ricostruire tessuti o organi compromessi e correggere difetti genetici dell'organismo umano attraverso le cellule staminali: è questo infatti il compito della medicina rigenerativa, basata sulla possibilità di integrare la capacità di crescita delle cellule in vitro e l'utilizzo di materiali compatibili con l'organismo umano per ottenere tessuti capaci di rigenerare ferite e lesioni.

Si tratta di un approccio che presuppone una solida ricerca di base sui meccanismi biochimici, molecolari e cellulari implicati in queste patologie e una combinazione di tecnologie molto avanzate di ingegneria cellulare e genetica applicate alle cellule staminali.

Ad oggi sono ancora pochi i tessuti che si possono ricreare in laboratorio: principalmente pelle, sangue, cornea, retina, cartilagine, osso... Ma molti gruppi di ricerca nel mondo sono impegnati nella ricostruzione di diversi tessuti, a partire da cellule staminali diverse: embrionali, adulte e cellule staminali adulte riprogrammate (IPS) per uso autologo (cioè prelevate dal paziente e reimpiantate nel paziente stesso) o prelevate da un embrione o da un donatore.

Il Centro di Medicina "Stefano Ferrari" dell'Università di Modena e Reggio Emilia è specializzato in terapie avanzate a base di cellule staminali epiteliali adulte per uso autologo in protocolli di terapia cellulare e genica.

In particolare, per quanto riguarda la terapia cellulare, il principale risultato raggiunto è la registrazione, presso l'EMA, di Holoclar, il primo farmaco autorizzato al mondo a base di un numero preciso e controllato di cellule staminali, che costituiscono il principio attivo del farmaco, indicato per la ricostruzione della superficie corneale danneggiata da ustioni chimiche o termiche. Grazie al prelievo di pochi millimetri di limbus preservati è possibile infatti ricostruire una o entrambe le cornee del paziente.

Per quanto riguarda la terapia genica, il maggior risultato raggiunto è stato un intervento salvavita su un "Bambino Farfalla" a cui stato corretto l'80% dell'epidermide. L'Epidermolisi Bollosa, meglio conosciuta come malattia dei Bambini Farfalla per la fragilità della loro pelle, è una gravissima malattia genetica che provoca il distacco dello strato superficiale della pelle, l'epidermide, da quello più profondo, il derma. Epidermolisi significa infatti rottura della pelle. Bollosa si riferisce, invece, alla tendenza a formare bolle, vesciche e scollamenti della cute e delle mucose, che si riempiono di siero, dovuti a traumi o frizioni anche minimi. Sono 500 mila le persone affette da questa malattia nel mondo, 30 mila in Europa e oltre 800 in Italia.

Nei protocolli di terapia genica, le cellule, estratte da una biopsia cutanea, vengono coltivate e corrette geneticamente mediante l'inserimento, attraverso un vettore retrovirale, della versione sana del gene "malato", poi fatte crescere in laboratorio nelle fiasche di cultura dove vengono alimentate con liquidi nutritivi specifici. La crescita viene seguita fino a ottenere lembi di epidermide sufficientemente grandi da poter essere trapiantati sulle zone del malato.

Alcuni risultati importanti sono stati dunque ottenuti proprio in Italia con lo sviluppo di nuove terapie non solo per le ustioni della cornea e l'epidermolisi bollosa, ma anche per alcune immunodeficienze e per malattie genetiche gravissime come la leucodistrofia metacromatica. A scapito dell'eccellenza scientifica presente nel nostro Paese, da noi persistono limiti alla libertà di ricerca, sulla base di argomenti "pseudoetici", scientificamente ingiustificati, come quelli che condizionano negativamente le opportunità di studio e di utilizzo terapeutico delle cellule staminali embrionali, già usate all'estero in diverse sperimentazioni cliniche con risultati assolutamente promettenti.



www.giovediscienza.it