



LE STAMINALI DEL CORDONE OMBELICALE CONTRO IL LINFOMA E LA LEUCEMIA

Il linfoma, come altre malattie neoplastiche o meno del sangue, è stata una delle prime malattie, in cui si era evidenziato il fondamentale ruolo delle staminali del cordone ombelicale umano, passando rapidamente dal campo sperimentale all' utilizzo terapeutico sul paziente.

StemEx consiste una popolazione espansa di staminali del cordone ombelicale e cellule progenitrici, derivate da parte di una singola unità di sangue cordonale ed infuse per via endovenosa insieme alle staminali non manipolate della stessa unità.

La procedura, che utilizza StemEx, è attualmente in corso di valutazione in uno studio pilota internazionale, chiamato ExCell, di Fase III, per ottenerne la registrazione da parte della Food and Drug Administration. Arruola adolescenti ed adulti con neoplasie ematologiche maligne ad alto rischio, che non abbiano in famiglia donatori compatibili di midollo osseo, in numerosi centri clinici ospedalieri, in U.S.A., Italia, Spagna ed Israele. Il progetto è stato ideato Gamida Cell Ltd, una dei leader mondiali nelle tecnologie per l'espansione delle staminali cordonali e nei prodotti terapeutici. La società sta sviluppando un'ampia serie d'innovazioni tecnologiche per il trapianto di staminali, non embrionali, e per l'ingegneria tissutale, al fine di curare in modo efficace malattie debilitanti e spesso fatali, quali il cancro, malattie ematologiche, autoimmuni ed ischemiche. Utilizza staminali prive di problematiche etiche e con alti livelli di sicurezza, come quelle del cordone ombelicale umano.

Nel Febbraio 2010, la promotrice della ricerca, la Joint Venture tra Gamida Cell e l'industria farmaceutica Teva, ha annunciato che il Data Monitoring Committee (DMC) ha valutato positivamente, in modo preliminare, i dati provenienti dall' importantissimo trial clinico in fase III del progetto StemEx, basato sulle staminali cordonali. Il DMC ha raccomandato di continuare l'arruolamento dei pazienti in questo studio. StemEx è stato valutato come un trattamento terapeutico per adolescenti ed adulti affetti da una delle varie forme di cancro del sangue, tra cui il linfoma o la leucemia, che non hanno a disposizione un donatore di midollo osseo, geneticamente correlato nella propria famiglia.

La primaria responsabilità del DMC è di garantire con sicurezza che la ricerca sia condotta in modo etico, non esponendo i partecipanti ad un rischio eccessivo. Inoltre il Data Monitoring Committee controlla la qualità e l'andamento generale dello studio e valuta se raccomandare all' industria, che finanzia il trial, di modificare o interrompere lo studio in corso. Può anche richiedere ulteriori informazioni, per valutarle. Il DMC per la fase III della sperimentazione StemEx è composto da medici ed esperti scientifici. Essi hanno riesaminato i dati di sicurezza e di efficacia di ogni elemento della ricerca, per determinate i benefici, od i danni, del trattamento, tenendo sotto controllo i pazienti. Il DMC non ha riscontrato alcun rischio ed ha suggerito la continuazione dello studio, segno che i suoi componenti posseggono informazioni scientifiche riservate sulla validità di questa terapia del linfoma con staminali del cordone ombelicale.

Il Dottor Yael Margolin, presidente e chief executive officer di Gamida Cell ha dichiarato: "Questa è un'altra importante pietra miliare nella lotta contro il linfoma: il DMC ha esaminato i dati ed ha raccomandato il proseguimento della fase III nella sperimentazione dello StemEx. Con questa luce verde noi continueremo ad iscrivere pazienti nel trial, con il progetto di portarlo sul mercato già nel 2011. Speriamo anche che la notizia di oggi possa aumentare la sensibilità verso StemEx, come una importante terapia in fase di sperimentazione tra i malati colpiti da linfoma o leucemia, da prendere in considerazione, dopo aver consultato i loro medici." [1]

Nel mese di Gennaio il Pediatric Committee (PDCO) dell'European Medicines Agency (EMA) ha concesso una sospensione specifica dei test su StemEx per tutti i sottogruppi della popolazione pediatrica, al di sotto dei 17 anni, in qualunque condizione.

Per poter ottenere la registrazione di un nuovo prodotto medicinale nell' Unione Europea, una società farmaceutica generalmente deve presentare prove cliniche di efficacia e sicurezza in pazienti pediatrici, in aggiunta a quelle per gli adulti.

(Continua a pagina 2)

TRICOLORE

Direttore Responsabile: Dr. Riccardo Poli - Redazione: v. Stezzano n. 7/a - 24052 Azzano S.P. (BG)

E-mail: tricoloreasscult@tiscali.it

www.tricolore-italia.com



Inoltre deve sottoporre al PDCO un Pediatric Investigational Plan per tutte e quattro le sottoclassi di età pediatrica esistente. La Gamida Cell-Teva Joint Venture ha presentato tale documento solo per il gruppo tra i 12 ed i 17 anni. Ciò perché il valore aggiunto di questa nuova tecnica risiede principalmente nel poter trattare adolescenti ed adulti, grazie all' espansione cellulare, utilizzando una singola unità di staminali del cordone ombelicale.

Michael Austin, direttrice del "regulatory affairs" ha affermato: "E' bene sapere che il limitato numero di cellule staminali, presenti in una singola unità di sangue cordonale, impediva, in passato, il suo uso terapeutico per il trapianto in adolescenti ed adulti. La tecnologia di Gamida Cell permette di prendere questa piccola popolazione di staminali cordonali, metterle in coltura, con una differenziazione molto limitata, ma ottenendo un' espansione di forte intensità. Si raggiunge, così, un numero di cellule molto elevato, che hanno il potenziale di permettere un trattamento terapeutico efficace per i ragazzi più grandi e per gli adulti.

Infatti l' obiettivo di StemEx è significativamente più ampio di un trattamento base, già pratica comune nei bambini. A nostro avviso, l' Agenzia è d' accordo sul fatto che la prima priorità, nello sviluppare questo studio, sarà di offrire una cura a quei pazienti con necessità cliniche maggiormente insoddisfatte, ovvero adolescenti ed adulti."[2]

Nel Giugno 2010 è stato reso noto che Gamida Cell-Teva Joint Venture ha ricevuto una Fast Track Designation, da parte della Food and Drug Administration (FDA), per StemEx, quale valida alternativa al trapianto di midollo osseo nei malati di linfoma e leucemia.

I programmi "Fast Track" della FDA sono progettati per facilitare lo sviluppo e velocizzare la valutazione dei nuovi farmaci, che sono destinati a curare patologie gravi o che possono mettere in pericolo la vita. Essi devono dimostrare il potenziale di affrontare esigenze mediche ancora insoddisfatte, cioè essere prodotti "fast track".

La lettera inviata dal Dipartimento della Salute e dei Servizi Umani afferma che la richiesta della Gamida Cell-Teva Joint Venture incontra i criteri per la designazione per il Fast Track. Perciò ha proposto un programma di sviluppo di questo tipo, per la sperimentazione dell' espansione ex vivo delle staminali del cordone ombelicale StemEx, come un terapia di supporto, al fine di perfezionare la ricostruzione ematopoietica, attraverso l'infusione di staminali del cordone ombelicale. Tutto ciò con lo scopo ultimo di migliorare, in media, di 100 giorni la sopravvivenza sicura dopo il trapianto, in adulti ed adolescenti, che ricevono una trattamento di ricostruzione dei mieloblasti del midollo osseo, a causa di neoplasie maligne ematologiche ad alto rischio.[3]

Oggi questa sperimentazione con le staminali cordonali per il linfoma e la leucemia interessa centinaia di malati in numerosi ospedali in tutto il mondo, ma il primo paziente aveva ricevuto il trapianto in questo programma nell' Ottobre 2007, presso l'Ireland Cancer Center of University Hospitals Case Medical Center a Cleveland in Ohio (U.S.A.), dopo che la Food and Drug Administration aveva concesso uno Special Protocol Assessment (SPA) nell'Ottobre 2006. Gli studi di Fase I e II, condotti presso la University of Texas MD Anderson Cancer Center a Houston, in Texas (U.S.A.), hanno mostrato risultati positivi in via preliminare, che hanno spinto alla registrazione della tecnica ExCell e la sua ulteriore sperimentazione per la sicurezza e l'efficacia con StemEx.

"Siamo lieti di annunciare che abbiamo condotto il primo trapianto StemEx nello studio ExCell", aveva detto Mary J. Laughlin, MD, Professoressa Associata di Medicina e il Dottor Donald Weber Goodman, Professore di Innovative Cancer Therapeutics alla Case Western Reserve University, ematologo e oncologo presso il Cancer Center dell' Ireland University Hospitals Case Medical Center, e uno dei principali ricercatori dello studio.

Secondo il National Marrow Donor Program, ogni anno, nei soli Stati Uniti, più del settanta per cento dei 35.000 pazienti affetti da patologie potenzialmente letali, che potrebbero trarre beneficio da un trapianto di midollo, non può essere abbinato con un donatore geneticamente compatibile. Le staminali del cordone ombelicale umano richiedono una corrispondenza HLA meno precisa rispetto a quelle del sangue periferico o del midollo osseo, aumentando la possibilità che le unità raccolte siano adatte all' infusione e diminuendo il tempo necessario, per trovare un donatore, che si riduce a poche ore nel caso di un trapianto autologo di staminali cordonali.

1) Gamida Cell Ltd - Data Monitoring Committee Recommends Continuation Of Phase III Study Of StemEx(R), A Cord Blood Stem Cell Product, For Leukemia And Lymphoma - 13 Feb 2010 - Medical News today

2) Gamida Cell - European Medicines Agency (EMA) Waives Requirement To Test StemEx(R) In Paediatric Patients 17 Years Of Age And Under - 19 Jan 2010 - Medical News Today

3) Gamida Cell - The Gamida Cell-Teva Joint Venture Receives FDA Fast Track Designation For StemEx(R) For Leukemia And Lymphoma - 23 Jun 2010 - Medical News Today

Paolo De Lillo

Zenit, 29 maggio 2011