

Il trapianto autologo di cellule derivate da cellule staminali pluripotenti indotte nell' uomo è fattibile.

Lo supporta il [recente studio](#) dei ricercatori giapponesi del [RIKEN Laboratory for Retinal Regeneration](#). Lo studio descrive per la prima volta l'utilizzo nell'uomo di cellule autologhe derivate da cellule staminali pluripotenti indotte (iPS).

Anche se la patologia in cui sono state utilizzate non è il diabete, questa esperienza clinica apre la strada alla possibilità di utilizzare queste cellule per la produzione di cellule produttrici l'insulina. Ovviamente lo studio ha il limite di descrivere l'esperienza in soli due pazienti, che seppur con un follow up oramai di 25 mesi, non può ancora dimostrare in assoluto l'affidabilità di queste cellule. A dispetto di questo limite, l'esperienza dimostra come la medicina rigenerativa sia maturata al punto da poter essere utilizzata nell'uomo nei primi studi pilota

Una cellula staminale pluripotente indotta (conosciuta anche come iPS o iPSC dall'inglese Induced Pluripotent Stem Cell) è un tipo di cellula staminale generata artificialmente a partire da una cellula adulta, mediante l'introduzione di alcuni geni specifici codificanti determinati fattori di trascrizione che ne inducono la conversione. Le cellule staminali pluripotenti indotte sono per molti aspetti simili alle cellule staminali pluripotenti naturali, come le staminali embrionali, ma hanno la virtù di poter essere ottenute da qualsiasi soggetto in qualsiasi età senza sacrificare embrioni. Sulla base di tali proprietà, le iPSC offrono grandi speranze nel campo della medicina rigenerativa: la possibilità di indurre la differenziazione nella maggior parte dei tipi cellulari di un organismo (come ad esempio cellule neuronali, pancreatiche, cardiache ed epatiche), può essere sfruttata nella rigenerazione di tessuti o organi danneggiati.

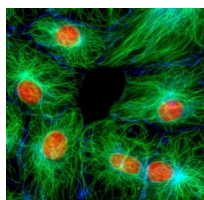
Il team guidato da Mandai M ha valutato la possibilità di trapiantare tessuti ottenuti da cellule staminali pluripotente indotte nell'uomo. La fattibilità è stata valutata in un modello di trapianto di un foglio di epitelio pigmentato retinico ottenuto da cellule differenziate a partire da cellule staminali pluripotenti indotte in un paziente con *degenerazione maculare* di tipo *neovascolare* legata all'età. Le cellule staminali pluripotenti indotte sono state generate da fibroblasti cutanei di due pazienti con avanzata degenerazione maculare. Nel caso del paziente #1 le cellule ottenute non mostravano capacità tumorigenica nè mutazioni rilevanti nè integrazione dei fattori di riprogrammazione, per cui è stato possibile utilizzarle nell'uomo. Un intervento chirurgico che ha compreso la rimozione della membrana neovascolare e il trapianto dello strato di cellule autologhe di epitelio pigmentato retinico derivate da iPS sotto la retina è stata effettuato. A 1 anno dall'intervento chirurgico, il foglio di cellule trapiantate è rimasto intatto,

l'acuità visiva non è peggiorata, non si sono evidenziati segni di rigetto, non si è ricreata la membrana neovascolare, nessuna complicazione seria si è evidenziata e non si sono verificati segni di proliferazione incontrollata delle cellule impiantate. Nel caso del paziente #2 le linee ottenute hanno mostrato tre aberrazioni nel DNA (delezioni) in grado potenzialmente di influenzare l'espressione di alcuni geni. Il fatto che una delle tre delezioni era sul cromosoma X (e non in un regione pseudoautosomica) è stato motivo di particolare attenzione data il sesso maschile del paziente. Le cellule derivate hanno comunque passato i test di tumorigenicità ma in via precauzionale si è deciso di non utilizzarle nel trapianto

Accanto a questa straordinaria scoperta è stato [pubblicato un secondo articolo](#) nello stesso numero del New England Journal of Medicine in cui ricercatori e medici del Bascom Palmer Eye Institute presso l'Università di Miami hanno discusso il caso di tre pazienti che hanno pagato \$ 5000 per una terapia con cellule staminali per la stessa malattia a un anonima clinica a scopo di lucro in Florida (gli autori non sono essi stessi coinvolti con la procedura). In questo caso le cellule erano state ottenute dalle cellule adipose dei pazienti, e trattate con enzimi per produrre cellule staminali derivate da tessuto adiposo. Queste cellule sono state mescolate con plasma e piastrine dal sangue del paziente e iniettate negli occhi,

nonostante non ci siano prove che la terapia con cellule staminali adulte possa trattare la malattia, o che le cellule staminali derivate da tessuto adiposo possano maturare in cellule vive che consentono la vista. Insolitamente, queste iniezioni sono state fatte in entrambi gli occhi dei pazienti. Generalmente con procedure sperimentali, un solo occhio è usato in modo che, se sorgono complicazioni, la visione nell'altro occhio possa essere mantenuta. I pazienti trattati hanno sviluppato complicazioni tra cui il distacco di retina ed emorragie, e mentre tutti e tre avevano una visione ridotta prima della procedura, successivamente hanno sviluppato una cecità completa.

Queste due esperienze così opposte sottolineano la distinzione rigida tra i trattamenti innovativi che si basano su prove precliniche accurate, dimostrati in studi clinici rigorosi, e approvati per la commercializzazione dopo revisione regolamentare e gli interventi non provati che vengono offerti da professionisti che sono ingenui per quanto riguarda la complessità biologiche delle cellule staminali o da ciarlatani in grado spacciare l'equivalente moderno di olio di serpente. La somministrazione di "terapie" con cellule autologhe di fuori del contesto di sperimentazione clinica – e a scopo di lucro – è una grave violazione degli standard professionali e giuridici, comporta il rischio di peggioramento della salute umana e viola la tradizione medica di lunga data del primum non nocere.



da [DRI San Raffaele](#)