

TRAPIANTO AUTOLOGO DI CELLULE STAMINALI NELLA TERAPIA DELLA SCLERODERMIA: DI COSA SI TRATTA?

La sclerodermia generalizzata o sclerosi sistemica è una malattia caratterizzata dal coinvolgimento fibrotico di cute e organi interni; a causa di alterazioni che interessano arteriole e capillari e ad anomalie del sistema immunitario, si realizza un eccessivo deposito di collagene nel derma cutaneo ma anche in altri organi e apparati (polmone, cuore, esofago, intestino, rene).

Le manifestazioni cliniche della malattia sono eterogenee, pertanto la terapia va individualizzata e rapportata all'entità del caso di ogni singolo paziente.

I farmaci più comunemente impiegati si possono distinguere in:

-FARMACI VASODILATATORI (calcio-antagonisti, ACE-inibitori, prostacicline): vengono utilizzati allo scopo di contrastare le alterazioni vascolari responsabili delle lesioni

sclerodermiche (migliorano il Fenomeno di Raynaud)

-FARMACI ANTIFIBROTICI: sono farmaci che interferiscono con il metabolismo del collagene, riducendone l'eccessivo deposito

-FARMACI IMMUNOSOPPRESSORI (ciclofosfamide, azatioprina, methotrexate, ciclosporina): sono farmaci che interferiscono con l'attivazione del sistema immunitario, che risulta alterato nei pazienti con sclerodermia; il loro utilizzo viene riservato alle forme complicate da un severo coinvolgimento degli organi interni.

Il cortisone ha un impiego limitato: vi si ricorre per esempio in caso di artrite, di infiammazione muscolare o quando c'è un interessamento polmonare.

Accanto ai cosiddetti "farmaci di fondo" che si prefiggono lo scopo di interferire con i meccanismi patogenetici della malattia, di indubbia utilità sono anche le terapie di supporto per le singole manifestazioni della sclerodermia (es: farmaci che favoriscono lo svuotamento gastrico o riducono la stipsi in caso di interessamento del sistema gastro-enterico, o farmaci anti-aritmici in alcune forme di cardiopatia sclerodermia, ecc.).

Purtroppo esistono casi in cui la malattia peggiora rapidamente senza che i farmaci a disposizione riescano a modificarne il decorso: per questo, negli ultimi anni, è stato proposto, per le forme più gravi, l'utilizzo del **trapianto autologo di cellule staminali periferiche**, con risultati in alcuni casi incoraggianti.

Le cellule staminali, volendo semplificare al massimo, sono cellule del midollo osseo che sono in grado di replicarsi e generare ogni tipo di cellula del sangue (globuli bianchi, globuli rossi, piastrine...); le troviamo anche nel sangue periferico: sono cellule rare.

La procedura che precede il trapianto autologo (nello stesso paziente) è complessa e prevede diverse fasi: la fase della "mobilizzazione" che consiste nella somministrazione di farmaci in grado di stimolare il passaggio delle cellule staminali dal midollo al sangue periferico; la fase di asportazione dal circolo ematico, grazie a particolari apparecchiature, delle cellule staminali, che vengono congelate in attesa di essere reinfuse, ossia reimmesse nel circolo sanguigno dopo che il paziente è stato sottoposto a terapia immunosoppressiva ad alta intensità.

In poche parole il rationale del trapianto autologo con cellule staminali periferiche consiste nel tentare di ricostituire il patrimonio immunologico del paziente dopo aver eliminato i globuli bianchi con capacità autoaggressive: in altre parole il sistema immunitario viene "resettato" e si riparte da capo (dalle cellule staminali)!

La sintetica e semplificata descrizione che ho proposto di questa procedura terapeutica non rende conto della sua complessità e dei rischi che comporta: possibilità di infezioni, emorragie, ospedalizzazione prolungata...

Ciononostante, valutando complessivamente i pochi casi segnalati di pazienti sclerodermici che hanno effettuato il trapianto, le informazioni sono abbastanza confortanti.

Certo c'è ancora molto da fare sia per quanto riguarda i criteri di selezione dei pazienti candidati al trapianto, sia per quanto riguarda il tipo e il dosaggio dei farmaci impiegati a scopo immunosoppressivo; Inoltre per potersi esprimere circa la reale efficacia di questa terapia bisognerà attendere di verificarne i risultati a lungo termine.

Poiché è estremamente importante, ai fini del successo terapeutico, l'identificazione precoce del coinvolgimento degli organi interni, possibile attraverso alcuni specifici esami di laboratorio e

tecniche strumentali sempre più perfezionate, si raccomanda costanza nell'effettuare i periodici controlli suggeriti e il mantenimento di uno stretto rapporto di collaborazione medico-paziente, che può garantire la corretta gestione del decorso di malattia.

D.ssa Nicoletta Rizzo
Unità Operativa di Reumatologia
Arcispedale S. Anna - Ferrara