

Le terapie cellulari

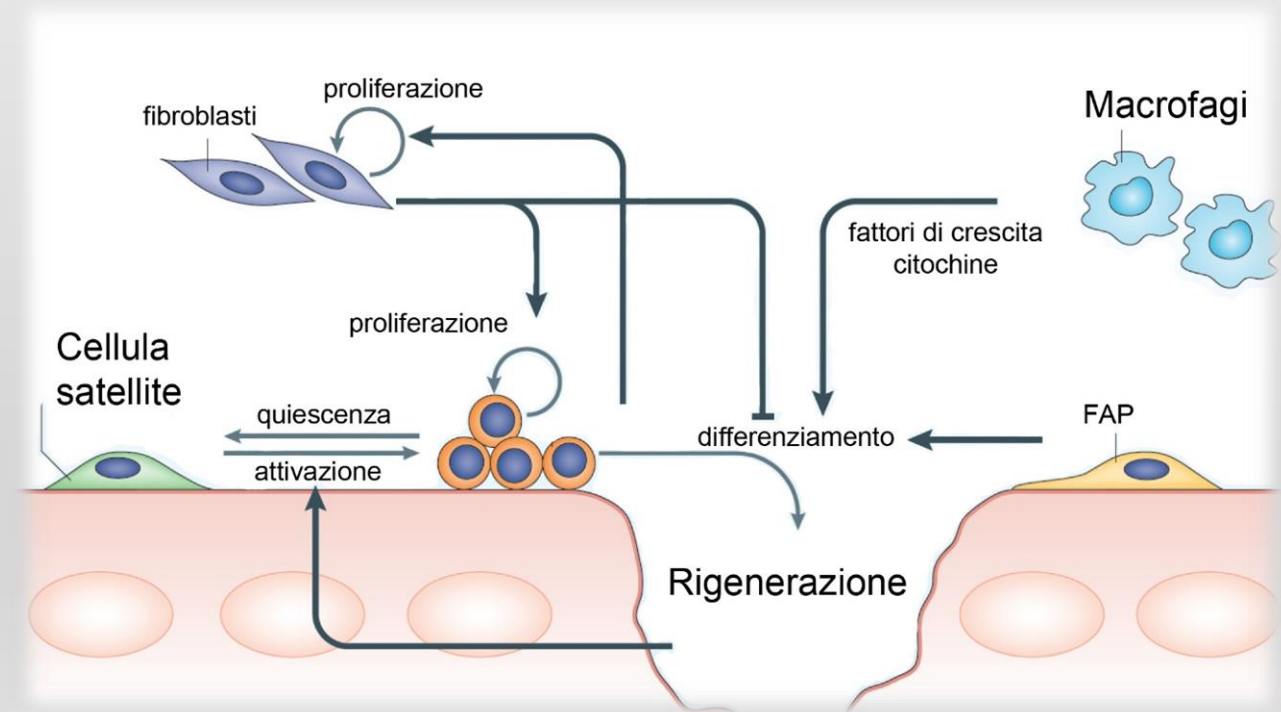
A microscopic view of several petri dishes containing cell cultures. The cultures are shown as blue, spherical clusters of cells, with the most prominent one in the center foreground. The background is dark, and other dishes are visible in the periphery, some out of focus.

Prof.ssa Franca Fagioli

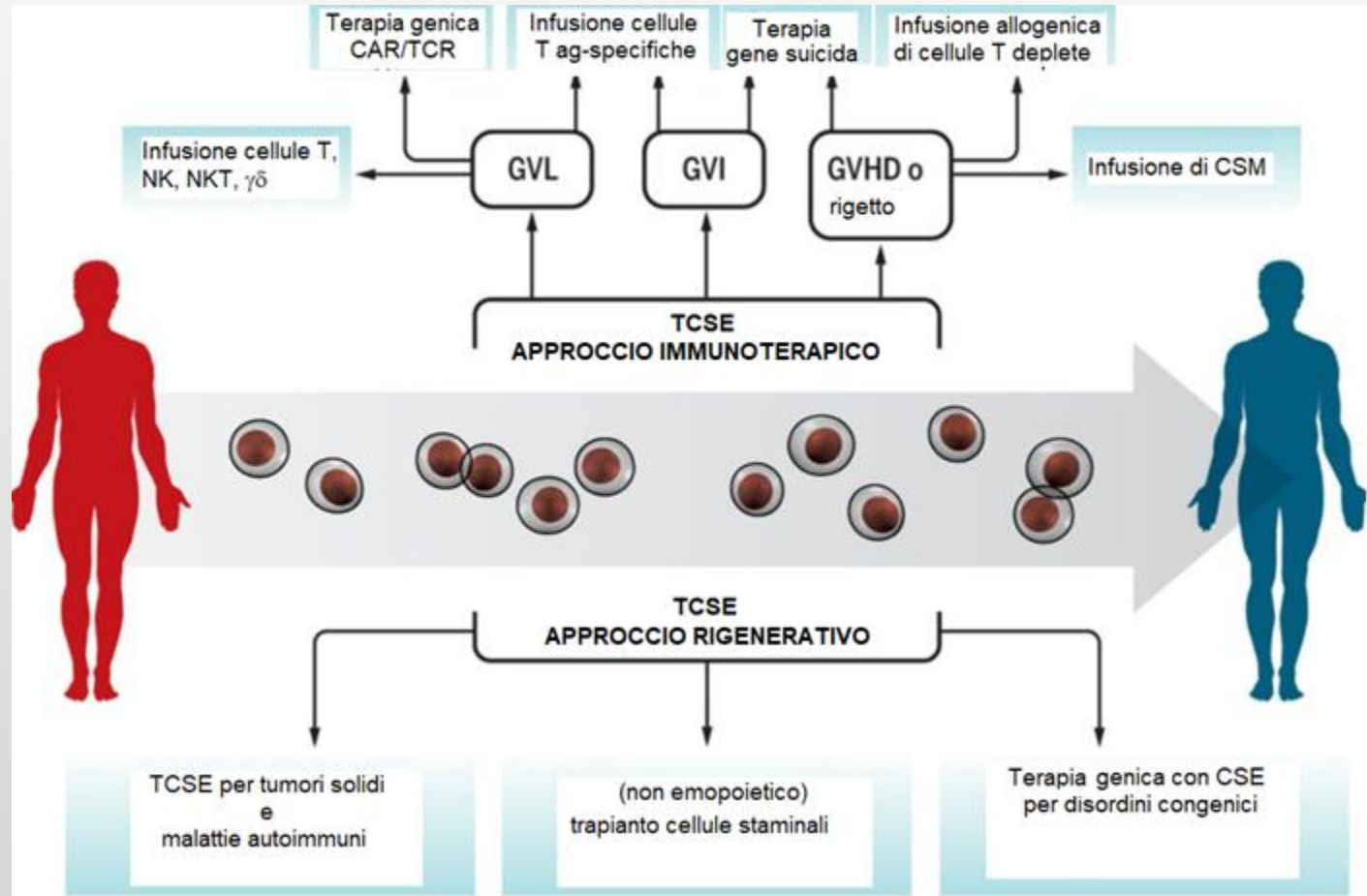
Laboratorio Centri Trapianti Cellule Staminali e Terapia Cellulare
S.C Oncoematologia Pediatrica, Città della Salute e della Scienza di Torino
Dipartimento di Scienze della Sanità Pubblica e Pediatriche
Università degli Studi di Torino

Le terapie cellulari

- La **terapia cellulare** è una terapia a base di cellule o derivati cellulari (anche manipolati in laboratorio) utilizzati per **sostituire o modificare organi e tessuti danneggiati**.



Dal trapianto di Cellule Staminali Ematopoietiche ...



1980
Premio Nobel
J Dausset

1990
Premio Nobel
E.D. Thomas

1957 1959 1958-1969 1977 1980 1989

Primo trapianto di midollo osseo

Primo trapianto di midollo osseo da gemello

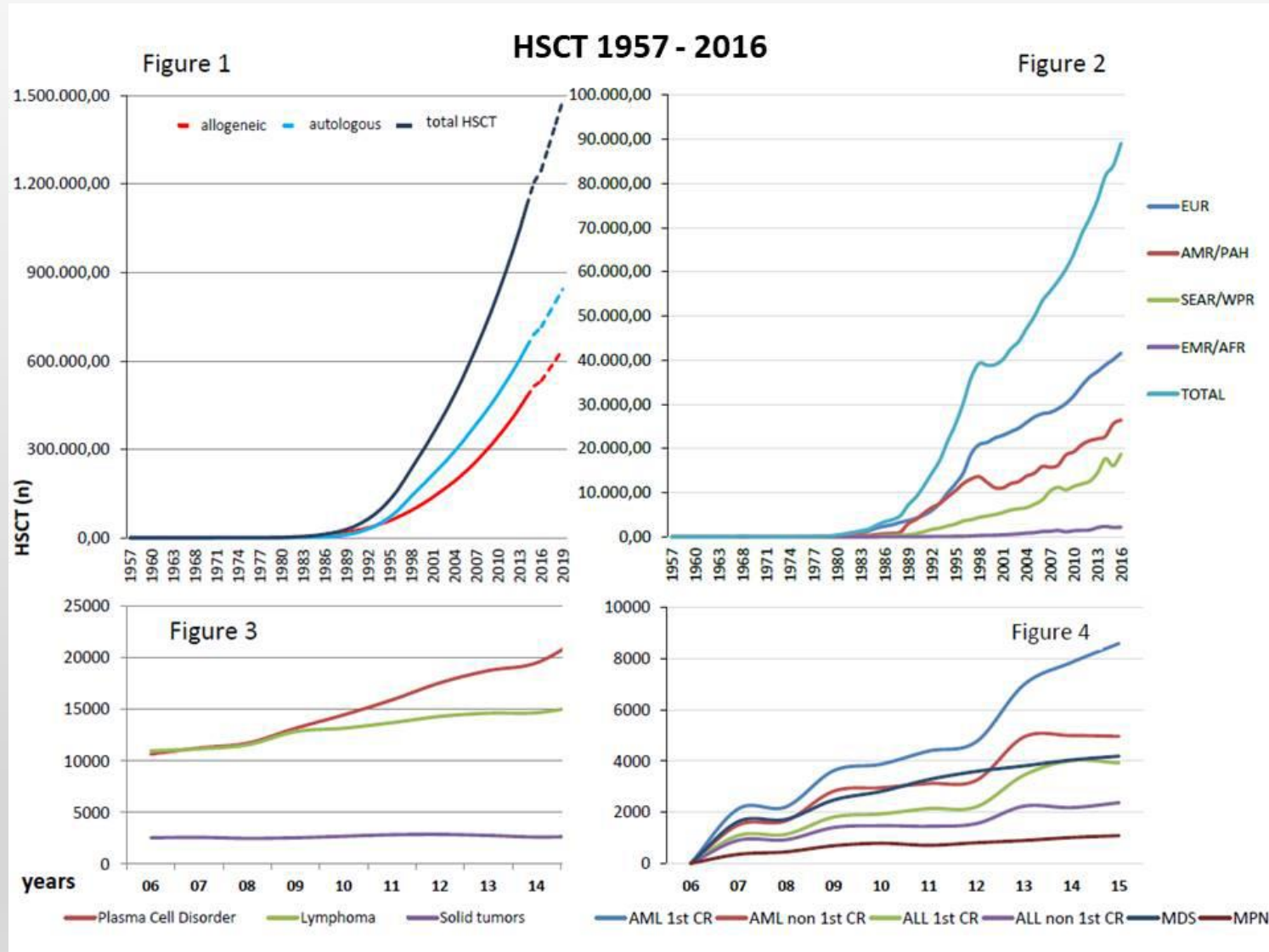
Scoperta HLA

100 pazienti trapiantati

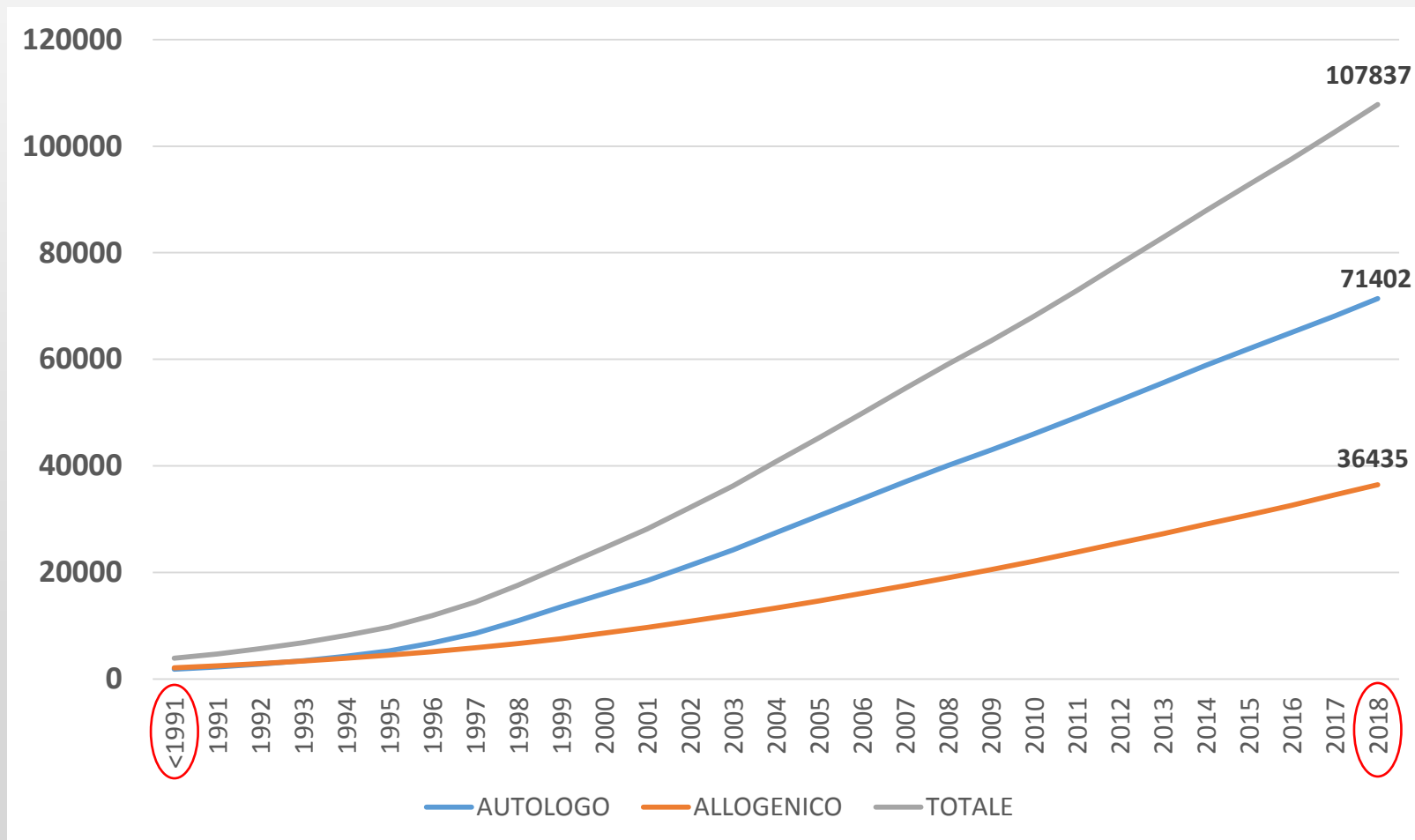
Primo trapianto allogenico da donatore non familiare

Primo trapianto da sangue cordonale

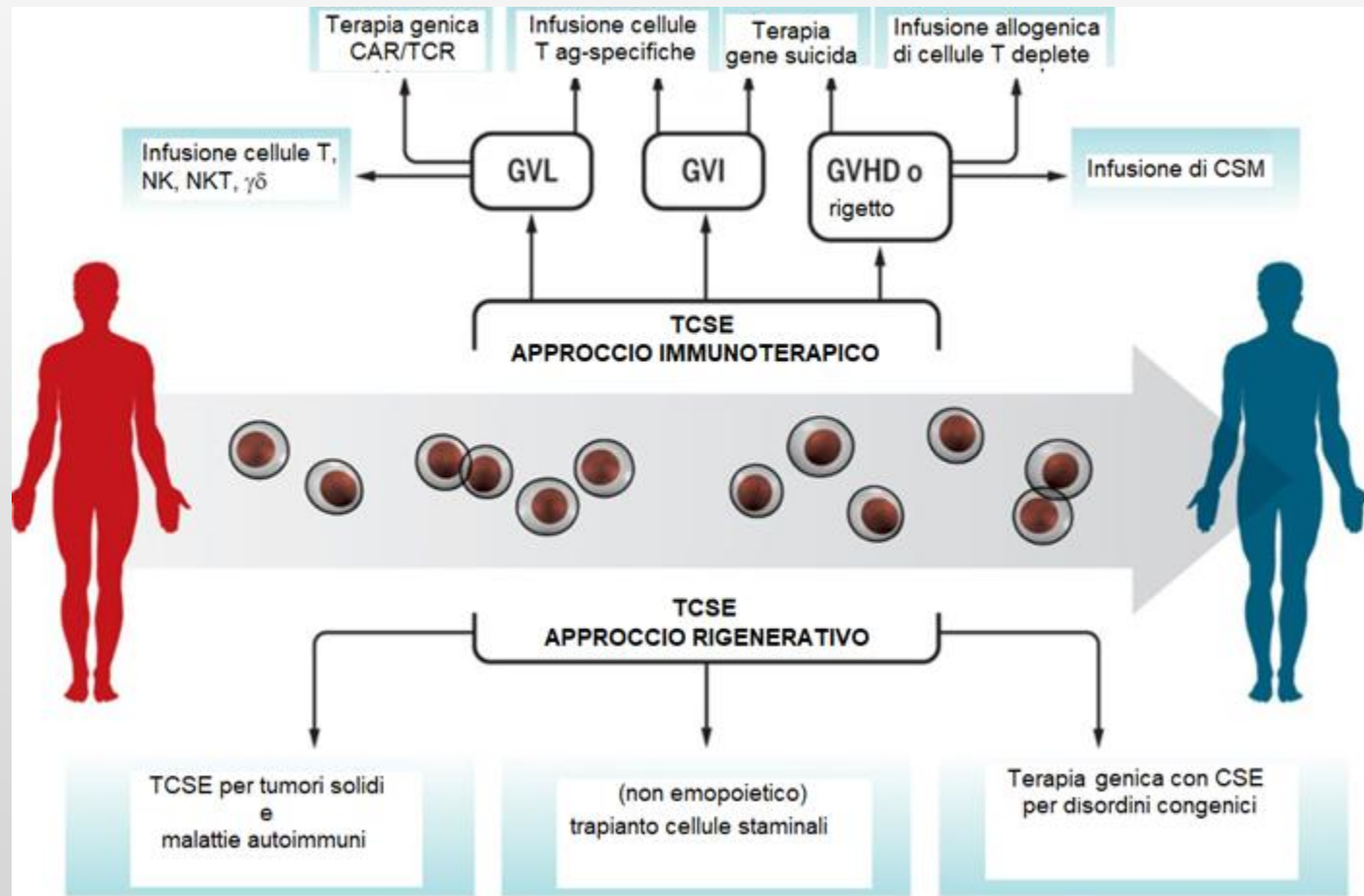
1,5 milioni di trapianti di CSE nel mondo dal 1957 al 2016



Più di 100.000 trapianti in Italia in 86 Centri Trapianto accreditati CNT/JACIE



... alle terapie avanzate



1992-96

T specifici
CMV/EBV anti GVI

2004

Infusione
Cellule Staminali
Mesenchimali anti GVHD

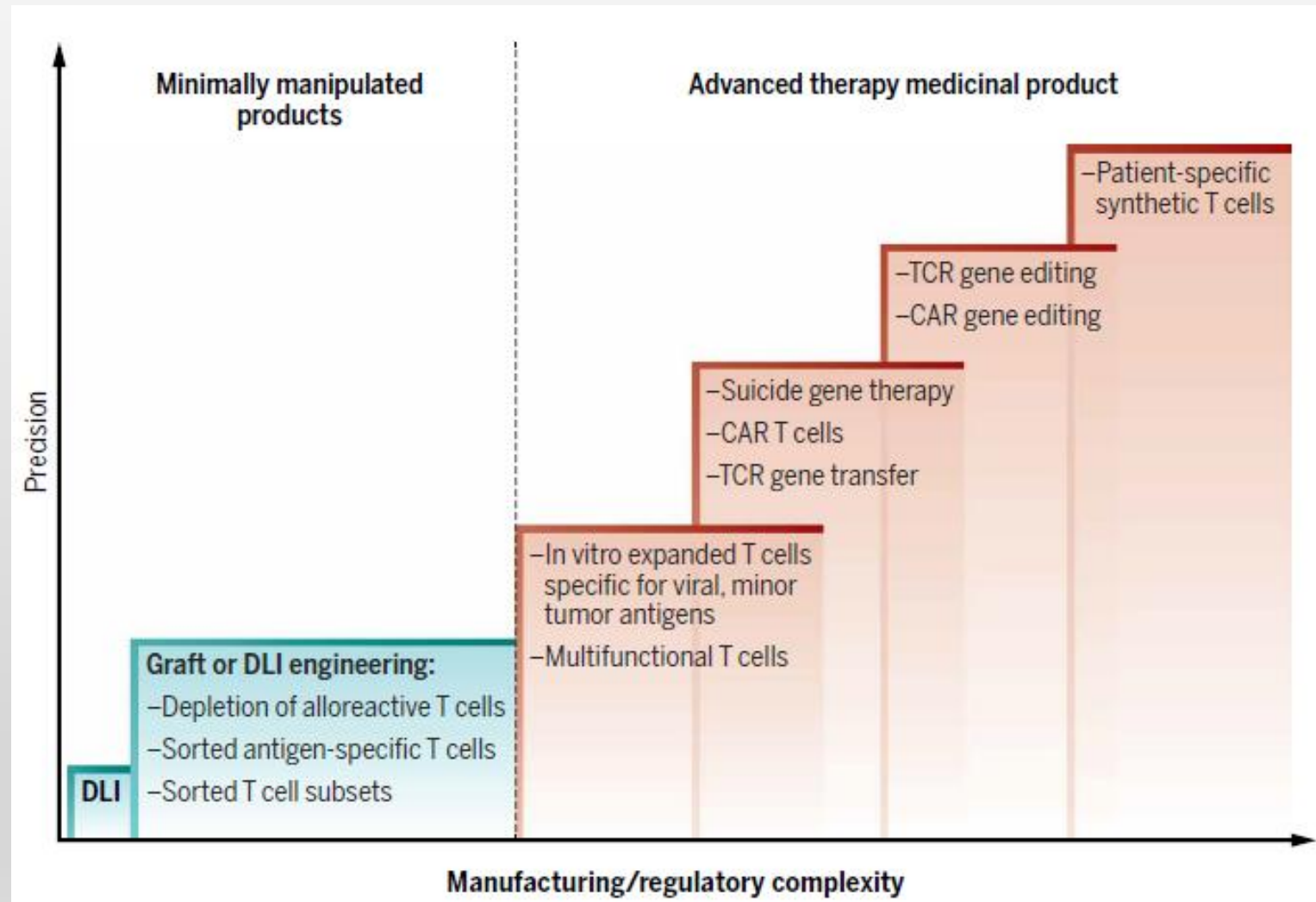
2011

Descrizione
iCasp9 cell-suicide
(gene suicida)

2018

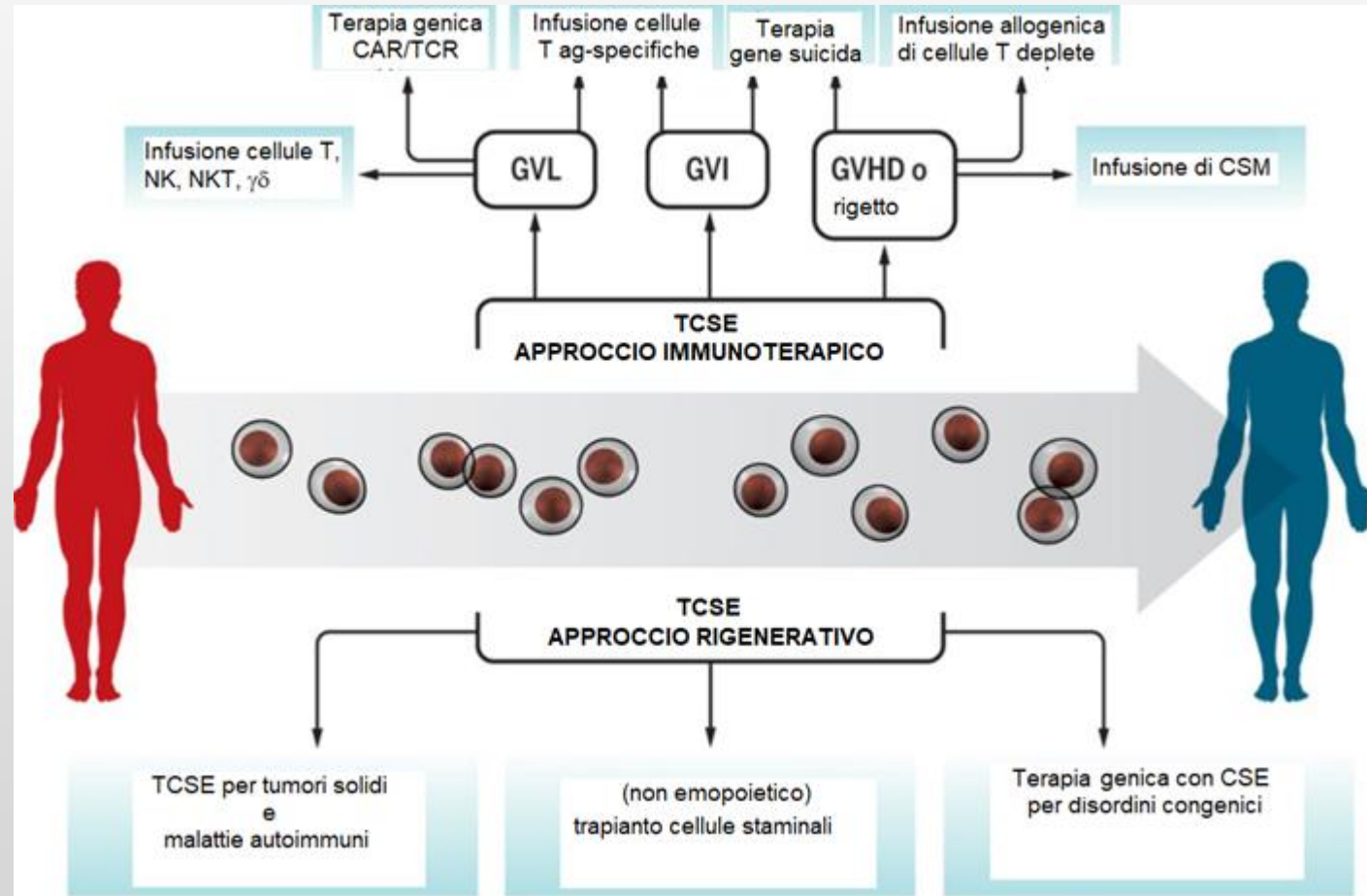
Kymrham
YESCARTA
CAR-T approvato da EMA

Terapia cellulare T nell'era della medicina di precisione



Maggiore complessità nei costi di produzione e aspetti regolatori più stringenti permettono una migliore efficacia, specificità e sicurezza dei prodotti di terapia cellulare

... alle terapie avanzate



-Direttiva 2001/18/CE rilascio deliberato di organismi geneticamente modificati nell'ambiente
 - Decreto Lgs 206/2001 sull'impiego degli OGM

1992

Terapia genica per ADA-SCID

2000-2006

Terapia genica per SCID-XI, CGD, WAS (RV)

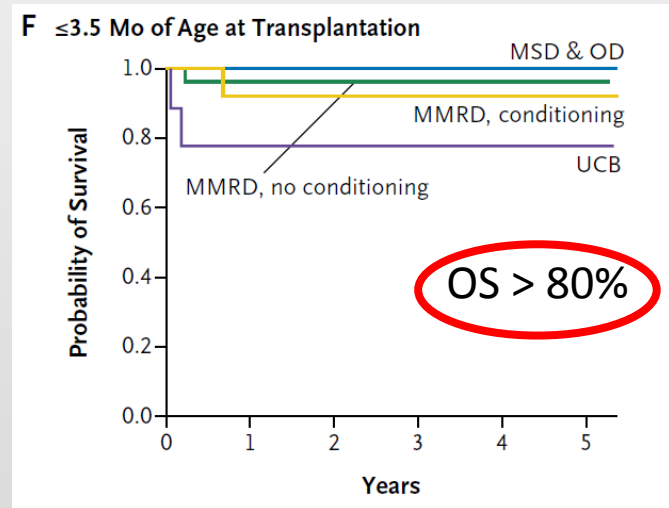
2005-2017

Terapia genica per SCID-XI, CGD, x-ALD, -Thal, WAS, MLD (LV)

L'esempio della terapia delle immunodeficienze (SCID)

Nessuna terapia: decesso entro i primi mesi di vita

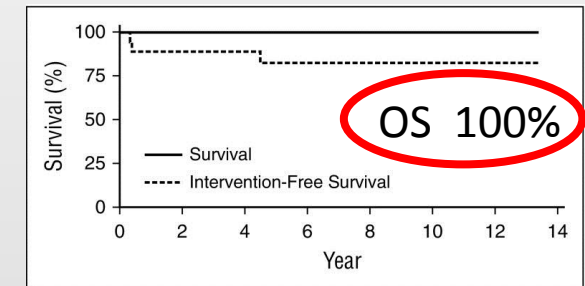
Trapianto Cellule Staminali Ematopoietiche Precoce



Pai et al New Engl J Med 2014

- 240 pazienti (2000-2009)
- OS più alta in pazienti di età <3,5 mesi e in assenza di infezioni

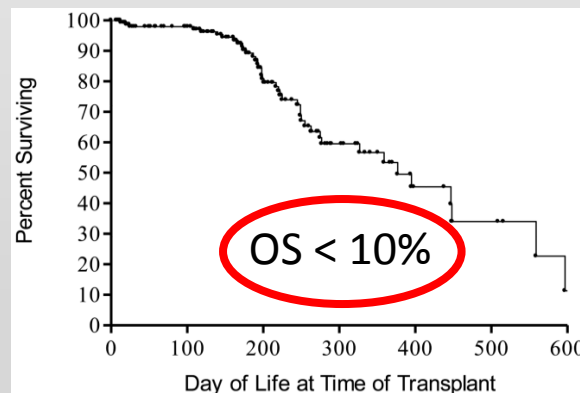
Terapia Genica



Cicalese et al Blood 2016

- 18 pazienti con ADA-SCID trattati con CD34+ geneticamente modificate
- OS 100% (2.3-13.4 anni di follow-up)
- attecchimento, ricostituzione immunologica e assenza di infezioni severe in 15/18 pazienti senza trasformazione leucemica

Trapianto Cellule Staminali Ematopoietiche Tardivo

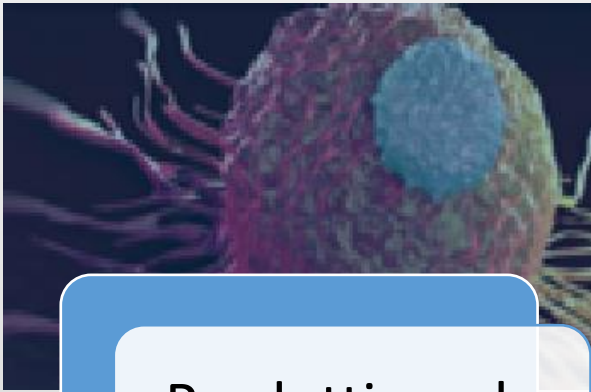


Buckley J All Clin Immunol 2012

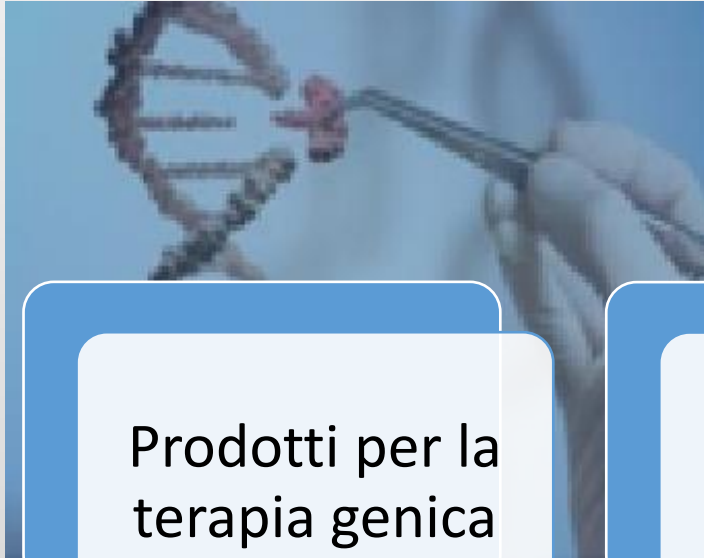
- 169 pazienti (1982-2011)
- OS < 10%

LE TERAPIE CELLULARI AVANZATE

Terapie Avanzate o Innovative (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMPs)



Prodotti per la
terapia cellulare
somatica



Prodotti per la
terapia genica



Prodotti di
ingegneria
tissutale

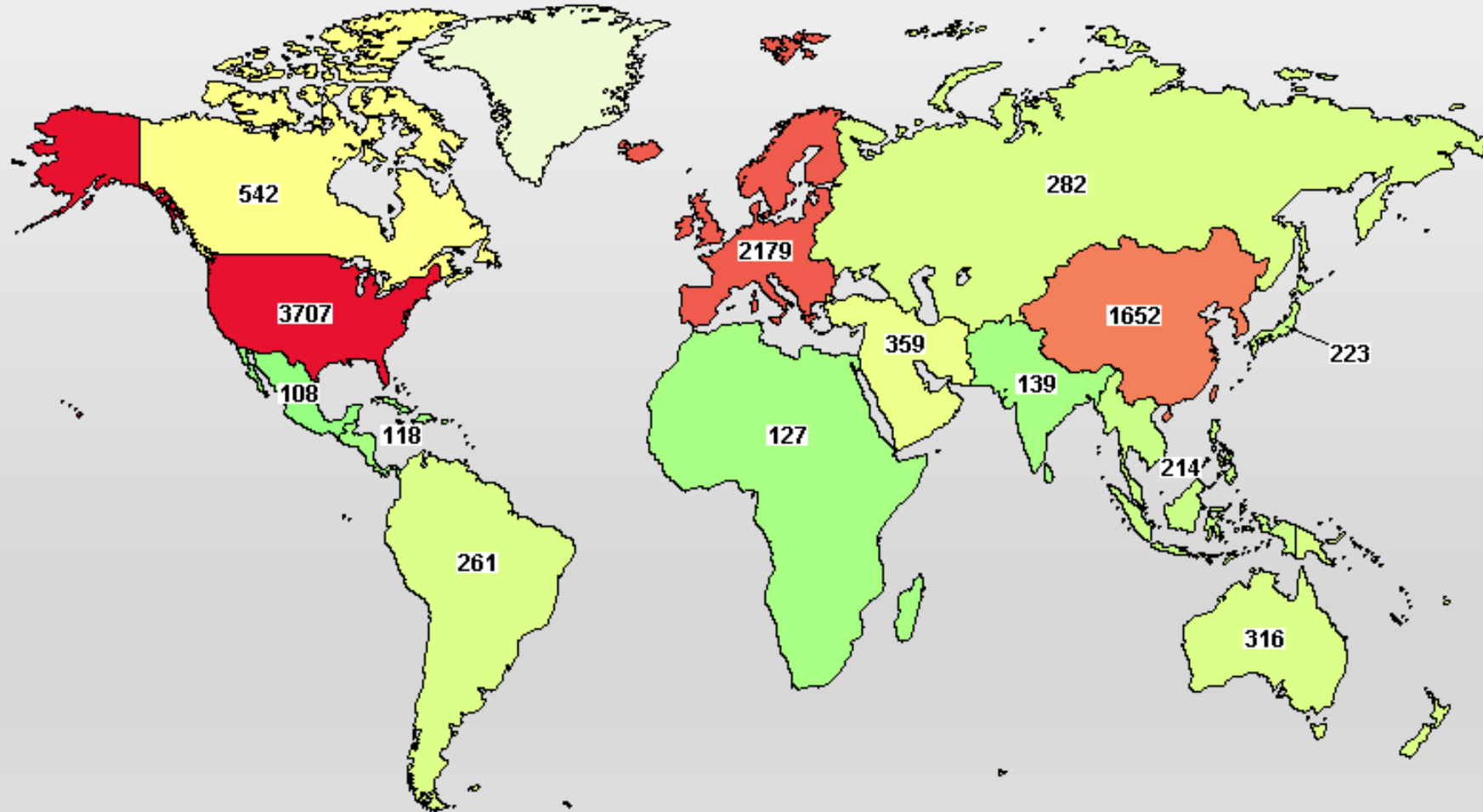
Autorità competente: AIFA/ISS

Normativa di riferimento: Regolamento EU n1394 del 2007



Protocolli sperimentali di terapia cellulare nel mondo

7934 Studies found for: **cellular therapy**



Protocolli sperimentali di terapia cellulare in Europa

570 studi sperimentali **in Italia**

