

RISeT – Rete Informativa Scienza e Tecnologia

| | |
|-----------------|---|
| <i>Mittente</i> | IIC San Francisco - Ufficio Scientifico e Tecnologico |
|-----------------|---|

| | |
|-----------------------------|--|
| <i>Titolo</i> | Primo test clinico per terapia basata su cellule staminali |
| <i>Parole chiave</i> | Cellule staminali, cellule progenitrici, oligodendrociti |
| <i>Settori/sottosettori</i> | 5, 6, 14, 16 |
| <i>Tipo di informazione</i> | Sperimentazione clinica innovativa |

| | |
|---------------------------|--|
| <i>Redazione</i> | Terenzio Scapolla / Paolo Sorbello |
| <i>E-mail - Tel - Fax</i> | tscapolla@sfic.org T 415 788 7142 F 415 788 6389 |

La società biofarmaceutica [Geron](#) (Menlo Park, California) ha ricevuto dalla Food and Drug Administration (FDA) l'approvazione per iniziare il primo test clinico su pazienti (la cosiddetta Fase 1) di una terapia a base di cellule staminali (human embryonic stem cell - hESC) per la cura di lesioni alla spina dorsale.

La sperimentazione, effettuata per la prima volta al mondo, servirà a stabilire l'efficacia di un trattamento, denominato [GRNOPC1](#) (Geron's hESC-Derived Oligodendrocyte Progenitor Cells), sviluppato congiuntamente da Geron e [University of California, Irvine](#). La fase 1 servirà a stabilire la non tossicità della terapia.

Il farmaco GRNOPC1 contiene cellule progenitrici di tipo oligodendrocita derivate da hESC, che hanno dimostrato di essere in grado di generare mielina e stimolare la crescita del nervo, portando al recupero della funzione in animali affetti da lesione acuta della spina dorsale.

Secondo Richard Fessler, docente di chirurgia neurologica alla [Feinberg School of Medicine](#) della Northwestern University, è noto che la demielinazione ha un ruolo centrale nella patologia della lesione spinale. La sua inversione a seguito di iniezione di cellule progenitrici di oligodendrociti sarebbe rivoluzionaria per il settore. Nel caso si rivelasse sicura ed efficace la terapia costituirebbe un'opzione vitale per migliaia di pazienti affetti da gravi lesioni spinali.

Oltre che per le lesioni spinali, la cura GRNOPC1 potrebbe avere utilità terapeutica per altre malattie del sistema nervoso centrale. Geron ha definito una serie di collaborazioni con gruppi accademici per testare il farmaco su modelli animali di malattie umane per le quali vi è una solida motivazione all'applicazione.

Malattia di Alzheimer: in collaborazione con Frank M. LaFerla, direttore dell'Institute for Memory Impairments and Neurological Disorders (UCI MIND) presso la University of California, Irvine.

Sclerosi multipla: in collaborazione con Jeffery D. Kocsis, Departments of Neurology and Neurobiology at [Yale University School of Medicine](#) e Department of Veterans Affairs.

Malattia di Canavan: in collaborazione con [Paola Leone](#), direttrice del Cell and Gene Therapy Center, [University of Medicine and Dentistry of New Jersey](#). (Paola Leone, una ricercatrice italiana con un dottorato in neuroscienze conseguito all'[Università di Padova](#), ha lavorato a Montreal, Yale University e Filadelfia).

| | |
|----------|---|
| Sito Web | http://www.geron.com/investors/factsheet/pressview.aspx?id=1229 |
| Fonte | Geron |
| Data | 30 Luglio 2010 |