

Iniezioni di insulina addio? **L'obiettivo non è proprio dietro l'angolo per chi ha il diabete di tipo 1**, ma non è nemmeno più fantascienza. Anzi, si inizia a intravedere una possibile rivoluzione. Infatti, è appena stata somministrata con successo nel primo paziente la prima terapia cellulare incapsulata, progettata per il trattamento di questa patologia. A darne l'annuncio sono ViaCyte, che sta sviluppando la cura, e la Juvenile Diabetes Research Foundation (JDRF), che sta collaborando al progetto e lo sta finanziando.

Il prodotto, indicato per ora con la sigla VC-01, contiene isolotti pancreatici umani immaturi derivati da cellule staminali, incapsulati in un dispositivo (chiamato Encaptra) che protegge le cellule dall'attacco del sistema immunitario.

L'impianto è avvenuto nell'ambito di uno studio di fase I/II che sarà condotto inizialmente presso lo University of California San Diego (UCSD) Health System, con il supporto del Sanford Stem Cell Clinical Center della stessa università, e sarà coordinato da Robert Henry. Nello studio si valuteranno sicurezza ed efficacia di VC-01, che si propone come una possibile fonte sostitutiva delle cellule produttrici di insulina.

"Si tratta di un primo passo molto importante per valutare la possibilità di inserire isolotti incapsulati, derivati essenzialmente da cellule staminali progenitrici pluripotenti" ha dichiarato Steven C. Griffen, vice presidente dello sviluppo traslazionale della JDRF, in un'intervista.

"Se si rivelerà sicura ed efficace, questa strategia potrebbe rivoluzionare la gestione del diabete di tipo 1, liberando i pazienti dalla schiavitù delle iniezioni e regolando la glicemia in modo molto simile a quello fisiologico, come avviene nelle persone non affette da diabete di tipo 1" ha aggiunto Griffen.

Inizialmente, i ricercatori dell'USCD seguiranno per diversi mesi un piccolo gruppo di pazienti malati da almeno 3 anni, per essere certi della sicurezza della terapia. Dopo questa fase iniziale, se tutto andrà bene, il progetto di ricerca prevede il coinvolgimento di ulteriori centri che dovranno arruolare altri pazienti, circa 40 in totale, nella prima parte del 2015.

"L'obiettivo primario è dello studio è dimostrare la **sicurezza** del prodotto in pazienti malati da almeno 3 anni, non quello di renderli insulino-indipendenti" ha rimarcato Griffen. Tuttavia, ha aggiunto, "il trial è anche progettato per valutare l'efficacia del prodotto nel rimpiazzare la funzione di produzione dell'insulina andata perduta nei pazienti con diabete di tipo 1, misurando i livelli di peptide C come marker della produzione di insulina".

Lo studio fornirà, inoltre, informazioni cruciali sul funzionamento del dispositivo di incapsulamento nella sede dell'impianto e sulla maturazione e la sopravvivenza delle cellule impiantate.

L'impianto, inserito con una procedura mininvasiva, sarà tenuto per un massimo di 2 anni, durante i quali i pazienti saranno monitorati attentamente.

I ricercatori sperano che, una volta impiantati e maturati, gli isolotti si dimostrino in grado di percepire i livelli di glucosio del paziente e, di conseguenza, di produrre e rilasciare la quantità adeguata insulina, mentre il dispositivo di incapsulamento li protegge dall'attacco autoimmune del diabete di tipo 1 e dal rigetto.

Da sottolineare che questa strategia ha le potenzialità per superare gli ostacoli che finora hanno limitato l'impiego del trapianto di isolotti umani nei pazienti con diabete di tipo 1: la **scarsità di isole** da

trapiantare e la necessità di somministrare per tutta la vita farmaci

immunosoppressori

per prevenire la distruzione dei nuovi isolotti trapiantati. Gli isolotti derivati da cellule staminali, invece, potrebbero rappresentare una fonte illimitata di cellule produttrici di insulina, mentre il dispositivo protettivo elimina la necessità degli immunosoppressori.

Alessandra Terzaghi

da [PHARMASTAR](#)