Autotrapianto di midollo con staminali efficace nel Lupus sistemico refrattario

Data 04 febbraio 2006
Categoria reumatologia

L'autotrapianto non mieloablativo di cellule staminali è efficace nel Lupus sitemico eritematoso refrattario alle comuni terapie.

Alcune forme di Lupus eritematoso sistemico possono purtroppo minacciare la vita stessa dei pazienti e risultano refrattari anche alle terapie immunosoppressive più aggressive. Pe rivalutare l'efficacia e la sicurezza di una terapia immunosoppressiva intensa e l'autotrapianto di cellule staminali adulte in pazienti con SLE grave e refrattario alle comuni terapie. Cinquanta pazienti affetti da SLE severo refrattario sono stati arruolati in uno studio a singolo braccio tra l'Aprile 1997 al Gennaio 2005 e sottoposti ad autotrapianto di cellule ematopoietiche adulte. Le cellule staminali midollari sono state mobilizzate con ciclofosfamide (2 g/m2) e fattore stimolante le colonie (5 µg/kg/die), arricchite ex vivo da immunoselezione di CD34+, crioconservate e reinfuse dopo trattamento con ciclofosfamide (200 mg/kg) e siero equino antitimocitico (90 mg/kg). L'end point principale era costituito dalla sopravvivenza, sia globale che libera da malattia. End points secondari erano l'indice di malattia, SLE Disease Activity Index (SLEDAI), il titolo anticorpale degli anticorpi antinucleo (ANA) e degli anticorpi anti DNA a doppia elica (ds) DNA), il C3, C4, e le variazioni rispetto al basale delle funzioni renale e polmonare valutate a 6, 12 mesi, e, successivamente, ogni anno per 5 anni. Cinquanta pazienti sono stati arruolati ed hanno effettuato la mobilizzazione delle staminali. Due pazienti sono deceduti dopo la mobilizzazione, uno per una mucormicosi generalizzata e l'altro per SLE dopo aver rimandato il trapianto per 4 mesi. Quarantotto pazienti si sono sottoposti al HSCT non mieloablative. La mortalità correlata al trattamento è stata del 2% (1/50) e del 4% (2/50) nell'intenzione a trattare. Il follow-up medio è stato di 29 mesi (range, 6 mesi - 7.5 anni) per i pazienti che sono stati sottoposti a HSCT, la sopravvivenza globale a 5 anni è stata dell' 84%, e la sopravvivenza libera da malattia a 5 anni dopo HSCT è stata del 50%. Sono stati osservati una stabilizzazione della funzione renale e polmonare e miglioramenti significativi rispetto al basale nello score SLEDAI, e nei livelli di ANA, anti-ds DNA e complemento.
Gli Autori concludono che nel SLE refrattario, l' HSCT autologo non mieloablativo si associa ad un miglioramento dell'attività di malattia dei markers sierologici, ed una stabilizzazione e persino un miglioramento di alcune funzioni parenchimali. I dati sono preliminari e sono frutto di uno studio pilota non randomizzato e pertanto devono essere oggetto di una valutazione mediante studi prospettici randomizzati e controllati.

Fonte: Jama, 2006 295 No. 5, Febbraio 1

© 2004 - 2026 Pillole - Registrazione T. di Roma n. 2/06 | stampato il 2/11/2026 alle ore 14:18 | Pagina 1 di 1