

## Cosa c'è da sapere sui trapianti di midollo osseo

**I** trapianti di midollo osseo, noti anche come trapianti di cellule staminali emopoietiche, sono procedure salvavita utilizzate per trattare varie condizioni, tra cui leucemia, linfoma e alcuni disturbi genetici. Sebbene questi trapianti possano offrire speranza e una possibilità di recupero, comportano anche rischi e sfide. Comprendere le basi del trapianto di midollo osseo è essenziale per i pazienti, gli assistenti e i cari coinvolti nel processo. In questo articolo, esploreremo tutto ciò che devi sapere sui trapianti di midollo osseo.

### Cos'è il trapianto di midollo osseo?

Il trapianto di midollo osseo comporta la sostituzione del midollo osseo danneggiato o malato con cellule staminali sane. Queste cellule staminali possono provenire dal paziente stesso (trapianto autologo) o da un donatore (trapianto allogenico). L'obiettivo del trapianto è quello di reintegrare il midollo osseo del paziente con cellule sane che possono produrre normali cellule del sangue.

### Condizioni trattate con trapianti di midollo osseo

I trapianti di midollo osseo sono comunemente utilizzati per trattare:

1. Leucemia: Un tipo di cancro che colpisce il sangue e il midollo osseo.
2. Linfoma: Cancro che colpisce il sistema linfatico, compresi i linfonodi e il midollo osseo.
3. Mieloma multiplo: Tumore delle plasmacellule del midollo osseo.
4. Alcune malattie genetiche: Come l'anemia falciforme, la talassemia e l'immunodeficienza combinata grave (SCID).

### Tipi di trapianti di midollo osseo

1. Trapianto autologo: Le cellule staminali del

paziente vengono raccolte e conservate prima di sottoporsi a chemioterapia ad alto dosaggio o radioterapia. Dopo il trattamento, le cellule staminali conservate vengono restituite al paziente per aiutare a rigenerare il midollo osseo sano.

2. Trapianto allogenico: Le cellule staminali vengono ottenute da un donatore compatibile, come un fratello o un donatore non imparentato. Questo tipo di trapianto richiede un attento abbinamento degli antigeni leucocitari umani (HLA) tra il donatore e il ricevente per ridurre al minimo il rischio di rigetto o di malattia del trapianto contro l'ospite (GVHD).

### Il processo di trapianto

1. Preparazione: Prima del trapianto, i pazienti vengono sottoposti a test approfonditi per valutare la loro salute generale e la compatibilità con potenziali donatori. Ciò può includere esami del sangue, scansioni di imaging e test di funzionalità cardiaca e polmonare.
2. Collezione di cellule staminali: Per i trapianti autologhi, le cellule staminali vengono raccolte dal sangue o dal midollo osseo del paziente tramite una procedura chiamata aferesi. I donatori per i trapianti allogenici possono sottoporsi a un processo simile per raccogliere le cellule staminali.
3. Terapia di condizionamento: Prima del trapianto, i pazienti vengono sottoposti a chemioterapia ad alte dosi, radioterapia o una combinazione di entrambe per distruggere le cellule tumorali e sopprimere il sistema immunitario, consentendo l'attecchimento con successo delle cellule staminali del donatore.
4. Trapianto: Le cellule staminali raccolte o donate vengono infuse nel flusso sanguigno del paziente, in modo simile a una trasfusione di sangue. Queste cellule staminali viaggiano poi

verso il midollo osseo, dove iniziano a crescere e a produrre nuove cellule del sangue.

5. Recupero e follow-up: Dopo il trapianto, i pazienti vengono attentamente monitorati per eventuali complicazioni, come infezioni, fallimento dell'innesto o GVHD. Appuntamenti di follow-up regolari e cure di supporto sono essenziali per gestire gli effetti collaterali e promuovere il recupero.

### Rischi e complicazioni

Sebbene i trapianti di midollo osseo offrano speranza a molti pazienti, comportano anche rischi e potenziali complicazioni, tra cui:

- Fallimento dell'innesto: Le cellule staminali trapiantate potrebbero non riuscire ad attecchire e a produrre nuove cellule del sangue.
- Malattia del trapianto contro l'ospite (GVHD): Condizione in cui le cellule immunitarie del donatore attaccano i tessuti del ricevente, causando infiammazione e danni a vari organi.
- infezioni: L'indebolimento del sistema immu-

nitario conseguente alla terapia di condizionamento rende i pazienti più suscettibili alle infezioni.

- Danni agli organi: La chemioterapia e la radioterapia ad alte dosi possono causare danni ai polmoni, al fegato, ai reni e ad altri organi.

### Conclusione

I trapianti di midollo osseo sono procedure complesse che richiedono un'attenta pianificazione, coordinamento e supporto. Sebbene offrano speranza ai pazienti con determinati disturbi del sangue e tumori, comportano anche rischi e sfide. Comprendere il processo di trapianto, le potenziali complicazioni e l'importanza delle cure post-trapianto è fondamentale per i pazienti, i caregiver e gli operatori sanitari coinvolti nel percorso verso la guarigione. Restando informati e istruiti, gli individui possono prendere decisioni consapevoli e affrontare meglio le sfide associate al trapianto di midollo osseo.

*Tratto da [florencehealthcare.international.it](http://florencehealthcare.international.it)*

## Leucemia mieloide acuta refrattaria o con recidiva: terapia innovativa per una rara mutazione

**P**

rogressi nelle applicazioni di un inibitore della menina in oncematologia

La leucemia mieloide acuta (LMA) rappresenta una delle forme più aggressive di tumore del sangue, caratterizzate dalla rapida proliferazione di cellule immature nel midollo osseo e nel circolo sanguigno.

Queste neoplasie si sviluppano quando le cellule staminali mieloidi, normalmente responsabili della produzione di globuli rossi, globuli bianchi e piastrine, subiscono alterazioni genetiche che ne compromettono il funzionamento e la regolazione.

La diagnosi di LMA avviene tipicamente attraverso esami ematologici e analisi molecolari, che identificano anomalie genetiche e mutazioni specifiche.

Il trattamento standard delle leucemie mieloidi acute prevede chemioterapia intensiva, trapianto di midollo osseo e terapie mirate, con l'obiettivo di indurre la remissione e, in alcuni casi, ottenere una cura definitiva.

Tuttavia, una percentuale significativa di pazienti non risponde alle terapie iniziali, entrando in uno stato definito "refrattario", oppure sperimentando una recidiva della malattia dopo un periodo di remissione. In questi casi, le prospettive sono spesso molto difficili, con una prognosi sfavorevole e poche opzioni terapeutiche efficaci.

Le leucemie refrattarie o recidivanti sono impegnative da affrontare in clinica, perché le cellule leucemiche sviluppano spesso resistenze ai trattamenti disponibili, rendendo così necessaria la ricerca di nuove strategie terapeutiche.

L'approccio più promettente si sta orientando verso le terapie di precisione, ovvero farmaci che agiscono su alterazioni genetiche specifiche.

Tra queste, le mutazioni del gene *Kmt2a* e *Npm1* sono particolarmente rilevanti, in quanto rappresentano bersagli molecolari che, se correttamente individuati e trattati, potrebbero migliorare significativamente gli esiti.



800 591147

### Bersagli molecolari emergenti

In questo contesto si inserisce lo sviluppo di una nuova molecola, denominata Bn104, una terapia innovativa che si propone come trattamento per le leucemie mieloidi acute refrattarie o recidivanti. Bn104 è un inibitore della menina, una proteina coinvolta nella regolazione dell'espressione genica e che sembra avere un ruolo chiave nelle cellule leucemiche con determinate mutazioni molecolari.

Attualmente in fase di sperimentazione clinica, Bn104 è stato sviluppato dalla società biofarmaceutica BioNova Pharmaceuticals, e il suo potenziale terapeutico è stato al centro di recenti studi presentati all'American Society of Hematology.

**I primi risultati sono estremamente promettenti:** nei soggetti affetti da leucemia mieloide acuta refrattaria o recidivante, si è registrato un tasso di risposta completa con recupero ematologico parziale del 60,9% nel sottogruppo di pazienti con mutazione Kmt2a, e del 40% tra quelli con mutazione Npm1.

Questi dati indicano che Bn104 potrebbe rappresentare una svolta nel trattamento di una condizione spesso considerata incurabile con le terapie attuali.

Il profilo di sicurezza del farmaco si è rivelato tollerabile, un elemento cruciale per proseguire con ulteriori fasi di sperimentazione e, in futuro, con l'autorizzazione all'uso clinico su larga scala.

La possibilità di intervenire su mutazioni rare ma trattabili come quella della menina apre nuove prospettive per i pazienti più vulnerabili, offrendo loro una speranza concreta di miglioramento e di vita più lunga.

### L'impegno di Servier e l'asset di BioNova

Per valorizzare al massimo il potenziale di Bn104, il gruppo farmaceutico Servier ha recentemente annunciato di aver acquisito i diritti sulla molecola. Si tratta di un passo importante, che si inserisce nella scelta di cavalcare trattamenti innovativi in ambito onco-ematologico.

Claude Bertrand, Executive Vice President R&D di Servier, ha dichiarato in proposito: «Siamo, come si vede, impegnati a sviluppare trattamenti innovativi per i pazienti con tumori rari e con bisogni clinici ancora insoddisfatti. L'asset

di BioNova nelle leucemie acute si inserisce nella nostra strategia in oncologia, finalizzata a sviluppare terapie target per tumori con alterazioni molecolari specifiche».

L'esperienza consolidata di Servier nel campo dell'onco-ematologia, unita alla presenza globale e all'impegno nell'oncologia di precisione, fanno di questa azienda il partner ideale per portare avanti lo sviluppo di Bn104.

«Crediamo che questa molecola possa rappresentare una svolta nel trattamento delle leucemie mieloidi acute, offrendo una possibilità concreta di risposta anche ai pazienti più difficili da trattare,» ha aggiunto Ye HUA, MD, Ceo e fondatore di BioNova Pharmaceuticals.

### Un farmaco orfano sotto i riflettori

Il farmaco Bn104 ha ricevuto dalla Food and Drug Administration (FDA) statunitense la designazione di "farmaco orfano", riconoscendo la sua potenzialità nel trattamento di una malattia rara. Inoltre, nel 2023, è stato concesso l'accesso al percorso di approvazione accelerata (Fast Track), che permette di abbreviare i tempi di valutazione e portare più rapidamente sul mercato una terapia che potrebbe fare la differenza per molti pazienti.

L'impegno di portare avanti le ricerche nel

campo delle leucemie mieloidi acute, e in particolare la possibilità di intervenire su mutazioni specifiche come quelle della menina, rappresenta una scommessa fondamentale per debellare patologie chiaramente aggressive.

La collaborazione tra aziende biofarmaceutiche innovative, enti regolatori e comunità scienti-

fica apre nuove speranze, dimostrando che la medicina personalizzata può diventare una concreta realtà anche nelle malattie più complesse e rare.



Claude Bertrand  
Vice presidente R&D

Tratto da MondoSanità.it



800 59 11 47

dal lunedì al venerdì  
orario d'ufficio

## DIREZIONE

Via G. Murat 85 - 20159 Milano  
Tel: 02 69008117 - Fax 02 69016332  
**Sito Internet: [www.emo-casa.com](http://www.emo-casa.com)**  
**[info@emo-casa.com](mailto:info@emo-casa.com)**



ETS

### Come aiutarci:

- a mezzo versamento c/c postale 40444200 intestato a: **Progetto Emo-Casa ETS**
- con bonifico bancario Monte dei Paschi di Siena Ag. 51 - Milano  
cod. IBAN IT22 N010 3001 6580 0006 1127 249
- con bonifico bancario Banca Popolare di Sondrio Ag. 15 - Milano  
cod. IBAN IT23 R056 9601 6140 0000 3788 X80
- con donazione ONLINE direttamente dal nostro sito [www.emo-casa.com](http://www.emo-casa.com)
- devolvendo il 5 per mille alla nostra Associazione c.f. 97205190156 usando:  
mod. integrativo CUD; mod. 730/1-bis redditi; mod. unico persone fisiche

#### 16124 Genova P.tta Jacopo da Varagine 1/28

Tel. 010 2541440

Fax 010 2473561

E-mail: [progettoemocasaonlus.ge@gmail.com](mailto:progettoemocasaonlus.ge@gmail.com)

#### 35138 Padova Via Bezzecca, 4/c

Tel. 049 8713791

Fax 049 8714346

Banca Popolare di Sondrio

Filiale 553 - Padova

IBAN IT67 V056 9612 1000 0000 3678 X01

E-mail: [emocasa.pd@gmail.com](mailto:emocasa.pd@gmail.com)

Delegazione Padova - Rovigo - Treviso - Venezia

Vicenza

#### 38122 Trento Piazza Venezia 13

Tel. e Fax 0461 235948

Banca per il Trentino Alto Adige

Filiale di Trento - Via Grazioli

IBAN IT03 H083 0401 8330 0000 9791 479

E-mail: [progetto.emo.casa.onlus.tn@gmail.com](mailto:progetto.emo.casa.onlus.tn@gmail.com)

Delegazione Trento - Belluno - Bolzano

#### 28100 Novara Viale Roma, 41

Tel. e Fax 0321 640171

E-mail: [emocasa.novara@gmail.com](mailto:emocasa.novara@gmail.com)

Delegazione Novara - Asti - Biella - Verbania

Vercelli

#### 37134 Verona Via Rovigo, 23

Tel. 045 8205524

Fax 045 582608

Banca Popolare di Sondrio

Filiale 493 - Verona

IBAN IT86 D056 9611 7000 0000 4613 X95

E-mail: [progetto.emocasa.vr@gmail.com](mailto:progetto.emocasa.vr@gmail.com)

Delegazione Verona - Brescia - Mantova

#### 48121 Ravenna Via Pellegrino Matteucci, 20

Tel. e Fax 0544 217106

E-mail: [emo.ra@libero.it](mailto:emo.ra@libero.it)

Delegazione di Ravenna - Forlì/Cesena - Rimini

**Emoflash**

MENSILE ORGANO UFFICIALE DELL'ASSOCIAZIONE "Progetto Emo-Casa ETS"

Direzione, Redazione, Amministrazione, Via G. Murat 85 - 20159 Milano • tel: 02 69008117 - fax 02 69016332

Direttore Responsabile: Tesolin Flavio

Comitato di Redazione: Nosari Anna Maria Rita, Crugnola Monica, Zaffaroni Livio, Maggis Francesco, De Miccoli Rita, Andreescu Luminita Mihaela

Iscrizione Tribunale di Milano N. 174 del 16/03/1998 - Fotocomposizione: LimprontaGrafica Milano - Stampa: Grafica Briantea srl - Usmate (MI)