



Presidio Ospedale dei Bambini

## USO TERAPEUTICO DI CELLULE STAMINALI MESENCHIMALI

### INFORMAZIONI E MODULO DI CONSENSO INFORMATO

La terapia in oggetto, pur con diffida intimata all'Azienda Ospedaliera Spedali Civili di Brescia da parte dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) (n. 2166 del 29/11/201), deve essere attuata a seguito della pronuncia del Tribunale [REDACTED] – sez. Lavoro, in conformità alle determinazioni assunte dall'Azienda con deliberazione n. 718 del 14/11/2012.

PROTOCOLLO DI USO TERAPEUTICO DI CELLULE STAMINALI DI ORIGINE MESENCHIMALE PER TRATTAMENTO [REDACTED]

#### PREMESSA

[REDACTED]

La [REDACTED] è una malattia ereditaria a trasmissione autosomica recessiva. E' caratterizzata dal deficit dell'enzima arilsulfatasi A, un enzima che degrada un gruppo di lipidi (sulfatidi) della mielina, con conseguente accumulo di tali sostanze tossiche. Ciò determina cecità, convulsioni, disturbi motori, demenza e perdita della mielina nel SNC. E' la più frequente tra le malattie leucodistrofiche. I primi sintomi sono una diminuzione della memoria e problemi posturali.

#### PROGNOSI

La prognosi è variabile in base all'età di insorgenza della malattia. Infatti, la forma infantile che insorge tra i 12 e i 18 mesi di vita, è la forma a decorso più rapido. La forma giovanile che insorge tra i 4 e i 12 anni ha un decorso più lento. C'è poi una forma adulta, che inizia dopo i 16 anni, con disturbi psichiatrici fino alla demenza.

#### TRATTAMENTI

Per forme lievi e iniziali è stato sperimentalmente eseguito il trapianto di midollo osseo. Esiste un protocollo di fase II di trattamento della malattia mediante terapia genica. I medici del TIGET, principali investigatori per questo trattamento, hanno dichiarato Sofia non eleggibile alla terapia genica perché ormai fortemente sintomatica.

L'ipotesi di lavoro è, quindi, che cellule mesenchimali/stromali iniettate per via intratecale ed endovenosa abbiano l'abilità ad agire attraverso un meccanismo neurotropino-indipendente. La somministrazione di cellule mesenchimali staminali di origine midollare possano provocare un effetto a molti livelli sui neuroni targets diminuendo la neuropatia.

PROTOCOLLO CLINICO PER IL TRATTAMENTO DI [REDACTED]

## DIRITTO DI REVOCA DEL CONSENSO PER IL MINORE

Cognome .....Nome.....

Io sottoscritto padre Cognome .....Nome.....

.....  
Data Firma leggibile del padre

Io sottoscritta madre Cognome.....Nome.....

.....  
Data Firma leggibile della madre

## DICHIARO DI VOLERE REVOCARE IL CONSENSO

(I genitori di minore hanno il diritto di revocare in qualsiasi momento il consenso prestato, eventualmente anche nell'immediatezza della procedura sanitaria che si sta ponendo in essere: la natura contrattuale del consenso determina che per essere giuridicamente valido esso debba inoltre rispondere ai requisiti "libero" [esente da vizi, coercizioni, inganni, errori; non può essere esercitata alcuna pressione psicologica per influenzare la volontà del paziente, pena la nullità del consenso] e "relativo al bene disponibile" [l'integrità psicofisica non è un diritto di cui la persona può disporre senza alcun limite])