Passato, Presente e Futuro del Sangue del Cordone Ombelicale

Claudio Dufour - Università di Buenos Aires e Cryoholdco Biocells Biotech, Argentina

Pubblicato: 29/09/2025 | DOI: 10.82098/icmed-mag.2025.04.006

ABSTRACT

Il primo trapianto riuscito di sangue del cordone ombelicale (CBU – acronimo inglese per unità di sangue cordonale) è stato eseguito nel 1988 a Parigi, Francia, in un bambino con anemia di...

Il primo trapianto riuscito di sangue del cordone ombelicale (CBU – acronimo inglese per unità di sangue cordonale) è stato eseguito nel 1988 a Parigi, Francia, in un bambino con anemia di Fanconi. Il sangue del cordone ombelicale, che contiene cellule staminali ematopoietiche (formanti globuli rossi, bianchi e piastrine), viene utilizzato per trapianti come alternativa al midollo osseo, specialmente nei casi di malattie come la leucemia e altri disturbi sanguigni non oncologici. Le prime fasi dell'uso clinico di questa fonte cellulare per il trapianto furono riservate esclusivamente ai bambini, poiché gli adulti, avendo una superficie corporea e un peso maggiori, non riuscivano ad accedere a tale fonte, a causa della relazione esistente in quello che globalmente chiamiamo trapianto di midollo osseo, che richiede un requisito chiave: numero di cellule per kg di peso del potenziale paziente che deve ricevere tali cellule.

Il primo trapianto di CBU, la sua storia: Nel 1988, la Dott.ssa Eliane Gluckman eseguì il primo trapianto di CBU riuscito in un bambino di sei anni con anemia di Fanconi. La donatrice fu la sorella del bambino, compatibile HLA e non affetta dalla malattia. Questo trapianto fu una pietra miliare nel trattamento delle malattie del sangue, dimostrando il potenziale della CBU nel rigenerare cellule sanguigne e del sistema immunitario.

Sviluppo ed espansione: Dopo il successo iniziale, il trapianto di CBU si espanse in altri paesi e furono utilizzate unità di CBU da donatori non consanguinei. Vennero istituiti banche pubbliche e private di CBU per conservare e distribuire unità di CBU. I progressi nella tecnologia di lavorazione e criopreservazione della CBU hanno migliorato la qualità e la disponibilità di unità per il trapianto.

Benefici e usi: Le cellule di CBU sono immunologicamente ingenue, il che significa che sono più tolleranti all'incompatibilità tissutale. Questo rende la CBU un'opzione interessante per i

 © 2026 ICMED S.r.l.

trapianti in pazienti che non hanno un donatore di midollo osseo completamente compatibile. Questo dato è rilevante poiché vale la pena sapere e considerare che, nel caso in cui una famiglia disponga della CBU dei propri figli, e gli stessi, a causa della crescita e dell'aumento di superficie corporea e peso, ne avessero bisogno, essendo compatibili, si potrebbe sommare la quantità di cellule di ciascun fratello, e così beneficiare il fratello malato con necessità di trapianto.

La CBU viene utilizzata per trattare una varietà di malattie, tra cui leucemia, linfoma e altri disturbi sanguigni e del sistema immunitario non tumorali. Negli ultimi 10 anni, nel mondo sono emersi studi clinici che stanno mostrando benefici terapeutici in patologie che agli inizi dell'uso terapeutico di queste cellule erano sconosciute. Tra esse:

- Disturbo dello Spettro Autistico
- Malattie Neurologiche, come: Paralisi Cerebrale ed Encefalopatia Ipossico-Ischemica
- Lesione Cerebrale Traumatica e Ictus
- Malattie Autoimmuni come Lupus Eritematoso Sistemico e Artrite Reumatoide
- Opzione terapeutica per generare linfociti (cellule appartenenti ai globuli bianchi) diretti a malattie come Leucemie, Linfomi o Mieloma Multiplo, con la tecnica di Terapia Cellulare mirata, chiamata CAR T Cell.

Il trapianto di CBU può essere un'opzione valida per pazienti di tutte le età, inclusi bambini e adulti.

Progressi recenti: Sono in corso ricerche per migliorare l'efficacia del trapianto di CBU, incluso l'uso di tecniche di manipolazione cellulare e l'ottimizzazione della selezione dei donatori.

Si stanno esplorando nuove applicazioni della CBU in aree come il trattamento di malattie autoimmuni e la rigenerazione dei tessuti. I progressi nella scienza e nella tecnologia hanno reso il trapianto di CBU sempre più sicuro ed efficace, offrendo una speranza per il trattamento di malattie che prima non avevano cura.

Per questo motivo, al di là delle cellule, oggi la scienza sta dimostrando che componenti integranti delle stesse, come le cosiddette vescicole intracellulari, stanno rivoluzionando le opzioni non solo terapeutiche, ma anche in ambito diagnostico.

In dettaglio:

Trapianto di Cellule Staminali: Il sangue di cordone ombelicale segue essendo una fonte importante di cellule staminali per il trapianto in malattie come la leucemia e altri disturbi

sanguigni. Le cosiddette indicazioni classiche del volgarmente chiamato Trapianto di Midollo Osseo (TMO).

Ora, come menziona precedentemente, non sono più solo le indicazioni classiche, c'è un'infinità di potenziali e preziosi usi di trattamento cellulare e in medicina rigenerativa, come:

- **Malattie Neurologiche:** Si stanno realizzando ricerche per valutare il potenziale del sangue di cordone ombelicale nel trattamento di paralisi cerebrale, encefalopatia ipossico-ischemica e altre malattie neurologiche.
- **Malattie Autoimmuni e Altri Disturbi**
- Si stanno investigando i benefici delle cellule staminali del cordone ombelicale in malattie autoimmuni, malattie delle ossa, malattie del cuore e vascolari, diabete e altre condizioni.

Terapia Rigenerativa:

- Il sangue di cordone ombelicale si sta utilizzando in studi per valutare la sua capacità di riparare tessuti danneggiati in organi come il cervello, migliorando la riperfusione e il recupero.

Ricerche in Corso: Si stanno portando a termine studi clinici con sangue di cordone ombelicale per il trattamento di paralisi cerebrale, autismo e lesioni cerebrali traumatiche, tra altre affezioni come menzionava in paragrafi precedenti.

Ma ritorniamo a una linea di grande valore, tutto ciò che va oltre le cellule, mi riferisco alla sua parte integrativa: **EV ed Esosomi**

Spiegazione dettagliata:

Vescicole Extracellulari (EV): Si riferiscono a un gruppo diverso di piccole vescicole, di differenti dimensioni e origine, che sono secrete dalle cellule nello spazio extracellulare. Le EV sono importanti nella comunicazione intercellulare e possono trasportare biomolecole (proteine, lipidi, acidi nucleici) tra cellule. E sono presenti nelle cellule di CBU.

Esosomi: Sono un tipo specifico di EV, di dimensioni minori (tra 30 e 150 nanometri) e hanno origine negli endosomi, che sono compartimenti intracellulari. Gli esosomi si formano attraverso un processo chiamato invaginazione della membrana endosomiale, creando vescicole intraluminali che successivamente si liberano nello spazio extracellulare.

Ruolo nella comunicazione intercellulare: Le EV, includendo gli esosomi, partecipano nella comunicazione tra cellule, trasportando molecole che possono modificare il comportamento

delle cellule riceventi.

Biomarcatori e diagnosi: Il contenuto delle EV può riflettere lo stato della cellula di origine ed è stato utilizzato come biomarcatore in diverse malattie, in particolare in studi di diagnosi oncologica.

Applicazioni in ricerca e terapia: Si stanno investigando gli esosomi e altre EV come strumenti per la diagnosi di malattie e come terapie potenziali, come si menziona in un articolo di "*IMED Hospitales".*

Gli esosomi, come dicevo, sono vescicole microscopiche che svolgono un ruolo essenziale nella comunicazione cellulare. Si utilizzano in trattamenti estetici per la loro capacità di migliorare la rigenerazione cellulare, l'idratazione e la fermezza della pelle. Gli esosomi vegetali, come quelli offerti nella linea EXO|E, sono estratti derivati da piante che potenziano la riparazione e la rivitalizzazione della pelle, aiutando a combattere i segni dell'invecchiamento e il foto-invecchiamento.

Questi trattamenti agiscono favorendo la produzione di collagene e migliorando la texture della pelle, fornendo un aspetto più giovane e salutare. Inoltre, essendo biocompatibili, hanno un basso rischio di reazioni avverse, il che li converte in un'opzione sicura per diversi tipi di pelle.

La terapia con esosomi è un campo in auge nella medicina rigenerativa che sfrutta il potenziale degli esosomi, minuscole vescicole extracellulari, per facilitare la cicatrizzazione e migliorare la funzione cellulare. L'infusione endovenosa (IV) di esosomi si è convertita in un trattamento nuovo, con risultati promettenti in studi clinici, come la riduzione dell'infiammazione e il miglioramento dei processi metabolici.

Conclusioni: Oggigiorno, il sangue del cordone ombelicale suole essere utilizzato come sostituto del midollo osseo per i trapianti delle cellule staminali. Si possono trattare più di 80 malattie, includendo differenti tipi di cancro, malattie del sangue non tumorali, genetiche e metaboliche.

Il 70% dei pazienti che necessitano di un trapianto di cellule staminali non conta con un donatore compatibile nella propria famiglia e il suo medico deve cercare donatori nei registri pubblici.

Il Programma Nazionale di Donatori di Midollo Osseo negli USA (BeTheMatch.org) così come Anthony Nolan a Londra per i requisiti europei, si dedicano a cercare donatori compatibili per pazienti in tutto il mondo. C'è una mancanza di donatori di midollo osseo compatibili con i

pazienti appartenenti alle minoranze.

Le donazioni di sangue del cordone ombelicale sono specialmente utili per i pazienti di genealogia mista o delle minoranze perché il sangue del cordone ombelicale non deve essere tanto compatibile con il paziente come accade con le cellule staminali di un donatore di midollo osseo.

Come possono essere utilizzate le cellule staminali del sangue del cordone ombelicale in futuro?

La ricerca medica sta sviluppando nuove terapie dove le cellule staminali aiutano affinché il corpo si recuperi da vari tipi di lesioni e persino a ripararsi da sé stesso.

I bambini che hanno il proprio sangue del cordone ombelicale conservato possono avere più opzioni per quanto riguarda i possibili trattamenti medici lungo tutta la loro vita. Uno studio iniziale utilizzando il sangue del cordone ombelicale insieme ad altre terapie indica i benefici possibili nel trattamento della paralisi cerebrale.

Negli Stati Uniti e in altri paesi di Europa e Asia, gli studi clinici in sviluppo stanno utilizzando sangue del cordone ombelicale come un trattamento per la paralisi cerebrale e altre malattie simili, le lesioni cerebrali, le lesioni della colonna vertebrale, l’autismo, la perdita dell’udito acquisita e il diabete tipo 1, tra le altre.

Da alcuni anni, si è scoperto che il tessuto di cordone ombelicale ha altre cellule staminali chiamate Mesenchimali di grande valore terapeutico.

Che cosa sono le cellule mesenchimali?

Le cellule mesenchimali sono cellule staminali adulte che si trovano in vari tessuti, includendo il midollo osseo (caracù dell’osso), il tessuto adiposo e il cordone ombelicale. Sono cellule multipotenti, il che significa che possono differenziarsi in vari tipi di cellule, come cellule ossee, cartilaginee e adipose. Hanno anche proprietà immunomodulatrici, il che significa che possono aiutare a regolare il sistema immunologico.

Come si utilizzano nella terapia cellulare?

Nella terapia cellulare con cellule mesenchimali, si estraggono le cellule dallo stesso paziente, uso autologo (tessuto adiposo, midollo osseo o tessuto di cordone) o da un donatore, poiché non hanno la barriera di compatibilità donatore – ricevente, come invece accade per le cellule

staminali ematopoietiche.

Queste cellule, le mesenchimali, si isolano, si processano in laboratorio e si espandono per ottenere una quantità sufficiente per il trattamento. Poi, si reiniettano al paziente nel sito della lesione o malattia.

Queste terapie emergenti, sia cellulari (ematopoietiche per usi non tradizionali, come le mesenchimali) sia mediante l'impiego di esosomi (EV), parti essenziali che compongono la cellula, stanno dimostrando scientificamente un considerevole aumento delle possibilità di utilizzare il sangue del cordone ombelicale autologo e/o le cellule mesenchimali e i loro prodotti.

1988 – 2025: Sono passati soltanto 37 anni da quel primo trapianto di CBU riuscito. Oggi esiste una gamma di potenziali usi terapeutici che allora erano impensabili.

Per questo motivo, chi ha la possibilità di conservare le proprie cellule di CBU — non solo quelle ematopoietiche, ma anche le Cellule Mesenchimali (MSCs) e i loro prodotti, presenti sia nel sangue placentare che nella gelatina di Wharton del tessuto del cordone ombelicale — dispone, o disporrà in futuro se deciderà di conservarle, di un materiale biologico di altissimo valore.

Citazione suggerita:

Dufour C. Passato, Presente e Futuro del Sangue del Cordone Ombelicale. ICMED Magazine. 2025;2025(4). doi:10.82098/icmed-mag.2025.04.006

 © 2026 ICMED S.r.l.