

## COMUNICATO STAMPA del 5 febbraio 2026

---

### BAMBINO GESÙ: SU NATURE MEDICINE LO STUDIO CHE DIMOSTRA L'EFFICACIA DELLE CELLULE CAR-T NELLE MALATTIE AUTOIMMUNI DELL'ETÀ PEDIATRICA

*Sette bambini su otto in remissione completa, tutti hanno sospeso le terapie immunosoppressive. Studio condotto in collaborazione con l'Università di Erlangen*

Otto pazienti affetti da **gravi malattie autoimmuni refrattarie ai trattamenti convenzionali** hanno potuto **interrompere** completamente le **terapie immunosoppressive**. Sette di loro sono oggi in **remissione clinica**, mentre l'ottavo, affetto da sclerosi sistemica giovanile, mostra un **miglioramento clinico importante e progressivo nel tempo**. Questo risultato di straordinaria rilevanza per il trattamento delle malattie autoimmuni pediatriche più gravi è stato ottenuto grazie all'uso delle **cellule CAR-T dirette contro il bersaglio rappresentato dalla molecola CD19**. I dati definitivi, con un **follow-up oltre i 24 mesi**, dello studio coordinato dall'**Ospedale Pediatrico Bambino Gesù** in collaborazione con l'**Università di Erlangen** sono stati appena [pubblicati sulla prestigiosa rivista scientifica \*Nature Medicine\*](#).

#### LE MALATTIE AUTOIMMUNI

Le malattie autoimmuni sono malattie caratterizzate da un'**aggressione del sistema immunitario**, che **invece di difendere l'organismo** da agenti patogeni, come batteri e virus, **aggredisce i tessuti sani** di un individuo scambiandoli per estranei e pericolosi. Questo malfunzionamento causa un **processo infiammatorio** che interessa **potenzialmente qualsiasi parte del corpo**, inclusi organi vitali quali il rene e i polmoni, le articolazioni, la pelle, i vasi sanguigni e altri tessuti.

Gli 8 pazienti coinvolti nello studio, **7 femmine e 1 maschio con età tra i 5 e i 17 anni**, 5 dei quali trattati con le cellule CAR-T dagli specialisti del Bambino Gesù e 3 dall'Università di Erlangen, erano affetti da forme particolarmente aggressive di malattie autoimmuni a esordio pediatrico: **4 da lupus eritematoso sistemico** (una malattia cronica che può attaccare vari organi tra cui reni, sistema nervoso centrale e polmoni), **3 da dermatomiosite** (una rara patologia infiammatoria autoimmune che colpisce prevalentemente la cute ed i muscoli scheletrici) e **1 da sclerosi sistemica giovanile** (una rara malattia autoimmune cronica caratterizzata da infiammazione, vasculopatia, fibrosi del tessuto connettivo, della pelle e degli organi interni). Tutti presentavano una storia clinica complessa, caratterizzata da **risposta parziale o solo temporanea a numerosi trattamenti immunosoppressivi**, inclusi farmaci biologici diretti contro i linfociti B, e da un grave coinvolgimento di organi vitali, come reni e polmoni, con episodi potenzialmente letali in più di un caso.

#### LA TERAPIA CON CELLULE CAR-T

La terapia con CAR-T prevede la **manipolazione in laboratorio dei linfociti T del paziente** per renderli capaci di **riconoscere il bersaglio tumorale** attraverso l'introduzione di una sequenza di DNA che codifica per una proteina chiamata recettore chimerico antigenico (CAR, *Chimeric Antigen Receptor*). Nelle leucemie linfoblastiche acute e nei linfomi non Hodgkin il CAR riconosce un bersaglio rappresentato dall'**antigene CD19**, espresso dalle cellule tumorali, che vengono in questo modo riconosciute e attaccate. Lo stesso antigene CD19 è espresso anche dai **linfociti B del sistema immunitario**, che, nel caso di malattie autoimmuni B-mediate, giocano un ruolo cruciale nel determinare la malattia. L'**eliminazione mirata** di queste cellule consente non solo di **ridurre l'infiammazione**, ma di **ripristinare l'equilibrio del sistema immunitario**, aumentando la possibilità di remissioni durature senza terapie croniche. Un obiettivo particolarmente

rilevante in età pediatrica, dove l'**esposizione prolungata agli immunosoppressori può compromettere la funzione di organi critici, crescita, sviluppo e, soprattutto, qualità di vita.**

*«Con le cellule CAR-T anti-CD19 abbiamo applicato in modo innovativo un approccio di terapia genica già consolidato nelle leucemie e nei linfomi a un ambito completamente diverso, cioè quello delle malattie autoimmuni - spiega **Franco Locatelli**, responsabile del [Centro Studi Clinici Oncoematologici e Terapie Cellulari del Bambino Gesù](#) - In queste patologie il bersaglio non è una cellula tumorale, ma i linfociti B cosiddetti auto-reattivi che alimentano l'infiammazione e il danno d'organo. I risultati pubblicati oggi su Nature Medicine, ottenuti su otto pazienti seguiti nel tempo, dimostrano che questo approccio può portare a un controllo profondo e duraturo della malattia, con sospensione completa delle terapie immunosoppressive, un traguardo particolarmente importante in età pediatrica. Questa ulteriore pubblicazione scientifica conferma, grazie alla presenza di un'Officina Farmaceutica istituzionale, il ruolo pionieristico dell'Ospedale Bambino Gesù nell'ambito delle terapie avanzate e, in particolare, delle cellule CAR T».*

## LO STUDIO

I dati mostrano che **tutti e otto i pazienti hanno sospeso completamente le terapie immunosoppressive. Sette hanno raggiunto una remissione clinica completa**, mentre nel paziente con sclerosi sistemica - una malattia che per sua natura evolve più lentamente - si osserva comunque una **riduzione significativa e continua della gravità e una stabilizzazione del coinvolgimento d'organo**, senza progressione della malattia.

Nei pazienti con lupus è stata documentata una riduzione marcata e progressiva dell'attività di malattia, con remissione completa e **miglioramenti clinicamente rilevanti anche nelle forme più gravi**, comprese quelle con insufficienza renale avanzata. Nei pazienti con dermatomiosite giovanile si è osservato un **recupero della forza muscolare**, una **regressione delle manifestazioni cutanee** e una netta **riduzione di complicanze croniche** e dolorose come la calcinosi cutanea (cioè il deposito di calcio), tradizionalmente difficile da trattare.

*«I risultati sono stati straordinari, non avevamo mai visto una remissione clinica così profonda con le terapie tradizionali - aggiunge **Fabrizio De Benedetti**, responsabile dell'[area di ricerca di Immunologia, Reumatologia e Malattie infettive](#) dell'Ospedale - I dati sono particolarmente importanti perché le malattie autoimmuni in età pediatrica hanno un costo sociale altissimo in termini di qualità della vita del paziente e del nucleo familiare oltre a un costo economico rilevante per il sistema sanitario. Questi risultati rafforzano la prospettiva di avviare studi clinici dedicati per offrire questa strategia a un numero più ampio di bambini con malattie autoimmuni gravi. Non a caso negli ultimi quattro mesi abbiamo trattato con le CAR-T altri 4 bambini e ragazzi».*

Lo studio evidenzia inoltre che i **benefici clinici si mantengono anche dopo la ricostituzione delle cellule B**, suggerendo che la terapia CAR-T non agisca come una semplice soppressione temporanea, ma possa indurre un vero e proprio **“reset” del sistema immunitario**. A questo si associano segnali di **regressione del danno d'organo**, documentati da biopsie renali di controllo e da esami radiologici e funzionali a carico del polmone. Dal punto di vista della sicurezza, gli **eventi avversi** osservati sono stati **lievi e transitori**, senza infezioni gravi né complicanze a lungo termine. La terapia si è dimostrata ben tollerata anche in pazienti con condizioni cliniche estremamente complesse. Lo studio è stato realizzato anche attraverso il supporto dei fondi derivanti dalla progettualità **CN3**, nella quale l'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù svolge il ruolo di **coordinatore per lo spoke 10**, dedicato agli approcci di **terapia genica**.