ALTHEIA SCIENCE | MILANO, 22 *settembre* 2026

Diabete di tipo 1: trattato con successo il primo paziente nel primo studio clinico italiano di terapia genica con cellule staminali

La sperimentazione IMMUNOSTEM, promossa da Altheia Science e condotta presso l'Azienda Ospedale-Università di Padova, segna un importante traguardo nello sviluppo di una terapia innovativa che mira a preservare la produzione naturale di insulina.

Milano, 22 *settembre* 2026– Altheia Science, PMI innovativa impegnata nello sviluppo di terapie avanzate per malattie ad alto impatto clinico, annuncia il trattamento con successo del primo paziente nell'ambito dello studio clinico IMMUNOSTEM, il primo studio italiano di terapia genica con cellule staminali ematopoietiche autologhe per il diabete di tipo 1.

Lo studio, autorizzato da AIFA, è una sperimentazione clinica di fase I/II, *first-in-human*, condotta presso l'Azienda Ospedale-Università di Padova e destinata ad arruolare 15 pazienti con diabete di tipo 1 di recente insorgenza.

Il trattamento del primo paziente è stato completato con successo secondo il protocollo clinico, segnando il passaggio alla sperimentazione nell'uomo di una strategia terapeutica sviluppata per contrastare il processo autoimmune responsabile della progressiva distruzione delle cellule pancreatiche produttrici di insulina.

Un importante traguardo per la ricerca italiana

IMMUNOSTEM si basa sull'impiego di cellule staminali ematopoietiche CD34+ prelevate dal paziente stesso e geneticamente modificate in officina farmaceutica mediante un vettore lentivirale per esprimere PD-L1, una proteina coinvolta nella regolazione della risposta immunitaria.

Le cellule modificate vengono successivamente somministrate al paziente per via endovenosa. L'obiettivo è modulare la risposta autoimmune proteggendo le cellule beta pancreatiche ancora funzionanti e favorendone la rigenerazione, preservando così la capacità dell'organismo di produrre autonomamente insulina.

La sperimentazione nasce dalla collaborazione scientifica tra l'Università di Padova (Prof.ssa Alessandra Biffi) e l'Università degli Studi di Milano (Prof. Paolo Fiorina), che ha portato alla costituzione di Altheia Science, sponsor dello studio. Il Principal Investigator è il professor Gian Paolo Fadini, direttore della UOC Malattie del Metabolismo dell'Azienda Ospedale-Università di Padova.

«IMMUNOSTEM nasce da un'idea precisa:», dichiara Paolo Rizzardi, Chairman&CEO di Altheia Science, «affrontare il diabete di tipo 1 intervenendo sui meccanismi immunologici responsabili della distruzione delle cellule beta, anziché limitarsi alla sostituzione dell'insulina che l'organismo non è più in grado di produrre. L'avvio del trattamento dei pazienti segna il passaggio dalla ricerca preclinica alla verifica clinica di questa strategia. Il

nostro obiettivo è dimostrare se questa terapia possa preservare la produzione endogena di insulina e contribuire a modificare il decorso della malattia».

Lo studio valuterà prioritariamente la sicurezza del trattamento e raccoglierà dati preliminari sulla funzione beta-cellulare residua, sul fabbisogno insulinico e sul controllo metabolico.

Altheia Science

Altheia Science è una PMI innovativa italiana, spin-off delle Università di Milano e Padova, impegnata nello sviluppo di approcci terapeutici innovativi.

La pipeline aziendale comprende programmi di terapia genica basati su cellule staminali ematopoietiche per malattie autoimmuni.

L'obiettivo di Altheia Science è tradurre i risultati della ricerca scientifica in nuove opportunità terapeutiche per i pazienti.

Riferimenti dello studio

CTIS: 2025-521304-21-00

ClinicalTrials.gov: NCT06938334

Contatti stampa

Altheia Science S.r.l.

paolo.rizzardi@altheiascience.com

www.altheiascience.com