
Un essai clinique espagnol démontre le potentiel des cellules souches mésenchymateuses pour réduire l'inflammation chez les personnes atteintes de la « peau de papillon »

L'infusion intraveineuse de cellules souches mésenchymateuses issues de donneurs familiaux est sûre et améliore les symptômes tels que le prurit, les troubles du sommeil et la fatigue associés à l'épidermolyse bulleuse dystrophique récessive (EBDR), populairement connue sous le nom de « peau de papillon ». C'est l'une des principales conclusions d'un essai clinique mené par des chercheurs de l'Université Carlos III de Madrid (UC3M), du Centre de recherches énergétiques, environnementales et technologiques (CIEMAT) du ministère de la Science, de l'Innovation et des Universités, de l'Institut de recherche sanitaire Fondation Jiménez Díaz (IIS-FJD), du CIBER des maladies rares (CIBERER) et de l'Hôpital universitaire La Paz de Madrid.

L'équipe de recherche a également identifié deux biomarqueurs qui permettent de prédire quelles personnes présenteront une réponse clinique mais plus favorable à ce traitement de thérapie avancée contre cette maladie. « Les cellules souches mésenchymateuses infusées agissent comme des régulateurs du système immunitaire, aidant à contrôler cet état d'inflammation permanente que détériore la santé et le bien-être des patients », explique la chercheuse principale de l'étude, la docteure María José Escámez, chercheuse au CIBERER-ISCI3 et à l'IIS-FJD. Les résultats sont porteurs d'espoir, selon l'équipe de recherche : après avoir reçu trois infusions, les huit patients pédiatriques ayant complété l'étude ont montré une réduction globale du prurit, une amélioration de la qualité du sommeil et des niveaux de fatigue inférieurs.

La peau de papillon est une maladie génétique rare e de grand impact, caractérisée par une fragilité extrême de la peau et des muqueuses, provoquant des ampoules et des plaies au moindre frottement. De plus, elle est associée à une réponse inflammatoire chronique systémique qui détériore la qualité de vie et conditionne l'espérance de vie. Elle affecte actuellement environ 500 000 personnes dans le monde, selon des sources scientifiques.

L'étude, publiée récemment dans la revue *Frontiers in Immunology*, a bénéficié du financement de l'Institut de santé Carlos III (ISCI3), de l'Agence étatique de recherche (AEI) et des associations de patients DEBRA-Espagne et Berritxuak. De même, la participation de l'Université Complutense de Madrid (UCM) et de l'Hôpital général universitaire Gregorio Marañón de Madrid — en collaboration avec le Great Ormond Street Hospital de Londres — a été fondamentale, en intégrant leur expertise clinique et scientifique dans le développement de l'étude.

Les cellules souches mésenchymateuses se trouvent principalement dans le tissu conjonctif (stroma) de la moelle osseuse, le tissu adipeux (graisse) et le cordon ombilical. En général, elles possèdent une capacité immunomodulatrice élevée et de sécrétion de facteurs réparateurs, ce qui les rend clés en médecine régénérative, étant très étudiées pour traiter les maladies inflammatoires et dégénératives.

Un nouvel espoir pour calmer l'inflammation

Cet essai clinique, nommé MesenSistem-EB (Phase I/II), a évalué l'utilisation de cellules souches mésenchymateuses de moelle osseuse provenant de donneurs familiaux (haploidentiques). Contrairement à d'autres approches, cette étude ne cherchait pas seulement à reconstituer le collagène 7 (C7), mais à agir sur le système immunitaire du patient.

Les résultats de cette étude ont confirmé la sécurité de ce traitement, démontrant qu'il est bien toléré par les patients pédiatriques sans qu'aucun événement indésirable grave associé à l'infusion ne soit enregistré. De

plus, l'équipe de recherche a réussi à stabiliser les indicateurs d'inflammation dans tout le corps (tels que la PCR et le fibrinogène), ce qui a permis d'éviter que l'état des patients ne s'aggrave pendant l'année qu'a duré le suivi.

L'équipe de recherche a identifié deux biomarqueurs, les molécules MCP1 et sCD40L, dont les niveaux sanguins permettent de prédire quels patients répondront le mieux au traitement. « Cela représente une étape importante vers la médecine personnalisée dans les maladies rares », souligne Marcela Del Río Nechaevsky, chercheuse au Département de bioingénierie de l'UC3M et de l'IIS-FJD.

La valeur de la collaboration publique et sociale

Cette avancée n'aurait pas été possible sans un bon écosystème de collaboration, souligne l'équipe de recherche. Le projet a bénéficié du financement de l'ISCIII et de l'AEI, démontrant le retour social de l'investissement public dans la science.

Le rôle des associations de patients DEBRA-Espagne et Berrituak revêt également une importance particulière, ces dernières ayant cofinancé et soutenu l'essai clinique depuis ses débuts. « Pour les familles, voir que la science progresse dans le contrôle de la douleur, des démangeaisons et de la qualité du sommeil est une lueur d'espoir. Ce traitement ne traite pas seulement la peau, il traite la vie quotidienne des filles et des garçons », indiquent les associations.

Les chercheurs concluent que cette approche thérapeutique pourrait devenir une stratégie complémentaire fondamentale pour atténuer l'escalade inflammatoire lors des phases critiques de la maladie. « L'essai clinique MesenSistem-EB pose les bases de futurs protocoles combinés qui pourraient transformer le pronostic de la peau de papillon au niveau international », indique une autre auteure de l'étude, Lucía Martínez Santamaría, chercheuse au Département de bioingénierie de l'UC3M e de l'IIS-FJD.

Référence bibliographique: Escámez, María José J et al (2026). MesenSistem-EB: Systemic haploidentical mesenchymal stem cell therapy in recessive dystrophic epidermolysis bullosa associated with clinical benefits and correlated with MCP1 and sCD40L dynamics. *Frontiers in Immunology*. Volume 17. <https://doi.org/10.3389/fimmu.2026.1789537> e-Archivo de l'UC3M : <https://hdl.handle.net/10016/50010>



Légende de l'image: Laboratoire du département de bio-ingénierie de l'UC3M. Crédit : UC3M.