
Um ensaio clínico espanhol demonstra o potencial de células estaminais mesenquimais para reduzir a inflamação em pessoas com “pele de borboleta”

A infusão intravenosa de células estaminais mesenquimais de doadores familiares é segura e melhora sintomas como o prurido, as alterações do sono e a fadiga associados à epidermólise bolhosa distrófica recessiva (EBDR), conhecida popularmente como "pele de borboleta". Esta é uma das principais conclusões de um ensaio clínico realizado por investigadores da Universidade Carlos III de Madrid (UC3M), do Centro de Investigações Energéticas, Ambientais e Tecnológicas (CIEMAT) do Ministério da Ciência, Inovação e Universidades, do Instituto de Investigação Sanitária Fundação Jiménez Díaz (IIS-FJD), do CIBER de Doenças Raras (CIBERER) e do Hospital Universitário La Paz de Madrid.

A equipa de investigação identificou, além disso, dois biomarcadores que permitem prever quais as pessoas que apresentarão uma resposta clínica mais favorável a este tratamento de terapia avançada contra esta doença. “As células estaminais mesenquimais infundidas atuam como reguladoras do sistema imunitário, ajudando a controlar esse estado de inflamação permanente que deteriora a saúde e o bem-estar dos doentes”, explica a investigadora principal do estudo, a doutora María José Escámez, investigadora do CIBERER-ISCI3 e do IIS-FJD. Os resultados são esperançosos, segundo a equipa de investigação: após receberem três infusões, os oito doentes pediátricos que completaram o estudo mostraram uma redução global do prurito, uma melhoria na qualidade do sono e menores níveis de fadiga.

A pele de borboleta é uma doença genética rara e de grande impacto, caracterizada por uma fragilidade extrema da pele e das mucosas, provocando bolhas e feridas perante qualquer fricção. Além disso, está associada a uma resposta inflamatória crónica sistémica que deteriora a qualidade de vida e condiciona a esperança de vida. Atualmente, afeta cerca de 500.000 pessoas em todo o mundo, segundo fontes científicas.

O estudo, publicado recentemente na revista *Frontiers in Immunology*, contou com o financiamento do Instituto de Saúde Carlos III (ISCIII), da Agência Estatal de Investigação (AEI) e das associações de doentes DEBRA-Espanha e Berritxuak. Da mesma forma, a participação da Universidade Complutense de Madrid (UCM) e do Hospital Geral Universitário Gregorio Marañón de Madrid — em colaboração com o Great Ormond Street Hospital de Londres — foi fundamental, ao integrar a sua experiência clínica e científica no desenvolvimento do estudo.

As células estaminais mesenquimais encontram-se principalmente no tecido conjuntivo (estroma) da medula óssea, tecido adiposo (gordura) e cordão umbilical. Em geral, têm uma elevada capacidade imunomoduladora e de secreção de fatores reparadores, o que as torna fundamentais na medicina regenerativa, sendo amplamente estudadas para tratar doenças inflamatórias e degenerativas.

Uma nova esperança para acalmar a inflamação

Este ensaio clínico, denominado MesenSistem-EB (Fase I/II), avaliou o uso de células estaminais mesenquimais de medula óssea procedentes de doadores familiares (haploidênticos). Diferente de outras abordagens, este estudo não procurava apenas repor o colagénio 7 (C7), mas sim atuar sobre o sistema imunitário do doente.

Os resultados deste estudo confirmaram a segurança deste tratamento, ao demonstrar que é bem tolerado pelos doentes pediátricos, não se registando eventos adversos graves associados à infusão. Além disso, a equipa de investigação conseguiu estabilizar os indicadores de inflamação em todo o corpo (como a PCR e

o fibrinogénio), o que permitiu que o estado dos doentes não piorasse durante o ano em que decorreu o acompanhamento.

A equipa de investigação identificou dois biomarcadores, as moléculas MCP1 e sCD40L, cujos níveis no sangue permitem prever quais os doentes que responderão melhor ao tratamento. "Isto supõe um passo importante em direção à medicina personalizada em doenças raras", assinala Marcela Del Río Nechaevsky, investigadora do Departamento de Bioengenharia da UC3M e do IIS-FJD.

O valor da colaboração pública e social

Este avanço não teria sido possível sem um bom ecossistema de colaboração, destaca a equipa de investigação. O projeto contou com o financiamento do ISCIII e da AEI, demonstrando o retorno social do investimento público na ciência.

Especial relevância tem também o papel das associações de doentes DEBRA-Espanha e Berrituak, que cofinanciaram e apoiaram o ensaio clínico desde o seu início. "Para as famílias, ver que a ciência avança no controlo da dor, da comichão e da qualidade do sono é uma luz de esperança. Este tratamento não trata apenas a pele, trata a vida diária de meninas e meninos", assinalam as associações.

Os investigadores concluem que esta abordagem terapêutica poderá converter-se numa estratégia complementar fundamental para mitigar a escalada inflamatória em fases críticas da doença. "O ensaio clínico MesenSistem-EB lança as bases para futuros protocolos combinados que poderão transformar o prognóstico da pele de borboleta a nível internacional", indica outra das autoras do estudo, Lucía Martínez Santamaría, investigadora do Departamento de Bioengenharia da UC3M e do IIS-FJD.

Referência bibliográfica: 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 da UC3M: <https://hdl.handle.net/10016/50010>



Legenda da imagem: Laboratório do Departamento de Bioengenharia da UC3M. Crédito: UC3M.