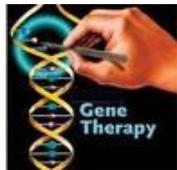


24 ottobre 2009 14:39

ITALIA: Staminali per terapia genica

Il sogno della terapia genica, e cioè curare gravi malattie genetiche iniettando i geni 'giusti' in un paziente, e' un po' piu' vicino alla realta'. Dopo aver debellato la prima patologia con questa tecnica (quella dei 'bambini in bolla' che nascono privi di difese immunitarie), all'Istituto Telethon di Terapia Genica (Tiget) - San Raffaele di Milano partiranno nel 2010 due nuove sperimentazioni per cercare di combattere altrettante gravi malattie, grazie anche all'aiuto delle cellule staminali.

A raccontarlo all'agenzia di stampa Ansa e' Alessandro Aiuti, dell'universita' di Roma Tor Vergata e coordinatore per la ricerca clinica del Tiget, che oggi partecipa a un convegno sulle staminali organizzato da Fondazione Cure e Bioscience Institute, oltre che dalla societa' lombarda di ostetricia e ginecologia (Slog).

'La terapia genica - racconta Aiuti - ha avuto periodi di alti e bassi, con un'eccessiva aspettativa iniziale seguita da un'eccessiva enfasi sugli aspetti negativi'. Alcuni studi del passato, infatti, avevano visto che impiegare la terapia genica poteva scatenare tumori nel paziente che la riceveva. 'Abbiamo pero' imparato moltissimo in questi ultimi anni e la tecnologia si e' evoluta molto: ora si utilizzano dei vettori lentivirali per introdurre il gene sano nel paziente, piu' sicuri ed efficienti rispetto a quelli impiegati in passato, con quindi un minore rischio di effetti collaterali'. Proprio questa nuova tecnologia sara' impiegata dal Tiget per avviare nel 2010 due nuove sperimentazioni cliniche basate sulla terapia genica: 'da molti anni lavoriamo con le cellule staminali ematopoietiche che preleviamo dallo stesso paziente, correggiamo in laboratorio e che reintroduciamo nello stesso malato. In questo modo abbiamo potuto curare la sindrome Ada Scid, quella dei 'bambini in bolla', ma le prospettive per l'applicazione ad altre malattie sono comunque buone. Nel 2010 inizieremo le fasi I e II della sperimentazione per cercare di curare due gravi malattie genetiche, la leucodistrofia metacromatica e la sindrome di Wiskott-Aldrich. Attualmente stiamo finendo di produrre la documentazione da inviare agli enti regolatori, e abbiamo gia' concluso i test pre-clinici per la sicurezza e l'efficacia'.

Utilizzare questo tipo di staminali adulte per la terapia genica porta con se' diversi vantaggi: 'le cellule vengono prelevate dal midollo osseo del paziente e quindi non ci sono problematiche etiche. Inoltre non ci sono problemi di rigetto; non c'e' la Graft versus host disease, e cioe' quella sorta di rigetto all'inverso, dove le cellule iniettate 'aggreddiscono' il paziente; e non sono necessari farmaci per facilitare l' attecchimento delle staminali, perche' appartengono proprio al malato'. Non appena si avra' il via libera alle sperimentazioni del San Raffaele, verranno coinvolti da tutto il mondo i primi pazienti delle due gravi malattie genetiche, nella speranza che queste possano al piu' presto essere ricordate solo sui libri di medicina, proprio come e' successo per i 'bambini in bolla'.