

18 novembre 2010 18:29

**GERMANIA: Sindrome di Wiskott-Aldrich: successo della terapia genica**

Un'équipe tedesca di emato-pediatri di Hannover, sotto la direzione di **Christoph Klein**, e' riuscita a curare due piccoli pazienti affetti dalla sindrome di Wiskott-Aldrich. I bimbi, che avevano tre anni al momento in cui la cura e' iniziata, sono oggi considerati clinicamente guariti, tre anni dopo l'avvio della terapia genica da cui non hanno avuto nessun effetto indesiderato.

La sindrome di Wiskott-Aldrich e' dovuta ad una mutazione del gene WAS situato sul cromosoma X. Il gene WAS regola diverse funzioni chiave delle cellule ematopoietiche. Questa sindrome si caratterizza per la ripetizione di infezioni, una trombocitopenia (diminuzione del numero di placche nel sangue) e un eczema.

I medici hanno somministrato ai due bimbi delle cellule staminali autologhe CD34+ manipolate "ex vivo" perche' esprimessero una proteina WAS normale. Per farlo, hanno introdotto un vettore retrovirale esprimendo la proteina nelle cellule staminali prelevate. La proteina WAS si e' espressa, dopo la terapia genica, nelle cellule staminali, nelle piastrine, nelle cellule mieloidi e linfoidi. I due bimbi sono migliorati vedendo sparire l'eczema, le emorragie e l'auto-immunita'. La terapia ha permesso di correggere la trombocitopenia. I linfociti corretti sono aumentati con il tempo fino a raggiungere un certo livello.

I ricercatori hanno fatto rilevare che per valutare i benefici della terapia, e' necessario proseguire ancora per lungo tempo.