

21 novembre 2009 9:48

ITALIA: Dal 2010 due nuove sperimentazioni con staminali

Il sogno della terapia genica, e cioè curare gravi malattie genetiche iniettando i geni 'giusti' in un paziente, è un po' più vicino alla realtà. Dopo aver debellato la prima patologia con questa tecnica (quella dei 'bambini in bolla'), al 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 è **Alessandro Aiuti**, coordinatore per la ricerca clinica del Tiget.

'La terapia genica - spiega Aiuti - è una scienza che ha avuto periodi di alti e bassi, con un'eccessiva aspettativa iniziale seguita poi da una eccessiva enfasi sugli aspetti negativi'. Alcuni studi del passato, infatti, avevano visto che impiegare la terapia genica poteva ad esempio scatenare tumori nel paziente che riceveva la terapia. 'Abbiamo però imparato moltissimo in questi ultimi anni, e inoltre la tecnologia si è evoluta molto: ora si utilizzano dei vettori lentivirali per introdurre il gene sano nel paziente, che sono più sicuri ed efficienti rispetto a quelli impiegati in passato, con quindi un minore rischio di effetti collaterali'.

Proprio questa nuova tecnologia sarà quella impiegata dal Tiget per avviare nel 2010 due nuove sperimentazioni cliniche basate sulla terapia genica: 'Da molti anni lavoriamo con le cellule staminali ematopoietiche - continua l'esperto - 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 già concluso i test pre-clinici per la sicurezza e l'efficacia'.

Utilizzare questo tipo di staminali adulte per la terapia genica porta con sé 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'è la 'Graft versus host disease', e cioè quella sorta di rigetto all'inverso, dove le cellule iniettate 'aggreddiscono' il paziente; e non sono necessari farmaci per facilitare l'attecchimento delle staminali, perché appartengono proprio al malato'.

Non appena si avrà 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 più presto essere ricordate solo sui libri di medicina, proprio com'è successo per i 'bambini in bolla'.