

12 dicembre 2022 10:16

ITALIA: Terapie avanzate, la speranza di nuove cure custodita in cellule viventi e geni corretti

Non solo i farmaci, ma anche le terapie “avanzate” (ATMP, Advanced Therapy Medicinal Product) sono la speranza del trattamento di tante malattie. Anche nel prossimo anno. Sono terapie cellulari, che utilizzano cellule vive derivate da staminali adulte presenti nel nostro organismo, ma anche tessuti ingegnerizzati in laboratorio (come cartilagine, ossa, cute) per rigenerare, riparare o sostituire una parte di articolazione danneggiata o la cute ustionata. Appartengono a questo gruppo anche le terapie geniche, finalizzate a trattare una malattia andando a correggere il gene difettoso che la causa. Si tratta di “medicine” basate su DNA e RNA, o su cellule e tessuti, in grado di offrire opportunità inedite di trattamento o di riparazione di un organo o di un tessuto danneggiato. Sembra fantascienza ma è già approdata alla pratica clinica.

FARMACI “VIVENTI”.

Li chiamano farmaci “viventi” e sono una grande promessa per la cura di tante malattie, prima tra tutte il diabete di tipo 1. Fino a ieri l'unica possibilità di una cura definitiva era rappresentata dal trapianto da donatore delle cellule produttrici di insulina (le cellule beta del pancreas), oggi è invece possibile ricorrere a speciali cellule staminali umane pluripotenti in grado di differenziarsi in cellule beta pancreatiche. Al momento sono in corso 6 studi sulle staminali pluripotenti nel diabete di tipo 1: risultati incoraggianti. Uno dei primi pazienti trattati è diventato “indipendente” dalle punture di insulina, dopo molti anni di diabete di tipo 1. L'impiego delle cellule staminali è in sperimentazione anche per altre patologie: scompenso cardiaco, malattie della retina (maculopatia senile), malattia di Parkinson, ustioni, lesioni del midollo spinale.

DNA E RNA.

Un altro approccio terapeutico innovativo è il tentativo di correggere le malattie derivanti da un difetto del Dna, somministrando al paziente il gene sano. In questo caso il “farmaco” è l'RNA o il DNA. Oggi, il gene terapeutico viene veicolato da un vettore virale (quelli più utilizzati sono gli adenovirus). È iniettato in circolo o localmente. Questo tipo di terapia viene già utilizzata nel trattamento di alcune gravi patologie della retina (distrofia retinica ereditaria, retinite pigmentosa), nella beta talassemia trasfusione dipendente, in alcune malattie rare (mucopolisaccaridosi, atrofia muscolare spinale o SMA).

GLI ENZIMI.

Editing genomico (CRISPR). La correzione del “difetto di stampa” del DNA, potrebbe avvenire direttamente nell'organismo, attraverso il cosiddetto editing genomico che si basa sulla tecnologia CRISPR: attraverso enzimi particolari è possibile correggere il DNA “sbagliato” con una sorta di “taglia e cuci”. La speranza è di poter trattare attraverso questa metodica una serie di malattie genetiche (distrofia di Duchenne, fibrosi cistica, beta talassemia), neurologiche (Parkinson e Alzheimer) e forse alcuni tumori. La messa a punto della tecnologia è valsa nel 2020 il Nobel per la Chimica a due scienziate, Emmanuelle Charpentier e Jennifer A. Doudna. Una delle ultime frontiere per la lotta ai tumori del sangue sono le cosiddette CAR-T (acronimo che sta per Chimeric Antigen Receptor T cell therapies). I linfociti T (i “soldati” del sistema immunitario) vengono prelevati dal paziente e istruiti in laboratorio ad attaccare il cancro, mirando ad un bersaglio specifico, per poi essere reintrodotti nell'organismo del paziente. Le CAR-T rappresentano la forma più avanzata di immunoterapia, vero pilastro delle terapie oncologiche moderne, che è valso ai suoi scopritori (James P. Allison e Tasuku Honjo) il Nobel per la Medicina nel 2018. Al momento, ogni CAR-T viene prodotta per un singolo paziente. Ma la loro produzione potrebbe avvenire su scala industriale con procedimenti che le renderanno pronte all'impiego in diversi pazienti.

(Maria Rita Montebelli su Il Messaggero del 08/12/2022) **CHI PAGA ADUC**

l'associazione non **percepisce ed è contraria ai finanziamenti pubblici** (anche il 5 per mille)

La sua forza economica sono iscrizioni e contributi donati da chi la ritiene utile

DONA ORA (<http://www.aduc.it/info/sostienici.php>)