27 giugno 2002 20:29

ITALIA: Italia. Salvate due bimbe con la terapia genica

Due bambine, una colombiana ed una palestinese, nate senza difese immunitarie sono guarite grazie ad una nuova tecnica di terapia genica messa a punto in Italia, in una ricerca condotta nell'Istituto San Raffaele - Telethon per la Terapia Genica delle Malattie Genetiche (Hsr-Tiget) di Milano e in gran parte finanziata da Telethon. Il lavoro, che segna un primato mondiale, sara' pubblicato su *Science*. L'annuncio e' stato dato oggi a Milano, in una conferenza stampa congiunta fra San Raffaele, Telethon e *Science*. A pubblicare la ricerca, che promette di aprire la strada anche ad una nuova terapia per le malattie genetiche e l'Aids, sono il pioniere della terapia genica per le immunodeficienze, Claudio Bordignon, e la direttrice del Tiget, Maria Grazia Roncarolo, con la collaborazione di Alessandro Aiuti. Le due bambine erano nate con un grave difetto genetico che trasforma il sistema immunitario in un vero e proprio deserto. Di conseguenza erano completamente vulnerabili ad ogni tipo di infezione e costrette a vivere in un ambiente completamente sterile, chiamato camera a bolle. La malattia appartiene alla famiglia delle immunodeficienze combinate gravi (Scid) ed e' caratterizzata dal difetto dell'enzima adenosina deaminasi (Ada), indispensabile per produrre le cellule del sistema immunitario. Si calcola che ogni anno nascano da 30 a 50 bambini colpiti da questo difetto immunitario, ma soltanto in pochi di essi la malattia viene diagnosticata correttamente. E' una malattia rara, quindi, ma il suo studio ha aperto una via promettente per tantissime altre malattie. Finora l'unica speranza per i bambini colpiti dalla Scid-Ada era il trapianto di midollo, ma in attesa di un donatore compatibile devono vivere in isolamento. L'Ada Scid e' stata la prima malattia genetica trattata con la terapia genica. Il primo intervento e' stato eseguito da Caludio Bordignon nel 1992, tuttavia con il "vecchio" tipo di terapia genica non si riusciva a ripristinate completamente le difese immunitarie. Soltanto con la nuova tecnica presentata oggi si riesce ad ottenere una vera e propria guarigione. La nuova tecnica di terapia genica che ha portato alla guarigione delle due bambine e' il frutto di un gioco di squadra tutto italiano. "Siamo stati lungimiranti nel sostenere la ricerca sulla terapia genica e nel creare a Milano il centro di terapia genica diretto da Maria Grazia Roncarolo. Senza la sua competenza in fatto di immunologia e pediatria non ci sarebbe stato questo successo", ha detto Susanna Agnelli oggi, collegata in teleconferenza con il San Raffaele. Un sostegno, ha aggiunto, che non e' mai venuto meno neanche quando la terapia genica ha cominciato ad andare in crisi, quando sembrava che non ci fossero piu' risultati. "Ma questo successo -ha aggiunto- e' la prova che la ricerca scientifica porta a risultati tangibili, come la guarigione di due bambine". Entusiasta anche il direttore del San Raffaele, don Luigi Verze'. "Da dieci anni - ha detto - stiamo lavorando a questo progetto con grande fatica e impegno". La ricerca ha richiesto anche spese notevoli, ha aggiunto, "ma non c'e' spesa che possa compensare la vita di un bambino". Un omaggio ai ricercatori italiani e' venuto dal responsabile di *Science* per l'immunologia, Stephen Simpson, per il quale il lavoro presentato oggi "segna un importante traguardo nella storia della terapia genica. Molti altri gruppi di ricerca nel mondo d'ora in poi utilizzeranno questa terapia". "La terapia genica ha avuto un momento difficile negli anni scorsi - ha proseguito Simpson - ma adesso mi auguro che in questo campo di ricerca torni l'ottimismo". Sorride, Maria Grazia Roncarolo, quando parla di "successo di squadra al Tiget". Mettere a punto la tecnica, ha osservato, e' stato come ricomporre un puzzle i cui elementi cruciali sono stati: ottenere il vettore giusto per portare il gene sano nelle cellule, introdurre il gene all'interno delle staminali (un'impresa alla quale Alessandro Aiuti ha dedicato quasi cinque anni di ricerche) e poi e' stato necessario comprendere la biologia della malattia. "Da quando e' nato il Tiget, sette anni fa, l'obiettivo fondamentale e' stato fare scienza di alta qualita' -ha detto Roncarolo- ma ancora piu' importante e' stato ottenere delle cure. Come pediatra che da sempre si occupa di curare i bambini e dare speranza ai loro genitori, l'obiettivo principale e' avere la possibilita' reale di dare speranza di una vita diversa ai bambini colpiti dalle malattie genetiche". L'altra grande soddisfazione, ha aggiunto, "e' che si tratta di uno studio tutto italiano. La soddisfazione e' ancora piu' grande dopo aver lavorato all'estero per 15 anni". Felice di avere raggiunto questo successo in Italia e' anche Alessandro Aiuti. "Sono orgoglioso -ha detto- che questa ricerca sia stata fatta in Italia. Devo a Telethon e al San Raffaele la possibilita' di essere tornato in Italia".
"Senza queste ricerche le bambine sarebbero sicuramente morte a causa delle infezioni", ha aggiunto Shimon Slavin, il medico israeliano della Hadassah University che due anni fa ha cominciato a lavorare in squadra con il gruppo del Tiget nel primo intervento al mondo basato sulla nuova tecnica italiana.