

Sperimentata una nuova terapia genica

Traguardo vicino per sconfiggere la talassemia

ROMA. Arrivano positive novità per gli oltre 7 mila italiani affetti da talassemia, malattia ereditaria cronica che compromette il trasporto di ossigeno nel sangue, portandolo a livelli incompatibili con la vita. La guarigione completa è sempre più vicina e l'Italia, con Cagliari in prima linea, sarà inserita nel programma per la sperimentazione della terapia genica. A dirlo sono esperti italiani e stranieri che si sono riuniti ieri a Roma in occasione della giornata mondiale della talassemia.

Tutti i pazienti stanno aspettando il traguardo della guarigione completa dalla malattia per liberarsi dalla schiavitù della terapia, che attualmente consiste in trasfusioni eseguite ogni due o tre settimane e per tutta la vita, e nella terapia ferrochelante, che permette di ridurre l'accumulo di ferro provocato dalle trasfusioni stesse. Il risultato tanto atteso arriva dalla terapia genica, in grado di risolvere a monte il difetto genetico dell'emoglobina, proteina del sangue che trasporta l'ossigeno dai polmoni a tutti gli organi e tessuti del corpo.

“Questa terapia - spiega Aurelio Maggio, primario e responsabile delle attività di ricerca della Divisione di Ematologia e Talassemia dell'Ospedale Cervello di Palermo - corregge il difetto della cellula attraverso l'uso di un vettore virale che contiene il gene dell'emoglobina”. In pratica questo virus *navetta infetta* con il gene sano le cellule staminali prese dal paziente, che saranno poi reimpiantate nel malato stesso. “Grazie a questa procedura - continua Maggio - da 26 mesi un paziente francese sottoposto ad una prima sperimentazione è trasfusione-indipendente”.

E nel giro di pochi mesi nel laboratorio genetico del Memorial Sloan-Kettering Cancer Center di New York, ha spiegato il suo direttore Michael Sadelain, partirà una sperimentazione in cui saranno coinvolti anche l'Ospedale Cervello, il San Matteo di Pavia e il Centro Microcitemie di Cagliari.

