

EMATOLOGIA

TALASSEMIA, LA TERAPIA GENICA CI SALVERÀ

Correggere il difetto della cellula, grazie ad un virus che contiene il gene sano dell'emoglobina e infetta cellule staminali che vengono poi immesse nel malato. E' questo l'obiettivo della terapia genica della talassemia: il virus diventa quindi il veicolo per trasformare in senso buono le staminali, che poi andranno a sostituirsi a quelle malate. Sta in questa realtà il futuro della cura di questa malattia, reso noto da Michael Sadelain, del Memorial Sloan Kettering Cancer Center di New York, a Roma per la Giornata Mondiale sulla talassemia del 7 maggio scorso. Tre centri in Italia entreranno nella sperimentazione di questo trattamento: Palermo, Pavia e Cagliari.

Se il futuro è ricco di speranza, il presente segna comunque importanti risultati per la scienza, anche per la forma più grave della patologia, la talassemia maior. E non solo per l'opportunità offerta dal trapianto di midollo osseo che comunque riduce le proprie possibilità di successo con l'avanzare dell'età del paziente e dalla necessità di trovare un donatore compatibile.

«Oggi il talassemico è generalmente un adulto, mentre in passato non si superava la seconda decade di vita - spiega Paolo Ciancuilli, Presidente della Società Italiana Talassemie ed Emoglobinopatie -. Questo dà la misura dell'importanza delle terapie innovative, grazie alle quali la mortalità si è ridotta drasticamente, addirittura del 70% per quanto riguarda le cause cardiache».

La cura della talassemia si basa ancora sulle trasfusioni di sangue, che servono a garantire un buon accrescimento ed impedire il possibile danno d'organo legato all'anemia. Purtroppo però le trasfusioni periodiche conducono ad un accumulo di ferro,

che può danneggiare milza, fegato e soprattutto cuore. Per questa è necessaria una terapia che "porti via" il fetto, definita tecnicamente ferrochelante.

«In questo senso oggi abbiamo una terapia che si somministra per bocca e può essere seguita con una sola somministrazione nelle 24 ore - fa sapere Cianciulli -. Così l'aderenza al trattamento è ancora migliore, e ci sono risultati ancor più favorevoli sul fronte del sovraccarico di ferro».

F.M.

