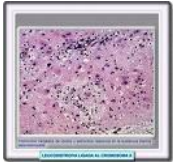


7 aprile 2010 20:46

ITALIA: Staminali. Sperimentazione contro leucodistrofia e sindrome di Wiskott-Aldrich



Via libera alla sperimentazione della terapia genica contro due rare malattie genetiche. Con l'approvazione ufficiale da parte dell'Istituto Superiore di Sanita', l'Istituto San Raffaele-Telethon per la Terapia Genica (Hsr-Tiget) di Milano puo' ora avviare due studi clinici per valutare se questo tipo di cura e' efficace sui bambini colpiti da leucodistrofia metacromatica o da sindrome di Wiskott-Aldrich.

Entrambe le sperimentazioni dureranno tre anni e coinvolgeranno in totale 14 bambini. Nella leucodistrofia metacromatica, spiega il San Raffaele, a causa di un difetto genetico si deteriora inesorabilmente il sistema nervoso. La sindrome di Wiskott-Aldrich, invece, colpisce gravemente il sistema immunitario a causa della mancanza di una proteina: quando questo accade, le difese contro le malattie funzionano male, il numero di piastrine si riduce notevolmente mentre cresce il rischio di sviluppare tumori e malattie autoimmuni.

I ricercatori dell'Hsr-Tiget, che hanno gia' ottenuto risultati positivi in laboratorio, proveranno ora a correggere i difetti genetici responsabili di queste gravi patologie attraverso la terapia genica. I medici preleveranno dal midollo osseo dei bambini le cellule staminali del sangue e inseriranno una copia sana del gene. Una volta corrette, queste staminali saranno restituite al paziente, dove dovrebbero correggere il difetto.

Saranno sottoposti a terapia genica 8 bambini con leucodistrofia metacromatica con la malattia al suo esordio, 'per poter dimostrare in tempi brevi l'efficacia e la sicurezza della terapia e eventualmente trattare in futuro anche bambini in fase piu' avanzata. Il primo e' gia' stato individuato ed e' un bambino libanese di 13 mesi'. Per la sindrome di Wiskott-Aldrich, invece, saranno coinvolti 6 bambini, scelti tra quelli affetti dalla forma piu' grave della malattia e privi di un donatore di midollo compatibile.