



10 MAGGIO 2009

Entro 2010 terapia genica contro talassemia

Il futuro della lotta alla talassemia è la terapia genica. "Se gli studi finora condotti daranno i risultati sperati, saremo pronti a trattare i primi pazienti già nei primi mesi del 2010". Ne è certo **Michel Sadelain**, direttore del Laboratorio di trasferimento genico e genetica umana del Memorial Sloan-Kettering Cancer Center di New York, intervenuto al Senato a una conferenza organizzata in occasione della Giornata mondiale della talassemia. "La guarigione definitiva della talassemia - ricorda l'esperto americano - oggi è rappresentata solo dal trapianto di midollo". Ma anche per la talassemia, come per le altre patologie, il problema del trapianto consiste nel trovare un donatore compatibile, che non sempre è possibile. E per liberare i pazienti dalla 'schiavitù' delle trasfusioni, che devono essere effettuate per tutta la vita senza la certezza di una guarigione completa, Sadelain propone la terapia genica. "In questo modo - spiega l'esperto - possiamo superare l'ostacolo del trapianto perché si interviene usando cellule dello stesso paziente, quindi c'è minor rischio di rigetto. Nel corso degli anni ci sono stati molti progressi con l'utilizzo di vettori virali. Per correggere il difetto del gene della beta-globina, causa della beta-talassemia, vengono 'infettate' cellule staminali autologhe da reimpiantare nel malato stesso. E se gli studi che abbiamo condotto finora dovessero darci i risultati sperati - ribadisce - crediamo che già dal 2010 potremo trattare in questo modo i pazienti". Ed è probabile che i primi ad essere curati dalla terapia genica siano proprio i malati italiani. E' infatti intensa la collaborazione tra Sadelain, alcuni centri italiani di eccellenza (tra cui Pavia, Cagliari e Palermo) e la Fondazione Giambrone per la guarigione della talassemia.