



FONDAZIONE
INTERNAZIONALE
MENARINI

Comunicato stampa

A Milano le più recenti novità sulle principali malattie del sangue

Allo studio la terapia genica per trattare la talassemia

Milano, 24 settembre 2015 - La terapia genica potrebbe essere in futuro la soluzione per le persone affette da talassemia. È questo uno dei temi principali del convegno RED CELL BIOLOGY THIRTY YEARS AFTER, organizzato dal Dipartimento di Scienze Cliniche e di Comunità dell'Università degli Studi di Milano, Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico di Milano e promosso dalla Fondazione Internazionale Menarini. Il convegno, in programma dal 24 al 26 settembre a Milano, ripercorre le acquisizioni sulle malattie del sangue e la biologia molecolare del globulo rosso degli ultimi anni, che hanno fatto da volano per le conoscenze su tante altre patologie ereditarie. Si è assistito a una vera e propria esplosione di scoperte scientifiche, molte delle quali grazie al contributo di ricercatori italiani, in prima linea anche oggi nella ricerca di nuove terapie, come appunto quella genica. Infatti è notizia recente che l'Istituto San Raffaele-Telethon per la terapia genica TIGET, l'Ospedale San Raffaele di Milano e il Centro Anemie Congenite della Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico di Milano annunciano l'avvio della sperimentazione clinica di terapia genica della talassemia.

«Prelevare cellule staminali produttrici di globuli rossi dal paziente, sostituire in esse il gene difettoso con uno funzionante e, a mezzo di un vettore (un virus reso innocuo), trasferirle nel talassemico in modo che il suo organismo sia in grado di produrre globuli rossi funzionanti. E' forse questa la chiave per vincere la talassemia» spiega Maria Domenica Cappellini, Direttore dell'Unità di Medicina Interna presso la Fondazione IRCCS "Ca Granda" Ospedale Maggiore Policlinico e Presidente del convegno. «I progressi negli studi della terapia genica sono significativi, e speriamo che in futuro l'ingegneria delle cellule staminali che producono globuli rossi possa portare a nuovi trattamenti contro la talassemia».

Durante il convegno è intervenuta anche Giuliana Ferrari, Coordinatore dell'Area Ricerca di Base, HSR-TIGET, Istituto Scientifico Ospedale San Raffaele, Milano e tra i coordinatori della sperimentazione.

«Abbiamo messo a punto una terapia sperimentale per la beta-talassemia basata sull'impiego di cellule staminali del midollo osseo corrette in laboratorio con i vettori virali di ultima generazione. La fase preclinica, durata oltre 5 anni, si è conclusa positivamente e ora avviamo la sperimentazione clinica, che sarà condotta su soggetti talassemici trasfusione-dipendenti».

La procedura di correzione genetica avviene in provetta dopo avere selezionato le cellule staminali ematopoietiche dal midollo osseo o dal sangue del paziente. Le cellule geneticamente corrette vengono re-infuse nello stesso paziente dopo una leggera dose di chemioterapia che serve a distruggere parte delle cellule malate e a favorire l'attecchimento e la crescita di quelle corrette.

In Italia sono oltre 7 mila le persone colpite dalla malattia, con una concentrazione maggiore soprattutto tra Sardegna, Sicilia e regioni meridionali, ma anche nel Delta del Po. Numeri tuttavia da diversi anni in crescita a seguito dei flussi migratori provenienti da alcune regioni del Medio Oriente, del Sud-est asiatico, dell'India, del bacino mediterraneo.

La talassemia è generata da un'anomalia genetica che causa un trasporto difettoso dell'ossigeno da parte dei globuli rossi, fenomeno che porta anemia, costringendo chi ne è affetto a trasfusioni di sangue ogni 15-20 giorni. Però, a lungo andare, le trasfusioni provocano un pericoloso accumulo di ferro, soprattutto nel fegato e nel cuore, che viene trattato con farmaci ferrochelanti.

Oggi il trattamento ferrochelante, la trasfusione e il trapianto di midollo assicurano ai pazienti aspettative e qualità della vita sempre migliori, ma la speranza è che nuove terapie geniche possano liberare definitivamente i pazienti da questa malattia.

Ufficio stampa:

Marco Strambi

Phone: 328 3979185

E-mail: marco.strambi@ibiscomunicazione.it

FONDAZIONE INTERNAZIONALE MENARINI

Edificio L - Strada 6

Centro Direzionale Milanofiori

I-20089 Rozzano (Milan, Italy)

Phone: +39 02 55308110

E-mail: eibrahim@fondazione-menarini.it

E-mail: fgaias@fondazione-menarini.it

<http://www.fondazione-menarini.it>