

Il Sole 24 Ore (23/11/2006 La terapia genica cura la pelle)

La Ricerca - Rassegna Stampa Scientifica

PRIMATI ITALIANI: RICERCATORI DELL'UNIVERSITA' DI MODENA FINANZIATI DA TELETHON

di Lara Ricci (lara.ricci@ilsole24ore.com)

La terapia genica cura la pelle

Il Sole 24 Ore (23/11/2006)

L'intervento, primo al mondo, ha coinvolto un uomo di 36 anni con epidermolisi bollosa. Cellule staminali dell'epidermide sono state prelevate da un uomo affetto da una malattia genetica che provoca il distacco della pelle, curate in laboratorio, fatte aumentare di numero e poi usate per "rifoderare" le gambe del malato. Sembra fantascienza, eppure è il risultato di una terapia genica associata all'uso di staminali realizzata dall'Università di Modena e Reggio Emilia in collaborazione con la Fondazione banca degli occhi Veneto.

Il paziente, un uomo di 36 anni, sta bene e nelle zone dove è stata trapiantata l'epidermide corretta geneticamente (mediante l'inserimento di un vettore retrovirale contenente la versione sana del gene "malato") il tessuto si è rigenerato completamente e non presenta più le lesioni bollose caratteristiche della malattia: l'epidermolisi bollosa (nella sua forma non letale), una patologia che provoca il distacco dello strato superficiale, l'epidermide, da quello più profondo, il derma.

Il lavoro, pubblicato online su «Nature Medicine», è stato realizzato grazie a un finanziamento da Telethon e è opera di un gruppo di ricercatori coordinati dal Michele De Luca, professor di biochimica presso il dipartimento di Scienze Biomediche dell'ateneo modenese e direttore scientifico della Fondazione Banca degli occhi del Veneto, e da Fulvio Mavilio, professore di Biologia molecolare della stessa università. Dal 193 i due hanno ricevuto numerosi finanziamenti da Telethon. Altri fondi sono stati messi a disposizione dall'Association Française contre les myopathies, dalla Comunità europea con il «Progetto Skin Therapy» del VI Programma Quadro, dall'Università di Modena e dalla Fondazione Banca degli occhi.

«Il paziente è stato trapiantato un anno fa – dice De Luca -. L'epidermide si rigenera completamente ogni mese, dunque sono passati oltre 12 cicli, possiamo dire con certezza che le staminali corrette geneticamente hanno attecchito e garantiscono il rinnovo del tessuto. L'epidermide, che misura circa due metri quadrati, non è come un organo che va trapiantato tutto intero. E un'operazione di questo tipo sarebbe troppo gravosa per il paziente. Poiché si trattava del primo intervento al mondo, abbiamo deciso di trapiantare solo due zone simmetriche degli arti inferiori particolarmente suscettibili a infezioni, ma avremmo potuto trapiantare una parte maggiore. Nel giro dei prossimi due anni contiamo di sostituire tutto il tessuto malato». Le cellule sono state "geneticamente corrette" da Graziella Pellegrini, professore di Biologia cellulare presso l'Università di Modena e direttore del Laboratorio del Centro ricerche sulle cellule staminali epiteliali di Fondazione banca degli occhi del Veneto.

«E' la prima volta – prosegue De Luca – che una malattia genetica degli epiteli viene curata grazie a un intervento che unisce la terapia genica alla terapia cellulare. Dopo aver concluso questo studio clinico (ora in fase I/II, ndr), il prossimo passo sarà estendere il trattamento a diverse malattie genetiche della pelle, come le altre forme di epidermolisi bollosa o l'ittiosi lamellare, e a malattie di differenti epiteli, come per esempio le distrofie della cornea, malattie invalidanti che portano a cecità».

La terapia genica è un settore in cui la ricerca italiana è all'avanguardia. «Un gruppo del Tiget, l'Istituto Telethon di terapia genica del San Raffaele ha finora curato, primo al mondo, nove bambini affetti da una grave malattia genetica del sistema immunitario, l'Ada Scid – spiega Alberto Auricchio, professore di genetica medica all'Università Federico II di Napoli e ricercatore del Tiget, l'Istituto Telethon di genetica e medicina -. Sempre al Tiget sono vicini alla sperimentazione nell'uomo di una terapia genica per curare la leucodistrofia metacromatica. Il mio gruppo, con Enrico Surace, dovrebbe iniziare l'anno prossimo una sperimentazione clinica per trattare alcune malattie ereditarie della retina, come l'amaurosi congenita di Leber. I risultati negli animali sono promettenti: abbiamo introdotto nella retina vettori virali che portavano nelle cellule copie sane del gene malato. Così i fotorecettori hanno iniziato a produrre la proteina mancante e gli animali hanno recuperato la vista in parte o totalmente».