30 giugno 2016 18:15

ITALIA: Staminali. Presentata terapia genica Strimvelis

Presentata lunedi' scorso alla Presidenza del Consiglio dei Ministri Strimvelis, la prima terapia genica con cellule staminali approvata dalla Commissione Europea, ottenuta grazie all'alleanza tra Fondazione Telethon, IRCCS Ospedale San Raffaele e l'industria farmaceutica GSK. La terapia e' stata studiata per trattare i pazienti affetti da una rarissima malattia chiamata ADA-SCID (immunodeficienza severa combinata da deficit di adenosina-deaminasi). I bambini nati con l'ADA-SCID hanno un sistema immunitario fortemente compromesso che non e' in grado di combattere le infezioni piu' comuni. Strimvelis e' la prima terapia genica curativa per i bambini a ricevere l'approvazione regolatoria nel mondo ed e' indicata per il trattamento di pazienti con ADA-SCID per i quali non e' disponibile un donatore compatibile in base al sistema HLA (human leukocyte antigen) per il trapianto di cellule staminali. L'autorizzazione all'immissione in commercio di Strimvelis si basa sui dati relativi a 18 bambini guariti con il trattamento sperimentale. A tre anni dalla cura e' stato registrato un tasso di sopravvivenza pari al 100% per i 12 bambini arruolati nello studio clinico e per gli altri 6 trattati nel frattempo. I risultati completi dell'analisi sono stati pubblicati anche sulla rivista scientifica BLOOD. "Presentiamo il risultato di oltre 20 anni di ricerca e sviluppo - ha commentato Alessandro Aiuti, coordinatore dell'area clinica dell'Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica (SR-Tiget) - che ci hanno consentito di mettere a punto un approccio terapeutico innovativo e personalizzato. Questo approccio prevede l'utilizzo delle cellule staminali del paziente, in cui viene inserita una copia corretta del gene malato, e la loro successiva reintroduzione nell'organismo. Il trattamento ci ha permesso di correggere questa gravissima malattia alla radice, cambiando la vita di questi bambini".