



Uno studio dell'Istituto San Raffaele Telethon per la terapia genica (TIGET) di Milano ha scoperto la capacità di un particolare gruppo di linfociti T corretti geneticamente di persistere e riprodursi per anni nel sangue di un individuo, mantenendo nel tempo la capacità del sistema immunitario di “attaccare” in caso di malattia. Dalla ricerca sulle malattie genetiche arriva un contributo importante per la lotta ai tumori

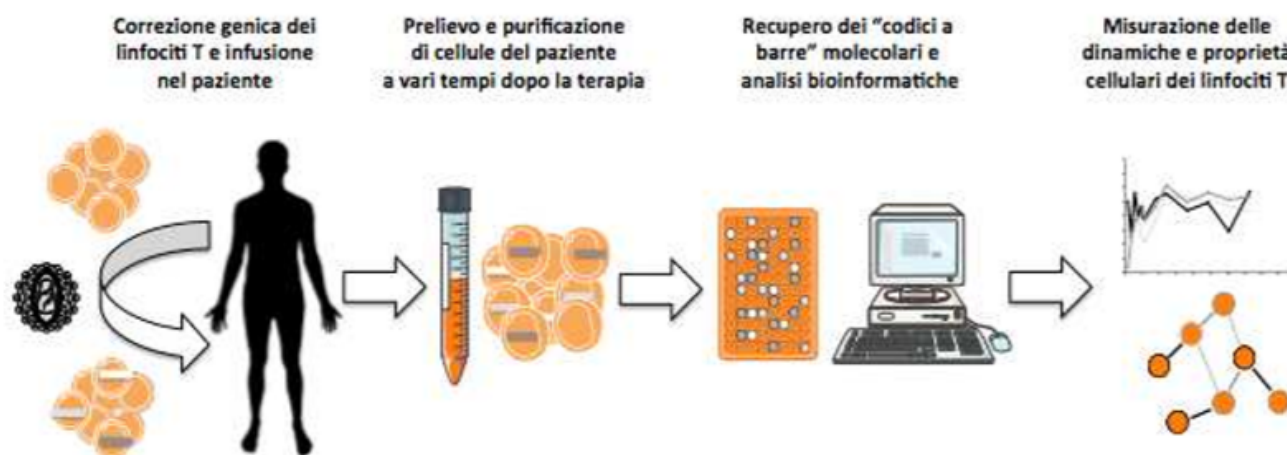


Milano, 5 febbraio 2015 – Un gruppo di ricercatori dell'Istituto San Raffaele Telethon per la terapia genica (TIGET) di Milano ha scoperto che un particolare gruppo di cellule del sangue (definite “cellule T staminali di memoria”) modificate con la terapia genica sono in grado di mantenere nel tempo la loro capacità di riprodursi e di assolvere al loro compito di difendere l'organismo da attacchi esterni. Questa “memoria” è di particolare importanza per quelle applicazioni terapeutiche, come l'immunoterapia dei tumori, che ha bisogno di “armare” cellule del sistema immunitario e renderle pronte a colpire laddove necessario. Questo particolare gruppo di linfociti potrebbe quindi restare in “allerta” nel tempo ed entrare in azione anche in caso, ad esempio, di recidive. Lo studio è pubblicato sulla prestigiosa rivista internazionale *Science Translational Medicine*.

Questa importante scoperta è stata possibile grazie ad uno studio effettuato su un gruppo di bambini affetti da deficit di adenosina deaminasi (ADA-SCID è una grave immunodeficienza ereditaria che rende i bambini che ne sono affetti suscettibili a qualsiasi infezione e costantemente in pericolo di vita) e trattati con una tecnica pionieristica di terapia genica negli anni '90 (lavoro pubblicato su *Science* nel 1995). Il trattamento prevedeva infatti l'uso di linfociti T modificati geneticamente e reinfusi nel sangue dei pazienti.

Queste cellule, tenute monitorate nel tempo con un innovativo e tecnologico metodo di tracciatura

molecolare che funziona come un “codice a barre”, hanno rivelato la straordinaria capacità di persistere negli anni nel sangue, e di fungere da riserva per le cellule che agiscono in prima linea contro agenti infettivi o cellule malate. Il gruppo dei ricercatori del TIGET ha potuto così tracciare per molti anni le dinamiche e il destino delle cellule infuse nei pazienti scoprendo così una nuova arma immunoterapica applicabile su altre malattie e tumori.



Spiega Luca Biasco, ricercatore dell’Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia genica (TIGET) e primo autore del lavoro insieme a Serena Scala ricercatrice dello stesso Istituto: “Prima di questo lavoro si ignorava quanto queste cellule potessero persistere nell’uomo mantenendo il loro potenziale. Attraverso l’analisi nel tempo del loro “codice a barre” molecolare abbiamo scoperto che queste cellule vivono molto a lungo (più di dieci anni) e sono in grado di generare tutti i tipi di linfociti T responsabili della risposta nei confronti di agenti patogeni”.

Questo studio fornisce quindi informazioni cruciali che permetteranno lo sviluppo di nuove e più efficaci terapie basate sulla modificazione genica delle cellule del sangue.

Commenta Alessandro Aiuti, coordinatore area clinica dell’Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia genica (TIGET): “I risultati di questo studio sono di estrema importanza non soltanto per la cura di pazienti affetti da immunodeficienze congenite e da HIV ma anche per lo sviluppo di nuove terapie contro il cancro basate sui linfociti ingegnerizzati”.

Lo studio è stato condotto all’Istituto San Raffaele Telethon di Terapia Genica (TIGET) diretto da Luigi Naldini ed è stato possibile grazie a finanziamenti della fondazione Telethon (www.telethon.it), della comunità europea (progetto Cell-PID <http://www.cell-pid.eu>) e del Ministero della Salute.

L’Istituto San Raffaele-Telethon per la terapia genica (Tiget)

L’Istituto San Raffaele-Telethon per la terapia genica (Tiget) è nato nel 1995 come joint venture tra l’Istituto Scientifico San Raffaele e la Fondazione Telethon per la ricerca di base, preclinica e clinica sulle malattie genetiche e sulla terapia genica e cellulare e il trasferimento dei risultati alla applicazione clinica per il trattamento di diverse malattie genetiche. Dal 2012 l’Ospedale San Raffaele fa parte del Gruppo Ospedaliero San Donato.

Studio pubblicato su Science Translational Medicine – 4 Febbraio 2015

In vivo tracking of T cells in humans unveils decade-long survival and activity of genetically modified T memory stem cells

Luca Biasco^{1§}, Serena Scala^{1,2*}, Luca Basso Ricci¹, Francesca Dionisio¹, Cristina Baricordi¹, Andrea Calabria¹, Stefania Giannelli¹, Nicoletta Cieri³, Federica Barzaghi⁴, Roberta Pajno⁴, Hamoud Al-Mousa⁵, Alessia Scarselli⁶, Caterina Cancrini⁶, Claudio Bordignon², Maria Grazia Roncarolo^{1,2}, Eugenio Montini¹, Chiara Bonini³, Alessandro Aiuti^{1,2,4,6§}*

1. *San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy (TIGET), Division of Regenerative Medicine Stem cells and Gene Therapy, IRCCS San Raffaele Scientific Institute, Milan, Italy.*
2. *Università Vita-Salute San Raffaele, Milan, Italy.*
3. *IRCCS San Raffaele Scientific Institute, Milan, Italy.*
4. *Pediatric Immunohematology and Stem Cell Programme, San Raffaele Scientific Institute, Milan, Italy.*
5. *King Faisal Specialist Hospital & Research Center, Riyadh, Saudi Arabia.*
6. *Department of Pediatrics, Ospedale Pediatrico Bambin Gesù, and University of Rome “Tor Vergata”, Rome, Italy.*

** Equal first-author contribution*

§ Equal corresponding

fonte: ufficio stampa