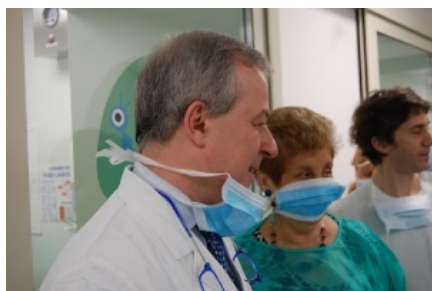


Prof. Franco Locatelli, direttore del Dipartimento di Onco-Ematologia e Terapia Cellulare e Genica dell'ospedale pediatrico Bambino Gesù di Roma e presidente del Consiglio Superiore di Sanità: "Va detto chiaramente che per ogni tumore e per ogni malattia va identificato un target specifico, vanno sviluppati prodotti per trattare quella determinata patologia"



Roma, 25 ottobre 2019 - "Stiamo assistendo a una vera e propria rivoluzione biotecnologica con riverberi clinici di grande importanza, perché oggi abbiamo la possibilità di trattare alcuni tumori, in particolare le leucemie linfoblastiche acute e i linfomi, con cellule proprie del paziente, geneticamente modificate, per essere reindirizzate sul bersaglio tumorale. Mentre sul versante delle patologie non oncologiche abbiamo oggi dei dati di grandi rilevanza e di significativo interesse per la cura di quella che è la malattia per definizione più frequente del sangue, cioè la talassemia su base costituzionale, che ha così larga diffusione nel nostro Paese". Lo ha dichiarato il prof. Franco Locatelli, direttore del Dipartimento di Onco-Ematologia e Terapia Cellulare e Genica dell'ospedale pediatrico Bambino Gesù di Roma e presidente del Consiglio Superiore di Sanità, intervistato a Roma in occasione della presentazione del secondo Report italiano sulle Atpm-Advanced therapy medicinal products.



Prof. Franco Locatelli

"Abbiamo già dei dati, che hanno portato poi a un'approvazione da parte dell'Agenzia europea del Farmaco - ha proseguito Locatelli - che indicano come una proporzione rilevante di pazienti con un tipo particolare di talassemia che si chiama 'non β -zero - non β -zero' diventa indipendente da trasfusione e beneficia di livelli di emoglobina straordinariamente elevati. Allora davvero dobbiamo pensare in maniera diversa al futuro della medicina, che sarà sempre più orientata a un impiego di farmaci vivi, come sono le cellule, verso una medicina di precisione e per larghi aspetti personalizzata".

Sul versante pediatrico, l'Associazione italiana registro tumori ha stimato che in 5 anni saranno 11mila i bambini e gli adolescenti che si ammaleranno da tumore e la maggior parte sarà colpita da leucemia. Il

prof. Locatelli, intanto, ha messo a punto una tecnica sperimentale, la Car-T, con cui, grazie ad una nuovissima tecnologia, è possibile utilizzare le cellule del sistema immunitario dei bambini affetti da leucemia, per manipolarle geneticamente e renderle così capaci di riconoscere il tumore nell'organismo e attaccarlo per sconfiggerlo.

“Va però detto chiaramente che per ogni tumore e per ogni malattia - ha tenuto a precisare il professore - va identificato un target specifico, vanno sviluppati prodotti per trattare quella determinata patologia. Non esiste una Car-T universale, esistono Cart-T per una determinata patologia e in futuro magari esisteranno anche le cellule ‘Car-Nk’ (cioè ‘Car natural-killer’) che potranno essere impiegate da uno stesso donatore per più pazienti”.

Del prof. Locatelli si è molto parlato quando fece trasferire il piccolo Alex, affetto da linfoistiocitosi emofagocitica, malattia molto rara, dall'ospedale Great Ormond Street di Londra al Bambino Gesù di Roma. Il 20 dicembre dello scorso anno il medico lo ha sottoposto al trapianto di midollo utilizzando le cellule staminali da genitore (per la precisione quelle del padre) e ora il bambino sta bene.

Ora in Italia c'è un nuovo caso come quello di Alex: Filippo, nato ad aprile, è affetto da linfoistiocitosi emofagocitica, una rara malattia genetica che colpisce un bambino su 50 mila. Come commenta?

“Esiste una quota di pazienti che necessita di un trapianto di midollo osseo che non troverà mai, per ragioni di assetto immunogenetico, un donatore perfettamente compatibile né in famiglia né nei registri - ha risposto Locatelli - L'uso di uno dei due genitori, quindi il cosiddetto ‘trapianto aploidentico’, è un'utile alternativa, certamente efficace e con risultati del tutto sovrapponibili a quelli che si ottengono impiegando come donatore un soggetto perfettamente compatibile”.