



Prof. Alessandro Aiuti

Bad

Homburg v.d. Höhe/Milano, 4 giugno 2020 - Va ad Alessandro Aiuti, vicedirettore dell'Istituto San Raffaele-Telethon per la terapia genica (SR-Tiget) e professore ordinario di Pediatria all'Università-Vita Salute San Raffaele di Milano, l'edizione 2020 del Premio Else Kröner Fresenius per la ricerca biomedica, del valore di 2,5 milioni di euro.

Fondata

nel 1983 in memoria di Else Kröner, tra le più importanti imprenditrici tedesche in campo farmaceutico, la Fondazione ha come missione il miglioramento della conoscenza delle cause delle malattie e delle strategie di diagnosi e cura. Il Premio per la ricerca biomedica, istituito per la prima volta tre anni fa, è uno dei più ricchi al mondo e viene conferito a ricercatori che abbiano contribuito in modo significativo al progresso della ricerca biomedica a livello internazionale.

L'attuale

pandemia da Covid-19 ha sottolineato ancora una volta quanto i virus possano minacciare la salute umana a livello globale. Al contempo ci sono però persone che sono completamente indifese di fronte ai virus e agli altri microrganismi, in quanto il loro sistema immunitario è difettoso fin dalla nascita: è il caso di chi è affetto da immunodeficienze primitive, come per esempio il deficit di adenosina deaminasi (ADA-SCID) o la sindrome di Wiskott-Aldrich.

Alessandro

Aiuti e i suoi collaboratori hanno contribuito in modo determinante a mettere a punto un trattamento innovativo e di successo per queste malattie, la terapia genica. Nel caso dell'ADA-SCID, una rara malattia genetica dell'infanzia per cui si stimano ogni anno 15 nuovi casi in Europa, il difetto genetico a carico del gene ADA si traduce in un mancato sviluppo dei linfociti, cellule fondamentali per la difesa del bambino dalle infezioni.

“Senza

una terapia efficace, questi bambini sopravvivono raramente oltre i due anni, perché qualsiasi infezione può rivelarsi per loro fatale - spiega Aiuti - La terapia standard è rappresentata dal trapianto di midollo osseo da un donatore familiare compatibile, che tuttavia è disponibile soltanto per una percentuale limitata di pazienti. Grazie alla terapia genica è stato possibile offrire una possibilità di cura anche a questi bambini privi di un donatore: ad oggi ne abbiamo trattati 36 da 19 paesi del mondo, sono tutti vivi e stanno bene. In oltre l'80 per cento dei casi il trattamento che abbiamo messo a punto è stato efficace, tanto da non avere più necessità della terapia enzimatica sostitutiva né del trapianto. Un successo che è frutto di 25 anni di lavoro straordinario dei ricercatori e dello staff clinico dell'SR-Tiget”.

Per

questi risultati la Fondazione Else Kröner Fresenius ha deciso di assegnare ad Alessandro Aiuti l'edizione 2020 del proprio Premio per la Ricerca biomedica. “In confronto ad altri questo è un premio ‘giovane’, siamo solo alla terza edizione - spiega Michael Madeja, direttore scientifico e membro del direttivo della Fondazione - Lo assegniamo a ricercatori che abbiano dato un forte contributo innovativo alla ricerca biomedica. La quota principale del premio andrà infatti a finanziare la ricerca futura dello scienziato premiato, per promuovere un ulteriore avanzamento nel suo campo d'interesse a beneficio della collettività”.

A

scegliere il vincitore è stata una giuria internazionale composta da dieci ricercatori di comprovata fama nel campo delle terapie avanzate e da alcuni delegati della Commissione scientifica della Fondazione.

A

presiedere la giuria Hildegard Büning, presidente della Società Europea di terapia genica e cellulare (ESGCT), che ha motivato così la decisione: “Alessandro Aiuti è un clinico e ricercatore di altissimo livello: con il suo lavoro ha contribuito in modo sostanziale allo sviluppo di terapie di successo per malattie genetiche rare come l’ADA-SCID. Un approccio terapeutico che in futuro potrà potenzialmente essere esteso anche ad altre gravi malattie attualmente incurabili”.

Visto

il successo della sperimentazione clinica, nel 2016 la terapia genica messa a punto per l’ADA-SCID è stata approvata come farmaco nell’Unione europea. È considerata una delle pietre miliari dello sviluppo di terapie avanzate a livello mondiale. Il trattamento si basa sul prelievo dal paziente di particolari cellule staminali del sangue (le cosiddette (CD34+), il cui DNA viene successivamente modificato.

Una

volta al di fuori dall’organismo, queste cellule vengono messe a contatto con un vettore virale che trasporta una versione corretta del gene ADA, che è capace di produrre l’enzima mancante. Le cellule geneticamente modificate vengono poi restituite al paziente tramite un’infusione endovenosa. Parte di queste cellule corrette si stabilisce nel midollo osseo del paziente e inizia a produrre linfociti funzionanti in grado di combattere le infezioni, potenzialmente per tutta la vita.

Alessandro

Aiuti utilizzerà i fondi del premio per ottimizzare ulteriormente le terapie messe a punto finora, sulla base dello studio approfondito dei meccanismi che ne sono alla base, ma anche per sviluppare strategie terapeutiche per altre malattie sulla base dell’esperienza maturata.

Oltre

che per l'ADA-SCID, infatti, l'SR-Tiget ha messo a punto la terapia genica per altre quattro malattie genetiche rare: la sindrome di Wiskott-Aldrich, la leucodistrofia metacromatica, la beta talassemia e la mucopolisaccaridosi di tipo 1. Ad oggi sono oltre cento i pazienti trattati, da oltre 35 diversi paesi del mondo.