Cellule manipolate contro il cancro Leucemia sparita, salvo un bimbo

Roma, terapia genica al Bambino Gesù. Il piccolo ha quattro anni

Il genetista Dallapiccola

Una pietra miliare nel campo della medicina di precisione in ambito onco-ematologico

di GIULIA PROSPERETTI

ROMA

UNA tecnica rivoluzionaria con risultati che danno speranza. Sperimentata per la prima volta in Italia, all'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma, per curare un piccolo paziente affetto da leucemia, la terapia genica con cellule modificate Car-T, una delle strategie più innovative e promettenti nella ricerca contro il cancro, sembra funzionare. Il bambino, di soli 4 anni, lottava da tre contro una leucemia linfoblastica acuta di tipo B cellulare, un tumore ematologico che conta 400 nuovi casi ogni anno. Nei suoi primi anni di vita, aveva già provato, senza successo, tutte le cure convenzionali contro questa malattia che prende origine dai linfociti e rappresenta l'80 per cento delle leucemie e circa il 25 per cento di tutti i tumori diagnosticati tra 0 e 14 anni.

ALLA prima ricaduta del tumore, dopo il trattamento chemioterapico, il bambino si era sottoposto a un trapianto di midollo osseo da donatore esterno. Quando anche questa terapia, considerata tra le più efficaci, è fallita, le speranze di salvare la vita del piccolo sembravano ormai poche. Ma, oggi, a un mese dall'infusione con cellule del sistema immunitario manipolate geneticamente, 'riprogrammate' per riconoscere e attaccare il cancro, il bambino sta bene ed è stato dimesso dall'ospedale.

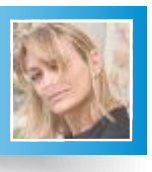
«È ancora troppo presto per avere la certezza della guarigione ma il bambino è in remissione e non ha più cellule leucemiche nel midollo. Per noi è motivo di fiducia e soddisfazione per l'efficacia della terapia», ha precisato Franco Locatelli, direttore dipartimento Onco-Ematologia del Bambino Gesù. La sperimentazione sul piccolo paziente è avvenuta all'interno di uno studio accademico tutto italiano promosso da ministero della Salute, Regione Lazio e Associazione italiana ricerca contro il cancro (Airc) e, attualmente, altri due bambini sono in attesa di sottoporsi allo stesso trattamento.

Alla base di questa tecnica vi è un recettore chiamato 'Car' (Chimeric Antigenic Receptor), in grado di potenziare i linfociti e renderli in grado, una volta reinfusi nel paziente, di riconoscere e attaccare le cellule tumorali presenti nel sangue e nel midollo, fino alla loro completa eliminazione.

PER effettuare il trattamento, i medici hanno prelevato i linfociti T del bambino e li hanno modificati geneticamente attraverso questo recettore chimerico sintetizzato in laboratorio. Un vero e proprio farmaco biologico che viene interamente realizzato nell'Officina Farmaceutica del Bambino Gesù. I primi successi della terapia Car-T risalgono al 2012, quando è stata sperimentata per la prima volta negli Stati Uniti, dai ricercatori dell'Università di Pennsylvania, su una bambina di 7 anni che oggi, a 5 anni dall'infusione, può dirsi guarita. Da allora, la tecnica è stata applicata a numerosi altri casi e i successi ottenuti hanno portato, pochi mesi fa, l'ente statunitense FDA ad approvare il primo farmaco a base di Car-T sviluppato dall'industria farmaceutica. Rispetto a quello adottato dai ricercatori statunitensi, l'approccio italiano presenta, tuttavia, alcune garanzie in più. La sequenza genetica realizzata dai ricercatori guidati da Locatelli, prevede, infatti, l'inserimento della Caspasi 9 (iC9), una sorta di gene «suicida» che, in caso di eventi avversi, è in grado di bloccare l'azione dei linfociti modificati. Una misura di sicurezza per fronteggiare i possibili effetti collaterali derivanti da terapie innovative. Si tratta di «una pietra miliare nel campo della medicina di precisione in ambito onco-ematologico — ha affermato Bruno Dallapiccola, direttore scientifico dell'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù – che apre la strada a risultati analoghi nel campo delle malattie genetiche, come la talassemia, l'atrofia muscolare spinale o la leucodistrofia».

SORRISI Il gruppo di ricerca e produzione dell'Officina Farmaceutica dell'ospedale pediatrico Bambino Gesù di Roma, con il professor Franco Locatelli. Il bambino di 4 anni, curato con la terapia genica, lottava da tre contro una leucemia linfoblastica acuta di tipo B cellulare

il commento di VIVIANA PONCHIA



LA LUCE ITALIANA

NON bisogna andare troppo indietro, né cercare lontano. Tutti abbiamo avuto a che fare con la cosa che nemmeno si nominava. Per i medici con lo scrupolo di non spaventare i pazienti era semplicemente cappa. Nei necrologi diventava una lunga malattia. Il malato e suoi cari la vivevano come una condanna inappellabile. Misurata in tre o sei mesi dopo la fatidica domanda «quanto gli resta», il cancro era una guerra di trincea combattuta a costi altissimi e spesso invano. Oggi nei reparti oncologici tira un'altra aria. Li rivedo tutti con la flebo al braccio della chemio personalizzata, ad aspettare la conta dei bianchi e dei rossi pieni di speranza.

A parlarne non come di una tragedia privata ma come una battaglia comune dentro la quale condividere esperienza e conoscenza. Riconosco Raffaella e i suoi 32 anni in bilico da sei. Ha sommato tumori, moltiplicato e poi sottratto metastasi. È magra e senza capelli ma viva e ottimista.

Sa che si può vincere. Magari non sempre e ancora non tutti, però lei sente di avere vinto. La vedo discutere con i medici chiamando le cose con il loro nome. E vedo i medici rassicuranti, più per convinzione che per protocollo.

CI CREDONO, ci crediamo. Dalla trincea siamo passati all'attacco. Sono cambiate le cure e l'approccio. Non sarà mai un mal di denti ma non è più una spada. Ci si convive per anni. E se non si guarisce si viene a patti. Da quei reparti si esce più forti, malati e sani. E anche commossi quando il primario tira fuori l'ultimo numero di Science e sull'ultima ricerca pubblicata dice orgoglioso: «Sono dei nostri». C'è un bel po' di made in Italy nel cambio di prospettiva perché sempre più spesso sono italiani quelli che accendono una luce. Ripenso a chi ho cercato per lavoro e per disperazione, ma sono tantissimi. Li ringrazio tutti. Ufficiali in prima linea e gente di retrovia che sposta le padelle e porta buone notizie: complimenti, l'emoglobina si è alzata.

Focus

Si guarisce di più

Oggi in Italia il 63% delle donne e il 54% degli uomini colpiti dal cancro sconfiggono la malattia. Il dato (dell'Associazione italiana registro tumori) si riferisce alle persone che si sono ammalate nel 2005-2009. Dato migliore rispetto al 2000-2004 (60% donne, 51% uomini)

Soldi per la ricerca

Più di 118 milioni di euro per 650 progetti e nuovi programmi di ricerca. L'obiettivo è trovare nuove soluzioni per combattere il cancro. Ad alimentare la speranza è l'Associazione italiana per la ricerca sul cancro (Airc) e la Fondazione italiana per la ricerca sul cancro (Firc).

La prevenzione

Sono stati circa 35 milioni i cittadini residenti nella Unione Europea che, nel 2016, si sono sottoposti a programmi di screening tumorali. Il dato – contenuto nel rapporto dell'Agenzia internazionale per la ricerca sul cancro – è in netto miglioramento rispetto al precedente rilevamento del 2009.