

**MEDICINA**

**È firmata DiaSorin la tecnologia per la diagnosi ultrarapida delle leucemie**

FABIO DI TODARO

Mezzo secolo fa, quando fu scoperta, era vista come una condanna. Oggi la leucemia promielocitica acuta - caratterizzata dalla comparsa di emorragie cerebrali - può essere curata nella quasi totalità dei casi. La ricerca farmacologica ha fatto passi da gigante. Merito anche degli ematologi italiani, protagonisti di uno studio sul «New England Journal of Medicine» che ha «sminuito» il ruolo dei chemioterapici per evidenziare l'efficacia di un approccio ba-

sato sulla combinazione dell'acido retinoico (derivato della vitamina A) con il triossido di arsenico. Un anno dopo la diffusione dei dati il trattamento è stato definito come «gold standard». Ma l'effetto rimane legato ai tempi di intervento: più precoce è l'approccio, maggiori sono le chance di registrare un esito positivo. Come fare sì che l'istantanea della patologia venga scattata in tempo utile? Con la diagnostica molecolare. Se finora i campioni di sangue sono stati amplificati tramite la «Pcr», con tempi d'attesa mai inferiori alle quattro ore,

l'approccio del futuro potrebbe essere più immediato. In tre poli di ricerca - Bergamo, Bologna e Roma Tor Vergata - si sta completando la sperimentazione della tecnologia «Q-Lamp» (messa a punto da DiaSorin) in grado di amplificare il Dna in meno di mezz'ora. «Identificando in così poco tempo l'alterazione genetica alla base della malattia, si formuleranno diagnosi specifiche, necessarie per trattamenti adeguati - spiega Alessandro Rambaldi, direttore del dipartimento di oncematologia dell'ospedale Papa Giovanni XXIII di Bergamo - Finora la malattia è stata riconosciuta dall'occhio dell'ematologo, analizzando uno striscio di sangue. Ora, invece, la diagnosi sarà rapida e alla portata di qualsiasi pronto soccorso».

**ENDOCRINOLOGIA**

GIANNA MILANO

**Dal sogno di salvare i figli diabetici una rivoluzione con le staminali**

L'esperimento a Harvard: si generano cellule Beta-pancreatiche per l'insulina

«**M**io figlio Samuel aveva sei mesi quando scoprimmo che soffriva di diabete di tipo 1. E la stessa diagnosi venne fatta a mia figlia Emma, quando aveva 14 anni. Mi chiesi cosa fare. La risposta fu che le mie ricerche dovevano puntare a produrre, in fretta, dei risultati concreti per aiutarli».

A parlare è Douglas Melton, che dirige l'«Harvard Stem Cell Institute», laboratorio nato all'interno del celebre campus di Cambridge, negli Usa. E l'impazienza per trovare una cura per i figli, che oggi hanno 23 e 27 anni, è stata premiata. Dopo anni di

bertà, si aggira attorno al 3%.

Lo studioso racconta su «Cell» di essere riuscito a fare produrre insulina a staminali umane che, trapiantate in topi diabetici, hanno reagito al glucosio, producendo insulina, come fanno le cellule Beta del pancreas. «La tecnica è riproducibile, ma complessa», ammette Melton. Le staminali, infatti, sono state coltivate in cinque terreni di coltura e 11 diversi fattori molecolari - da proteine a zuccheri - sono stati

**Douglas Melton Biologo**

**RUOLO:** È DIRETTORE DELL'«HARVARD STEM CELL INSTITUTE»  
**IL SITO:** [HTTP://HSCI.HARVARD.EDU/PEOPLE/DOUGLAS-MELTON-PHD](http://HSCI.HARVARD.EDU/PEOPLE/DOUGLAS-MELTON-PHD)

aggiunti in precise combinazioni, fino a farle diventare cellule Beta-pancreatiche. «Ma l'aspetto più straordinario è che con questa tecnica si possono produrre 200 milioni di queste cellule in un recipiente da 500 millilitri. Quante ne bastano, in teoria, per un paziente».

Melton precisa che la tecnica ha funzionato sia utilizzando le staminali embrionali sia le pluripotenti indotte, le iPS, vale a dire cellule riprogrammate perché tornino a comportarsi come le embrionali (secondo un procedimento messo a punto da Shinya Yamanaka e che gli è valso il Nobel per la medicina). Un risultato particolarmente significativo: quando il dibattito sul ricorso alle staminali embrionali si accese negli Usa (e non solo) e si propugnava l'utilizzo delle adulte, che si trovano in vari tessuti umani,

non si è mai accesa l'idea di utilizzare le cellule Beta-pancreatiche per produrre insulina. Più importante, non sono state attaccate dal sistema immunitario: non si è cioè innescato il meccanismo autoimmune che causa la patologia. A quando, dunque, la sperimentazione sull'uomo?

E l'insulina è un ormone essenziale, dato che regola l'utilizzo del glucosio da parte delle cellule: quando scarseggia, non consente all'organismo di utilizzare gli zuccheri introdotti con l'alimentazione. In Italia le persone con diabete di tipo 1 sono 300 mila e l'incidenza a livello mondiale di questa malattia, che colpisce di solito prima dei 20 anni e più frequentemente durante la pu-



Douglas Melton nel suo laboratorio a Cambridge, Massachusetts

Melton si trovò, infatti, in prima linea. «Come accade per qualsiasi innovazione scientifica che tenta di spostare in avanti le frontiere della conoscenza, la ricerca sulle staminali suscita forti controversie. Non tutti i tessuti adulti possiedono le staminali e non ne ha il pancreas, per esempio. Quanto

all'idea che si potessero raccogliere dalla milza e utilizzare contro il diabete - spiega - si è dimostrata infondata».

I topi con diabete curati con le staminali sono monitorati da mesi e le cellule Beta-pancreatiche hanno continuato a produrre insulina. Più importante, non sono state attaccate dal sistema immunitario: non si è cioè innescato il meccanismo autoimmune che causa la patologia. A quando, dunque, la sperimentazione sull'uomo?

Nell'attesa della risposta queste cellule aiutano il team dello «Stem Cell Institute» di Harvard a studiare meglio la malattia. «La tecnica offre

enormi potenzialità, perché dà la possibilità di creare modelli di ricerca per le basi genetiche del diabete o per mettere a punto terapie capaci di accrescere la funzionalità delle cellule Beta», ha sottolineato a «Science» Jorge Ferrer, che studia le cellule Beta all'Imperial College di Londra. Quanto a Melton, ha dichiarato che il suo laboratorio possiede diverse linee cellulari di cellule iPS di persone con diabete, sia di tipo 1 che 2: quest'ultimo è il cosiddetto «diabete dell'adulto», nel quale le cellule Beta-pancreatiche non vengono di-

**IL RIGETTO**

Problema che sembra essere già stato risolto nei topi di laboratorio

strutte dal sistema immunitario. E da queste linee stanno ora producendo altre cellule Beta alla ricerca di differenze che possano spiegare come si sviluppano le due diverse forme di malattia. I test consentiranno anche di passare al setaccio una serie di sostanze chimiche in grado di bloccare o invertire i danni che il diabete procura alle cellule Beta.

Melton ha fatto sapere che il figlio e la figlia si sono detti felici, ma che lo hanno gentilmente rimbrottato, perché il problema del rigetto immunitario, apparentemente risolto nei topi, lo sia anche negli esseri umani. Non appena si passerà alla sperimentazione sull'uomo della sua rivoluzionaria tecnica.