

il casoSARA RICOTTA VOZA
MILANO

Apochi giorni dal declassamento dell'Italia da parte di Standard & Poors, un'istituzione forse anche più prestigiosa - la rivista «Science», vero benchmark della ricerca scientifica internazionale - oggi pubblica il «paper» di uno studio tutto italiano che per la prima volta al mondo dimostra che la terapia genica funziona anche contro due gravi malattie genetiche che colpiscono i bambini. E lo fa attraverso il famigerato virus Hiv, quello dell'Aids.

Come sempre quando si parla di ricerca scientifica, un successo come questo ha radici lontane e tempi lunghi, passati attraverso accelerazioni e delusioni, storie spesso non a lieto fine che hanno richiesto a ricercatori e famiglie dosi massicce di pazienza. Tutto è iniziato diciassette anni fa con l'intuizione di un allora giovane scienziato italiano andato a studiare in California e convinto che il virus dell'Hiv presentasse alcune caratteristiche che lo rendevano particolarmente efficace come vettore per la terapia genica.

Luigi Naldini, questo il nome, non ha più i riccioli di quando era un «cervello in fuga», ma l'Istituto Tiget per la terapia genica che dirige all'ospedale San Raffaele di Milano oggi vede il doppio riconoscimento ufficiale dell'efficacia di quella sua intuizione. I due studi pubblicati su «Science» dimostrano infatti che sei bambini provenienti da tutto il mondo (uno è ita-



Il professor Naldini in cima alla «piramide» del suo team all'Istituto Telethon San Raffaele (Tiget)

Dal virus Hiv la speranza per le malattie genetiche

Su «Science» i risultati di uno studio italiano finanziato da Telethon

liano), dopo tre anni di trattamento, stanno bene e mostrano significativi benefici.

Uno di loro, Jacob, americano di Philadelphia, è tra i pochi piccoli malati ad aver fatto viaggi della speranza «al contrario», dagli States all'Italia. Lui che a tre mesi si è visto diagnosticata la sindrome di Wiskott-Aldrich, doveva vivere isolato e sempre protetto da un casco per evitare cadute

e infezioni che avrebbero potuto essergli fatali. Oggi sta bene e potrà finalmente correre, giocare e andare all'asilo come gli altri.

La malattia di Jacob è infatti una immunodeficienza che colpisce i bambini maschi e si manifesta con infezioni ricorrenti e emorragie dovute alla mancanza di piastrine. L'altra malattia trattata, la leucodistrofia metacromatica, è invece neurodege-

nativa e attacca il sistema nervoso facendo perdere ai bambini - nati apparentemente sani - la capacità di muoversi, parlare, mangiare autonomamente.

I ricercatori del Tiget che hanno firmato i due lavori - Alessandro Aiuti per la sindrome di Wiskott-Aldrich, Alessandra Biffi per la leucodistrofia metacromatica - hanno in sostanza somministrato alle cellule staminali dei pazienti una

La Fondazione

Dalla maratona tv alla ricerca top

■ Nato nel 1995 da una joint-venture tra il San Raffaele e la Fondazione Telethon, l'Istituto San Raffaele-Telethon per la terapia genica (Tiget) rappresenta un centro di eccellenza a livello internazionale. A oggi sono 50,6 milioni di euro i fondi investiti da Telethon in questo istituto, di cui 19 sulle due malattie che oggi hanno trovato una cura. «Possiamo dire di aver realizzato un modello in cui la charity agisce non soltanto da ente finanziatore», commenta il direttore generale di Telethon Francesco Pasinelli. «Per questo ringrazio i donatori italiani: sono loro i nostri primi azionisti».

«Mi dicevano: ma non penserà mica di usarla sull'uomo?»

3 domande a
Luigi Naldini
ricercatore

Professor Naldini, come ebbe «l'intuizione», 17 anni fa? «Ero al Salk Institute di San Diego, la terapia genica aveva già iniziato a dare risultati ma c'era il problema dei vettori, che erano poco efficienti. Ci si chiedeva perché e lo si attribuiva al meccanismo per cui i virus entrano nelle cellule. Proprio in quegli anni il flagello dell'Aids fece sì che quel virus fosse molto studiato e una delle proprietà era proprio che entrava in modo efficiente...».

È vero che dopo la pubblicazione su «Science» le dissero: «Non penserà mica di utilizzarlo sull'uomo?»

«In effetti l'idea era eccentrica, e che funzionasse era tutto da dimostrare. Presentai questi risultati a uno dei primi congressi sulla terapia genica a Seattle e tutti mi fecero complimenti, ma capivo che l'Hiv faceva molta paura».

Ma come può essere terapeutico un virus che dà origine all'Aids?

«L'idea della terapia genica è di usare i geni come farmaci, introducendo un gene funzionante che sostituisca quello difettoso. Lo si fa attraverso virus ingegnerizzati; quello tristemente noto che dà origine all'Aids l'abbiamo modificato e non è più infettivo. Ma mantiene la sua naturale capacità di introdursi nelle cellule e trasferirvi materiale genetico».

[S.R.V.]

HAVAS WORLDWIDE



207 Plus GPL a sole 9.900€*
5 porte, clima e radio CD MP3.

Grande **P**roposta di **L**uglio

PEUGEOT RACCOMANDA TOTAL Valori massimi ciclo combinato, consumi: 7,8 l/100 km; emissioni CO₂: 145 g/km.

Non si è mai visto un GPL a questo prezzo! 207 Plus GPL 5 porte con clima e radio CD MP3 a sole 9.900 €. *Ma solo con l'esclusiva formula "Peugeot Advantage" che include: finanziamento a 60 mesi, 5 anni di garanzia e 5 anni di Antifurto con polizza incendio furto. Ma affrettati! Scade il 31 luglio. Info su Peugeot.it

Esempio di finanziamento 207 Plus GPL 5 porte prezzo di listino chiavi in mano di € 14.200; prezzo promo € 10.800. E acquistandola con l'esclusiva formula "Peugeot Advantage" solo € 9.900, iva e messa su strada incluse (IPT esclusa) con rottamazione di vetture immatricolate ante 2004. Anticipo € 1.800; 60 rate mensili da € 195. Importo totale del credito € 8.450 importo totale dovuto € 10.260. Imposta sostitutiva sul contratto in misura di legge spese pratica € 350, spese di incasso mensili € 3,50, **Tan fisso 7,92%, Taeg 11,25%**. La rata comprende i servizi facoltativi Peugeot Security (contratto di estensione di garanzia per 5 anni o fino a 60.000 km) e servizio Relax (Antifurto Identifar con copertura furto incendio - Prov. PR), importo mensile dei servizi € 20,50. Info europee di base sul credito ai consumatori presso le Concessionarie. Salvo approvazione Banque Psa Finance-Succursale d'Italia. Offerta non cumulabile, valida sulle vetture in pronta consegna contrassegnate ed immatricolate entro il 31/07/2013, nelle Concessionarie aderenti all'iniziativa.

PEUGEOT 207 PLUS

MOTION & EMOTION



PEUGEOT