

## Il caso. Paralizzato da anni, ora cammina grazie alle staminali

**Strordinario risultato di un protocollo dell'University college di Londra: all'uomo sono state impiantate nel midollo cellule del naso**

**A**i microfoni dei telegiornali di mezzo Pianeta i medici lo paragonano già al primo uomo sulla Luna. Lui, Darek Fidyka, sorride, alza il piede e muove un altro passo. Poco importa, la Storia, per un uomo che appena quattro anni fa si era sentito dire che non avrebbe mai più camminato, che la sua vita era stata spezzata da una coltellata alla schiena. Alla fine, a salvarlo, è stato il suo naso. E lo straordinario potere delle cellule staminali olfattive: che, trattate secondo un protocollo unico sperimentato per la prima volta dall'University College di Londra, hanno fatto ricrescere i tessuti nervosi di Derek fino a riparare il suo midollo spinale.

Il trattamento è stato effettuato in Polonia da chirurghi locali in collaborazione con gli scienziati a Londra. Il primo passo è stato prelevare speciali cellule olfattive, che agiscono normalmente aiutando le fibre nervose del naso a rinnovarsi continuamente. Nella prima delle due operazioni i chirurghi hanno rimosso uno dei bulbi olfattivi del paziente e hanno coltivato le cellule in coltura. Due settimane più tardi hanno trapiantato queste cellule nel midollo spinale, spezzato dalle coltellate. Di lì la sfida più grande: un intenso percorso di potenziamento muscolare (5 ore al giorno, 5 giorni a settimana), le prove, gli esami. Finché tre mesi dopo l'operazione,

Darek ha iniziato a recuperare il muscolo della gamba sinistra e a percepire caldo, freddo, dolore. Altri tre mesi ed era in grado di muovere i primi passi con il supporto di un fisioterapista. Ora, a due anni dal trapianto, può camminare al di fuori del centro di riabilitazione utilizzando una speciale imbracatura. E può anche guidare. Camminare di nuovo è stata «una sensazione incredibile. Quando non riesci a sentire quasi metà del tuo corpo – racconta Darek – sei impotente. Ma quando la sensazione ritorna è come se tu nascessi di nuovo». La stessa, incredibile prospettiva che ora si apre per tutte le persone paralizzate. (V. Dal.)



Darek Fidyka sulle sue gambe, in clinica

### LA CELL FACTORY

#### Forte la sinergia con l'Università Cattolica per lo sviluppo di nuovi farmaci biologici

Si chiama "cell factory" ed è unica nel Centrosud Italia per dimensioni a capacità di sviluppo: è una vera e propria officina farmaceutica all'interno della quale opereranno i ricercatori della società Xellbiogene, nata lo scorso anno su iniziativa del Bambino Gesù e dell'Università Cattolica del Sacro Cuore - Policlinico Gemelli. I due soggetti hanno investito 20 milioni di euro. L'azienda avrà a disposizione 1.200 metri quadrati con 13 locali asettici nel polo romano di San Paolo fuori le Mura dell'Ospedale Bambino Gesù. Si occuperà dello sviluppo, della produzione e del rilascio di nuovi farmaci biologici impiegati sia in sperimentazioni cliniche, sia nelle terapie consolidate, per trattare quelle malattie che non hanno ancora cure definitive, tra cui alcune leucemie, tumori solidi e molte malattie rare. Farmaci e attività di Xellbiogene saranno offerti non solo agli ospedali fondatori ma anche ad enti di ricerca, aziende farmaceutiche, ospedali e charity. Le procedure per l'accreditamento da parte dell'Aifa (Agenzia italiana del farmaco) finalizzato alla produzione e al rilascio dei farmaci sono state avviate quest'anno. (V. Sal.)



Il cardinale Pietro Parolin benedice il nuovo polo romano dell'Ospedale Bambino Gesù

# «Scienza e carità servono l'uomo»

## Parolin inaugura i nuovi laboratori del Bambino Gesù

VITO SALINARO  
ROMA

**C**on l'inaugurazione dei nuovi laboratori di ricerca e sviluppo della sede romana di San Paolo fuori le Mura, l'Ospedale Bambino Gesù diventa il più importante polo pediatrico d'Europa e può guardare alle sfide di domani. Alle malattie incurabili, prima di tutto. Il progetto è in linea con la vocazione del nosocomio della Santa Sede richiamata dal Segretario di Stato, cardinale Pietro Parolin, per il quale il valore scientifico e gli investimenti non possono essere disgiunti dall'attenzione agli ultimi, perché «il grado di civiltà di una società si misura soprattutto dalle attenzioni che essa riserva e per le energie che spende a favore delle categorie più deboli». Il cardinale ha citato «malati, carcerati, disoccupati, profughi». La solidarietà e la cura dei più deboli sono infatti tra le «testimonianze più credibili del-

la fede della Chiesa».

L'opera inaugurata ieri è dedicata alla ricerca ed è attrezzata con le più moderne tecnologie per le indagini genetiche e cellulari. «Una nuova tappa», l'ha definita il cardinale Parolin, di un nosocomio che «ospita anche un'Officina farmaceutica per terapie innovative»; quello messo in campo è «un corale impegno volto a garantire che l'Ospedale venga dotato di tutti gli strumenti che la scienza moderna offre al servizio dei piccoli malati e della società». Tutti i Papi, ha sottolineato Parolin, «da Pio XI a Francesco», hanno interpretato la missione del Bambino Gesù come «un chiaro esempio della carità pastorale». E come opera di carità del Papa, il Segretario di Stato ha chiesto che questo polo «diventi una istituzione sempre più esemplare sotto tutti i profili, un mo-

**Il Segretario di Stato Vaticano nel polo di San Paolo fuori le Mura dell'ospedale: il grado di civiltà si misura dall'attenzione ai deboli**

dello di serietà professionale, di trasparenza, di accoglienza umana e cristiana, un ambiente dove tutti si sentano protagonisti e, se necessario, anche disposti ad accettare sacrifici per il bene dei piccoli pazienti» che, in quanto tali, hanno bisogno anche «di un'atmosfera che il più possibile si avvicini a quella familiare».

Dal canto suo, il presidente dell'Ospedale, Giuseppe Profiti, ha parlato di un «progetto che nasce dalle esigenze dei bambini e guarda al futuro», nelle consapevolezze che «che solo la ricerca farà compiere passi in avanti all'assistenza sanitaria, impensabili fino a qualche anno fa». I 26 milioni di euro investiti per attrezzare il nuovo polo, a cui si aggiungono i 15 milioni di budget l'anno, frutto dei progetti di ricerca e dei servizi scienti-

fici prodotti, «rappresentano probabilmente il più grande investimento diretto nella ricerca fatto in Italia negli ultimi anni», ha poi riferito Profiti. Investimento «destinato ad avere nei prossimi anni un elevato tasso di rendimento, non solo sul piano scientifico» che si traduce in «un volano per l'economia dell'intero Paese con benefici tangibili sul piano sociale».

Bruno Dallapiccola, direttore scientifico del polo, ha evidenziato il forte potenziamento delle attività di ricerca, finalizzate «allo studio delle basi biologiche delle malattie e alla loro terapia. È dotato di piattaforme tecnologiche di ultima generazione appositamente dedicate a questi tipi di studio grazie ai quali si potranno avere nuovi strumenti per classificare malattie "orfane", disegnare programmi personalizzati di terapia e di presa in carico». Ancora con un ruolo da protagonisti. Proprio come impone la storia dell'Ospedale lunga 145 anni.

## La sfida. «Nel 2020 potremmo conoscere il "difetto" di ottomila malattie rare»

ROMA

**P**asseggi nei laboratori sterili dei nuovi laboratori dell'Ospedale pediatrico Bambino Gesù e dall'entusiasmo degli scienziati che ci lavorano intuisce che nella delicata e complessa fase che porta ad isolare, conservare, manipolare ed espandere le cellule, sta la comprensione delle basi biologiche delle malattie, la loro diagnosi precoce, e le loro rivoluzionarie terapie. Molte delle risposte alle più insidiose patologie che affliggono l'uomo usciranno da questi laboratori.

Perché le strutture sanitarie d'avanguardia del terzo millennio non staranno in piedi se alla classica assistenza non sarà affiancata una struttura disegnata per leggere, comprendere e tradurre le basi del "fenomeno malattia" e quindi approntare il percorso di cura e il prodotto clinico. È questa la filosofia che spinge l'ospedale della Santa Sede, sorto nel 1869, e oggi il più importante centro pediatrico integrato (ricerca-assistenza) d'Europa e uno dei primi al mondo, ad inaugurare il nuovo polo di ricerca di Roma San Paolo.

Dei 22.000 metri quadrati complessivi destinati alle attività cliniche, ben 5.000 sono infatti dedicati alla ricerca. Strategie che le aree di sviluppo sulle quali si misureranno le competenze e le idee di 200 ricercatori: genetica e malattia rare, malattie multifattoriali e caratteri complessi, oncematologia, immunoterapia e farmacoterapia. La nuova struttura, che ha richiesto un investimento di 26 milioni di euro, ospita anche moderni laboratori diagnostici di genetica medica e citogenetica, oncematologia, biobanche e una "cell factory", dedicata alla produzione su larga scala di terapie avanzate, sia genetiche sia cellulari. Facile capire l'attenzione dei vertici del nosocomio su questi aspetti: i ricoveri pediatrici dovuti a malattie genetiche o a larga componente genetica, costituiscono una percentuale oscillante tra il 50 e il

**Le terapie genetiche e molecolari in oncematologia, immunoterapia, patologie poco note e multifattoriali, impegneranno 150 ricercatori nel più importante polo pediatrico integrato d'Europa**

70%. A questa domanda di cure il Bambino Gesù, con i suoi 2.600 collaboratori, risponde con 40 specializzazioni rivolte ad un'utenza enorme: quasi il 45% della domanda pediatrica nazionale (27.000 i ricoveri annuali). Che può raccogliere le immediate ricadute di una ricerca traslazionale avanzata, capace di accreditare il nosocomio tra gli Irccs (Istituto di ricovero e cura a carattere scientifico) e di far raddoppiare, negli ultimi cinque anni, la produzione scientifica, fino a raggiungere (è il traguardo previsto a fine 2014) i 2.200 punti di Impact factor, l'indice che misura il numero di citazioni nelle riviste scientifiche.

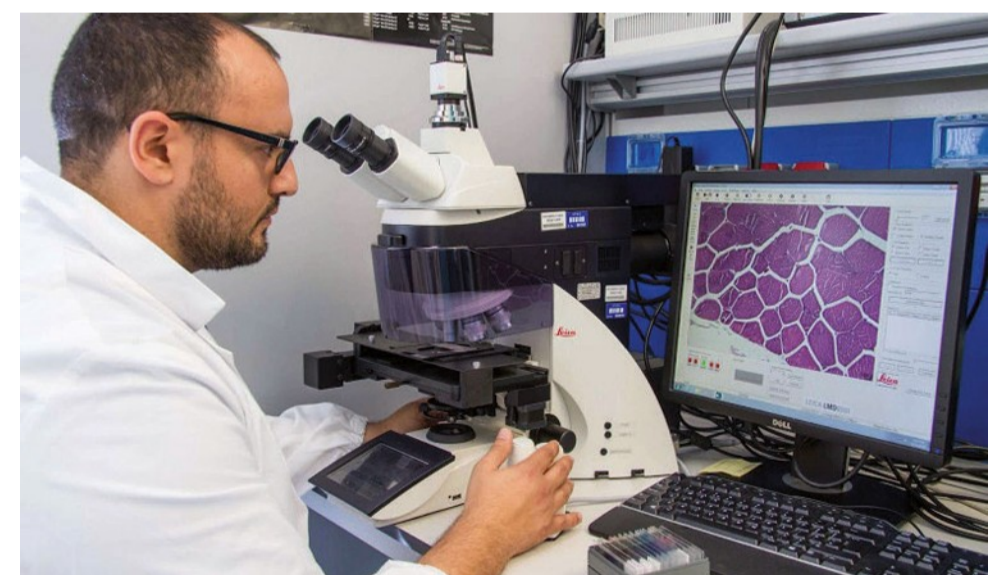
È grazie alla ricerca che gli scienziati del Bambino Gesù da decenni sono un riferimento internazionale. Solo per fare un esempio, qualche mese fa hanno messo a punto una tecnica di manipolazione cellulare, applicata con successo per la prima volta al mondo, che rende possibile, anche in assenza di un donatore completamente compatibile, il trapianto di midollo da uno dei due genitori di bimbi colpiti da immunodeficienze severe, da patologie genetiche rare, da leucemie e da altri tumori del sangue: le percentuali di guarigione sono sovrapponibili a quelle ottenute con un donatore perfettamente idoneo. La sfera dei tumori del sangue e di quelli solidi, delle

malattie rare e ultra rare e quella che si riferisce alle malattie metaboliche, rappresenta la priorità della ricerca del Bambino Gesù. Che investe tanto l'identificazione biologica della malattia, quanto il fronte terapeutico.

Si può essere ottimisti: «Nell'ultimo decennio – spiegano dall'Ospedale – si è consolidata una nuova dimensione della medicina, che fa sempre più riferimento ai meccanismi biologici delle malattie e si focalizza sulle caratteristiche genomiche individuali». Le innovazioni tecnologiche, che hanno accelerato di 100mila volte, negli ultimi 14 anni, il processo di decodificazione delle basi genetiche delle malattie e hanno abbattuto di 100mila volte i costi delle analisi, hanno prodotto «una vera e propria rivoluzione nella biomedicina». In particolare, l'applicazione delle recenti conoscenze genetiche «propone di sviluppare la "medicina personalizzata", fondata sulle informazioni presenti nel genoma individuale» che, una volta decryptate, «dovrebbero essere in grado di anticipare la probabilità di ammalarsi di una determinata malattia». In questo modo sarà possibile orientare gli stili di vita e adottare misure utili a prevenire, a impedire o a rallentare l'insorgenza. È un grande obiettivo. Come quelli di continuare a sviluppare farmaci "ad uso di bambino"; di sperimentare terapie indirizzate ai piccoli pazienti che soffrono di malattie del metabolismo; di consolidare il ruolo di unico ospedale pediatrico in Europa autorizzato ad effettuare tutti i trapianti possibili nel bambino. E pure, nell'ambiziosa lista di obiettivi condivisa a livello internazionale, c'è quello di riuscire, entro il 2020, a definire il difetto molecolare responsabile delle 8.000 diverse condizioni patologiche che vivono i bambini affetti da malattie genetiche e rare. Per un ospedale che si è fatto carico della più ampia casistica nazionale di pazienti pediatrici affetti da malattie rare e che negli ultimi anni ha scoperto decine di geni-malattia, dare un contributo decisivo non è un risultato impossibile.

Vito Salinaro

© RIPRODUZIONE RISERVATA



## Un volano per l'economia

**A** guardare gli indici dell'attività scientifica in Italia negli ultimi 10 anni si potrebbe andare fieri, almeno per quanto riguarda le scienze biomediche: perché fatto l'indice mondiale, il nostro Paese ha raggiunto nel 2010 il valore di 1,4 competendo dunque alla pari con le nazioni più avanzate. Ma se prendiamo in esame il 2012 e il 2013 questo valore non si è praticamente mosso, a causa dell'incapacità del sistema Paese di muoversi, di stare al passo con la rivoluzione in atto nel campo biotecnologico. Eppure gli indicatori evidenziano che a un dinamismo dei tassi di ricerca corrisponde, negli stessi anni di riferimento, un aumento della ricchezza nazionale di un Paese e del valore aggiunto nei settori delle biotecnologie, della farmaceutica e quello delle scienze nella vita in generale. Il Centro di San Paolo fuori le Mura, a Roma, favorirà l'attrazione di investimenti italiani ed esteri, coinvolgerà ricercatori in-

ternazionali ad "alto potenziale", contribuendo così a contenere anche la "fuga" dei migliori cervelli italiani, troppo spesso convinti dalle opportunità incontrate in altri contesti. Non a caso, progetti di ricerca e servizi scientifici fruttano già alle casse del Bambino Gesù qualcosa come 15 milioni di euro l'anno. E il Bambino Gesù è il primo istituto clinico a cui è stato affidato un progetto europeo di alta tecnologia (Md-Paedegree) con un finanziamento di 12 milioni di euro. L'Ospedale, nel suo progetto di sviluppo che guarda all'estero, vuole diventare un punto di riferimento per l'intero bacino del Mediterraneo, una sorta di «ponte naturale – ci tengono a sottolineare dal nosocomio – per una rete di collaborazioni attraverso le quali riversare conoscenza, con tempi e costi ridotti, verso quei Paesi che chiedono sempre più anche aiuti di questo genere». (V. Sal.)

© RIPRODUZIONE RISERVATA

### I numeri

45%

LA QUOTA DI BAMBINI SU BASE NAZIONALE SEGUITA AL BAMBINO GESÙ

26 MILIONI

L'INVESTIMENTO DESTINATO AL NUOVO POLO INAUGURATO IERI A ROMA

22.000

I METRI QUADRATI DESTINATI COMPLESSIVAMENTE ALLE ATTIVITÀ CLINICHE