

«Strumento per aiutare i malati»

intervista

Il biologo Vescovi: cominceremo con 10-12 pazienti. I nostri chirurghi sono già andati negli Usa a vedere un trial simile

DI ENRICO NEGROTTI

«**S**i tratta di un passaggio fondamentale, indispensabile per arrivare a una sperimentazione clinica. Ora speriamo di partire con la fase 1 tra sei-otto mesi». Il biologo Angelo Vescovi, direttore scientifico del Laboratorio cellule staminali di Terni, intravede finalmente l'opportunità di testare sui malati una possibile speranza di cura: «Quando avremo il via libera, cominceremo su 10-12 pazienti affetti da sclerosi laterale amiotrofica, che verranno selezionati in tutta Italia. I nostri neurochirurghi sono an-

dati a vedere come opera Nicholas Boulis, che ha già iniziato un analogo esperimento ad Atlanta (Stati Uniti). Ma in futuro le cellule potranno essere usate anche per trial clinici per altre malattie».

Cosa ha comportato ottenere la certificazione di Buone norme di fabbricazione (Gmp) per le vostre cellule?

Occorreva certificare che le cellule sono sicure per l'utilizzo nei pazienti, ma non si trattava solo di una questione burocratica. Per farlo occorreva stabilire parametri: ma il pannello delle caratteristiche tecniche (come i messaggi funzionali e molecolari delle cellule), per poterlo di-

mostrare non esisteva nella «Farmacopea» standard, ha dovuto essere disegnato da una ricerca che si è fatta normativa: il tutto per proteggere i pazienti. In più effettuiamo sulle nostre cellule controlli e saggi ulteriori rispetto a quelli previsti dalle norme Gmp: bisogna avere una sicurezza assoluta, perché le cellule devono essere trapiantate nei pazienti.

Quali passi seguiranno per arrivare alla sperimentazione clinica?

Il primo è l'autorizzazione per utilizzare lo strumento chirurgico che deve iniettare le cellule nel midollo spinale del paziente. Si tratta in questo caso di una cornice metallica con siringa annessa, che è stata autorizzata negli Stati Uniti dalla Food and Drug Administration per una sperimentazione simile alla nostra, ma che in Europa deve dimostrare di essere a norma CE. Il confronto all'Istituto superiore di sanità è molto avanzato, e ci auguriamo di arrivare al via libera entro due settimane.

Che cosa stanno facendo negli Stati Uniti?

Il neurochirurgo Nicholas Boulis (della Emory University di Atlanta, Georgia) ha disegnato un protocollo chirurgico e – potendo contare su 20 milioni di dollari – dalla scorsa estate ha iniziato a trapiantare cellule (per conto di una società biotecnologica statunitense) in pazienti affetti da Sla. Ha già eseguito l'intervento su sei pazienti: i nostri neurochirurghi Cesare Giorgi e Sandro Carletti

sono già andati a trovarlo per un confronto.

Quanto ci vorrà poi per approvare il protocollo di fase 1?

Questo è meno prevedibile. Adesso torneremo alla commissione di fase 1, e oltre alla certificazione cellulare presenteremo il protocollo per gli esperimenti per valutare la non tossicità: la commissione può dare il via

libera o chiedere un approfondimento di indagine, che prevedo possa durare non più di sei-otto mesi.

Come avverrà la scelta dei pazienti? Anche questo è un dato che viene deciso dalla commissione presente all'Istituto superiore di sanità (e dipende anche dai finanziamenti): noi faremo richiesta per circa 10-12 pazienti, e prevediamo di seguirli per un follow-up di sei mesi-un anno dopo il trapianto delle cellule. Se non vi saranno reazioni acute o subacute, è anche possibile che ci venga concesso di ampliare il numero dei malati, che comunque verranno selezionati in tutta Italia. È qualcosa che è consueto in questo tipo di trial, considerando anche si tratta di una malattia letale, nella quale sarebbe poco compassionevole non agire. Quanto alla tipologia dei malati, noi proporremo di iniziare su persone con uno stadio medio-avanzato di compromissione motoria, ma con una buona capacità respiratoria, perché si tratta pur sempre di sottoporli a una procedura chirurgica, che rappresenta un piccolo rischio. La commissione comunque potrebbe chiederci caratteristiche diverse. Ma le nostre cellule, ora che sono certificate, potranno essere usate in esperimenti per altre patologie.

Diceva che il numero dei pazienti da trattare dipenderà anche dai finanziamenti. Quanto è costato tutto il lavoro?

Finora abbiamo utilizzato due milioni raccolti principalmente dalla onlus Neurothon. Altri fondi per un milione e 400mila euro sono venuti dalla Fondazione Glaxo, e ora il ministero della Salute interverrà con un altro milione e mezzo. Tenga presente che tra Milano e Terni è al lavoro una dozzina di persone.