

Per la prima volta, la terapia genica diventa un farmaco

Arriva in Europa il medicinale basato sulla correzione di un gene difettoso. Servirà per una malattia del metabolismo e aprirà la strada ad altre cure simili.

L'agenzia europea per i medicinali (Ema) ha approvato la prima terapia genica del mondo occidentale: il farmaco Glybera, della danese UniQure, per una malattia ereditaria del metabolismo, l'iperlipidemia. Ossia una produzione eccessiva di grassi nell'organismo. La messa in commercio del prodotto è attesa per la seconda metà del 2013.

A oggi si stima che siano oltre 3 mila le malattie ereditarie a causa di un singolo gene mutato. Con la tecnologia dello Glybera, copie funzionanti del gene Lpl vengono reintrodotti nei pazienti, ripristinando la produzione di un enzima (la lipasi) assente o mal funzionante.

L'approvazione è un passo storico nel campo della terapia genetica, che cerca di affermarsi da quasi vent'anni. L'idea di reinserire copie sane di geni difettosi si è rivelata tanto attraente quanto difficile da eseguire. Molti test clinici sono stati condotti sin dagli anni Novanta, con scarso successo. L'approvazione potrebbe spingere più industrie farmaceutiche a investire nel settore. Negli ultimi anni, i ricercatori che, nel mondo, lavorano alla terapia genica hanno riportato effetti positivi su cavie affette da anemia falciforme e daltonismo. In casi particolari si è riusciti a trattare le metastasi dei tu-

mori della pelle, contenere malattie del sangue e del cervello e tenere sotto controllo il virus Hiv.

Nell'agenda dell'Ema c'è ora un'altra terapia genica per il trattamento di una grave immunodeficienza nei bambini (quelli che un tempo venivano chiamati «bambini nella bolla»). Sponsorizzata dall'inglese GlaxoSmithKline, è in corso di sviluppo all'ospedale San Raffaele di Milano e potrebbe essere approvata entro i prossimi 2 anni.

(Riccardo Guidi)