

Prima Pagina

dal 20/10/2014 al 26/10/2014 ▾

Giovedì 23 Ottobre 2014

OSPEDALE BAMBINO GESÙ

**Terapie geniche:
150 ricercatori
scrivono il futuro**

Bruno Dallapiccola, genetista e direttore scientifico: "Nella Cell factory svilupperemo farmaci cellulari (cellule manipolate) per il trattamento di leucemie e tumori dei bambini, e per interventi di terapia genica". Impegno anche sul fronte delle 7-8mila malattie rare. "Conosciamo le basi biologiche solo di 3500. Il nostro obiettivo di qui al 2020 è decriptare il meccanismo alla base di queste patologie"

Giovanna Pasqualin Traversa

Cinquemila metri quadrati con le più moderne tecnologie per indagini genetiche e cellulari. Un investimento di 26 milioni di euro. Si tratta dei nuovi laboratori dell'Ospedale Bambino Gesù, nella struttura di San Paolo Fuori le Mura a Roma, inaugurati il 21 ottobre dal cardinale segretario di Stato vaticano Pietro Parolin. Centocinquanta ricercatori si occuperanno di genetica e malattie rare, malattie multifattoriali e caratteri complessi, oncematologia, immunoterapia e farmacoterapia. Al suo interno anche una Cell factory per la produzione su larga scala di terapie avanzate. Ne abbiamo parlato con **Bruno Dallapiccola**, genetista e direttore scientifico del Bambino Gesù.

**Professore, qual è il valore e l'unicità di questo nuovo polo?**

"Si tratta di una struttura senza equivalenti in Europa. Nella Cell factory svilupperemo farmaci cellulari (cellule manipolate) per il trattamento di leucemie e tumori dei bambini, e per interventi di terapia genica. Il secondo aspetto da sottolineare è la grande innovazione tecnologica: l'investimento, solo per i nuovi macchinari, è stato di 9 milioni di euro. Esistono circa 7-8mila malattie rare. Conosciamo le basi biologiche solo di 3500. Il nostro obiettivo di qui al 2020 è decriptare il meccanismo alla base di queste patologie, scoperto il quale si potranno sviluppare programmi di presa in carico e terapia molto più mirati, nonché fornire informazioni alle famiglie anche in vista di un'eventuale nuova gravidanza".

Oltre che sulle malattie rare, la vostra ricerca si concentra sulle malattie complesse...

"Occorre leggere nella sua interezza il genoma di queste patologie - asma, obesità, autismo - con forte componente genetica ma anche ambientale. Leggere il genoma significa capirne le variazioni che predispongono ad esse cercando di cogliere l'interazione con l'ambiente inteso come alimentazione, stile di vita, ma comprensivo anche del carico di batteri che ognuno di noi si porta, e che modula il nostro genoma".

E poi le malattie oncologiche...

"Leucemie e tumori nascono da modificazioni del patrimonio ereditario. Dietro queste variazioni ci possono essere meccanismi biologici. La ricerca va a sottoclassificarne i vari tipi perché ognuno ha risposte diverse ai farmaci, e per il successo della terapia fino alla guarigione (oggi fino al 75% dei casi) bisogna agire con trattamenti specifici".

Lei sottolinea l'importanza della ricerca traslazionale: di che si tratta?

"È una ricerca i cui risultati giungono immediatamente al letto del paziente. In Italia, ad esempio, il 25 - 30% dei bambini è obeso. Di questi, i due terzi sviluppano degenerazione grassa del fegato con rischio di epatite fino alla cirrosi. Abbiamo scoperto il meccanismo che c'è dietro la steatosi epatica e sviluppato un test sulla saliva del bambino che consente di capire quali piccoli siano più predisposti a sviluppare questa degenerazione del fegato e quali possono avere una risposta migliore al trattamento. In oncematologia abbiamo raggiunto un risultato importantissimo in materia di trapianto di midollo. Il midollo dei genitori, donatori ideali, è uguale solo al 50%, quindi destinato al rigetto, ma siamo riusciti a rimuovere le cellule responsabili di questo rigetto e ora il trapianto genitori-figli conosce un successo pari all'80%, uguale a quello di un midollo al cento per cento compatibile. Infine la rivoluzione robotica per la riabilitazione a Palidoro e Santa Marinella: la costruzione di esoscheletri che permettono ai bambini con grave disabilità di rimettersi in piedi e di camminare di nuovo".

Eppure nel nostro Paese la ricerca continua ad essere considerata una "cenerentola"...

"In un'Italia bastonata e che fatica a risollevarsi, la ricerca funziona, marcia, può essere motore di rilancio, a condizione che la politica recuperi questo tema scomparso dal suo linguaggio. In occasione del suo secondo insediamento nel gennaio 2013, Obama ha dichiarato che ogni dollaro investito

nella ricerca per il genoma umano ha avuto una ricaduta di 140 dollari. Non un costo ma un investimento: senza la ricerca l'Italia non potrà salvarsi, eppure oggi l'unico ente che la finanzia è il ministero della Salute, malgrado l'eccellenza dei nostri ricercatori".

Un settore cui dedicate particolare attenzione è la medicina predittiva...

"Parte del nostro destino è scritta nei geni. Tramite le analisi genomiche possiamo leggere le storture all'interno di questo patrimonio e utilizzare le informazioni per predire l'eventuale rischio e intervenire affinché esso non si realizzi".

Una "medicina del futuro" molto promettente ma con alcune ombre...

"È un'arma a doppio taglio. Oggi alcuni stanno tentando di tracciare una carta di identità genetica attraverso il concepimento in vitro delle coppie di genitori, ma a monte dei circa 2mila studi in materia su oltre 250mila malattie, i risultati pratici si contano sulle punte delle dita. Proliferano siti e test predittivi del tutto privi di fondamento scientifico. Ormai la pretesa del figlio perfetto fa sì che ci sia un abuso della ricerca genetica. Eppure, noi siamo tutti geneticamente imperfetti e possediamo, mediamente, 110 variazioni genetiche correlate con delle malattie. Se non è mirata a un reale beneficio, questo tipo di ricerca è inutile, anzi dannoso. Occorre vigilare, 'morigerare' l'uso delle informazioni genetiche affinché non si trasformi in abuso. La ricerca deve sempre andare a favore dell'uomo".