

TERAPIA GENICA DELLE EMOGLOBINOPATIE (2)

Il 15 Febbraio u.s. abbiamo partecipato ad un'assemblea organizzata dalla Lega Regionale Siciliana presso l'aula magna dell'ospedale Cervello di Palermo. L'argomento trattato è stato la Terapia genica ed i relatori sono stati le Dott.sse Acuto, Di Marzo e il Prof. Maggio. Degli argomenti trattati vi abbiamo dato un'ampia esposizione nel numero di Marzo del nostro giornale. Ora desideriamo portare a vostra conoscenza alcuni dettagli sicuramente non marginali.

- Criteri d'arruolamento dei pazienti per la terapia genica: quando saranno ultimate le fasi I e II, rispettivamente quella riguardante la tossicità e l'altra che indagherà sull'efficacia, e nell'auspicabile ipotesi che entrambe queste sperimentazioni diano esito positivo; il criterio che sarà verosimilmente adottato per arruolare i pazienti sarà quello determinato dall'età; nel senso che saranno i pazienti più avanti negli anni ad occupare i primi posti in graduatoria. Questo è stato ribadito più volte dal Prof. Maggio, e d'altronde crediamo che il criterio sia più che giusto.

- **Durata del ricovero per effettuare la terapia genica:** è previsto un tempo massimo di due settimane.

Controlli: superata la prima fase dopo la terapia, i controlli saranno annuali e dureranno, secondo il protocollo delineato, per 15 anni.

Tra le notizie che vi abbiamo dato nel numero precedente del nostro giornale, ricorderete che la Terapia Genica prevede che siano prelevate dal midollo del paziente le cellule staminali che saranno opportunamente corrette geneticamente, espanse in laboratorio, per aumentarne la quantità secondo il peso del paziente e poi reinfuse nello stesso col metodo che è usato in una normale trasfusione (trapianto autologo).

A questo punto va precisato che mentre nella prima fase sperimentale in vitro non era necessario prevedere particolari cautele nel momento del trattamento delle cellule prelevate dal midollo del paziente, adesso che le SUE cellule trattate gli saranno trasfuse e che quindi rientreranno nel suo organismo, la fase di trattamento in laboratorio sarà di estrema delicatezza, dovendo prevedere che *l'ambiente* dovrà essere COMPLETAMENTE sterile.

Questo sarà possibile solo eseguendo tutta l'operazione in CAMERA STERILE di un tipo opportunamente previsto da questo protocollo.

L'Ospedale Cervello di Palermo non è momentaneamente dotato di quest'*ambiente* protetto, ma la sua costruzione è prevista nel padiglione che sarà costruito in tempi brevi e che sarà dedicato anche alla terapia genica e all'ospitalità dei parenti dei pazienti.

A questo punto permetteteci di porre una domanda: chi ha reperito fino a questo momento le risorse finanziarie per supportare questo sforzo che è tecnico/scientifico ma anche organizzativo?

La risposta c'è stata data dai pazienti e dai ricercatori presenti in assemblea: i SOLDI sono stati messi a disposizione dal volontariato e in particolare dalla Fondazione GIAMBRONE e dall'Associazione per la ricerca PIERA CUTINO/onlus di Palermo, la quale è presente presso il Centro di Talassemia del Prof. Maggio, quotidianamente con i propri volontari.

Ora diventa di vitale importanza ed urgenza l'acquisto della Camera Sterile per il trattamento delle cellule, ambiente sterile che sarà messo a disposizione di tutte le strutture italiane che vorranno utilizzarlo. L'associazione PIERA CUTINO rivolge

un appello a tutti i talassemici italiani affinché supportino questo ulteriore sforzo: la

Camera Sterile costerà circa 170.000 euro e sarebbe molto bello se ognuno di noi la sentisse propria con un contributo secondo le personali possibilità.

D'altronde quella struttura sarà realmente di tutti perché potrà essere utilizzata da ogni Centro qualificato per la Terapia Genica.

Nel passato i tentativi per rendere più uniti e coesi i talassemici sono stati molteplici. Adesso che all'orizzonte sembra delinearsi un traguardo che, tutti noi, per tanto tempo abbiamo sognato, forse è arrivato il momento di mettere da parte i particolarismi e le personali ambizioni e dare forza a questo progetto. Con ciò, si badi bene, non intendiamo alimentare false aspettative, desideriamo soltanto porre l'accento su un evento scientifico che sembra promettere bene e che sarà possibile valutare in tempi brevi.

Vi invitiamo pertanto a collaborare al progetto inviando il vostro contributo alla **Associazione per la ricerca Piera Cutino onlus C/C postale 20944906** specificando la causale **CAMERA STERILE**.

Un'ultima notizia vogliamo darvi: il brevetto del vettore lentivirale G9 che sarà utilizzato in questa terapia genica, è stato acquistato dalla Industria Farmaceutica che provvederà a produrlo nelle grandi quantità che saranno necessarie e lo metterà a disposizione delle strutture che ne faranno richiesta. Al di là degli aspetti etici che il lucro possa rappresentare, noi riteniamo che questo fatto sia per i pazienti talassemici garanzia di prosecuzione del progetto, ma soprattutto la certezza che l'interesse economico ci metterà al riparo da manovre ostative che ben conosciamo dopo la travagliata esperienza del chelante orale L1.

Ciò non ci esime però dal praticare prudenza e esercitare continuamente un'attenta sorveglianza.