



 CONDIVIDI

Notizia

19 marzo 2010 21:01



Usare la terapia genica per la cura dei bambini affetti da leucodistrofia metacromatica (Ldm): e' l'idea alla base di una sperimentazione clinica che l'Istituto san Raffaele Telethon (Hsr-Tiget) si prepara ad avviare, utilizzando cellule staminali ricavate dagli stessi pazienti, nelle quali e' stato riparato il difetto che provoca la malattia.

Allo studio, che ha gia' ottenuto l'approvazione del Comitato Etico Istituzionale, manca solo l'autorizzazione definitiva da parte delle Autorita' Competenti Italiane, attesa entro il 20 marzo.

La sperimentazione ha come obiettivo la valutazione dell'efficacia e della sicurezza del trattamento per la cura di bambini affetti da Ldm, una malattia che colpisce un bambino su 40mila nati vivi, caratterizzata dalla degenerazione della mielina, cioe' la guaina che ricopre i neuroni. I ricercatori preleveranno le cellule staminali dai pazienti e le modificheranno in laboratorio introducendo con uno speciale virus-navetta il gene difettoso. Le staminali cosi' ingegnerizzate, verranno reintrodotte negli stessi pazienti dove dovrebbero andare a compensare il difetto che causa la malattia.

Lo studio esamina otto pazienti reclutati su base internazionale e confrontera' con una popolazione di controllo l'efficacia delle cure.

Al termine della terapia genica i pazienti saranno monitorati per un periodo di tre anni dopo il trattamento, e per ulteriori cinque anni dalla fine dello studio, per verificare gli effetti a lungo termine della terapia.