

 **Il caso**

Si dell'Ue al primo farmaco (italiano) dalle staminali

L'arrivo del primo farmaco al mondo di terapia genica segna una vittoria per la ricerca italiana. Tredici bambini colpiti da Ada Scid, malattia rara e ereditaria del sistema immunitario, sono stati salvati con questo trattamento, che ha già ricevuto il via libera da Ue e autorità regolatorie nazionali. Non pillole da prendere ogni giorno ma un'unica iniezione endovena a base di cellule staminali difettose prese dal singolo paziente e corrette con l'inserimento di un gene modificato. La cura dura per sempre e restituisce alla normalità bambini costretti a vivere sottovetro, al riparo dal rischio delle

infezioni più banali. Sono in fase avanzata anche in Italia sperimentazioni di terapie geniche per la riparazione di difetti rari e non solo. Un progetto di ricerca riguarda ad esempio la talassemia. L'Ada Scid ha fatto da apripista anche per l'alleanza pubblico-privato che ha determinato il successo del percorso. Fondazione Telethon e ospedale San Raffaele hanno avuto come terzo pilastro l'industria Gsk Italia, necessaria per trasformare in farmaco le staminali ingegnerizzate. Prova che tali sinergie non vanno demonizzate.

Margherita De Bac

© RIPRODUZIONE RISERVATA

