
Editing del genoma: Ospedale Bambino Gesù, trattato con il sistema Crispr-Cas9 il primo paziente italiano affetto da talassemia

L'editing del genoma per correggere la talassemia. È stato trattato con questa tecnica innovativa all'Ospedale pediatrico Bambino Gesù di Roma il primo paziente italiano. Il caso clinico si inserisce all'interno di una sperimentazione internazionale promossa da Vertex Pharmaceuticals e Crispr Therapeutics i cui primi promettenti risultati sono stati presentati al 62° Congresso della Società americana di ematologia (Ash), l'appuntamento annuale che raccoglie i contributi scientifici più qualificati al mondo nell'ambito delle malattie del sangue. "L'editing del genoma con il sistema Crispr-Cas9 – spiega un comunicato dell'ospedale – è una tecnologia innovativa che funziona come un "correttore" del Dna ad altissima precisione. Il metodo si basa sull'impiego della proteina Cas9, una sorta di forbice molecolare che viene programmata per tagliare o modificare specifiche sequenze del Dna di una cellula, potendo così portare alla correzione di varie malattie". Nel 2019, Vertex Pharmaceuticals e Crispr Therapeutics hanno avviato due trial clinici internazionali per la cura di giovani adulti inizialmente e poi di adolescenti affetti da talassemia e da anemia falciforme attraverso la tecnica di editing del genoma con Crispr-Cas9. La sperimentazione coinvolge il Bambino Gesù (unico ospedale italiano) e altri 13 Centri statunitensi, canadesi ed europei. Nei trial verranno arruolati 45 giovani con talassemia e 45 con anemia falciforme. All'interno di questa sperimentazione, lo scorso 17 novembre sono state infuse le cellule staminali "editate" al primo paziente italiano, seguito al Bambino Gesù, un giovane adulto affetto da talassemia, l'unico in Italia (e uno dei pochi al mondo) a essere trattato con questa tecnica. Nei prossimi mesi, altri pazienti con talassemia e con anemia falciforme verranno sottoposti al trattamento presso l'Ospedale della Santa Sede. Spiega Franco Locatelli, direttore del Dipartimento di oncoematologia e terapia cellulare e genica e coordinatore del comitato scientifico internazionale della sperimentazione: "L'editing del genoma rappresenta potenzialmente una rilevante opzione curativa per i pazienti con emoglobinopatie, ovvero talassemia e anemia falciforme, accompagnata da un basso un profilo di rischio; certamente i risultati andranno verificati e confermati nel tempo". Il vantaggio è la sua applicazione "su chi non ha un donatore di midollo osseo o non può ricevere un trapianto".

Giovanna Pasqualin Traversa