Leucemia: tre bimbi guariti grazie a terapia cellule Car-T. Risultati promettenti contro le forme refrattarie di Lla-Bcp

Il “Progetto di ricerca su cellule Car-T per patologie ematologiche maligne e per tumori solidi”, nell'ambito del quale sono stati trattati con successo presso l'ospedale pediatrico Bambino Gesù di Roma tre bambini affetti da un particolare tipo di leucemia, è condotto dagli Irccs della Rete Alleanza contro il Cancro (Acc) sulla base dell'Ordine del giorno della Camera dei deputati del 30 dicembre 2019. I tre piccoli - sui quali i trattamenti convenzionali non avevano sortito i risultati attesi, su uno di essi aveva addirittura fallito anche una procedura di trapianto di cellule staminali emopoietiche allogene - sono stati inclusi nel nuovo protocollo sperimentale e trattati con cellule che sono state geneticamente modificate, per esprimere un recettore chiamato Car (dall'inglese Chimeric Antigen Receptor) diretto verso il bersaglio tumorale Cd19. Nei tre casi è stato possibile ottenere un numero di cellule Car-T largamente superiore alla dose necessaria per la prima fase del trattamento, consentendo di congelarne una parte per eventuali trattamenti futuri di consolidamento. Una capacità di scorta, che dimostra la fattibilità e l'efficienza del processo produttivo. Nei tre pazienti l'infusione del prodotto a fresco è stata ben tollerata, facendo registrare come effetto collaterale solamente febbre, dovuta al rilascio di molecole infiammatorie (le citochine) da parte delle cellule Car-T. Già due settimane dopo l'infusione nei tre bambini è stata accertata la remissione completa della malattia. Si tratta di risultati preliminari estremamente promettenti, a conferma di come la nuova piattaforma di cellule Car-T dimostri una notevole efficacia contro le forme refrattarie di Lla-Bcp. Lo studio proseguirà con la valutazione di altri due livelli di dose e con l'attivazione della fase II, nella quale si impiegherà la dose raccomandata, identificata nella fase I.

Giovanna Pasqualin Traversa