CORRIERE DEL VENETO

Sperimentazione di Azienda ospedaliera e Università sulle staminali

Terapia genica per trattare il diabete: «Sarà testata su 15 pazienti»

PADOVA È la terapia genica l'ultima frontiera nel trattamento del diabete di tipo 1, di cui soffrono 250mila persone in Italia. Dalla collaborazione tra Azienda ospedaliera e Università di Padova è nato «Immunostem», studio clinico sperimentale di fase 1 e 2 (sui malati) di terapia cellulare e genica da testare su 15 pazienti tra 18 e 24 anni all'esordio della patologia. Il primo è già in valutazione e se risponde ai requisiti potrà essere trattato a settembre. Lo studio, condotto dal 2016 dai professori Alessandra Biffi, direttrice della Oncoematologia pediatrica, e Gian Paolo Fadini, primario di Malattie metabolismo, è il primo di questo genere avviato all'ospedale di Padova, unico sito clinico designato per la sperimentazione. «Nel soggetto con diabete di tipo 1, malattia autoimmune, il sistema immunitario distrugge per errore le beta-cellule del pancreas che producono insulina, senza la quale non si può vivere — illustra il professor Fadini —. E quindi ogni giorno il paziente deve assumerla, attraverso 4-6 infusioni, altrimenti possono insorgere complicanze anche gravi, a volte letali. La gestione del diabete 1 è complessa e compromette la qualità di vita di chi ne soffre, spesso preda di paure, ansia, stress, depressione. Da qui l'obiettivo di rallentare o arrestare la distruzione delle beta-cellule e preservarne la funzione».

Il «come» lo spiega la professoressa Biffi: «Preleviamo dal paziente cellule staminali ematopoetiche (cellule immature multipotenti in grado di auto-rigenerarsi, *ndr*) e le facciamo modificare in un laboratorio farmaceutico esterno in modo che esprimano la proteina PD-L1, capace di indurre tolleranza immunologica. Cioè di impedire al sistema immunitario di distruggere le beta-cellule. Così ingegnerizzate, reinfondiamo le staminali nel paziente, nel quale il diabete ha lasciato solo una minima parte di proteina PD-L1, rendendole impossibile bloccare la risposta immunitaria. Noi riequilibriamo il sistema immunitario, con un'unica infusione che dura nel tempo». Risultato dimostrato nei topi. «Abbiamo appena aperto il protocollo clinico — aggiunge Biffi — che prevede un breve ricovero del paziente per la raccolta delle staminali, qualche settimana per la preparazione del farmaco con le procedure descritte, una seconda degenza di tre giorni per l'infusione dello stesso, quindi un monitoraggio di 24 mesi. Se tutto andrà come previsto — chiude la primaria — una volta conclusa la Fase 2 vorremmo utilizzare lo stesso trattamento sui bambini. E successivamente speriamo di poterlo applicare ai malati di sclerosi multipla». Ma perché partire con gli adulti? «Il 50% dei pazienti con diabete di tipo 1 ha più di 18 anni — spiega il professor Fadini — e in coloro in cui la malattia è all'esordio c'è un residuo di beta-cellule, che vogliamo preservare». Lo sponsor dello studio è «Altheia Science», Pmi innovativa e spin off degli Atenei di Padova e Milano, che hanno collaborato.

«La cooperazione tra Università e Azienda ospedaliera ha portato quest'ultima a rientrare tra i pochi centri autorizzati a studi clinici di Fase 1 — sottolinea Daniela Mapelli, rettrice dell'Ateneo di Padova —. Partnership da sfruttare per il bene dei malati e della salute di tutti, per portare i risultati della scienza dal laboratorio al letto del paziente. Questa sperimentazione in particolare riunisce le tre mission dell'Università: didattica, ricerca e innovazione, qui tradotta nello spin off».

Michela Nicolussi Moro

© RIPRODUZIONE RISERVATA

Alessandra Biffi Per preservare l'insulina si modificano le cellule staminali del paziente

Daniela Mapelli Espresse le tre mission dell'Università: didattica, ricerca e innovazione

La proprietà intellettuale è riconducibile alla fonte specificata in testa alla pagina. Il ritaglio stampa è da intendersi per uso privato