

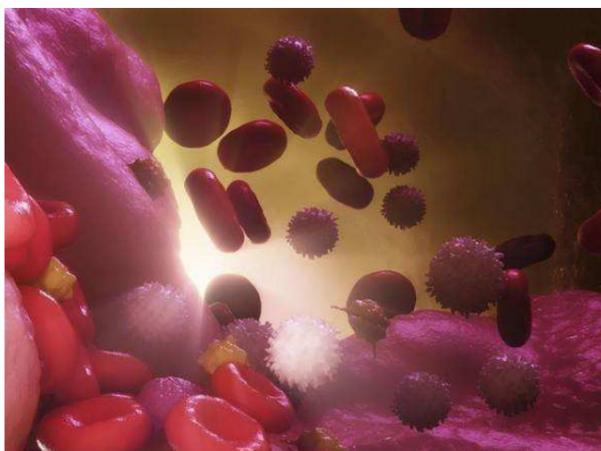
Stampa | Stampa senza immagine | Chiudi

AL GREAT ORMOND STREET HOSPITAL DI LONDRA

Bambina malata di leucemia curata con terapia genica sperimentale

Trattamento d'avanguardia a base di cellule immunitarie modificate, prima testato solo sui topi: la piccola adesso sta bene. «Ma bisogna aspettare 1-2 anni per essere sicuri»

di REDAZIONE SALUTE ONLINE



(Getty Images)

È una bambina di appena un anno, malata di una forma molto aggressiva di leucemia, la prima persona al mondo ad aver ricevuto una terapia sperimentale a base di cellule geneticamente modificate che le ha permesso di far retrocedere il cancro. Ad annunciarlo sono i medici del *Great Ormond Street Hospital* di Londra che hanno avuto in cura la piccola e che descriveranno il caso al

prossimo meeting della Società americana di ematologia (Ash), in programma dal 5 all'8 dicembre a Orlando, in Florida. A Layla Richards era stata diagnosticata una forma di leucemia incurabile quando aveva solo 3 mesi: la chemioterapia e un trapianto di midollo osseo non erano riusciti a guarirla. Il personale medico ha quindi avuto il permesso di provare una terapia d'avanguardia a base di cellule immunitarie modificate geneticamente, che era stata sperimentata solo nei topi.

CELLULE GENETICAMENTE MODIFICATE La metodica dell'editing genetico, che utilizza "forbici molecolari" per modificare il Dna, è stata usata sulle cellule di un donatore sano per produrre linfociti T geneticamente modificati con il compito di uccidere solo ed esclusivamente le cellule leucemiche ed essere invisibili alle terapie, nonché alle difese immunitarie della piccola. Le cellule disegnate su misura sono state iniettate a Layla, poi sottoposta a un secondo trapianto di midollo per permettere al suo organismo di riformare un sistema immunitario. A distanza di due mesi e al di là di ogni previsione, non solo Layla è viva, ma non ha alcuna traccia di leucemia nel suo corpo. «L'unico modo per scoprire se il cancro è stato realmente sconfitto è aspettare uno o due anni. Ma anche aver ottenuto questo risultato è un grandissimo passo», è il commento di Paul Veys, direttore del centro per il trapianto del midollo del *Great Ormond Street*.

LEUCEMIA LINFOBLASTICA ACUTA Quando Layla è nata, nel giugno 2014, sembrava tutto a posto. La piccola stava bene, ma 14 settimane dopo è cominciato l'incubo, raccontano i genitori alla stampa britannica: la mamma ha notato che il suo cuore batteva più forte, Layla piangeva sempre, si nutriva a fatica. Pochi giorni dopo, l'esito di un esame del sangue ha dato un nome al nemico da combattere: leucemia linfoblastica acuta, tumore del sangue che nella forma pediatrica, grazie ai progressi della medicina, è diventato guaribile almeno nell'85% dei casi. Ma Layla non era fra

questi. La situazione è precipitata, fino a quando i medici non hanno avuto più opzioni da proporre ai genitori, se non le cure palliative per accompagnare la bimba alla morte. A questo punto i genitori hanno deciso di dire sì a “qualcosa di nuovo”. «Era così debole e sofferente. Dovevamo agire. Certo era spaventoso pensare che il trattamento non fosse mai stato utilizzato sull'uomo - ricorda il papà -, ma ho deciso di assumermi il rischio».

TERAPIA MAI TESTATA SULL'UOMO C'è stata poi una serie di fortunate coincidenze: il *Great Ormond Street Hospital* stava già producendo le cellule modificate necessarie in vista di un trial clinico. «Le avevamo nei nostri freezer», spiega Waseem Qasim, uno dei medici che ha trattato Layla. Dopo aver ricevuto tutte le autorizzazioni necessarie per una terapia mai testata sull'uomo, è cominciato il trattamento. Poche settimane dopo la mamma di Layla ha ricevuto una telefonata dal marito. «Mi ha detto: ha funzionato. E ho pianto lacrime di gioia» racconta. I medici, pur usando parole entusiaste per descrivere il caso, sono cauti. Veys precisa: «Siamo in uno stato meraviglioso rispetto a come eravamo 5 mesi fa, e anche solo questo è un grande passo, ma non significa ancora cura. Dobbiamo aspettare 1-2 anni».

6 novembre 2015 (modifica il 6 novembre 2015 | 14:20)
© RIPRODUZIONE RISERVATA

COSA DICE IL PAESE

33% si sente 

ACCEDI