

Staminali e anemia di Fanconi. Trattamento per malati senza donatori compatibili

SPAGNA-Ricercatori del Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas (CIEMAT) e del Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras (CIBERER) hanno sviluppato un nuovo trattamento per malati di anemia di Fanconi di tipo A.

Questa malattia, non molto diffusa, colpisce il midollo osseo facendo diminuire tutti i tipi di cellule sanguigne. Attualmente viene curata con l'impianto di cellule del midollo osseo di un donatore compatibile, preferibilmente fratello del paziente.

Il nuovo trattamento è indirizzato a quei malati che non hanno un donatore compatibile, per cui hanno scarse alternative terapeutiche.

In concreto si corregge il difetto genetico nelle cellule staminali ematopoietiche del paziente in modo analogo a come si procede con altri pazienti con altre malattie monogenetiche, come alcune immunodeficienze primarie.

Il vettore sviluppato appartiene alla famiglia dei lentivirus, con maggiore efficacia e sicurezza rispetto ai vettori usati nei primi protocolli di terapia genetica.

Una volta corretto il difetto genetico delle cellule staminali ematopoietiche, le stesse saranno immesse nel paziente si' da riscattare e/o prevenire il difetto del midollo osseo.

Il lavoro è stato coordinato dal dr Juan Berner.

20 gennaio 2011

aduc.it