Pavia, 15 febbraio 2019

COMUNICATO

**Il SIMT su Nature Medicine**

Importante articolo su uno delle più prestigiose e autorevoli riviste mediche al mondo, **“Nature Medicine”,** a cui ha collaborato il Servizio di Immunoematologia e Medicina Trasfusionale del San Matteo, Direttore Cesare Perotti.

La pubblicazione riguarda la talassemia, una patologia del sangue molto diffusa nel bacino del Mediterraneo, nel medio oriente e nei paesi africani (con milioni di pazienti), con un forte impatto sulla vita media dei soggetti colpiti e con notevoli costi economici. Si trasmette geneticamente, con una produzione anomala e difettosa di emoglobina il cui esito è una grave anemia. I malati necessitano di continue trasfusioni, con possibili danni d’organo (al cuore e al fegato). L’articolo, in particolare, si concentra sulla Beta Talassemia, una sua seria variante.

Come intervenire terapeuticamente, limitando le trasfusioni? “Con il trapianto allogenico di cellule staminali che tuttavia – racconta Perotti – prevede donatori compatibili e che può implicare effetti collaterali anche letali. C’è poi una moderna opzione terapeutica che amplia la possibilità curativa alla totalità dei malati: la terapia genica che corregge il difetto genetico con l’inserimento, nella cellula malata, del gene sano”

“La riduzione netta del fabbisogno trasfusionale per i pazienti adulti e il raggiungimento della indipendenza dalla trasfusione per i pazienti pediatrici, ad un anno di distanza dal trapianto con cellule staminali autologhe modificate geneticamente – continua lo specialista - testimoniano il successo di questo nuovo approccio terapeutico. Ebbene, proprio i brillanti risultati conseguiti hanno meritato la pubblicazione su *Nature Medicine*”.

Il fatto è che il Servizio di Immunoematologia del Policlinico, da sempre in prima linea nello sviluppare e partecipare ai protocolli innovativi sulla raccolta e manipolazione delle cellule staminali, è stato ed è partner decisivo in questo percorso terapeutico, raccogliendo, in grande purezza, cellule staminali da paziente pediatrico e disponendo poi l’inserimento in esse del gene correttamente funzionante.

Il risultato di questa collaborazione con istituti importanti come il San Raffaele di Milano e la NHS Foundation Trust di Londra, ha portato, nell’ultimo anno, alla cura di 3 adulti e sei bambini affetti dalla forma più grave di Beta Talassemia e per i quali esisteva un serio pericolo di vita. Il settore di aferesi terapeutica del SIMT è stato in grado di eseguire con successo e senza incidente alcuno, la delicata fase di raccolta delle cellule staminali nei piccoli pazienti (spesso di peso molto ridotto, tra i 10 e i 15 kg), garantendo un prodotto ottimale per il successivo passaggio dell’inserimento genico.

“Nell’immediato futuro il SIMT del San Matteo – spiega ancora il Direttore - si troverà impegnato, sempre in collaborazione con partner sia italiani che esteri, nell’applicare questa tecnologia di cura in pazienti affetti da anemia falciforme che è un’altra gravissima patologia dei globuli rossi geneticamente tramessa e che affligge milioni di persone nel mondo”.

Ufficio Stampa