

I progressi delle ricerche sul sangue

Riparte la campagna di raccolta fondi 2009-2010 di Telethon a favore della ricerca scientifica. Anche quest'anno Avis scenderà in campo per organizzare eventi su tutto il territorio nazionale, che avranno il loro clou nel fine settimana dell'11, 12 e 13 dicembre, in concomitanza con la maratona televisiva che, come avviene ormai da ben 20 anni, andrà in onda sulle reti Rai. Obiettivo della nostra associazione: finanziare lo studio sulle malattie genetiche del sangue, come le talassemie. Per conoscere lo stato dell'arte della ricerca in questo campo, abbiamo intervistato il prof. Aurelio Maggio, a capo di una delle équipe mediche sostenute con il supporto e con i fondi raccolti da Avis. Il prof. Maggio è nato nel 1954 a Palermo, dove vive tutt'ora. Laureato in Medicina e Chirurgia nel 1977, si è specializzato in Ematologia nel 1980 alla Clinica Medica di Pavia. Dal 1987 si occupa di ricerca applicata e di base nel settore delle talassemie ed emoglobinopatie. È primario e responsabile delle attività di ricerca della Divisione di Ematologia e Talassemia dell'ospedale "Cervello" di Palermo.

Professore, quali sono i risultati più importanti raggiunti negli ultimi anni dalla ricerca scientifica sulla beta-talassemia?

La ricerca, nel corso di questi anni, è riuscita a confermare come sia possibile ottenere un'espressione elevata del gene dell'emoglobina nelle cellule affette dalla malattia, tale da rendere possibile nei prossimi anni la guarigione dalla malattia nell'uomo. Un progetto di collaborazione Usa-Europa, infatti, prevede la realizzazione di una sperimentazione in Fase 1 (in cui la cura viene testata per la prima volta sugli uomini, ndr) all'inizio dell'anno prossimo.

In che consiste la Fase 1?

In una sperimentazione clinica, la Fase 1 può essere condotta sia su



malati sia su volontari sani e ha l'obiettivo di stabilire se il trattamento è sicuro, come viene metabolizzato dall'organismo e qual è la dose migliore da somministrare.

Recenti studi hanno dimostrato l'efficacia della terapia genica sul modello animale.

Potrebbe spiegarci in che cosa consiste tale approccio terapeutico?

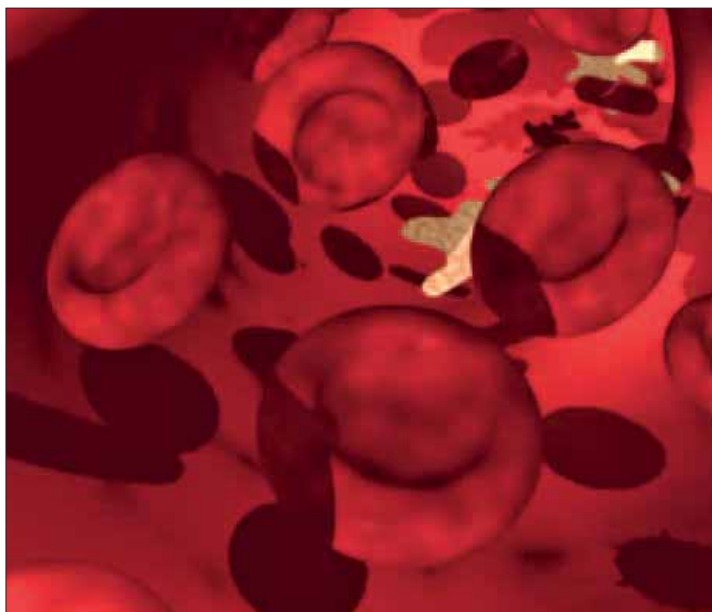
Prima di iniziare la sperimentazione sull'uomo, è necessario verificare se un farmaco, in questo caso il vettore virale contenente il gene dell'emoglobina, funzioni nell'animale. Per tale motivo, il gruppo del Memorial Sloan Kettering di New York (Usa), diretto da Michel Sadelain, ha prodotto un modello di topo talassemico. In tale modello, è stata guarita la talassemia ottenendo con il vettore in questione un incremento totale

12

Che cos'è la Talassemia o "anemia mediterranea"

Che cosa sono le Talassemie?

Sono un gruppo di malattie ereditarie dovute ad alterazioni nella produzione dei componenti dell'emoglobina, importante proteina contenuta nei globuli rossi, la cui funzione è quella di catturare l'ossigeno dai polmoni e trasportarlo nei diversi tessuti. Fra le talassemie, la forma major (o beta, nota anche come morbo di Cooley) è quella più grave. Secondo l'Organizzazione Mondiale della Sanità, le talassemie sono al primo posto nel mondo fra le malattie ereditarie monogeniche. Tra le aree con maggiore diffusione c'è anche il bacino del Mediterraneo: ecco perché questa malattia è chiamata anche "anemia mediterranea".



di 4 gr/dl di emoglobina. Questo risultato, se riprodotto nell'uomo, porterebbe alla guarigione dalla malattia. Oggi muoiono nel mondo ogni anno, per questa malattia, circa 30.000 bambini perché non riescono ad effettuare le trasfusioni di sangue o la terapia chelante. La Terapia chelante è quella che si affianca alle trasfusioni e che serve per sottrarre il ferro in eccesso che (per forza di cose) si accumula in diversi tessuti, come per esempio il fegato. Grazie a questa terapia le aspettative di vita dei pazienti con beta-talassemia sono praticamente raddoppiate.

Quali sono gli obiettivi del progetto da Lei coordinato

e sviluppato e quali saranno le sue fasi successive?

Il mio gruppo, in particolare, studia una nuova strategia per rendere più efficiente e più sicuro un vettore che sarà presto usato nei primi trial clinici per la cura della talassemia. Se questa ricerca porterà ai risultati attesi, costituirà un passo avanti nell'applicazione non solo di protocolli di terapia genica per la cura della talassemia, ma anche di protocolli per la cura di altre malattie che usano vettori analoghi. Dal 2001 Avis è impegnata accanto a Telethon nel sostegno della ricerca scientifica sulle malattie genetiche.

Secondo Lei, quali sono i principali vantaggi derivanti da tale collaborazione? Quale messaggio desidera rivolgere ai nostri volontari e alle sedi della nostra associazione?

L'impegno dell'Avis nel settore della donazione del sangue è un esempio di come la solidarietà verso gli altri possa trasformarsi in aiuto concreto in chi soffre più di noi. La solidarietà è anche



una delle principali ragioni che spinge molti ad occuparsi di ricerca. Il ricercatore è tante volte solo, ma questo non lo demotiva nel continuare il suo lavoro, specie se convinto che quello che sta cercando di realizzare potrebbe essere di grande aiuto per altri. La solidarietà, quindi, è la nostra base comune. I donatori di sangue ed i ricercatori continuano il loro impegno convinti che questo porterà sicuramente un beneficio alla collettività. I volontari e le sedi Avis devono conoscere che non stanno soltanto donando il sangue, ma donano anche grande speranza di guarigione ai tanti pazienti che in Italia sono costretti dai 6 mesi di vita ad effettuare trasfusioni ogni 15-20 giorni.

Intervista a cura di Boris Zuccon

13

Come partecipare alla campagna per Telethon

Sono due le semplici modalità di partecipazione a questo progetto:

- allestire nella propria città un punto di informazione, sensibilizzazione e raccolta con distribuzione del materiale illustrativo e dei prodotti solidali forniti direttamente da Telethon;
- organizzare e dedicare a Telethon un evento specifico o un'iniziativa locale già in essere.

Tutte le sedi possono aderire fin da subito compilando i moduli che hanno recentemente ricevuto per posta, oppure disponibili sul sito di Avis nazionale, che andranno poi spediti, firmati e corredati dalla fotocopia del documento d'identità, alla Segreteria dell'Avis Regionale Veneto il prima possibile per garantire l'invio dei materiali in tempo per l'organizzazione delle vostre iniziative (fax 0422/325042).

