

**Rientro dei cervelli. Il Laboratorio di genetica molecolare del Tiget  
al San Raffaele di Milano, che il mondo ci invidia  
(Corriere Economia, novembre 2004)**

**P**er entrare nella stanza delle culture cellulari bisogna indossare camici sterili ed evitare ogni contaminazione con il mondo esterno. Questo significa che il sistema di aerazione fa circolare l'aria attraverso filtri, per espellere ogni minima impurità. Siamo nei laboratori milanesi del Tiget, l'istituto **Telethon** di terapia genica dell'ospedale San Raffaele. All'interno della struttura 70 ricercatori coordinati dalla professoressa **Maria Grazia Roncarolo** portano avanti studi avanzati di genica. Per correggere quegli scherzi che la natura "maligna" compie con effetti devastanti. Il Tiget si occupa di malattie genetiche gravi tra cui le immunodeficienze primarie. Finora i bambini salvati e riportati a una vita normale sono cinque. Il sesto è in cura in questi giorni.



**Professoressa Roncarolo, in che cosa consiste il vostro lavoro?**

«Il Tiget ha come missione lo studio e la cura delle malattie genetiche. Parliamo di bambini con difetti immunologici gravissimi, che fino a vent'anni fa avevano poche prospettive di vita. Allora dovevamo metterli in bolle sterili di plastica per proteggerli dalle infezioni e ne trapiantavamo uno su venti, oggi ne curiamo una buona parte».

**Quali sono stati i passi principali compiuti?**

«Il primo capire che questi piccoli pazienti si potevano trapiantare, poi che per avere maggiore successo bisognava prendere le cellule staminali dal midollo del fratellino. In seguito siamo arrivati a trapiantare avendo come donatori mamma e papà e in alcuni casi a curare il feto nell'utero. Infine a correggere la malattia attraverso cellule del paziente stesso».

**Come avviene l'intervento?**

«Il nostro protocollo prevede il prelievo di cellule dal midollo osseo del bambino il lunedì. Le cellule staminali

immature vengono poi purificate e messe a contatto con i cosiddetti vettori. Si tratta di frammenti di Dna (derivati da virus) in cui abbiamo inserito i geni sani costruiti in laboratorio con la tecnica della biologia molecolare».

**Diciamo che rimediate a quello che la natura ha creato male?**

«In quattro giorni le cellule contenenti il gene sano vengono fatte ricrescere e con una trasfusione di sangue reinserte nel bambino. Bisogna però attendere alcuni mesi perchè le cellule immature del sangue, corrette con la terapia genica, diano origine a cellule mature funzionanti».

**Qual è il segreto del vostro successo?**

«Questa procedura è stata sperimentato in altri laboratori del mondo, ma con risultati parziali. Al Tiget, seguendo gli studi iniziali del professor Claudio Bordignon in cui si utilizzavano cellule mature per la terapia genica, abbiamo avuto un'intuizione. Dovevamo usare le cellule staminali del sangue e per trapiantarle con successo creare loro dello spazio vitale. Così abbiamo trattato prima i bambini con chemioterapia a basso dosaggio. Il protocollo ha funzionato. Adesso lo adottano anche negli Usa».

**Professoressa parliamo di lei. La sua è stata una vita movimentata. Dopo la specializzazione in pediatria nell'86 è andata a lavorare come ricercatrice a Lione. Poi per otto anni a Palo Alto, al Dnax il prestigioso istituto di ricerca di biologia molecolare californiano. Perché ha lasciato l'Italia?**

«Il panorama della ricerca in Italia era e rimane tutt'altro che roseo. Dalla Francia prima e dagli Stati Uniti dopo ho avuto i fondi necessari per portare avanti le ricerche. E poi lì vige il sistema meritocratico. Vai avanti se vali, non se sei raccomandato».



**Ma poi nel 1997 è rientrata a Torino per un posto in Ospedale?**

«Certo ho vinto il concorso e avevo ricevuto promesse per continuare le ricerche. Ma non è stato così. Mi sono scontrata con una realtà in cui non era importante l'esperienza acquisita nei Labs californiani. Interessava solo che facessi la routine in Ospedale. In quel periodo ho anche pensato di cambiare lavoro. Ma come sempre nella vita dalle esperienze più dure nascono le opportunità».

**In che senso?**

«Ho ricevuto una telefonata dal professor Bordignon che mi invitava a diventare responsabile del Tiget. Ho accettato e da allora mi sono dedicata allo sviluppo dell'Istituto. Siamo cresciuti da 40 a 70 ricercatori e lavoriamo non solo sui difetti immunologici ma anche sulle malattie metaboliche».

**Telethon che cosa rappresenta per lei?**

«Ha investito nella ricerca genetica del Tiget oltre 12 milioni di euro in dieci anni. Ma è più che un finanziatore. Perché senza i soldi della raccolta pubblica io e altri miei colleghi saremmo già tornati al di là dell'oceano. Telethon supporta l'intera struttura, si fa portavoce delle nostre strategie e promuove la cura nelle malattie genetiche. Spesso dimenticate dall'industria farmaceutica perché malattie rare».

**E la ricerca in Italia?**

«Questo paese è arrivato al capolinea. I bravi ricercatori o andranno all'estero o non faranno più questo mestiere».

##