

A Udine contro le malattie rare

L'impegno vincente di Transactiva

Spin-off accademico dell'Università di Udine, Transactiva nasce nel 2001 all'interno del Parco scientifico e tecnologico Luigi Danieli di Udine dalla volontà di tre ricercatori, due provenienti dal mondo delle biotecnologie vegetali e uno dall'ambito medico, per rispondere all'esigenza di produrre farmaci per la cura di malattie rare a costi accessibili, sia per i paesi avanzati che per quelli in via di sviluppo. Rare, ma non troppo: si stima infatti che tali malattie rappresentino circa 10 per cento delle patologie umane, con una prevalenza in Europa di 1 caso ogni 2.500 abitanti. Dall'incontro tra il mondo medico, rappresentato da Bruno Bembi, pediatra e genetista esperto nel campo della cura delle malattie lisosomiali, e il mondo della biotecnologica, da cui proviene Stefano Marchetti, docente di Biotecnologie Agrarie all'Università di Udine, è scaturita dunque l'intuizione di utilizzare piante di riso (una qualità non alimentare) e di tabacco per l'espressione

delle proteine necessarie per la cura di alcune specifiche malattie rare. L'idea, vincente, si è tradotta in due brevetti per la produzione di enzimi per il trattamento di due patologie da accumulo: la beta-glucosidasi acida lisosomiale, per la cura della malattia di Gaucher, e l'alfa-glucosidasi acida, per combattere la glicogenosi di tipo II. La malattia di Gaucher, la più diffusa delle malattie congenite che riguardano il metabolismo degli sfingolipidi, conta in Italia circa 250 persone affette, mentre di glicogenosi di tipo II nel nostro paese soffrono circa 250 persone: "Attualmente il costo annuo per la cura di una persona ammalata - spiega il dottor Bruno Bembi - può raggiungere anche gli 800mila euro, nel caso della glicogenosi II". Anche per questo, dunque, la strada che Transactiva ha scelto di percorrere appare particolarmente significativa: i farmaci in fase di sperimentazione infatti potrebbero comportare un sensibile abbassamento della spesa farmaceutica per

la cura di questi pazienti. Un team altamente qualificato composto da otto ricercatori si è pertanto concentrato nella sperimentazione dell'accumulo di proteina eterologa nei tessuti di riserva del seme di riso. "Il riso - chiarisce Stefano Marchetti - si è rivelato non solo un ottimo bioreattore ma anche una buona soluzione per la conservazione delle proteine prodotte". "Concluse le fasi di test in vitro e sul modello animale, probabilmente nel prossimo biennio si potrà giungere alla sperimentazione clinica sull'uomo", aggiunge Bruno Bembi. Il riso, si diceva, ma anche il tabacco. È stato appurato che attraverso le biotecnologie vegetali è infatti possibile realizzare un sistema industriale di produzione di vaccini individualizzati per il singolo paziente: recentemente Transactiva si è impegnata in un progetto per la produzione di vaccini anti-tumorali per il Linfoma Non-Hodgkin, finanziato dalla Regione Friuli Venezia Giulia. In questo caso il bioreattore è rappresentato dalla pianta del tabacco.

La commercializzazione dei farmaci prodotti, se tutto procederà secondo la tabella di marcia, potrà avvenire nell'arco di pochi anni.