

LA RICERCA SI VEDE. OGNI GIORNO, INSIEME.

PASSAPORTO GENETICO

Terapia mirata per leucemia linfoblastica acuta in età pediatrica

Domanda clinica: Qual è la terapia migliore per ogni bambino con leucemia linfoblastica acuta (LLA)? E' possibile differenziare la terapia per ogni piccolo paziente?

Stato dell'arte: Dal 1998 sappiamo riconoscere una **sequenza di DNA** che solo le cellule di LLA posseggono, che è **diversa in ogni paziente** e che permette di monitorare la malattia nel corso della terapia. Abbiamo anche dimostrato che il **numero di cellule leucemiche residue dopo le prime fasi di terapia (malattia residua minima, MRM)** è **proporzionale al successo della cura** e nell'anno 2000 abbiamo attivato il **primo protocollo clinico al mondo basato sulla MRM**, nel quale la definizione della terapia migliore è proporzionale al rischio di non guarire! Il nostro laboratorio, da allora, esegue gli esami per la **MRM di tutti i bambini italiani**. E' stato un primo passo verso la personalizzazione della cura.

Obiettivi: nonostante **l'85% dei bambini con LLA guarisca**, vogliamo **contribuire anche al miglioramento della qualità di vita e alla diminuzione dei rischi** associati negli anni alle terapie più forti.

Grazie alla possibilità di sequenziare il DNA contenuto nelle cellule leucemiche di ogni paziente è possibile identificare anomalie geniche prima sconosciute. **Ogni bambino ha un suo specifico corredo di anomalie genetiche che lo contraddistinguono.**

Ci siamo dedicati in laboratorio a **trovare le modalità per individuare queste anomalie**, studiarne l'impatto sulla prognosi, capire quali danni provocano e come si possano contrastare.

Cosa faremo: per tutti i bambini italiani, a Monza, eseguiremo una serie di analisi di genetica molecolare **avanzata**, denominata «sequenziamento di nuova generazione», per identificare le nuove alterazioni. Potremo individuare **nuovi sottogruppi di pazienti con rischio elevato di ricaduta e candidabili a terapie alternative con nuovi farmaci specifici contro le lesioni genetiche individuate (medicina di precisione)**.

Obiettivo finale: Si procede a piccoli passi, **sulla base di dimostrazioni scientifiche accurate** e la condivisione con i colleghi di altri Paesi del mondo, ma si continua lungo la strada del sogno di **curare ogni volta un bambino in più e meglio**, verso la sconfitta di questa malattia.

Insieme: bambini, genitori, medici, infermieri e biologi;
...ricerca, cura e assistenza, ...Insieme!

Project Leader: Dott. Giovanni Cazzaniga, Responsabile Laboratorio Diagnostico e Unità di Ricerca 'Genetica delle leucemie', Centro Ricerca M. Tettamanti