

Istituto superiore di sanità

Comunicato della Commissione per l'Accertamento dei Requisiti

dei Prodotti Farmaceutici di Nuova Istituzione riunita in data

4 ottobre 2002.

Oggetto: Terapia Genetica

È stata recentemente comunicata ad Oxford al XIII convegno “Haemoglobin switch” l’insorgenza di una rara sindrome linfoproliferativa a cellule T in un giovane paziente con immunodeficienza X-SCID trattato con terapia genetica in Francia. La terapia genetica in oggetto prevedeva l’inserzione di un vettore retrovirale che conteneva il gene terapeutico in cellule staminali autologhe. Tale procedura rappresenta solo una specifica tipologia di terapia genetica con inserzione casuale del vettore in prossimità di un protooncogene e in cellule con zone di cromatina disponibili ad inserzione con probabile funzione regolatoria, (cellule staminali).

Si ritiene comunque opportuno sospendere temporaneamente, in via cautelativa, l’arruolamento di nuovi casi in tutte le sperimentazioni di terapia genetica in corso, ci si propone, nel più breve tempo possibile, di fornire le opportune indicazioni per una nuova categorizzazione dei livelli rischio per le differenti tipologie di terapia genetica.

IL PRESIDENTE

Della

Commissione per l’Accertamento dei Requisiti
dei Prodotti Farmaceutici di Nuova Istituzione

N.B:

Terapia genetica: sospensione sperimentazioni

Il Ministro della Salute Girolamo Sirchia ha disposto con un’ordinanza contingibile e urgente la sospensione su tutto il territorio nazionale delle sperimentazioni cliniche con prodotti per terapia genica, che prevedono l’impiego di vettori retrovirali. L’Istituto Superiore di Sanità ha la facoltà di approvare, previa valutazione del rapporto rischio – beneficio, la prosecuzione del trattamento ai pazienti sottoposti a sperimentazioni. L’approvazione è subordinata alla presentazione di un documento comprovante l’avvenuta informazione sui rischi della terapia – in presenza di un esperto, come specifica l’ordinanza – da rendere al paziente o, nel caso di minori, ai soggetti che esercitano la potestà parentale, con conseguente sottoscrizione del consenso. L’ordinanza, trasmessa per il visto alla Corte dei Conti, sarà valida fino al 31 gennaio 2003.