

Milano, 18 aprile 2018

Caro Collega,

desidero informarti che presso l'Immunoematologia Pediatrica e l'SR-TIGET dell'Ospedale San Raffaele è attivo uno studio sperimentale di fase I-II per pazienti affetti da Mucopolisaccaridosi di tipo I, variante di Hurler (MPS-IH) basato sull'infusione di cellule staminali ematopoietiche autologhe geneticamente modificate con un vettore lentivirale IDUA codificante il gene umano dell' α -L-iduronidasi.

Lo scopo di questo studio è valutare la sicurezza e l'efficacia dell'infusione di cellule CD34+ autologhe trasdotte con un lentivirus codificante il gene IDUA in pazienti pediatrici affetti da MPS-IH dopo condizionamento mieloablativo. La terapia genica si propone di fornire livelli di enzima IDUA superiori a quelli di un donatore sano, come dimostrato nello studio clinico per la terapia genica per la leucodistrofia metacromatica.

Verranno arruolati in totale 6 pazienti pediatrici affetti da MPS-IH che non dispongano di un donatore familiare HLA-identico (non eterozigote per IDUA) o di un donatore di sangue placentare HLA-compatibile adeguato. Verranno, invece esclusi dallo studio i pazienti con un DQ/IQ <70 e quelli che sono stati sottoposti ad un trapianto allogenico di cellule staminali ematopoietiche o a terapia genica con un prodotto differente.

Lo studio in oggetto è stato approvato da AIFA, oltre che dal Comitato Etico dell'Ospedale San Raffaele. Lo scopo di questa lettera è quello di informarti che lo studio è aperto al reclutamento.

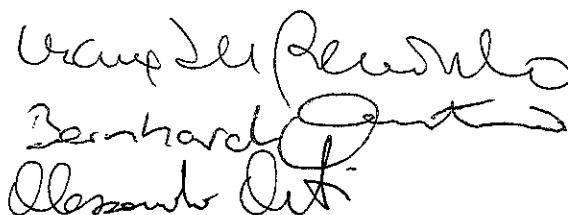
Non esitare a contattarci in caso tu sia interessato alla possibilità di riferire un paziente per l'arruolamento, secondo i criteri di eleggibilità riportati nel sito [Clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03488394) (<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03488394>).

Cari saluti.

Maria Ester Bernardo

Bernhard Gentner

Alessandro Aiuti



Ospedale San Raffaele
Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica (SR-TIGET),
Via Olgettina, 58/60
20132 Milano
Tel.: 02 26436329
bernardo.mariaester@hsr.it

