

La cerimonia

Dal coro dei bambini fino alla presenza di tutte le istituzioni

**Grandi e piccoli**

Da sinistra, l'avvio dei lavori di costruzione; il coro dei Mitici Angioletti e Roberto Davoli Direttore Generale CMB, Emanuela Bono Vicepresidente Zena Project e CFO Renovit e Siriana Bertacchini Presidente Zena Project e Direttrice BU Project e Servizi

La ricercadi **Anna Fregonara**

Genetica, staminali e AI

Le frontiere della terapia

Tra i tanti progetti, un «hub» per la produzione di farmaci innovativi

Anche al Gaslini di Genova, riconosciuto come uno dei principali poli pediatrici a livello nazionale e internazionale, c'è una fattoria. Ma è una fattoria speciale: si chiama Cell Factory, la fattoria delle cellule, struttura all'avanguardia dedicata alla produzione di cellule per terapie avanzate, realizzate secondo i più alti standard scientifici e normativi. «Un esempio consolidato di cellule coltivate in laboratorio sono le CAR-T, cellule del sistema immunitario geneticamente modificate per riconoscere e distruggere le cellule tumorali. Possono essere utilizzate per trattare forme refrattarie o particolarmente aggressive di malattie neoplastiche, come il neuroblastoma, il tumore solido più frequente nei bambini dopo quelli cerebrali, le leucemie e i linfomi», spiega Angelo Ravelli, direttore scientifico dell'IRCCS Gaslini e professore ordinario di Pediatria all'Università di Genova.

«Le CAR-T sono uno dei filoni più promettenti assieme



Angelo Ravelli direttore scientifico dell'IRCCS Gaslini e ordinario di Pediatria a Genova

a quello dell'immunoterapia che addestra il sistema immunitario a colpire il tumore in modo mirato. Un'altra applicazione è la creazione di cellule potenziate per contrastare batteri resistenti anche agli antibiotici più sofisticati e per riparare, attraverso la cosiddetta medicina o chirurgia rigenerativa, tessuti danneggiati da ulcere, processi infiammatori o infezioni. In ortopedia, le cellule staminali aiutano a rigenerare l'osso nei casi di necrosi avascolare della testa femorale, una condizione in cui la riduzione del

flusso sanguigno causa la morte del tessuto osseo». La ricerca del Gaslini è elettivamente traslazionale e viene condotta attraverso un approccio interdisciplinare che punta a trasformare rapidamente le scoperte scientifiche in applicazioni cliniche, accelerando il passaggio dal laboratorio al letto del paziente.

Negli ultimi anni, il Gaslini ha ottenuto un importante riconoscimento dal Ministero della Salute, vincendo due finanziamenti nell'ambito dei Piani Operativi Salute, per un totale di 18 milioni di euro. Il

La formula**Il partenariato pubblico-privato**

Il Nuovo Gaslini prende vita grazie alla partnership professionale e finanziaria tra pubblico e privato in un complesso progetto di progettazione, costruzione e ristrutturazione edilizia, tecnologica e funzionale, seguito dalla gestione dei servizi energetici e di facility management, che «è stato reso possibile da un Partenariato Pubblico Privato (PPP)», come ha sottolineato il direttore generale Renato Botti. Che ha aggiunto: «In pochi mesi siamo riusciti a passare dall'idea di costruire un nuovo ospedale, all'assegnazione della concessione a Zena Project e all'avvio dei lavori».

primo è legato alla Cell Factory e ha l'obiettivo di trasformarla in un hub nazionale per la produzione di farmaci innovativi. Il secondo progetto, denominato LifeMap, punta a raccogliere campioni genetici da migliaia di pazienti pediatrici e adulti affetti da malattie croniche e neoplastiche, integrando questi dati con informazioni su fattori di rischio ambientali e stili di vita. «L'idea è comprendere meglio l'impatto di questi fattori sullo sviluppo delle patologie cronico-degenerative più comuni nell'età adulta,

come diabete, obesità, ipertensione, tumori e malattie autoimmuni», dice il professore. «Il progetto si basa sulla crescente consapevolezza che la prevenzione di molte di queste patologie debba iniziare già nelle prime fasi della vita e che l'identificazione dei fattori di rischio possa permettere di individuare in modo precoce i soggetti predisposti a sviluppare malattie in età avanzata».

La genetica è un'altra area in cui l'istituto vanta una lunga tradizione, grazie all'esperienza maturata nella diagnostica e nel trattamento di bambini affetti da malattie rare. «Di recente, un team di nostri ricercatori, in collaborazione con un centro canadese, ha individuato nuove possibili associazioni genetiche con l'autismo, identificando mutazioni che potrebbero predisporre allo sviluppo di questa condizione», conclude Ravelli. «Inoltre, stiamo investendo sul genome editing, una tecnica innovativa di manipolazione genetica. Una volta identificata la mutazione, con un sistema di «taglia e cuci» si interviene sul DNA e si cerca di ripristinare il corretto fun-

Angelo Ravelli

«Un esempio consolidato di cellule coltivate in laboratorio sono le CAR-T»

zionamento del gene, bloccando la progressione della malattia. Siamo al lavoro anche sulle patologie autoimmuni, come l'artrite idiopatica giovanile, il lupus e la dermatomiosite, e autoinfiammatorie». Infine, spazio a intelligenza artificiale e telemedicina. In collaborazione con l'Università di Genova, il Gaslini ha potenziato il laboratorio di bioinformatica per analizzare dati genetici e clinici, con l'obiettivo di sviluppare modelli predittivi e terapie personalizzate.