



## Ricerca, 40 anni Irccs Bambino Gesù<sup>1</sup>: nuovo laboratorio di terapia genica

### Descrizione

(Adnkronos) Dal primo trapianto di cuore pediatrico alla prima terapia genica per i tumori solidi, l'ospedale pediatrico Bambino Gesù<sup>1</sup> di Roma da sempre è l'ospedale dei casi difficili. La storia dei suoi primi 40 anni come Istituto di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico (Irccs) è celebrata questa mattina durante l'evento "la Ricerca X la Cura", nella sede di San Paolo, alla presenza del segretario di Stato della Santa Sede, cardinale Pietro Parolin, del ministro della Salute, Orazio Schillaci, del presidente della Regione Lazio, Francesco Rocca, e del sindaco di Roma, Roberto Gualtieri. È un momento importante per rilevare la presenza e il ruolo del Bambino Gesù<sup>1</sup> nella sanità cattolica e italiana ha detto il segretario di Stato della Santa Sede, cardinale Pietro Parolin ai giornalisti entrando sono qui per sottolineare questa dimensione.

Il nuovo Laboratorio di Terapia genica del Bambino Gesù<sup>1</sup> è stato finanziato dal Pnrr-NextGenerationEU attraverso il Ministero dell'Università e della Ricerca e grazie alla progettualità condotta dal Centro Nazionale di Ricerca per lo Sviluppo di Terapia Genica e Farmaci a Rna. Il nuovo laboratorio, che si estende su circa 700 metri quadri, rappresenta un importante passo avanti nella ricerca e nel trattamento delle malattie onco-ematologiche e immunologiche pediatriche. È attrezzato con le tecnologie più avanzate per la ricerca e lo sviluppo di farmaci cellulari geneticamente modificati, da produrre nell'adiacente Officina Farmaceutica del Bambino Gesù<sup>1</sup>, situata all'interno dei laboratori di ricerca inaugurati nel 2014 nella sede di San Paolo fuori le Mura tra i più grandi in Europa in campo pediatrico. La nuova struttura permetterà di internalizzare l'intera filiera produttiva delle terapie avanzate, aumentando significativamente la capacità di produzione e la disponibilità delle cure. Questo consentirà di curare un numero maggiore di bambini, in tempi più rapidi e con una riduzione dei costi, rendendo le terapie innovative più accessibili e contribuendo in modo decisivo alla lotta contro malattie oncologiche, genetiche e immuno-mediate in età pediatrica. Il nuovo Laboratorio di Terapia Genica è il frutto di un lavoro corale che unisce il Bambino Gesù<sup>1</sup> agli altri partners del Centro Nazionale di Ricerca per lo Sviluppo di Terapia Genica e Farmaci a Rna ha dichiarato il professor Franco Locatelli, Responsabile del Centro Studi Clinici Oncoematologici e Terapie Cellulari del Bambino Gesù<sup>1</sup>. Insieme stiamo costruendo un ecosistema scientifico e produttivo capace di accelerare lo sviluppo di terapie avanzate e di renderle concretamente disponibili per i bambini e le famiglie che ne hanno più bisogno. È un investimento sul futuro della medicina pediatrica e sulla speranza di molte famiglie, che potranno contare su terapie nate e sviluppate

interamente nel nostro Paese?•.

In 40 anni come Irccs, il Bambino Gesù<sup>1</sup> ha costruito â??un modello unico di integrazione tra ricerca e curaâ?•, diventando davvero â??lâ??ospedale dei casi difficiliâ??. Oggi, ricordano dalla struttura, Â?? il primo Irccs pediatrico in Italia per produzione scientifica e numero di progetti di ricerca. Dal primo trapianto di cuore in Italia su un bambino (1986), lâ??ospedale ha continuato a superare i limiti della medicina pediatrica. Nel 1994 nasce il Comitato etico, garanzia di rigore scientifico e tutela dei pazienti; nel 1997 vengono istituiti i reparti di Immunoinfettivologia e di Trapianto di midollo, capostipite delle future terapie cellulari.

Con il Laboratorio di robotica e analisi del movimento (2000) e il Clinical Trial Center (2010), la ricerca clinica e traslazionale trova nuove sedi e strumenti dedicati. Da allora, una lunga serie di primati: il primo cuore artificiale pediatrico permanente al mondo (2010), il primo trapianto di cellule staminali geneticamente modificate da genitore a figlio (2014), la prima terapia con cellule Car-T in Italia (2018) e, nel 2024, le prime terapie con cellule Car-T al mondo per malattie autoimmuni pediatriche. Il Bambino Gesù<sup>1</sup> fa parte di 5 reti tematiche degli Irccs e di 20 reti di riferimento europee (Ern) per le malattie rare. Ha 2.500 collaborazioni attive con altri enti di ricerca, lâ??80% delle quali internazionali.

â??Quarantâ??anni fa, il mondo della pediatria era molto diverso da quello che conosciamo oggi â?? ha raccontato nel suo intervento il direttore scientifico del Bambino Gesù<sup>1</sup>, Andrea Onetti Muda â?? Le possibilitÃ terapeutiche erano limitate, la ricerca poco integrata con la clinica, le tecnologie ancora poco piÃ che rudimentali. Eppure, giÃ allora era presente un piccolo seme che germogliava: câ??era una visione, quella di unire la cura dei piÃ fragili alla forza della ricerca scientifica. Quella visione Â?? diventata una realtÃ , e lo Â?? diventata piÃ rapidamente e su scala piÃ ampia di quanto allora si potesse mai immaginare. Decine di migliaia di bambini hanno ricevuto nel nostro ospedale cure che prima non esistevano. E tante famiglie hanno potuto guardare al futuro con speranzaâ?•.

E câ??Â?? il capitolo ricerca del Bambino Gesù<sup>1</sup>, con i suoi numeri: nel 2024 le pubblicazioni scientifiche sono state 1.293 con un impact factor di 4.651 punti. Il personale a vario titolo impegnato nella ricerca Â?? stato di 2mila persone, i progetti di ricerca attivi sono stati 458, mentre gli studi clinici 550. Il Bambino Gesù<sup>1</sup> gestisce anche la piÃ ampia casistica nazionale di malati rari in etÃ pediatrica. Negli ultimi 10 anni, ha scoperto e descritto oltre 100 nuovi geni malattia. Lâ??ospedale ha effettuato in tutto piÃ di 1.200 trapianti di organi solidi e oltre 2.500 trapianti di midollo, la larga parte dei quali negli ultimi 15 anni, periodo in cui Â?? il centro con lâ??attivitÃ largamente prevalente nel Paese.

Durante la tavola rotonda dedicata al presente e al futuro della ricerca del Bambino Gesù<sup>1</sup> Â?? emersa â??la visione di una medicina personalizzata e condivisa: una ricerca che costruisce terapie su misura per ogni bambino, ma punta anche a rendere queste scoperte accessibili a tutti i pazienti, pediatrici e adulti. Le scelte strategiche compiute negli anni passati per anticipare la ricerca sulle terapie avanzate si rivelano oggi decisive, con benefici che si estendono giÃ oltre lâ??oncologia, a vantaggio non solo dei bambini trattati al Bambino Gesù<sup>1</sup>, ma anche da altri centri e degli adultiâ?•, sottolinea lâ??ospedale nella nota.

La genetica funzionale si avvale del Laboratorio zebrafish, â??che consente di validare rapidamente nuovi geni-malattia e verificare empiricamente i meccanismi che causano la malattia del singolo paziente. In ambito reumatologico, la scoperta della â??firma infiammatoriaâ?? nella sindrome da attivazione macrofagica ha contribuito a rendere curabile una patologia un tempo spesso letale, costituendo un modello per altre malattie con componenti infiammatorie â?? prosegue la nota â?? La

medicina rigenerativa e la stampa 3D, su cui l'ospedale sta già lavorando, consentiranno di ricostruire tessuti e organi su misura, mentre l'uso innovativo della macchina per la perfusione extracorporea originariamente progettata per conservare organi da trapianto permette oggi di mantenere in vita organi malati espianati per studiarne le patologie, sperimentare nuovi modelli terapeutici e rigenerarli per renderli idonei al trapianto. Tutti questi percorsi dimostrano come il modello di ricerca del Bambino Gesù unisca innovazione, precisione e attenzione al singolo, con l'obiettivo di tradurre l'eccellenza scientifica in cure concrete per ogni paziente.

?

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

### Categoria

1. Comunicati

### Tag

1. Ultimora

### Data di creazione

Ottobre 28, 2025

### Autore

redazione

default watermark