

La terapia genica restituisce la vista a due bambini ipovedenti dalla nascita

La tecnica denominata Luxturna è stata eseguita per la prima volta in Italia alla clinica oculistica dell'Università degli Studi della Campania Luigi Vanvitelli, permettendo di riparare la mutazione di un gene responsabile del problema visivo ereditario

Due bambini di otto e nove anni ipovedenti fin dalla nascita hanno recuperato la vista grazie alla [terapia genica](#), eseguita per la prima volta in Italia alla Clinica oculistica [dell'Università degli Studi della Campania Luigi Vanvitelli](#), realizzato in collaborazione con l'azienda farmaceutica Novartis. Attraverso questa tecnica innovativa, chiamata Luxturna, è stato possibile riparare la mutazione di un gene denominato RP65 che era alla base della distrofia retinica ereditaria di cui soffrivano i due piccoli pazienti.

Terapia genica ridà la vista a due bambini: primo caso in Italia

Era stata una particolare forma di distrofia retinica ereditaria a rendere ipovedenti i due bambini di otto e nove anni curati grazie alla terapia genica nella clinica dell'ateneo campano. Questo tipo di patologie porta a una degenerazione progressiva dei fotorecettori visivi a causa di meccanismi che coinvolgono i geni. Nel caso dei due pazienti, il gene RP65 presentava mutazioni che avevano causato la compromissione delle abilità visive: grazie alla tecnica nota come Luxturna, eseguita in Italia per la prima volta, il team della clinica oculistica ha corretto i difetti presenti fornendo, tramite una sola somministrazione, una copia funzionante del gene RP65. In questo modo, nel giro di pochi giorni i due bambini hanno mostrato importanti miglioramenti nella visione. L'innovativa terapia genica, che viene [iniettata direttamente nell'occhio](#) del paziente durante un intervento chirurgico, è stata sviluppata attraverso una collaborazione tra l'Università degli Studi della Campania Luigi Vanvitelli e l'azienda farmaceutica Novartis.

Una speranza per la cura della distrofia retinica ereditaria

Francesca Simonelli, direttrice della clinica oculistica dell'ateneo Vanvitelli, si è detta soddisfatta del risultato raggiunto grazie a una cura nata a Napoli 12 anni fa grazie a una collaborazione con la Fondazione Telethon e il Children Hospital di Philadelphia. La terapia, i cui esiti risultavano molto positivi a pochi giorni dall'intervento del 27 novembre, offre quindi una speranza di guarigione alle persone affette dalla stessa [distrofia retinica](#) ereditaria, di cui in Italia si contano tra i 40 e 50 casi.



Francesca Simonelli, direttrice della clinica oculistica dell'ateneo Vanvitelli (Ansa)