

# PROCESSO DI RECLUTAMENTO TERAPIA GENICA PER RAG1-SCID (CONSORZIO RECOMB)

STUDIO  
CLINICO  
APERTO



## Consorzio RECOMB

Il **RECOMB** è un consorzio di ricerca avviato nel 2018, che riunisce professionisti clinici e di ricerca provenienti da 16 istituti europei e 1 israeliano con esperienza nella gestione di errori congeniti dell'immunità (IEI), come l'immunodeficienza combinata grave (SCID).

Il progetto è stato finanziato dal programma Horizon 2020 dell'Unione Europea.

## Studio clinico RECOMB

FASE I/II

Il paziente con RAG1-SCID sarà ricoverato nell'unità di trapianto e terapia genica del Dipartimento di Oncematologia e Terapia Cellulare e Genica dell'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma, per ricevere il trattamento, evitando così di viaggiare all'estero.

Lo studio consiste nell'infusione di cellule CD34+ autologhe trasdotte con il lentivirus RAG1 in pazienti con SCID dovuta a deficienza di RAG1. Lo studio ha già arruolato due pazienti con un follow-up soddisfacente fino a due anni.

## OBIETTIVO

Offrire una nuova opzione terapeutica basata sulla terapia genica a neonati e bambini con una delle forme più comuni di SCID: il deficit di RAG-1

## CRITERI

INCLUSIONE	ESCLUSIONE
SCID da difetto di RAG1 confermato geneticamente	Disponibilità di un donatore HLA-compatibile
Età inferiore a 2 anni	Linfociti T periferici >300/ $\mu$ L e/o linfociti T naïve >1/ $\mu$ L
Indisponibilità di un donatore HLA-compatibile	Sindrome di Omenn
Linfociti T periferici <300/ $\mu$ L e/o linfociti T naïve <1/ $\mu$ L	Precedente trapianto di cellule staminali
Assenza di sindrome di Omenn	Significativa disfunzione d'organo

## CONTATTO

### CENTRE-SPECIFIC (MATTIA ALGERI)

 mattia.algeri@opbg.net

 +390 668 592 066

 <http://www.recomb.eu/>

