

Telethon: salveremo anche i bambini-bolla

Accordo storico con la Glaxo e il San Raffaele di Milano
 «Finzieremo gli studi contro sette malattie genetiche»

La storia

ELENA LISA
 MILANO

L'INVESTIMENTO Il colosso farmaceutico ha stanziato 10 milioni per laboratori e test
IL PRESIDENTE MONTEZEMOLO «E' la dimostrazione che anche in Italia si fa ricerca d'avanguardia»

Parole che non dimentico. Ero in un ospedale infantile ed Enrico, un bambino affetto da una malattia genetica rara, mi si è avvicinato e ha detto «Lei con la Ferrari vince sempre, sono sicuro che con Telethon batterà anche il mio male prima che io muoia».

Luca Cordero di Montezemolo, presidente della Fondazione, nata dalla volontà di Susanna Agnelli, che da 20 anni sostiene la ricerca sulla distrofia muscolare e altre patologie genetiche, non parla di politica né di economia. Fa giusto qualche accenno alla Formula Uno, niente di più. Lo dice categorico: «È la giornata della ricerca, delle malattie rare combattute e vinte, e di una grande soddisfazione raggiunta». Quella per l'accordo siglato tra Telethon, l'istituto scientifico San Raffaele di Milano e la multinazionale Glaxo Smith Kline che, senza enfasi, Montezemolo definisce un patto «storico».

Il colosso farmaceutico ha stanziato 10 milioni di euro - investimento destinato ad aumentare - per dare a tutto il mondo la terapia che cura la malattia genetica Ada Scid, patologia che impedisce lo sviluppo del sistema immunitario dei bambini, costretti per questo a vivere esclusivamente in ambienti sterili, in «bolle» dall'atmosfera purificata. «L'accordo con la Glaxo - ha detto Montezemolo - è la prova di come, anche in Italia, si possa fare ricerca all'avanguardia e che, quando si mettono in campo traspa-

renza, efficienza e merito, il nostro Paese non è secondo a nessuno».

Certamente mai secondi per generezza: quella degli italiani che con le donazioni alla Fondazione sostengono la ricerca, e quella degli studiosi del San Raffaele e di Telethon, riuniti nel gruppo di lavoro Hsr-Tiget, che si applicano per la cura di malattie genetiche rare e impegnano enormi fatiche sapendo che eventuali scoperte coinvolgeranno pochissime persone al mondo. I numeri dicono tutto: le patologie rare, stimate tra le 6 mila e le 8 mila, colpiscono in Europa circa 30 milioni di persone e 25 negli Stati Uniti. Ma la medicina prevede una cura solo per il 10 per cento dei malati.

«È stato un azzardo il nostro? - si chiede Francesca Pasinelli, direttore generale di Telethon -. Per la verità non l'abbiamo mai pensato. Primo perché eravamo certi che i risultati della nostra ricerca fossero di alto livello e poi perché davanti alla possibilità di aiutare dei bambini, seppur pochi, sapevamo che nessuno si sarebbe tirato indietro».

Non l'ha fatto l'industria farmaceutica britannica che ha deciso un primo finanziamento di 10 milioni di euro a cui ne seguiranno altri a seconda dei risultati raggiunti sulla sperimentazione di terapie per sei malattie genetiche rare: la sindrome di Wiskott-Aldrich, la leucodistrofia metacromatica e globoide, la beta talassemia, la mucopolisaccaridosi e la granulomatosi cronica. Patologie che per i piccoli ammalati e per le loro famiglie rappresentano, ora, tunnel

neri senza via d'uscita. Non è così per i ricercatori italiani che - notizia nella notizia - sono certi di vincerle grazie a una tecnica scientifica illuminante: i bambini «malati rari» si cureranno con il virus che provoca l'Aids, l'Hiv, che farà da «cavallo di Troia» veicolando, all'interno della cellula difettosa, i geni sani.

«È una tecnica sicura - spiega Luigi Nardini direttore dell'Hsr-Tiget - che sperimentiamo da 15 anni: il virus dell'Hiv viene depotenziato e i bambini non solo non si ammalano di sindrome da immunodeficienza acquisita, ma in più guariscono dal loro male». Una grande scoperta. La cura prevede l'uso del proprio sangue a cui si aggiunge il virus, che, «ingegnerizzato», moltiplica la sua azione correggendo l'anomalia. Un particolare, questo, che annulla problemi di «incompatibilità» e garantisce che tutti si possano curare. Senza contare - dicono fin d'ora i ricercatori - che il metodo verrà adoperato per la cura di altre patologie: «Proprio come accade in Formula Uno - semplifica con una metafora Montezemolo - per anni si ricerca in aereodinamica, ingegneria, meccanica, ma solo i risultati migliori vengono applicati alle vetture di serie». Quelle che alla fine vincono.

2.661

i progetti

Complessivamente le ricerche sono finanziate dalla Fondazione con 323 milioni di euro

154

le malattie

È il numero di patologie rare su cui stanno lavorando i ricercatori Telethon

7.393

le pubblicazioni

Sono gli articoli dei lavori condotti da Telethon e comparsi sulle riviste scientifiche

