

Il direttore generale di Telethon “Non mi davano i dati, ho lasciato”

“Le esigenze dei pazienti vanno intrecciate col rigore della ricerca”

Intervista



GABRIELE BECCARIA

Si chiama «Cure Alliance» e aveva obiettivi ambiziosi, come rendere il più veloce possibile il trasferimento della ricerca di laboratorio alle applicazioni per i malati. Ma la promessa della fondazione presieduta da Camillo Ricordi è rimasta tale e pochi giorni fa molti scienziati di fama del suo «board» hanno deciso di andarsene. La ricerca - spiega uno di loro, Francesca Pasinelli, direttore generale di Telethon - ha regole che non si possono ignorare né tantomeno violare.

Dottoressa, il punto è l'appoggio incondizionato di Ri-

cordi al metodo Stamina che lei, come tanti altri ricercatori, non poteva e non può condividere, giusto?

«Io, insieme con alcuni scienziati, avevo aderito a «Cure Alliance» perché si riprometteva di sensibilizzare le autorità regolatorie sullo sviluppo delle terapie innovative, soprattutto per malattie rare o neglette. In questi casi la velocità può fare la differenza. Ma il problema è che non abbiamo mai ricevuto comunicazioni né che siamo mai stati coinvolti in alcuna attività. Ecco perché me ne sono andata, avendo dei dubbi sull'utilità della mia presenza. Quanto a Stamina, «Cure Alliance» non è mai espressa in modo esplicito, ma la fondazione Telethon, di cui sono direttore, ha sempre espresso una posizione critica per il semplice fatto che non abbiamo mai visto i dati tecnici».

L'obiezione dei vostri avversari è sempre la stessa, semplice e

astuta: non vi preoccupate abbastanza dei malati. Che cosa si risponde in questi casi?

«Che noi di Telethon conosciamo bene l'urgenza dei malati che soffrono di malattie gravi e spesso incurabili. Ecco perché cerchiamo delle soluzioni. Ma riteniamo che le esigenze dei pazienti debbano necessariamente intrecciarsi con programmi di ricerca medica rigorosi, che rispondano alle regole che la ricerca stessa si è data a livello internazionale, a cominciare dalla verifica e dalla condivisione dei dati di laboratorio. Nel caso di Stamina abbiamo constatato che i dati non erano consultabili. Il protocollo di qualunque sperimentazione, al contrario, deve essere definito in ogni dettaglio. Solo così si può stabilire nel modo più oggettivo possibile se un trattamento ha un effettivo valore terapeutico. Prescindere da questo principio significa danneggiare prima di tutto i pazienti».

Il modello Telethon di ricerca è rispettato in tutta la comunità scientifica internazionale per il rigore e l'efficacia. Il caso della

terapia genica per i bambini che nascono con la leucodi-

strofia metacromatica è l'esempio più recente. In dettaglio come funziona?

«Il nostro modello è quello di una charity che agisce ispirandosi ai criteri dell'industria farmaceutica. Lavoriamo con fondi raccolti dal pubblico e quindi l'obiettivo è presentare alle autorità regolatorie - italiane come internazionali, dall'Istituto superiore di Sanità all'Emea europea - dati verificati, che non abbiano più bisogno di essere replicati. E quindi dati che possano essere utili ai fini registrati. Il caso della terapia per la leucodistrofia è emblematico: sta seguendo l'iter richiesto per i farmaci, anche se, di fatto, è ancora più complessa. Partendo da un virus ingegnerizzato con un gene specifico, infatti, si arriva all'infusione di staminali modificate del paziente stesso. È un percorso lungo, che condividiamo con le autorità che conoscono il nostro rigore».

Senza scorciatoie, non è così?

«Esatto. Il cammino della ricerca è tortuoso e difficile, fatto di tappe intermedie, e le regole sono necessarie per la tutela della vita di tutti».

Nel caso di Stamina i dati non erano consultabili. Invece il protocollo deve essere definito nei dettagli

Francesca Pasinelli
Direttore generale di Telethon

