

## TELETHON

# La triplice alleanza per combattere gravi malattie genetiche

di **FRANCESCA PASINELLI** \*

La notizia è di qualche giorno fa. Per l'esattezza del 18 ottobre, quando è stata annunciata al mondo intero la 'triplice alleanza' tra la Fondazione Telethon, il San Raffaele di Milano e l'industria farmaceutica GlaxoSmithKline (GSK). Un'alleanza che dovrebbe permettere, nel giro di pochi anni, di rendere fruibili a tutti i pazienti le terapie messe a punto dai ricercatori Telethon per sette gravi malattie genetiche. Per spiegarla, però, c'è bisogno di fare un passo indietro. E di tornare indietro di vent'anni.

Nel 1990 noi di Telethon avevamo cominciato prendendo un impegno. Ad un gruppo di donne, con i figli colpiti da una grave malattia genetica, avevamo promesso che ci saremmo dati da fare per riuscire a raccogliere i fondi e per far sì che la ricerca finanziata fosse la migliore possibile. La parola cura, allora, avevamo quasi paura a pronunciarla. Sapevamo tutti che quello era l'obiettivo finale. Ma le malattie genetiche erano così tante e così poco conosciute che nessuno si azzardava a fare previsioni.

Oggi, per fortuna, non è più così. Venti anni di studi, più di duemila progetti di ricerca finanziati con oltre trecento milioni di euro hanno fatto sì che di qualche centinaio di malattie si sia trovata la causa, si siano capiti i meccanismi e si siano cominciate a mettere a punto soluzioni terapeutiche. Per un gruppo ristretto di queste patologie, poi, le terapie hanno dimostrato di funzionare. In un caso, quello di una grave immunodeficienza, siamo arrivati alla soluzione, guarendo definitivamente 14 bambini provenienti da tutto il mondo. Per altre sei patologie la ricerca è ad un passo dal traguardo.

Lieto fine, dunque, sia pure solo per poche malattie? Non del tutto, perché per arrivare a mantenere l'impegno iniziale mancava un passo fondamentale. Quello che permette che la terapia venga industrializzata e messa in commercio in modo che tutti possano utilizzarla. Ed è qui che interviene la "triplice alleanza". Adesso i ricercatori dell'Istituto San Raffaele Telethon riceveranno da GSK un primo finanziamento di 10 milioni di euro per sviluppare la sperimentazione clinica della terapia genica e per renderla poi fruibile. Un contributo che potrà essere seguito da ulteriori stanziamenti man mano che verranno raggiunti i risultati intermedi previsti dall'accordo e che permetterà a Telethon di investire più risorse nella ricerca su tante altre malattie.

\* **Direttore generale Fondazione Telethon**

