

LA MALATTIA RARA. Nel 2002 il primo riconoscimento ufficiale

Quella scoperta scientifica nata nel Vicentino

La cura per la "leucodistrofia metacromatica" trovata al S. Raffaele dopo lo studio Baschiroto

Eugenio Marzotto
LONGARE

Giocherella tenendo in mano dei piccoli involucri di plastica, dentro ci sono campioni di dna umano che arrivano da Bogotà e dall'Università della Sapienza di Roma. Sul tavolo c'è anche uno scottex dove avvolto ci sono cromosomi cinesi applicati in una specie di adesivi.

È tutto così normale alla Fondazione Baschiroto di Costozza che sembra sfuggirti via l'idea che qui dentro si lavora per guarire malattie rarissime. Milioni di ore passate al microscopio per conquistare un grammo di successi scientifici. E poi arriva la notizia che quei sacrifici e quelle migliaia

di chilometri percorsi in treno o autostrada sono serviti a qualcosa.

LO STUDIO. La scoperta scientifica dell'anno arriva dal San Raffaele di Milano, un'équipe di ricercatori ha scoperto la cura per la sindrome della leucodistrofia metacromatica, in provincia c'è un solo caso tra quelli accertati, colpisce almeno un piccolo su 250 mila, anche se è difficile fare delle stime. Ma quella scoperta non sarebbe potuta arrivare se prima la fondazione Baschiroto non avesse portato avanti la ricerca per quasi dieci anni, passando poi il testimone alla clinica lombarda e a Telethon che finanziò nuovi studi.

Il retroscena arriva in questi giorni, sono Giuseppe e Anna Albarello, compagni di mille avventure, capaci di porre una pietra fondamentale nello sviluppo della medicina italiana.

«Nel 2010 io e mia moglie ci trovavamo ad una conferenza a Milano in cui la direttrice di Telethon annunciava che era stata avviata la sperimentazione sulla leucodistrofia meta-

cromatica su una bimba albanese. E in quell'occasione dal palco spiegavano che non sarebbe stato possibile senza il lavoro della nostra fondazione». Fu il riconoscimento pubblico di quel lavoro durato otto anni.

DALLA CALABRIA. Tutto iniziò nel '92 quando una mamma calabrese si rivolse a Vicenza per chiedere aiuto: «All'epoca eravamo alla preistoria delle genetica - racconta Baschiroto - parlare di malattie rare in certi ambienti scientifici era quasi una perdita di tempo». Iniziarono i contatti con i guru della ricerca, come Claudio Bordignon (il primo al mondo a completare una terapia genetica) che a Giuseppe e Anna disse: «Nessuno può entrare nel sistema nervoso, trovate soldi e ricercatori, poi vediamo».

La ricerca finanziata dalla fondazione vicentina alla fine

Cos'è

LA SINDROME-KILLER

La leucodistrofia metacromatica è una malattia rara ma gravissima, caratterizzata dal progressivo accumulo di sostanze tossiche a livello del sistema nervoso. Compare spesso nella tarda infanzia e comporta difficoltà nel camminare, atrofia ottica e regressione motoria, prima di coinvolgere anche la funzionalità mentale.

Nel giro di pochi anni, i sintomi si aggravano fino ad arrivare a uno stadio di decerebrazione e infine al decesso, che avviene entro pochi anni dalla comparsa dei primi sintomi.



I NUOVI STUDI

I medici hanno isolato le staminali dal midollo osseo dei bambini - prelevato dall'anca - poi le hanno sottoposte a terapia genica con l'HIV e infine le hanno rinfuse nei piccoli pazienti, senza problemi di rigetto. La sperimentazione è partita nel 2010 su sedici piccoli pazienti, di cui sei affetti da malattie neurodegenerative; dopo tre anni, sei di loro sono rinati.●



Una ricercatrice della Fondazione Baschiroto che ha sede a Costozza di Longare. FOTO COLORFOTO

del '93 si spostò al San Raffaele e iniziarono le ricerche per combattere la sindrome mortale, ci lavorarono giorno e notte Antonella Consiglio, Gianmaria Severini e Antonella Sangalli sotto la supervisione di Bordignon che aveva già 10 anni fa aveva intuito come "ripulendo" il virus Hiv e diffondendolo nelle cellule si poteva contrastare la leucodistrofia metacromatica.

Nel 2002 la svolta con le prove fatte in sei mesi su delle cavie. La prestigiosa rivista scientifica Nature scrive che la ricerca ha ottenuto un grande risultato scientifico perché c'è stata una regressione del danno neurologico, in una parola, si può guarire, considerati però i risultati sugli animali. È il timbro mondiale sulla bontà del lavoro fatto dai Baschiroto.

FASE DUE. A quel punto però

serve la sperimentazione sull'uomo, il rapporto con Bordignon si interrompe e il timone dell'iniziativa scientifica passa a Telethon che finanzia il progetto. Si ricomincia, dopo estenuanti richieste ai comitati etici e la caccia ai soldi che non bastano mai. Il primo risultato arriva nel 2010 dopo aver esaminato decine di bambini che hanno lottato insieme alle famiglie per avere una speranza.

Ma quella sindrome-killer nel frattempo ha ucciso centinaia di bambini e mentre i Baschiroto continuano a mantenere i contatti con il San Raffaele, tre ricercatori trovano la strada giusta. Dopo Bordignon, prende il comando della ricerca Luigi Naldini che insieme a Maria Sessa ed Alessandra Biffi arrivano alla fase finale, tenendo sotto osservazione sei bambini dai 3 ai 6 an-

ni. «Hanno aperto una strada fondamentale, hanno dimostrato che le cellule staminali veicolate dall'Hiv ripulito, possono far regredire la malattia», spiegano Anna e Giuseppe. C'è un caso anche a Vicenza, quello del piccolo Alessandro e di mamma-coraggio Elisabetta che nel libro "La speranza è un fiore di campo" di Francesco Boni, scrive: «Ognuno ha la sua chiave per non farsi travolgere dalla sofferenza, noi abbiamo trovato una sorta di equilibrio che ci aiuta ad elaborare il lutto: facciamo un passo alla volta, vivendo il più possibile momenti positivi ogni giorno».

È allora salta alla mente che in questi giorni la commissione etica del ministero sta esaminando il metodo stamina. Giuseppe non ha dubbi «Una follia opporsi».●

Una follia opporsi al metodo stamina oggi al vaglio del ministero