

IN PIAZZA A VOLTRI

Ricercatori «fiorai» contro la fibrosi

Monica Bottino a pagina 9

MALATTIA GENETICA C'è un portatore sano ogni 25 persone

Cammino, ciclamini e ricerca per battere la fibrosi cistica

Mamme voltresi e ricercatori dell'Itit insieme a raccogliere fondi per un grande progetto di cura

Monica Bottino

■ L'anno scorso si erano messe in cammino verso Santiago di Compostela portando un messaggio di solidarietà. Quest'anno si sono di nuovo messe in gioco per raccogliere fondi con la vendita dei ciclamini a favore della ricerca sulla Fibrosi Cistica. «Testimonial non famose ma semplicemente mamme che si mettono in cammino per donare un respiro», dicono le cinque mamme di Voltri che sostengono insieme con i loro figli scout la Fondazione ibrosi cistica delegazione di Genova, guidata dall'instancabile Sandra Garau. Oggi la vendita dei ciclamini per la ricerca si sposta a Boccadasse con la partecipazione dei ricercatori dell'It di Bolzaneto, ai quali andranno i fondi raccolti in questi giorni. I ricercatori li utilizzeranno per un progetto importante che vede Genova capofila. «Task Force for Cystic Fibrosis (TFCF)» è un progetto strategico della durata di tre anni e mezzo (marzo 2014-agosto 2017), che aveva l'obiettivo di scoprire un composto o una combinazione di composti candidati a diventare farmaci per il trattamento del difetto di base nei malati FC con mutazio-

ne «F508del».

«L'obiettivo è stato raggiunto - dicono i ricercatori guidati da Tiziano Bandiera - Infatti sono stati identificati alcuni composti di elevata potenza, in grado di correggere in vitro il difetto molecolare che colpisce la maggior parte dei malati con fibrosi cistica. Tali

composti, già coperti da brevetto e in via di perfezionamento, hanno caratteristiche chimiche, metaboliche e di sicurezza tali da poter essere candidati a diventare farmaci

da sperimentare nell'uomo. Per arrivare agli studi clinici occorre passare a un'ulteriore fase di ricerca detta preclinica, che ha l'obiettivo di conoscere come si comportano

nell'organismo vivente su animali i composti selezionati; definire quanto a lungo mantengono l'attività terapeutica; sapere quanto sono sicuri; stabilire le dosi minime per

l'uomo; sintetizzarne quantità adeguate, da testare sull'uomo, sotto forma di preparati farmacologici. Collaborazio-

ne fondamentale verrà data da un'organizzazione specia-

lizzata nel supporto biotecnologico a questa particolare fase della ricerca, una CRO (Contract Research Organization)»

La fase preclinica avrà la durata di circa un anno a partire dai primi mesi del 2018. Sarà preceduta e assistita da uno studio di supporto iniziato a settembre della durata di un anno e condotto presso l'Istituto Italiano Tecnologie e l'Istituto G. Gaslini di Genova, con lo scopo di preparare e testare in vitro composti di riserva, modificando eventualmente quelli in studio preclinico, proponendo anche combinazioni di farmaci. L'obiettivo finale è quello di arrivare nel 2019 a uno studio clinico in malati di fibrosi cistica impiegando la combinazione di farmaci (correttori + potenziatore) risultata più efficace, più stabile e più sicura. La Fondazione Ricerca FC so-



stiene TFCF-Fase Preclinica e TFCF Extension, con un costo complessivo che si aggira su 1 milione e 250mila euro, lanciando sin d'ora la sfida per una nuova raccolta di fondi necessari all'avvio del progetto, in cui sono riposte le speranze di tanti pazienti e famiglie.

La fibrosi cistica è la più comune fra le malattie genetiche gravi. È una malattia presente dalla nascita in quanto dovuta a un'alterazione genetica. Chi nasce malato ha ereditato un gene difettoso sia dal padre sia dalla madre che sono, senza saperlo, portatori sani del gene CFTR mutato. In Italia c'è un portatore sano ogni 25 persone circa. La coppia di portatori sani, a ogni gravidanza, ha una probabilità su quattro di avere un figlio malato. La fibrosi cistica altera le secrezioni di molti organi che, risultando più dense, disidratate e poco fluide, contribuiscono al loro danneggiamento. A subire la maggiore compromissione sono i bronchi e i polmoni: al loro interno il muco tende a ristagnare, generando infezione e infiammazione ingravescenti. Queste, nel tempo, tendono a portare all'insufficienza respiratoria.

Oltre che respiratori, i sintomi sono a carico del pancreas, che non svolge l'azione normale di riversare nell'intestino gli enzimi: ne deriva un difetto di digestione dei cibi, diarrea, malassorbimento, ritardo di crescita nel bambino e scadente stato nutrizionale nell'adulto. Il progredire del danno pancreatico porta spesso con l'età a una forma di diabete.

Ad oggi, le cure sono dirette ai sintomi e alla prevenzione delle complicanze. Esistono protocolli terapeutici condivisi a livello internazionale che, presso centri specializzati, vengono adattati all'età e ai sintomi del singolo malato. In linea generale prevedono antibiotici per le infezioni polmonari, aerosol di antibiotici e farmaci fluidificanti le secrezioni, fisioterapia respiratoria, enzimi digestivi, nutrizione ipercalorica, trattamento delle complicanze. Il trapianto polmonare è una prospettiva terapeutica per i pazienti con

insufficienza respiratoria irreversibile.

È dunque comprensibile come la ricerca sia fondamentale.



Le mamme camminatrici di Voltri durante un momento del Cammino di Santiago per promuovere la raccolta di fondi sulla ricerca contro la fibrosi cistica. Di fianco la squadra di ricercatori dell'Iit guidata da Tiziano Bandiera, che sarà oggi a Boccadasse per la vendita solidale di ciclamini e per raccontare a che punto è la ricerca di una cura per la più diffusa delle malattie genetiche