



# Lotta alla fibrosi cistica Speranze da una molecola

**Ricerca.** La scoperta che fa sperare, ma la sperimentazione solo nel 2020  
La Fondazione: «Lo Stato non mette al centro l'educazione e la scienza»

Luis Galiotta e Tiziano Bandiera sono i due ricercatori cui si deve l'individuazione e le attuali ricerche sulla molecola Arn23765 la cui scoperta ha rafforzato la speranza per una cura radicale della fibrosi cistica, la malattia di cui è morta Angelica Angelinetta.

Galiotta, laureato in Scienze biologiche all'Università di Napoli, dopo alcune esperienze negli Stati Uniti, è stato ricercatore capo al laboratorio di Genetica molecolare dell'Istituto Giannina Gaslini di Genova e dal 2017 è all'Istituto Telethon di genetica e medicina (Tigem) di Pozzuoli. Ha coordinato il progetto promosso dalla Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica (Ffc) "Task Force for Cystic Fibrosis", che è stato svolto in collaborazione con l'Istituto italiano di tecnologia di Genova dove lavora Bandiera. Quest'ultimo, laurea e dottorato in chimica a Pavia, dopo una lunga esperienza nell'industria farmaceutica, dal 2008 è all'Iit dove è a capo di una delle linee di ricerca che si occupa della scoperta di nuovi farmaci.

## I test

«Abbiamo testato migliaia di composti chimici - spiega Galiotta - e i migliori li abbiamo

poi sperimentati su cellule di pazienti in vitro. Un lavoro lungo (il progetto è durato tre anni e mezzo, ndr), con un controllo di qualità continuo, una infinita pazienza e un fondamentale lavoro di squadra con tutti i ricercatori in campo».

Trovata la molecola più promettente, la ricerca prosegue ora sotto la guida di Bandiera. «La molecola che è stata individuata pensiamo che possa avere probabilità di successo - osserva il ricercatore - Prima però di arrivare a testare il farmaco sui pazienti abbiamo ancora una lunga strada da compiere». I primi risultati sono attesi per la fine dell'anno. «A quel punto - prosegue Bandiera - capiremo se continuare con il cosiddetto sviluppo pre-clinico oppure passare ad un'altra molecola. Se i risultati saranno positivi, come ci aspettiamo, il 2019 sarà dedicato a completare lo sviluppo pre-clinico del farmaco e se tutto andrà bene, saremo pronti per la sperimentazione sull'uomo nel 2020. Da parte delle famiglie c'è una grande aspettativa - conclude Bandiera - I tempi della ricerca, però, sono molto lunghi e ineludibili». Lunghi e costosi, da qui la necessità di raccogliere fondi.

«La fibrosi cistica è un pro-

blema che non può aspettare» sottolinea Gianni Mastella, medico, direttore scientifico e fondatore della Ffc così come, nel 1967, sempre a Verona, del primo centro ospedaliero per la fibrosi cistica, oggi il maggior istituto europeo dedicato alle cure di questi pazienti. «Lo Stato non mette al centro dei suoi programmi, come dovrebbe, l'educazione, la scienza e la ricerca, mentre i privati, mettiamola così, sopperi-

scono con un'azione di sussidiarietà - commenta Mastella - I pazienti stessi, i familiari, gli amici, i volontari, tutti coloro che hanno toccato con mano la fibrosi cistica e si adoperano a raccogliere fondi, sono una grande famiglia senza la quale la ricerca non sarebbe oggi possibile».

## La ricerca va intensificata

Oltre agli studi centrati su una cura che colpisca alla radice la causa della più diffusa malattia genetica grave, cioè il gene mutato e la proteina alterata da esso prodotta - «e ci arriveremo - dice Mastella - ormai ci siamo vicini» - l'altro grande ambito di ricerca riguarda le terapie sintomatiche per le complicanze polmonari, ad esempio, e quelle di altri organi come l'intestino, il pancreas e il fegato.

«Siamo partiti che i bambi-



ni morivano a pochi mesi di vita e con il tempo siamo riusciti a farli crescere, fino ad arrivare oggi ad un'aspettativa di vita media che supera i quarant'anni - conclude il professore - Ma non basta perché comunque è una vita guadagnata giorno per giorno a prezzo di pesanti cure e sofferenze. Dobbiamo intensificare la ricerca per colpire la malattia alla sua radice e molto precocemente: per questo abbiamo bisogno dell'aiuto di tutti». E il pensiero corre ad Angelica «riuscita a trascinare, con grande passione, verso questa meta una moltitudine straordinaria di persone».

C. Dot.

«I bimbi morivano a pochi mesi, oggi li facciamo crescere ma la strada è lunga»

## Fibrosi cistica



### COS'È

È la più comune tra le **malattie genetiche gravi**, causata dall'alterazione del gene che codifica la proteina Cfr (Cystic Fibrosis Transmembrane Regulator). **I malati ereditano un gene difettoso sia dal padre sia dalla madre**, inconsapevoli di essere entrambi portatori sani del gene mutato

FONTE: Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica



### COME AGISCE

**Altera le secrezioni di molti organi**, soprattutto bronchi e polmoni. **Oltre che respiratori, i sintomi sono a carico del pancreas**, che non svolge l'azione normale di riversare nell'intestino gli enzimi. Altre manifestazioni possono riguardare l'intestino, il fegato, le cavità nasali e nel maschio i dotti deferenti



### MALATTIA TIMER

**È chiamata malattia timer perché chi ne soffre è destinato a una vita più corta**. Negli anni Cinquanta si arrivava a pochi mesi o pochissimi anni di vita, oggi ci sono più adulti che bambini con fibrosi cistica e i progressi della ricerca hanno portato ad un'aspettativa media di vita oltre i quarant'anni



### I NUMERI

In Italia c'è un portatore sano ogni 25 persone circa e una coppia di portatori sani, a ogni gravidanza, ha una probabilità su 4 di avere un figlio malato. **A Como e provincia, nell'area di competenza di Ats Insubria, le persone malate di fibrosi cistica sono circa 59. In tutta la Lombardia sono 1200**



### IL TEST

È possibile scoprire se si è portatori sani eseguendo l'apposito test, dietro presentazione di richiesta del medico curante (indicare "Test genetico per ricerca delle mutazioni del gene CFTR"). Esperti suggeriscono di **non seguire il test in soggetti che non sono in età riproduttiva, oppure in soggetti minorenni**



### ENTI E ASSOCIAZIONI

**Ffc-Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica** ha 12 delegazioni in Lombardia, nella nostra provincia si trova a Dongio ([www.fibrosicisticaricerca.it](http://www.fibrosicisticaricerca.it)). **Legg Nazionale Fibrosi Cistica**, si occupa di assistenza ([www.fclombardia.it](http://www.fclombardia.it)). **Società italiana per lo studio della fibrosi cistica** ([www.sifc.it](http://www.sifc.it))

L'EGO



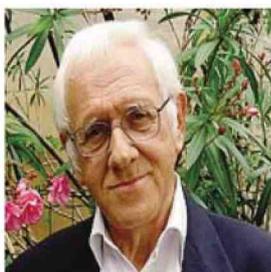
► 30 ottobre 2018



Ricercatori al lavoro nel  
dipartimento diretto da  
Tiziano Bandiera



Luis Galletta



Gianni Mastella



Tiziano Bandiera