

La storia

di Margherita De Bac

Il viaggio in Italia di Giovanni «Guarito dalle cellule buone»

Bimbo americano curato grazie a Telethon. Ora si lotta per la sorella

ROMA «Ciao, come stai», sillaba le poche parole italiane del suo vocabolario Giovanni, americano del Nebraska. A vederlo giocare, scalmanato in mezzo a tanti altri scolari di un asilo, non si immaginerebbe mai che era un bambino senza futuro. Nato con la leucodistrofia metacromatica, malattia genetica ereditata dai genitori Brad e Amy che inizialmente non sapevano di essere portatori sani fino alla nascita della prima figlia, Liviana.

Ha rischiato di andarsene come pochi anni prima la sorella. Solo che lui è stato più fortunato perché, nel frattempo, la scienza ha trovato una cura. Una cura *made in Italy* scoperta all'Istituto San Raffaele Telethon, diretto da Francesca Pasinelli. Giovanni aveva le caratteristiche per rientrare nella sperimentazione di una terapia genica che, al mondo, si fa solo in questo centro. Era il gennaio 2010, aveva appena un anno. A volte i viaggi della speranza seguono itinerari al contrario, dall'estero verso i nostri ospedali.

I ricercatori del progetto coordinato dalla pediatra Alessandra Biffi hanno preso le cellule staminali, cioè le sorgenti del sangue, le hanno corrette inserendo il gene sano al posto di quello malato, per poi restituirlle al piccolo paziente con un trapianto di midollo. Dopo

L'evento

● È partita ieri la maratona tv Telethon-Rai per la raccolta di fondi per la ricerca: le donazioni si fanno anche al numero 45501

sei mesi di ospedale e convalescenza Giovanni è tornato negli Stati Uniti, guarito.

Ora è di nuovo in Italia con la sorella Cecilia, nata a febbraio di quest'anno, anche lei malata, che ha ricevuto le cellule «buone» circa due settimane fa. Non si sa ancora se hanno funzionato. Parte della famiglia si è trasferita temporaneamente in Italia, in un appartamento di Milano2.

«Noi non guardiamo la nazionalità, accettiamo bambini da tutto il mondo. Unico elemento è l'aderenza ai criteri di arruolamento. Questa cura funziona quando ancora non sono presenti i sintomi», spiega Biffi, che assieme ad altri fratellini americani accolti al San Raffaele sarà testimonial della maratona televisiva Te-

leton-Rai partita ieri e che chiuderà domenica prossima. L'obiettivo è la raccolta di fondi per la ricerca (donazioni anche attraverso il numero solidale 45501).

Famiglia particolare quella di Giovanni. I genitori sono naturalisti. Niente farmaci né vaccini, né esami prenatali. Contrari ovviamente all'aborto. Hanno otto figli, tre dei quali nati con l'errore genetico che annienta la produzione di una sostanza necessaria per liberare dalle scorie dell'organismo il sistema nervoso. La conseguenza è una degenerazione cerebrale senza ritorno.

Amy, la mamma, lo sapeva che rischiavano di mettere al mondo figli destinati a sofferenze. D'accordo col marito, non ha voluto usare contraccettivi né controllare la formazione del feto durante la gravidanza con l'amniocentesi. Infine, non ha potuto negare l'assenso all'unica salvezza, la terapia genica. In questo caso non c'era alternativa.

Le famiglie della metacromatica hanno blog ricchi di dettagli dove raccontano le storie dei loro ragazzi. Scrive Becky, mamma di Ella e Eli: «Sembrano bimbi normali. Grazie ai medici e a tutti quelli che hanno pregato perché ci fosse il miracolo».

mdebac@corriere.it
© RIPRODUZIONE RISERVATA

27

Millioni
Quanti sono gli europei affetti da una malattia rara

10

I bambini che nascono ogni minuto con una malattia genetica

80

Per cento
La quota di malattie rare che ha un'origine genetica