



RASSEGNA STAMPA 13-10-2019

1. ADNKRONOS Salute: Ocse, obesità farà 90 mln morti nei prossimi 30 anni
2. ADNKRONOS Stop a metastasi, sonda intercetta cellule più aggressive
3. REPUBBLICA.IT Per la prima volta messo a punto farmaco per un singolo paziente
4. CORRIERE DELLA SERA La speranza di Mila: un farmaco solo per lei
5. CORRIERE DELLA SERA Finanziare la sanità con il costo delle sigarette
6. LA REPUBBLICA Sognavo di fare l'attore ora con venti miliardi combatterò il cancro
7. ASKA NEWS Farmaci introvabili, venduti all'estero dove rendono di più
8. ADN KRONOS Lo scienziato, 'si va verso farmaci su misura per ognuno di noi'

<https://www.adnkronos.com>

Salute: Ocse, obesità farà 90 mln morti nei prossimi 30 anni

[E taglierà circa 3 anni di aspettativa di vita](#)

Roma, 11 ott. (AdnKronos Salute) - Chili di troppo killer. Le malattie legate all'obesità provocheranno circa 90 milioni di morti nei Paesi Ocse nei prossimi 30 anni e ridurranno l'aspettativa media di vita di circa tre anni. Non solo: l'obesità e le patologie correlate riducono il Pil del 3,3% nei paesi dell'Organizzazione per la cooperazione e lo sviluppo economico e pesano fortemente sulle tasche delle persone per circa 360 dollari pro capite all'anno. E' quanto emerge da un Rapporto Ocse. Secondo il Report intitolato "The Heavy Burden of Obesity - The Economics of Prevention" più di metà della popolazione di 34 dei 36 paesi dell'Ocse è in sovrappeso, e quasi una persona su quattro è obesa. I tassi medi di obesità negli adulti sono aumentati dal 21% nel 2010 al 24% nel 2016, il che significa che altri 50 milioni di persone sono ora obese. A pagare il prezzo più alto per l'obesità sono i bambini, perché è emerso che quelli in sovrappeso vanno meno bene a scuola, hanno maggiori probabilità di saltare giornate di lezioni e hanno meno probabilità di completare l'istruzione superiore. Non solo: mostrano anche una minore gioia di vivere e hanno una probabilità tre volte maggiore di essere vittime di bullismo, il che a sua volta può contribuire a ridurre le prestazioni scolastiche. Gli adulti obesi - prosegue impietoso il report Ocse - hanno un rischio maggiore di malattie croniche, come il diabete, e una ridotta aspettativa di vita. Nella Ue a 28, donne e uomini appartenenti a una fascia di reddito più bassa hanno, rispettivamente, il 90% e il 50% in più di probabilità di essere obesi, rispetto a quelli con i redditi più alti, rafforzando così le disuguaglianze economiche. Le persone con almeno una malattia cronica associata al sovrappeso, inoltre, hanno l'8% di probabilità in meno di trovare lavoro l'anno successivo e, quando hanno un lavoro, rischiano fino al 3,4% in più di assentarsi o essere meno produttivi. "E' urgente aumentare gli investimenti per ridurre l'obesità e promuovere stili di vita corretti - afferma il segretario generale dell'Ocse Angel Gurría -. Questi risultati illustrano chiaramente la necessità di migliori politiche sociali, sanitarie ed educative che conducano a una migliore qualità della vita. Investendo nella prevenzione, i responsabili politici possono frenare l'avanzamento dell'obesità per le generazioni future, con benefici sull'economia. Non ci sono più scuse per non agire". I paesi Ocse spendono già l'8,4% del loro bilancio sanitario complessivo per la cura delle malattie legate all'obesità, pari a circa 311 miliardi di dollari (209 dollari pro capite all'anno). E ancora: l'obesità è responsabile del 70% di tutta la spesa per la cura del diabete, del 23% di quella per le malattie cardiovascolari e del 9% per i tumori. L'analisi Ocse rileva che investire in iniziative quali una migliore etichettatura dei prodotti alimentari o la regolamentazione della pubblicità di alimenti non salutari per i bambini può generare notevoli risparmi. Ogni dollaro investito nella prevenzione dell'obesità - secondo il rapporto - genererebbe un ritorno economico fino a sei dollari.

<https://www.adnkronos.com>

Stop a metastasi, sonda intercetta cellule più aggressive

Roma, 12 ott. (AdnKronos Salute) - Il medico ricercatore Stefania Scala e l'oncologo dell'immunoterapia Paolo Ascierto portano l'Istituto tumori Irccs Pascale di Napoli sulla vetta della ricerca mondiale con due importantissimi progetti: il primo finalizzato a intercettare le metastasi, il secondo a ridurre gli effetti collaterali e la tossicità delle terapie.

Finanziato da Eranet-Euronanomed III, il progetto Nan-4-Tum ha l'obiettivo di potenziare l'efficacia di una sonda contro il recettore Cxcr4 attraverso una struttura di supporto realizzata in laboratorio, il dendrimero, che ne amplifica l'efficacia e la sensibilità ed è quindi in grado di intercettare subito le cellule tumoraliconsentendo una tempestiva diagnosi di insediamenti tumorali a distanza e quindi un più precoce trattamento. Lo studio, che è ancora in una fase pre-clinica, è stato condotto con altri cinque Paesi: Francia, Spagna, Norvegia, Repubblica Ceca e Cina."La diffusione metastatica - spiega Scala - rappresenta l'evento cruciale nella vita biologica delle neoplasie maligne e la principale causa di mortalità. Il processo della metastatizzazione è un processo articolato e complesso in cui le cellule neoplastiche acquistano delle caratteristiche che ne favoriscono la migrazione attraverso i vasi e la crescita di una 'replica' tumorale a distanza.

L'acquisizione di molecole che conferiscono motilità e invasività riveste un ruolo chiave e tra queste c'è il recettore Cxcr4. Una molecola che blocca l'attività di questo recettore è stata sviluppata e modificata in una sonda diagnostica che riconosce direttamente le cellule più aggressive". Il Pascale svetta inoltre al primo posto in graduatoria con punteggio di 97/100 per il progetto 'Sviluppo di nuove molecole di seconda generazione per immunoterapia oncologica' presentato al bando regionale Lombardo 'call Hub ricerca e innovazione'. Capofila dello studio è l'Università di Milano - Bicocca. Verranno stanziati più di 4 milioni di euro per finalizzare le attività di ricerca e sviluppo industriale di nuove molecole che andranno a stimolare la risposta immunitaria antitumorale con una forte riduzione degli effetti collaterali e tossicità, migliorando pertanto le opportunità terapeutiche dei pazienti oncologici. Il responsabile delle attività del Pascale sarà Paolo Ascierto, direttore della Struttura Complessa di Oncologia clinica sperimentale melanoma immunoterapia e terapie innovative.

https://www.repubblica.it/salute/medicina-e-ricerca/2019/10/11/news/per_la_prima_volta_messo_a_punto_famaco_per_un_singolo_paziente-238265571/

Per la prima volta messo a punto farmaco per un singolo paziente



Lo hanno fatto i ricercatori del Boston Children's Hospital per trattare malattia genetica rarissima in bimba. Il farmaco è stato chiamato Milasen (dal nome della bimba). Il primo test è andato bene

ROMA - Per la prima volta un farmaco è stato ideato e sviluppato per una sola persona, per curare un rarissimo difetto genetico. In un anno, afferma uno studio pubblicato sul New England Journal of Medicine, i ricercatori del Boston Children's Hospital sono passati dall'identificazione del difetto del Dna al test sulla bimba affetta, che ha dato risultati positivi. La paziente, **Mila Makovec**, ha avuto a sei anni nel 2016 una diagnosi di malattia di Batten, un problema neurologico per cui non esiste cura.

Un'analisi del Dna ha rivelato che la causa era un'unica mutazione di un gene chiamato Cln7, indispensabile a produrre una proteina necessaria ai lisosomi, che nelle cellule hanno il ruolo di rimuovere o riciclare la 'spazzatura', le sostanze indesiderate prodotte dai processi cellulari. Una volta isolato il difetto, i ricercatori hanno ideato un oligonucleotide antisenso, un piccolo frammento di Dna in grado di 'mascherare' il difetto. Una volta testato sugli animali il farmaco, che è stato chiamato 'milasen', è stato infuso nella bimba, dopo l'approvazione dell'Fda per il test, con esiti positivi.

Dopo un anno di cura, scrivono gli autori, la bambina ha mostrato una diminuzione delle

convulsioni di cui soffriva, anche se su altri problemi, come la cecità, non ci sono ancora miglioramenti. "La creazione di milasen in un tempo così ridotto - concludono gli autori - è uno straordinario precedente che può rivoluzionare come le malattie genetiche vengono trattate".

La storia A 8 anni ha il morbo di Batten. La svolta dalla ricerca

La speranza di Mila: un farmaco solo per lei

di **Laura Cuppini**

Per la prima volta un farmaco è stato ideato e sviluppato per una sola persona, per curare un rarissimo difetto genetico. La bambina, Mila Makovec, ha il morbo di Batten, una malattia neurologica. Si curerà con il Milasen. a pagina 19

Il farmaco su misura per Mila che «corregge» il suo Dna

Usa, prima terapia creata per un solo paziente. La bimba ha una rara malattia genetica

I costi

La madre ha raccolto 3 milioni di dollari che hanno contribuito a trovare la cura

«Il giorno in cui è nata è stato il più felice della nostra vita. Era forte e sana. Poi le cose sono cambiate». Julia Vitarello, americana del Colorado, è mamma di Mila, che ha 8 anni e soffre della malattia di Batten, rara e di origine genetica. I primi segnali che qualcosa non andava sono arrivati quando aveva 3 anni, poi a 6 la diagnosi. «I nostri cuori si sono fermati, i nostri corpi afflosciati» racconta Julia. Ma nel tunnel senza fondo si è accesa una luce: i medici del Children's Hospital di Boston, dove la bambina è in cura, hanno cercato una via d'uscita, una seconda chance. E l'hanno trovata, mettendo a punto un farmaco su misura, chiamato Milasen dal nome dell'unica paziente a cui è stato somministrato.

Si tratta di un «oligonucleotide antisenso», ovvero un breve frammento di Dna che contiene la sequenza complementare del filamento che dà origine alla mutazione responsabile della malattia. L'antisenso, grazie a questa sua specularità rispetto al Dna

presente nel paziente (detto «senso»), può neutralizzarne l'attività biologica.

È la prima volta che viene creato un medicinale per un solo paziente, seppure con un procedimento già noto. Il merito è anche di Julia, che non si è rassegnata e ha dato vita alla «Mila's Miracle Foundation to stop Batten», facendo conoscere al mondo la storia di sua figlia, una bambina sorridente e amata, ma destinata a una vita troppo breve e dolorosa. Il «miracolo» è avvenuto: la Fondazione ha raccolto tre milioni di dollari che hanno contribuito ad arrivare alla terapia.

La malattia di Mila fa parte di un gruppo di patologie chiamate «ceroidolipofuscinosi neuronali giovanili». Sono terribili, perché si manifestano in bambini fino a quel momento perfettamente sani: dapprima insorgono problemi alla vista, che possono peggiorare fino alla cecità, seguiti da disturbi intellettivi e motori, come l'epilessia e le crisi convulsive, che si aggravano progressivamente e per i quali non esiste ad oggi possibilità di cura. L'aspettativa di vita, nei casi più fortunati, è di circa 40 anni.

Mila non è guarita, ma alcuni sintomi — in particolare le

convulsioni di cui soffriva costantemente — sono migliorati.

«È un caso che rientra nella cosiddetta medicina di precisione, oggi in grande sviluppo — dice Bruno Dallapiccola, direttore scientifico dell'Ospedale pediatrico Bambino Gesù di Roma —. Le terapie a base di oligonucleotidi antisenso, già utilizzate per esempio nelle distrofie muscolari, hanno il pregio di essere di facile somministrazione. Però non sempre si sono dimostrate efficaci e non è detto che una cura valida per una malattia genetica lo sia anche per altre. Oggi la scommessa è quella di iniziare i trattamenti prima ancora che si manifestino i sintomi delle patologie degenerative, grazie alla diagnosi prenatale. Nel caso di Mila, il farmaco su misura ha certamente portato un beneficio ma non è detto che possa garantire il recupero, anche parziale, di ciò che è andato perso a livello intellettuale e motorio».

Laura Cuppini

© RIPRODUZIONE RISERVATA



3 Le risorse e le salute

Finanziare la Sanità con il costo delle sigarette

di **Sergio Harari**

Torna di attualità il tema dei costi del fumo in questi giorni in cui si discute su come sia possibile reperire i fondi aggiuntivi necessari per sostenere il finanziamento del Servizio sanitario nazionale. Si parla dei costi sanitari e sociali ma anche dei costi veri e propri dei pacchetti di sigarette. Secondo la Banca Mondiale, la più importante strategia da adottare in un programma governativo di controllo del tabagismo riguarda gli aumenti del prezzo, tramite aumenti della tassazione, su sigarette e altri prodotti di tabacco. Anche l'Organizzazione mondiale della sanità raccomanda l'aumento della tassazione o dei prezzi per ridurre la domanda di tabacco. Sono passati molti anni da quel 11 gennaio 1964 quando veniva reso pubblico il primo rapporto sulla nocività del fumo, preparato dal «Surgeon General's Advisory Committee on Smoking and Health» americano: per la prima volta si affermava chiaramente che il fumo causa tumori polmonari ed è la più importante causa al mondo di bronchite cronica. Da allora abbiamo scoperto molti altri effetti negativi del tabagismo, ma le multinazionali del tabacco continuano a fare affari e nessun governo al mondo ne vieta il commercio. L'Agenzia internazionale per la ricerca sul cancro ha stabilito che c'è una chiara evidenza che l'aumento delle accise sulle sigarette (e altri tabacchi) porti a una riduzione del loro consumo, della prevalenza di fumatori e dell'iniziazione al fumo nei giovani, un aumento della cessazione e del gettito fiscale, e un miglioramento della salute della popolazione. Silvano Gallus, responsabile del laboratorio di epidemiologia degli stili di vita dell'Istituto Mario Negri, ha stimato gli effetti

che avrebbe nel nostro Paese l'incremento dell'accisa di un euro a pacchetto, ovvero un aumento del prezzo alla vendita di 1,39 (da 5,00 a 6,39 euro). In un anno, farebbe vendere 360 milioni di pacchetti in meno (cioè più di 7 miliardi di sigarette in meno) e farebbe aumentare gli introiti per lo Stato di 2,2 miliardi di euro (malgrado la diminuzione delle vendite). Se queste entrate fossero poi destinate alla Sanità, e non come oggi avviene alle voci di spesa più disparate, forse il consenso da parte dell'opinione pubblica, e degli stessi fumatori, sarebbe maggiore. A tutto ciò si sommerebbero i vantaggi di salute e riduzione dei costi socio-sanitari del tabagismo. Nel nostro Paese il prezzo di un pacchetto di sigarette standardizzato per Pil pro-capite è molto più basso che in altri Paesi europei: il pacchetto che in Italia costa 5 euro, ne costa 5,70 in Turchia e Romania, 6,30 in Francia, 8,70 in Inghilterra. Se la preoccupazione, poi, fosse la ripresa del contrabbando, l'argomento è stato smontato da Oms e Banca Mondiale: un'indagine del 2010 in 18 Paesi europei ha documentato come il prezzo delle sigarette non sia il fattore determinante del commercio illegale. Il punto chiave è la minore o maggiore vicinanza a Russia, Ucraina, Moldavia e Bielorussia, i maggiori produttori di sigarette contraffatte. Come ha scritto la biostatistica Alessandra Lugo, l'infelice presa (o non presa) di posizione sul tabacco dei governi del mondo, è in parte legata ai ritorni economici, basti considerare che nell'Ue già oggi il 75% circa del prezzo di un pacchetto di sigarette è rappresentato da imposte: un conflitto di interessi che una tassa dedicata alla salute potrebbe in parte aiutare se non a risolvere almeno a rendere più accettabile.

sergio@sergioharari.it

© RIPRODUZIONE RISERVATA



Walter Ricciardi, nuovo capo del team Ue anti tumori

“Sognavo di fare l'attore ora con venti miliardi combatterò il cancro”

di Michele Bocci

Quel ragazzino napoletano che prese per mano Stefania Sandrelli sul set di “Io sono mia”, che ne “L'ultimo guappo” venne ucciso scatenando la rabbia e la vendetta del padre Mario Merola, a vent'anni si trovò davanti il bivio della vita. Da una parte il cinema, dall'altra la medicina. Scelse, vacillando un po', la seconda strada e oggi che di anni ne ha 60 è diventato l'uomo dei 20 miliardi. Walter Ricciardi è da pochi giorni il responsabile del *Mission board on cancer* europeo che assegnerà quella cifra record a ricerche e progetti contro il tumore. «Non mi sarei mai aspettato di raggiungere in vita mia un traguardo del genere», afferma. E una frase così, detta da chi è ordinario di Igiene alla Cattolica a Roma, ha lavorato per l'Oms e la Commissione europea, è stato presidente di svariate associazioni e soprattutto dell'Istituto superiore di sanità, fa comprendere l'importanza del nuovo ruolo.

L'anno scorso decise di andarsene dall'Istituto in polemica con l'allora ministra Giulia Grillo, insediata da poco. Come mai?

«Ho vissuto con dispiacere il fatto che prevalsero in quel Governo tesi ascientifiche e antiscientifiche. E non mi riferisco tanto alla ministra quanto ad alcuni esponenti del suo partito e a Matteo Salvini, con le sue posizioni su vaccini e migranti».

Vive come una rivincita il nuovo incarico?

«No, è un ruolo troppo importante per interpretarlo così. Non mi sarei mai aspettato di raggiungere in vita mia un traguardo del genere. Ho avuto tanti riconoscimenti ma, onestamente, pensare di essere alla guida del team più importante della Ue per la ricerca è davvero oltre il prevedibile. Ai gruppi italiani, intanto, dico di farsi avanti, perché da noi ci sono molte persone valide e con la Brexit l'Inghilterra, che ha grandi competenze, non potrà sperare nei finanziamenti».

Come mai l'hanno selezionata?

«È stata fatta una call aperta e mi sono candidato, anche forte della mia passata presidenza della Società europea di sanità pubblica. Le domande erano 500 e siamo entrati in 15. Poi, dopo che ha lasciato il professor Harald zur Hausen, premio Nobel per la medicina, mi hanno chiesto di fare il presidente».

Lei ha alle spalle una sorprendente carriera da attore. Come è iniziata?

«Da bambino, nel '68, finii per caso in un programma, “I ragazzi di padre Tobia”, che si registrava a Napoli. I miei seppero che c'era il provino alla Rai e mi portarono. Poi

ho continuato fino alla laurea in medicina. Tra la fine degli anni Settanta e l'inizio degli anni Ottanta ho recitato con Stefania

Sandrelli, Alida Valli, Giuliana De Sio, Michele Placido, Maria Schneider e Mario Merola, una persona eccezionale e di cuore che non faceva pesare la sua fama».

Perché ha smesso?

«In effetti c'è stato un momento in cui mi sono detto: quasi quasi vado avanti e faccio l'attore. Diciamo che mi ha fermato uno sciopero. Studiavo a Napoli ma vivevo a Roma mantenendomi con il

doppiaggio. Ci fu lo sciopero dei doppiatori che volevano giustamente essere citati nei titoli. Durò alcuni mesi e io finii tutti i soldi. Così decisi di fare medico. Tra l'altro mi mise i bastoni tra le ruote il padre della mia fidanzata di allora, e futura moglie, che era un professore di Medicina a Napoli. Ha cercato massacrarmi in tutti i modi, per mettermi alla prova, ma non mi ha fermato. Mi sono laureato con lode e mi sono spostato a lavorare a Roma».

È stato il primo consigliere della ministra Lorenzin sull'obbligo vaccinale. La cultura antiscientifica di cui parlava prima in Italia è ancora diffusa?

«Di recente ci sono stati dei passi in avanti ma non ci si può

<https://www.askanews.it/>

Farmaci introvabili, venduti all'estero dove rendono di più

Tobia (Federfarma): ma è legale grazie a libera circolazione merci



Roma, 11 ott. (askanews) – Farmaci più comuni o facilmente rimpiazzabili, come quelli per la tosse, ma anche farmaci salvavita, anticoagulanti, per la terapia del Parkinson. La lista delle medicine che non si trovano è lunga: oltre 2.200 secondo l'elenco che l'Agenzia del Farmaco tiene continuamente aggiornato e che pubblica sul suo portale. Un problema che si fa sempre più pressante e che, come sottolineato dal direttore generale di Aifa, Luca Li Bassi, intervenuto a una tavola rotonda all'Assemblea Pubblica di Farindustria, “riguarda moltissimi Paesi dell'Unione Europea”, tanto da essere stato affrontato anche dall'Agenzia Europea del Farmaco (Ema). Un fenomeno che sta crescendo in maniera esponenziale in Italia ma anche in Francia, Spagna, Olanda, Portogallo, Slovenia, Austria, Norvegia, è stato evidenziato, ma le cui cause non sono chiare.

“E' un problema concreto e reale che non riusciamo a risolvere – spiega ad Askanews il segretario nazionale di Federfarma, Roberto Tobia – che mette in difficoltà il farmacista costretto a dire no a un paziente che viene nelle nostre farmacie, al quale dobbiamo negare il diritto a una terapia, peraltro prescritta dal medico, che gli assicura il mantenimento dello stato di salute, e che umilia la figura stessa del farmacista il cui ruolo è dispensare farmaci”.

“Bisogna comunque distinguere – spiega – tra farmaci carenti e farmaci indisponibili. I farmaci carenti sono quelli ‘temporaneamente’ non disponibili, quelli per i quali l'azienda farmaceutica titolare dell'autorizzazione di immissione in commercio (AIC) si trova impossibilitata per un periodo di tempo limitato e per cause magari tecniche (un problema

produttivo, una catena di produzione che non va a regime o che si guasta...) ad assicurare la distribuzione ai pazienti”. Si tratta di una assenza “temporanea” dal mercato: “Il problema ha un inizio e una fine”, spiega l’esperto.

“I farmaci indisponibili, invece sono quelli regolarmente prodotti dal titolare della Aic che ma che per motivi diversi, uno dei quali è il parallel trading, sono carenti nel normale ciclo distributivo delle farmacie”: in sostanza, le case produttrici preferiscono spostare le forniture di medicinali verso Paesi dove il farmaco viene pagato di più rispetto all’Italia. “Questo è uno dei problemi più gravi – spiega Tobia – per il quale molto spesso si verificano situazioni difficili per l’approvvigionamento di alcuni farmaci. Abbiamo provato con l’Aifa a segnalare il fenomeno, ottenendo anche risultati, ma la questione è un’altra e cioè che questo è un problema europeo, con radici europee perchè di fatto per la libera circolazione delle merci tutto questo è legalmente possibile, quindi bisogna trovare una soluzione che tuteli il mercato nazionale e l’interesse dei cittadini nei confronti di un fenomeno che se pur legittimo mette in difficoltà il sistema”.

“L’Aifa – aggiunge – può fare certamente qualcosa, fa, e ha già fatto inserendo questi farmaci in un elenco che pur se temporaneamente blocca le esportazioni. Noi come Federfarma stiamo facendo tutto il possibile, ma di certo bisognerebbe andare un po’ più a fondo verificando come e con quali modalità vengono rilasciate le licenze di distribuzione all’ingrosso affinché tutte le norme vengano rispettate. E questo non è compito nostro”.

Già da tempo la vicenda è all’attenzione di Aifa che ha anche istituito una task force interna dedicata. E il direttore generale Li Bassi ha più volte rassicurato i pazienti ricordando che “quasi sempre esistono farmaci equivalenti o valide alternative terapeutiche”, la questione del trading “parallelo”, però non può essere l’unica causa, non si spiegherebbe perchè, altrimenti, ha più volte avuto modo di sottolineare, “ad esempio in Svizzera, dove i farmaci hanno prezzi alti e ci sono le sedi di molte multinazionali, ne mancano oltre 500”.

Lo scorso 2 luglio si è riunito per la prima volta il Tavolo di lavoro voluto dal Ministero della Salute per approfondire la questione della carenza farmaci e prendere provvedimenti. Fra le questioni in esame “le ipotesi di indisponibilità derivanti da condotte illecite da parte di alcuni soggetti della filiera farmaceutica o estranei alla stessa, come furti e riciclaggio dei farmaci e “rastrellamento” finalizzato all’esportazione”.

<https://www.adnkronos.com>

Lo scienziato, 'si va verso farmaci su misura per ognuno di noi'



"Man mano che conosciamo i meccanismi molecolari, i recettori coinvolti nel determinare le funzioni di una cellula, le basi genetiche delle malattie rare, in teoria potremmo essere capaci di produrre un farmaco solo per un'unica persona. Questa è la direzione verso cui stiamo andando. E per le malattie rare questo è teoricamente più semplice, perché anche se sono causate da un solo difetto genetico, in un gene le mutazioni possono essere molte, a volte uniche, quasi 'private'". A commentare il primo caso di farmaco creato per una sola paziente, la piccola Mila negli Stati Uniti, è Giuseppe Remuzzi, direttore dell'Istituto di Ricerche farmacologiche Mario Negri Irccs di Milano.

"Quando parliamo di medicina personalizzata - dice all'Adnkronos Salute - possiamo riferirci benissimo anche ai trapianti di organo, o alle trasfusioni. Sono tutti interventi 'ad personam'. E così saranno anche le terapie farmacologiche del futuro. Il lavoro degli esperti americani è un lavoro fantastico, su una rivista dall'impact factor altissimo come il Nejm, che apre la strada alla medicina del futuro. Ora sappiamo che quando ci sono errori di trascrizione del Dna possiamo correggerli e i risultati possono anche essere migliori" di quelli ottenuti sulla piccola Mila, che "avendo un danno neurologico già importante" è rimasta comunque gravemente disabile dopo la cura. "Se un bambino

viene trattato appena nato, ad esempio, un farmaco 'personale' potrebbe anche essere curativo", assicura.

Certo, riflette l'esperto, "il problema dei costi sarà enorme. Già oggi abbiamo terapie da centinaia di migliaia di euro a paziente ed è un problema che va affrontato tutti insieme, pazienti, medici, operatori della sanità, politici e aziende. Bisogna capire che è giusto che l'industria faccia profitto perché è l'unica possibilità per far avanzare la ricerca, però bisogna che il guadagno sia in rapporto a quanto veramente costa produrre una cura. E occorre anche tenere conto dei paesi poveri: non si possono curare solo i pazienti americani o europei, come medici non possiamo accettare che in una parte del mondo un paziente guarisca, e in un'altra muoia".

"Il problema dell'Italia - conclude Remuzzi - è che non abbiamo abbastanza fondi per procedere con la ricerca: di certo non ci sono medici migliori negli Stati Uniti, ma noi non abbiamo risorse e quelle che abbiamo non sappiamo usarle veramente bene. C'è poi tantissima burocrazia, per fare i test su 5 topi servono 300 autorizzazioni e spesso queste arrivano non nei tempi richiesti. Siamo in grande difficoltà, ci vorrebbe qualcuno che capisse che il nostro Paese può sfruttare a pieno le proprie capacità solo se torna a investire nella ricerca scientifica".