

All'Ariston lunedì il film «Misure straordinarie» che ha suscitato un'ondata di interesse per la gravissima malattia di Pompe

# Ford sfida le case farmaceutiche

*Ingresso libero e testimonianze di medici del Poma e di mamme mantovane*

di Maria Antonietta Filippini

**S**truggente, si dice di film americani che fanno piangere anche chi ha una scorza più dura, ma alla fine aprono uno squarcio di luce e di speranza. «Misure straordinarie» con Harrison Ford e Brendan Fraser, mai proiettato a Mantova, è uno di questi. E sarà all'Ariston lunedì.

E' la vicenda di un padre di famiglia che è riuscito ad avere successo nel lavoro, ma all'improvviso si scontra con la malattia di Pompe che colpisce i suoi due bambini, rarissima e devastante. Insieme alla moglie, le tenta tutte, si scontra con medici e case farmaceutiche, reagisce. Entra in contatto con un ricercatore un po' anticonformista, brillante ma sottovalutato, e insieme si buttano nella sfida della vita: trovare e sviluppare una cura per Megan e Patrick. Sembra incredibile, ma ce la fanno e fondano un'azienda biotecnologica. Il film, del regista Tom Vaughan, ha suscitato un'ondata di interesse negli Stati Uniti per la malattia di Pompe.

Il film sarà proiettato lunedì 28 febbraio al cinema Ariston, con ingresso gratuito, per far conoscere il problema delle malattie rare, fra le quali la glicogenosi detta anche malattia di Pompe. Il film, tratto dal libro «The cure» della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand, è ispirato a una storia vera.

Oggi, dopo 10 anni di lavo-

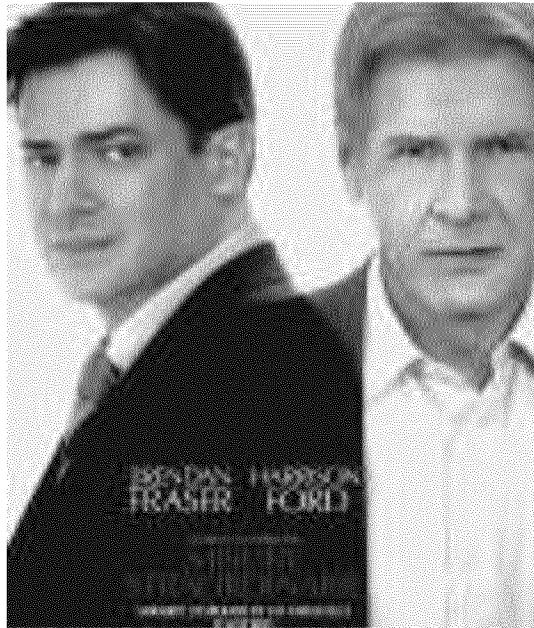
ro dei ricercatori, e una lunga fase di sperimentazione è stato sviluppato e ormai riconosciuto un farmaco che sostituisce gli enzimi di cui i malati sono carenti.

Si chiama Genzyme l'industria americana che ha realizzato questo farmaco e che porta a Mantova il film «Misure straordinarie» - già proposto da Telethon a Roma e Milano -, con il patrocinio dell'Asl, del Comune, dell'ospedale Poma e con la collaborazione dell'Associazione sindrome X Fragile. L'appuntamento è alle ore 21. Ci sarà una parte informativa, a cura del Poma, con i medici Enrico Capuzzo (medicina trasfusionale ed ematologia), Fabio Buzi (direttore di pediatria), Emma Cerini (cardiologia pediatrica).

Poi Giorgia, una mamma mantovana, racconterà il caso di sua figlia Angelica, che è affetta dalla malattia di Pompe e si è salvata grazie al farmaco messo a punto da Genzyme. Donatella Bertelli, infine, parlerà del ruolo delle associazioni di parenti per le malattie rare.

La Commissione europea ha definito 'rare' quelle patologie la cui incidenza non è superiore a 5 casi su 10mila abitanti. Rare le malattie ma, purtroppo, non i malati se si pensa che in Italia sono circa 2 milioni e 20-30 milioni in Europa. Il 75% delle malattie rare colpisce i bambini, il 30% muore prima dei 5 anni, l'80% delle malattie rare ha origine genetica.

Per molti anni le famiglie hanno combattuto una dura battaglia: le case farmaceutiche infatti non si impegnavano nella ricerca e nella produzione di farmaci poiché i costi erano troppo superiori al previsto rientro economico. «Negli ultimi anni però - ci spiega Donatella Bertelli - la ricerca nel mondo, e anche in Italia grazie a Telethon e altre forme di finanziamento, ha fatto scoperte meravigliose. Sono così nate società biotech, aziende di nicchia, che hanno anche dimostrato come la ricerca sulle malattie rare porti inaspettatamente a scoperte che riguardano patologie ben più diffuse».



La locandina  
del film  
che si ispira a  
una storia vera



# Angelica non aveva speranze, oggi va a scuola

*Una bimba di Bancole ha partecipato alla sperimentazione del farmaco Genzyme*

Angelica oggi ha sei anni, frequenta l'ultimo anno della materna e si è iscritta alla scuola elementare di Bancole. Quando aveva solo tre mesi, però, le fu diagnosticata la malattia di Pompe, nella forma più grave. Davanti a sé aveva pochi mesi di vita. Fortunatamente, in America era stata scoperta una cura ancora sperimentale, per questa devastante carenza di enzimi che provoca problemi gravissimi di respirazione, cardiaci e muscolari. «Abbiamo saputo che all'ospedale Meyer di Firenze

era in corso la sperimentazione del nuovo farmaco e ci siamo andati - racconta la mamma Giorgia -, ci hanno avvertito che forse non avremmo avuto ugualmente speranze, il suo livello di enzimi era pari a zero. Non riusciva nemmeno ad alimentarsi. Invece immediatamente ha cominciato a stare meglio e a mangiare. Per un anno non hanno sciolto la prognosi, il cuore era a rischio. Ma ce l'ha fatta, adesso è una bambina normale, sia pure con un problema di udito. Senza illusioni, ma siamo

felici. La diagnosi precoce è fondamentale, almeno per le malattie per le quali esiste una cura. La ricerca sta facendo grandi passi avanti».

Come la mamma di Angelica, ci sono tanti genitori con figli affetti da malattie rare. Tra loro Donatella Bertelli. I suoi ragazzi son X Fragile, e la ricerca sta ancora cercando terapie. «Però è molto importante l'aspetto educativo e riabilitativo, anche in questo caso la diagnosi precoce aiuta molto». Donatella è impegnata nell'associazione delle famiglie.



**Donatella Bertelli**  
Associazione  
X Fragile

