

Equipe napoletana restituisce la vista a dieci bambini

università Vanvitelli

Dal primo " miracolo" del 2019 al successo di 10 interventi effettuati in tre anni.

Dieci bambini, oltre a Matteo, il ragazzino pugliese di Grottaglie di cui Repubblica raccontò la storia, che oggi possono vedere grazie alla terapia genica praticata nella Clinica Oculistica del dipartimento oftalmologico dell'Ateneo Vanvitelli, diretto da Francesca Simonelli.

Utilizzavano il Braille per scrivere, la metodica comunicativa dei non vedenti, adesso tra le dita quei bambini hanno una penna.

E sulla scrivania un foglio su cui lasceranno i primi segni. Finalmente possono guardarsi in giro, muoversi in autonomia, apprezzare i colori, percepire oggetti ed esseri animati nella loro realtà e non più relegati nella nicchia dell'immaginario.

Napoli si conferma all'avanguardia dunque, sia nella ricerca, sia nell'applicazione delle tecniche con un lavoro di équipe ben coordinato che ottiene risultati sempre più lusinghieri. La patologia da cui sono affetti i dieci bambini venuti da ogni parte d'Italia, anche da quel nord ritenuto - spesso a torto - la Mecca della sanità che funziona, si chiama retinite pigmentosa, malattia genetica rara di cui si occupa da decenni mezzo mondo scientifico.

Hanno riacquisito la vista grazie alla terapia " voretigene- neparvovec" di Novartis, approvata e rimborsata in Italia, proprio per quella rara forma di distrofia retinica, legata a mutazioni in entrambe le copie del gene RPE65. Nella Clinica Oculistica hanno cominciato a lavorare al progetto di trattamento genetico circa 15 anni fa, con una sperimentazione di cosiddetta " fase I" realizzata grazie alla collaborazione tra la Vanvitelli, Telethon e il Children Hospital di Philadelphia.

Premette Simonelli: " I risultati che abbiamo ottenuto - ampliamento del campo visivo, aumento della capacità visiva da vicino e da lontano, mantenuta anche in condizione di scarsa luminosità - hanno, un concreto significato scientifico e clinico.

Ma sono anche la testimonianza che, in una patologia degenerativa, il trattamento precoce è vincente". I due bambini per i quali l'Aifa autorizzò il trattamento (prima volta in Italia) sono stati monitorati negli ultimi 24 mesi, hanno mantenuto nel tempo la capacità visive acquistate, confermando la validità della terapia genica.

Aggiunge la docente: "La stabilità dei risultati e il buon profilo di sicurezza sono dati che ci inducono a proseguire su questa strada " . Ma il trattamento di un paziente con distrofia retinica ereditaria con terapia genica non è una cosa semplice, sia per la preparazione dello staff clinico, sia per le modalità di somministrazione. La clinica Oculistica della Vanvitelli è il primo centro italiano ad avere ottenuto l'okay all'utilizzo della terapia genica. " Siamo particolarmente entusiasti per il nostro centro che in Europa ha raggiunto la maggiore casistica di pazienti in età pediatrica trattati con questa terapia.

Un protocollo che ci permette di offrire una speranza reale ai pazienti e alle loro famiglie". D'altronde, i risultati cui fa cenno la professoressa, sono documentati nel lavoro "Gene Therapy in Clinical Practice: Treatment of the First Two Italian Pediatric Patients", appena pubblicato su "Translation vision science & technology". Qui, i diagrammi e le slides degli esami di monitoraggio temporale parlano chiaro, rivelando, senza margine di errore interpretativo, che i parametri della visione e quelli clinici, sono più che soddisfacenti per proseguire sulla strada della ricerca e della praticabilità del percorso genetico. - giuseppe

del bello (c) RIPRODUZIONE RISERVATA j Il gruppo A sinistra, l'équipe medica della Clinica Oculistica della Vanvitelli.