



ROMA – “La guarigione della thalassemia, attraverso la genoterapia, è ormai una realtà concreta”.

Con queste parole il segretario della “Associazione microcitemici e talassemici del Lazio” (Amital), Enrico Maccheri, ha aperto la conferenza svoltasi nella sala di Ematologia del Policlinico Umberto I di Roma.

Protagonista della serata è stato Ivano Argiolas, uno dei primi pazienti italiani che ha deciso di sottoporsi al trapianto genetico presso il Memorial Sloan Kettering Cancer di New York.

La tecnica di questa terapia, che dovrebbe debellare la talassemia, è stata messa a punto dal prof. Michel Sadelain, che da circa 20 anni studia la possibilità di modificare il cosiddetto gene talassemico.

E in questo modo, lentamente, dal sogno si sta passando alla realtà.

Ma come succede che un paziente, trasfusione-dipendente da 39 anni (l'età di Ivano), decide di sottoporsi al trial 1 per la sperimentazione sull'uomo?

Questo il primo interrogativo che il moderatore dell'iniziativa, Giuseppe Mele, ha rivolto alla platea e poi ovviamente girato allo stesso Argiolas.

“È cominciato tutto agli inizi del luglio 2012 - racconta Ivano - quando mi chiamò il compianto prof. Galanello per comunicarmi come la ricerca di Sadelain era giunta alla fase finale.

Galanello mostrava entusiasmo per questi risultati poiché lui stesso, con tutta la sua équipe dell'Ospedale Microcitemico di Cagliari, ha collaborato alla stessa.

Poche settimane dopo - prosegue - organizzammo un incontro tra pazienti e famiglie sarde, alla presenza del nostro professore.

In quella sede, la notizia tanto attesa venne confermata. L'americana F.D.A. (Food and Drug Administration), aveva finalmente rilasciato il proprio consenso alla sperimentazione sull'uomo della tecnica di Sadelain.

ROMA, SALA DI EMATOLOGIA POLICLINICO UMBERTO I

## LA GENOTERAPIA: UNA REALTÀ CONCRETA?

**Ivano Argiolas, in una conferenza stampa, racconta la sua esperienza al Memorial Sloan Kettering Cancer di New York**

*Allora si è scatenato l'entusiasmo di tutti, ma non si poteva certo dire che la cosa era davvero concreta. Adesso infatti si passava alla fase finale e per questo bisognava trovare le persone che manifestavano la voglia di sottoporsi al trapianto”.*

**E tu, hai pensato subito ad offrirti volontario?**

*“Sì, la decisione fu praticamente immediata - risponde Argiolas - e ben conscio dei rischi a cui andavo incontro, pregai Galanello di prendermi in considerazione come potenziale candidato. Così cominciai un percorso che è durato circa un anno, durante il quale sono stato sottoposto ad ogni tipo di esame. Anche a qualche piccolo intervento.*

*Insomma mi hanno rivoltato come un calzino. Ma tutto senza tanto dolore.*

*Finalmente - racconta il nostro amico - nel marzo del 2013, parto per New York allo scopo di permettere la mobilitazione delle cellule staminali mediante aferesi. L'obiettivo era quello di riuscire a prelevare almeno otto milioni di cellule, da modificare successivamente in laboratorio. In pratica in quelle cellule bisognava inserire il gene beta globinico sano, che deve produrre l'emoglobina nel mio organismo.*

*Terminata questa fase, sono tornato in*

*Italia. Ed ancora via a New York per sostenere il percorso più impegnativo.*

*Tra le altre cose mi toccava infatti affrontare la chemioterapia.*

*Fortunatamente però mi è stata praticata una chemio parziale, poiché i medici hanno optato per la linea della sicurezza del paziente, piuttosto che per quella del successo immediato. Così sono stato in isolamento per almeno 30 giorni. Ero infatti quasi privo di difese immunitarie e soprattutto di piastrine.*

*In quel periodo - aggiunge l'amico sardo - mi hanno fatto sette trasfusioni di sangue e anche cinque di piastrine (che purtroppo venivano rigettate). Finalmente, dopo alcune settimane - conclude Argiolas -, il mio midollo ha ripreso a generare cellule, e tra queste proprio le tanto attese piastrine”.*

Così, come un vacanziero reduce dalle ferie, il nostro Ivano, alla fine di agosto 2013, torna da New York in compagnia della sua inseparabile fidanzata Francesca, che lo sostiene fin dall'inizio di questa avventura. Attualmente sta ancora continuando a fare trasfusioni, ma quella routine che i talassemici conoscono bene, per lui potrebbe durare ancora pochi mesi. Già in queste settimane infatti, tornerà per la terza volta in America e poi ancora per la quarta nei mesi successivi. Andrà per fare la biopsia midollare ed altri test.

Il tutto allo scopo di verificare come e quanto, sta funzionando la crescita spontanea della sua emoglobina.

Quella che lo potrà far star bene, senza ricorrere alle infusioni di sangue.

Tra i diversi interventi della serata evidenziamo quello della presidente dell'Amital, Elena Pitruzzella che tra le altre cose, ha ricordato i tanti sacrifici compiuti dai genitori dei talassemici per portare i propri figli a questo appuntamento con la guarigione.

Infine, pescando tra le molte domande e considerazioni dei pazienti, concludiamo con il commento di Luciana Motolese (vice presidente dell'Amital di Roma).

*“Ivano - ha detto Luciana - stasera ci hai portato una testimonianza del tuo coraggio e mi hai fatto tornare la speranza. Adesso sei il mio piccolo-grande eroe”.*

