

LA STORIA

Dna, la cura da Nobel guarisce due fratelli dalla talassemia

L'editing genetico sperimentato con successo per la prima volta al Bambino Gesù Erika ed Emanuele liberati dalle trasfusioni: "Finalmente siamo tornati a vivere"

di Elena Dusi

ROMA — «Se non l'avessi fatto io, non l'avrebbe fatto neanche lei» dice lui guardando lei. «Se è andata bene a lui, andrà bene anche a me» risponde lei guardando lui. Erika ed Emanuele Guarini, 19 e 23 anni, sono due fratelli di Pistoia dagli sguardi e dai destini intrecciati. «Per tutti il 2020 è stato l'anno del Covid. Per loro è stato l'anno della rinascita» spiega la madre Rosa Ilardo, che viveva «con il senso di colpa per avergli trasmesso quel gene sbagliato».

Il "gene sbagliato" li ha fatti vivere con la talassemia fino a novembre dell'anno scorso (lui) e agosto di quest'anno (lei). Poi una tecnica sperimentale al Bambino Gesù di Roma li ha fatti guarire. «Felicità» riesce solo a dire lei, dopo un controllo andato bene, in sala d'attesa all'ospedale. «Normalità» è la scoperta di lui. Prima invece? Una trasfusione di sangue ogni 20 giorni lui e ogni 15 giorni lei. «Stanchezza» ricorda Erica, al V anno di alberghiero. «Le mie amiche camminavano verso scuola e io dovevo fermarmi». Emanuele, che ama il calcetto, cercava in ogni modo di inseguire gli avversari. «Non volevo che gli altri se ne accorgessero. Se mi chiedevano perché tante assenze, inventavo una scusa».

Ora tutti sanno che sono guariti con una tecnica che — nel caso di Emanuele, il pioniere — non era mai stata tentata in Italia. «Si chiama editing genetico — spiega Franco Locatelli — e corregge il Dna con precisione e senza i sia pur rari effetti collaterali della tecnica precedente, la gene therapy». Il direttore del Dipartimento di oncematologia e terapia cellulare e genica del Bambino Gesù è il volto noto del Comitato tecnico scientifico per il Covid. L'editing genetico prevede l'uso di Crispr, il "taglia e incolla" del Dna che l'anno scorso ha vinto il Nobel per la chimica. Evita l'uso dei vettori virali previsti dalla gene therapy. È arrivato in Italia tramite il Bambino Gesù per talassemia e anemia falciforme. «In pratica otteniamo un ritorno all'infanzia » sorride Locatelli. «Dopo la nascita, il gene BCL11A disattiva l'emoglobina fetale, che quando nasciamo viene sostituita da altre due forme. Noi, inattivando questo gene, riusciamo a ripristinare la produzione di emoglobina fetale, correggendo la talassemia». E speriamo che i costi, grazie a Crispr, si attenuino. «Con la tecnica precedente, la gene therapy, abbiamo avuto una brutta esperienza» racconta Locatelli. «La ditta americana ha interrotto la commercializzazione in Europa perché non si sentiva ben remunerata. Un paziente di Brindisi di 33 anni è rimasto fuori. L'ultima volta che l'ho sentito voleva sospendere le cure ». Il 5 maggio 2020 invece la signora Ilardo riceve la chiamata da Roma. «Era il dottor Mattia Algeri del Bambino Gesù. Emanuele era accanto a me e ha sentito quella frase: c'è un posto per te». Nell'attesa lui aveva perso la milza, lei la colecisti. «Ma lui mi ha insegnato che se stringi i denti non senti dolore» racconta lei. «Funziona».

L'alternativa, per curare la talassemia, è il trapianto di midollo da un donatore, che deve essere compatibile al 100%. C'è poi,

spiega Locatelli, «un rischio di mortalità associata alla procedura attorno al 3-5%». L'editing del genoma supera questi limiti. Così, per Erika ed Emanuele le strade si aprono. «Siamo arrivati a Roma in piena pandemia, era un deserto » ricorda la madre. «Il lockdown? Noi ci siamo fatti un mese di camera sterile» racconta Emanuele.

Oggi, nella sala d'attesa, è già tempo di ricordi. «Medicine fin da piccoli. Mescolate a succo o latte. Non sapevo che inventarmi» rievoca mamma Rosa. «Andavo a prendere Erika all'asilo ed era sempre seduta. Non giocava mai». Di tutto questo qualcosa è rimasto, ai fratelli: «Con gli occhi si parlano di continuo. Gli basta un attimo per scambiarsi uno sguardo e chiedersi: va tutto bene?».

©RIPRODUZIONE RISERVATA

Il professor Locatelli: "Così ripristiniamo la produzione di emoglobina fetale"

I controlli Da sinistra il professor Franco Locatelli con Erika ed Emanuele Guarini, i fratelli di 19 e 23 anni guariti dalla talassemia