

ATTUALITÀ - 23 aprile 2020, 11:13

## Carlo e Alice attendono fiduciosi: a breve l'avvio della cura sperimentale che può rallentare il decorso della loro malattia

A giugno la sperimentazione del farmaco sulla SGP 11, rara malattia neurodegenerativa che colpisce ragazzi e giovani adulti. Grazie alla generosissima catena di solidarietà che ha coinvolto anche la Granda. Se i risultati saranno positivi il farmaco potrà essere accessibile a tutti. Il coronavirus rallenta ma non ferma la ricerca scientifica che interesserà 10 giovani, 5 del Piemonte.



L'epidemia di coronavirus ha creato qualche ritardo, ma non ha fermato il progetto. Entro fine maggio dovrebbe esserci la disponibilità del farmaco, con relative autorizzazioni e l'avvio è in programma già in giugno.

Si tratta della prima sperimentazione, avviata dall'ospedale IRCCS Fondazione Stella Maris di Pisa, su un farmaco, il Miglustat, potenzialmente efficace nella cura di una forma di paraplegia spastica ereditaria denominata SPG 11, malattia rara neurodegenerativa caratterizzata principalmente dalla progressiva perdita dell'uso degli arti inferiori, con la compromissione del cammino, della corsa, della memoria, dell'equilibrio, della parola.

La malattia che colpisce prevalentemente in età adolescenziale coinvolgerà in Italia un gruppo di 10 giovani, 5 del Piemonte, tra i quali **Carlo Ghietti**, 29 anni di Saluzzo e **Alice Pepino** 27 anni di Roccavione.

Per sostenere il progetto, il cui costo non è coperto dal sistema sanitario nazionale, è stata lanciata alcuni mesi fa una campagna di sensibilizzazione e raccolta fondi, che non si è ancora fermata, e che nella Granda, intorno alla speranza di frenare il decorso della malattia di Carlo (che l'ha contratta 10 anni fa) e di Alice (7 anni fa) ha coinvolto in una grande catena di solidarietà, cittadini e associazioni.

Il costo del progetto "Treat SPG 11" è elevato: 200 mila euro. Al momento sono stati raccolti 110 mila euro, una grande fetta nel Cuneese. Si è fatta promotrice la onlus "Marco Pietrobono" associazione a sostegno di bambini e giovani disagiati, che si è interessata al caso fin da subito, partecipando direttamente con un importante contributo.

*"La malattia - spiega **Gabriella Ferrero**, mamma di Carlo - è classificata come malattia rara e al momento non esiste una cura, se non terapie che ne rallentano il decorso. Obiettivo della sperimentazione che durerà un anno, è di fermare o almeno rallentare il progredire della malattia".*

Una patologia che nel caso di suo figlio, nell'arco di un decennio, ha diminuito progressivamente la mobilità, facendolo ricorrere alle stampelle e alla sedia a rotelle. Dopo essere stato in cura a Milano e Roma, era stato indirizzato al dottor **Filippo Maria Santorelli** che dirige l'Unità di Medicina Molecolare, Neurogenetica e Malattie Neuromuscolari dell'ospedale pisano che ha avviato la ricerca. *"Un uomo eccezionale, di grande capacità e cuore".*

*"E' molto importante la sperimentazione, non solo per questi giovani pazienti - continua - Se ci saranno esiti positivi, il farmaco, che ora non mutuabile, diventerà accessibile a tutti in farmacia, in Italia ma anche in Europa. Sia per questa patologia che per altre forme simili. E' un sorta di "pulitore" delle sostanze lipidiche che intossicano particolari cellule neuronali. Sarebbe una conquista davvero grande rendere mutuabile questa medicina che in commercio ha costi proibitivi".*

Per il periodo di chiusura totale per l'emergenza Covid, non è ancora stabilita con certezza la modalità d'avvio, ma le famiglie sono in contatto continuo con il professore, anche se non sono più riuscite ad andare da lui.

*"Ci segue con videochiamate e continua a monitorare anche le nostre sedute di fisioterapia a casa - racconta la signora Ghietti - Il movimento è infatti molto importante per questa malattia. Con Carlo che, in questo momento ha ripreso a tempo parziale il lavoro presso la Multitel di Manta, facciamo esercizi, anche se lui spesso "boffonchia", pur essendo stato uno sportivo. Praticava il basket, il nuoto, lo sci, con grandi risultati atletici.*

*Ora attende con impazienza l'inizio della sperimentazione ed è contento, come lo è Alice e tutti gli altri giovani. Uno stato d'animo che abbiamo rilevato noi mamme che ci confrontiamo spesso.*

*Dopo due anni, siamo arrivati, grazie alla generosità di tanti, che ringrazio con il cuore, a nome di tutte le famiglie coinvolte nel progetto. Tutti loro desiderano cominciare la cura, con entusiasmo e con coraggio. Sperando nel bel risultato che il farmaco rallenti la malattia e sia accessibile a tutti".*

Come raccontano nel video: <https://youtu.be/Ja1HkbfGjUM>