

Pelle nuova per il 'bimbo farfalla' Hassan salvato dai medici italiani

Il padre: aveva piaghe su tutto il corpo. La terapia ideata in Emilia



Bisturi guidato

Due anni fa i chirurghi tedeschi hanno eseguito tre interventi seguendo le indicazioni dall'Italia



FAMIGLIA
Il piccolo Hassan gioca finalmente sereno dopo essere stato sottoposto con successo a cicli di terapia genica. Nella foto a sinistra, diffusa dalle autorità ospedaliere, il padre

Luca Soliani
MODENA

È **RINATO** per due volte, il piccolo Hassan. Scampato con la famiglia agli orrori della guerra in Siria, è poi sfuggito ad una rara malattia genetica grazie a una rivoluzionaria terapia sperimentale approntata dagli 'angeli' del Centro di medicina rigenerativa Enzo Ferrari dell'Università di Modena e Reggio Emilia. Oggi ride, corre, gioca a calcio con gli amici. Vive una vita normale. Finalmente, perché in precedenza di normale nella sua esistenza c'era stato davvero ben poco. Fuggito con i genitori dal devastante conflitto che ha lasciato il Paese mediorientale ridotto a un campo di macerie, il bambino - che oggi ha 9 anni - è giunto come profugo in Germania in condizioni di salute molto difficili, che sono diventate ben presto disperate.

L'ODISSEA DEL PICCOLO
Scappò dalla guerra in Siria e si rifugiò in Germania

La diagnosi dei medici equivaleva a una condanna: epidermolisi bollosa gravissima, poche le speranze di sopravvivenza. Fino a quando non hanno contattato il Centro modenese e lo spin-off universitario Holostem Terapie Avanzate. Per Hassan il team diretto dal professor Michele De Luca ha messo a punto e guidato «il primo intervento salvavita al mondo di terapia genica con cellule staminali epidermiche geneticamente corrette». Ed è avvenuto il 'miracolo scientifico', descritto oggi anche sulla rivista scientifica Nature.

«Quelli come Hassan sono definiti bambini farfalla perché sono così delicati che basta un minimo contatto per creare dolorose bolle e lesioni. E il corpo di questo bimbo era privo di oltre l'80% della pelle. Soffriva così tanto che era tenuto in coma farmacologico», spiega De Luca. Il professore è un pioniere delle ricerche sulla rigenerazione della pelle. Da più di trent'anni coltiva in laboratorio

cellule staminali epidermiche grazie a una tecnica appresa negli Usa. A lui si sono rivolti nel 2015 i medici Tobias Rothoef e Norbert Teig dell'ospedale di Bochum, dove il piccolo era ricoverato da mesi. «Ogni tentativo di guarirlo era fallito - rivelano -. Eravamo senza rimedi, cure, speranze. Avevamo già informato i genitori: Hassan era destinato a morire. Ma non volevamo arrenderci. Gli antidolorifici e le medicazioni che per poche ore alleviavano la sofferenza ci hanno spinto a contattare il Centro di Modena che si è immediatamente attivato». Con la consulenza di Johann Bauer, dermatologo dell'EB House di Salinburgo, vengono messi a punto i protocolli clinici e la documentazione necessaria viene inviata agli enti regolatori tedeschi, che autorizzano l'intervento in tempi per uso compassionevole.

«UNA CORSA contro il tempo: i nostri biotecnologi hanno lavorato giorno e notte per produrre l'epidermide per il trapianto», ricorda Paolo Chiesi, presidente di Holostem. Tra la fine del 2015 e l'inizio del 2016 i chirurghi tedeschi eseguono tre interventi sul bambino seguendo le indicazioni della professoressa Graziella Pellegrini, coordinatrice di Terapia Cellulare nel Centro italiano. Sostituiscono quasi interamente la pelle coi lembi geneticamente corretti coltivati a Modena. Quattro settimane per creare l'epidermide in laboratorio, otto mesi il tempo di ricovero. Poi Hassan è tornato alla vita.

«Tutti i 'bambini farfalla' dovrebbero avere la possibilità di essere curati con queste miracolose terapie - è il commosso appello del padre -. Hassan era ormai senza pelle, soffriva di dolori atroci e mi chiedeva perché non poteva vivere come tutti i suoi compagni, perché il destino era così crudele con lui. Non sapevo cosa rispondere. Eravamo disperati. Ma il trattamento sperimentale gli ha salvato la vita e ora lui è felice. Si è avverato un sogno miracoloso». Liberi dalla guerra e dalla malattia: il futuro è di speranza.



RINATO

FOCUS DIFETTO GENETICO, NEL MONDO UN CASO OGNI 82MILA NUOVI NATI

Malattia rara: sembrano ustioni di terzo grado

IL TERMINE epidermolisi bollosa (EB) indica un gruppo di malattie genetiche rare caratterizzate da pelle estremamente fragile e dalla ricorrente formazione di bolle, prodotte da frizioni o traumi anche minimi. Alcune mutazioni nei geni causano difetti nelle proteine responsabili dell'adesione tra epidermide e derma, quali il collagene, la laminina, le cheratine e le integrine. Di conseguenza i punti (filamenti) di ancoraggio sono assenti e qualsiasi azione che genera attrito tra i due strati (pressione o sfregamento) causa bolle e piaghe dolorose.

NEGLI ULTIMI anni sono stati identificati 13 geni responsabili della maggior parte dei casi ripartiti in tre gruppi: forma epidermolitica, difetto giunzionale e forma distrofica dermolitica. A livello mondiale, l'epidermolisi bollosa colpisce un bimbo

su circa 17.000 nati, ovvero 500 mila persone circa, a fronte di un dato italiano di uno su 82mila, per un totale di 1.500 pazienti sul territorio nazionale. Alcune forme lievi consentono la conduzione di un'esistenza normale, le forme più gravi possono essere ben presto letali.

LE SOFFERENZE inflitte dalle piaghe da epidermolisi sono state paragonate alle ustioni di terzo grado. Tale fragilità impedisce ai bimbi di giocare con gli altri e nel lungo termine comporta disabilità, come la difficoltà nei movimenti. I più piccoli sono descritti con il termine «Bambini farfalla», per la fragilità della loro pelle. In Sud America, invece, i piccoli malati sono chiamati «Bambini dalla pelle di cristallo». (Fonte: www.debra-international.com)



I punti

Appello

Ha 9 anni, va a scuola, gioca a pallone. Hassan è un bambino siriano con la pelle malata al quale due anni fa in Germania è stata trapiantata una cute rigenerata in Italia. Si chiamano «bambini farfalla» i piccoli colpiti dalla malattia detta epidermolisi bollosa. Hanno la pelle fragile come le ali di una farfalla a causa del raro difetto genetico

Interventi

La richiesta di una pelle sana da poter ritrapiantare dopo la correzione del difetto genetico era arrivata al Centro di medicina rigenerativa di Modena diretto da Michele De Luca. Hassan aveva perso l'80% della superficie corporea, veniva tenuto in coma farmacologico. Dal settembre 2015 ha ricevuto più cicli di rinnovamento

Correzione

Le cellule modificate geneticamente sono state prelevate da un'area del corpo del bambino nella quale non comparivano le vesciche tipiche della malattia. All'interno delle cellule, racchiuso in un virus inoffensivo utilizzato come navetta, è stata trasferita la forma sana del gene Lamb3, il cui difetto che scatena l'epidermolisi bollosa è stato corretto

«Anni di lotte contro i burocrati» Il pioniere: le staminali hanno vinto

De Luca: superati severissimi test europei, questi i trapianti del futuro



Foto Copyright © Ruhr-University Bochum

Alessandro Malpelo

«**LA SCOPERTA** ha fornito la prima prova diretta dell'esistenza di riserve di cellule staminali che prima non erano conosciute a fondo, e che permettono alla pelle di rinnovarsi continuamente».

Così Michele De Luca, lo studioso che con il suo team ha restituito il sorriso a un 'bambino farfalla'. Solo la testa, le mani e i piedi erano risparmiati dalle piaghe.

Professore, a quale traguardo siete arrivati?

«Abbiamo corretto un caso unico nel suo genere, l'80% della superficie corporea di un bambino colpito dalla epidermolisi bollosa è stato rigenerato e trapiantato».

Staminali, terapia genica: come si è arrivati alle prime applicazioni riuscite?

«I passi avanti sono venuti superando enormi ostacoli. Il primo successo contro una malattia genetica della pelle l'abbiamo ottenuto nel 2006 quando la ricerca fu pubblicata sulla rivista Nature Medicine».

Poi sono venuti anni di silenzio e di duro lavoro.

«Le nuove regole europee sulle terapie avanzate avevano imposto



MICHELE DE LUCA

Università di Modena e Reggio Emilia

De Luca, pioniere degli studi sulla pelle, dirige a Modena il centro «Stefano Ferrari» di Medicina rigenerativa

restrizioni e vincoli sempre più severi, di fronte ai quali è stato necessario prepararsi».

Ma il successo della cute rigenerata Made in Italy, oltre a rivoluzionare il trapianto di cute, che effetto sortirà?

«Ci indica la strada per andare avanti con la terapia genica nelle malattie della pelle. La normativa europea identificava queste cellule come farmaci e richiedeva di superare standard industriali».

E così avete dato vita a Holostem, spin off con Chiesi Farmaceutici. La scoperta di questi giorni cosa rappresenta?

«La conferma che ancora ci mancava, dopo 30 anni di ricerche, per poi passare alla sperimentazione clinica. Da questa esperienza diventa possibile stabilire dei criteri generali che devono essere considerati nella terapia genica».

Centinaia di malati aspettano questo tipo di toccasana.

«Le restrizioni sono le stesse che hanno permesso di arginare una vicenda come quella di Stamina. E dopo una parentesi di 11 anni, il trapianto per uso compassionevole apre la strada ai test clinici».

Si parla di fuga dei cervelli. C'è il rischio di perdere i ricercatori che hanno realizzato questo prodigio?

«Direi al contrario, che esiste un fattore di attrazione. I risultati ottenuti costituiscono un richiamo. Abbiamo davanti nuove sperimentazioni, e una collaborazione con la clinica dermatologica di Salisburgo che potranno incoraggiare nuovi studi».

Dal dicastero dell'Istruzione si complimentano con voi.

«Il ministro Valeria Fedeli ci ha creduto, ha messo a disposizione risorse importantissime per la ricerca di base, e i risultati si vedono. Siamo arrivati fin qui grazie al sostegno ricevuto».

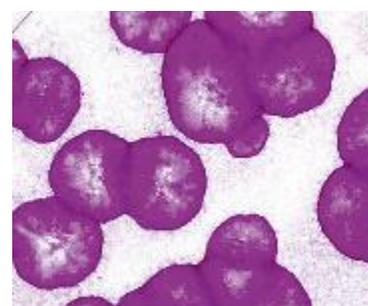


Cellule sane

La medicina rigenerativa segue due filoni principali: la terapia cellulare, che utilizza le staminali, e la terapia genica, che corregge i difetti genetici delle cellule

Epitelio e cornea

Le staminali del sangue sono in grado di curare alcuni tipi di leucemie (con il trapianto di midollo). Le staminali epiteliali possono rigenerare tessuti come cute e cornea



Rinnovamento

Nei mesi successivi al primo trapianto, la pelle rigenerata nel bimbo farfalla ha aderito allo strato inferiore (derma) senza più sfaldarsi ma anzi rinnovandosi regolarmente



IL MIO MUTUO È ATTERRATO SU ARION.

Io e mio figlio amiamo partire per fantastiche avventure verso pianeti lontani. E il nostro mutuo viene con noi: perché se ogni sera possiamo atterrare sicuri sulla nostra poltrona preferita è anche merito suo. Il nostro mutuo PROMO - Tasso Fisso ci conosce così bene che ci riporta sempre a casa.

**ACQUISTO E SURROGA
SPREAD 0,50 - TAEG 2,41**
Mutuo casa a 25 anni

Ti aspettiamo su mutuo.bancobpm.it



BANCO BPM

La banca di Piero e Luca.

Il mutuo PROMO - Tasso Fisso è un prodotto Banco BPM. Il mutuo prevede un tasso fisso nominale annuo pari a IRS (Interest Rate Swap), correlato alla durata del finanziamento, maggiorato di uno spread pari a 0,50% per durate da 10 fino a 25 anni. Esempio rappresentativo al 18/09/2017 (importo medio e durata più frequente delle operazioni di mutuo per acquisto casa e tasso fisso effettuato dal 01/01 al 30/06/2017): importo totale nel credito pari a 120.000 euro (rimborzabili in 300 mesi, con rate da 508,69 euro al mese, TAN (tasso) 2,00%, TAEG 2,41%. Importo totale dovuto (importo totale del credito + costo totale del credito): euro 157.532. Esempio rappresentativo al 18/09/2017 (importo medio e durata più frequente delle operazioni di mutuo per acquisto casa e tasso fisso effettuato dal 01/01 al 30/06/2017): importo totale del credito pari a 120.000 euro (rimborzabili in 300 mesi, con rate da 508,69 euro al mese, TAN (tasso) 2,00%, TAEG 2,30%. Importo totale dovuto (importo totale del credito + costo totale del credito): euro 156.457. Il TAEG rappresenta il costo totale del credito espresso in percentuale annua e include interessi, spese di istruttoria pari a 1,00% dell'importo erogato con un massimo di euro 1.000 (non applicabile per la surroga), spese di pratica 320 euro (non applicabile per la surroga), spese per incasso rate pari a 2,00 euro per ciascuna rate, imposta sostitutiva prima rata pari a 0,25% (non applicata per la surroga) e polizza incendio obbligatoria (per il calcolo del TAEG è stato utilizzato la polizza collocata dalla Banca con un costo pari a euro 3.025,00 per l'acquisto e di euro 3.250,00 per la surroga). La presente offerta è valida per tutte le richieste di mutuo sottoscritte dal 29/09/2017 al 31/12/2017 e stipulate entro il 31/03/2018. La richiesta di mutuo è soggetta a valutazione e approvazione da parte della Banca. Il mutuo è garantito da ipoteca di primo grado sull'immobile residenziale oggetto del finanziamento.