

Carissimi tutti,

In occasione delle imminenti festività Natalizie e della fine di questo anno, vorrei che a tutti giungessero i nostri più affettuosi e sinceri auguri di un Buon Natale e di un migliore 2019, durante il quale si possa iniziare a raccogliere i frutti di tanto impegno e dedizione alla nostra causa: un trattamento efficace per la cura della atassia di Friedreich!

Sono certa che molti di voi siano al corrente di quanto duramente abbiamo lavorato in questi ultimi due anni. Abbiamo contribuito in maniera determinante e rapidamente a trasformare in una realtà concreta, l'ottimo programma, nei suoi molteplici aspetti, di terapia genica del gruppo dei dottori B.Byrne e M.Corti del Power Gene Therapy Center dell' Università della Florida a beneficio di tutta la comunità mondiale dei pazienti AF. Siamo felici che i complessi studi preclinici non abbiano evidenziato criticità e che il programma, sostenuto dal nostro generoso finanziamento, si sia svolto nei tempi indicati.

Siamo, dunque, quasi giunti alla scadenza del nostro secondo finanziamento che avrebbe dovuto segnare la presentazione della richiesta di autorizzazione del primo studio clinico sui pazienti AF alla FDA (Food and Drug Administration). Ho scritto "avrebbe" perchè ciò avverrà durante il secondo trimestre del 2019, vale a dire in ritardo di qualche mese.

Sono affranta perchè so che questa notizia nell' immediato vi creerà sconforto, esattamente come è stato per me, che non dimentichiamo, sono madre di due ragazzi colpiti dalla AF che per di più è in prima linea. Quotidianamente questa madre deve trovare la forza e il coraggio di continuare ad impegnarsi per cercare di cambiare il decorso della malattia, in una lotta continua contro il tempo che si deve misurare con gli eventi della realtà che spesso a fronte di due passi avanti, vede il compiersi di un passo indietro. Ho però anche scritto che questa notizia vi creerà sconforto "nell' immediato" perchè è necessario fare le cose bene. Come si dice: la gatta frettolosa fece i gattini ciechi! Ed in questo caso, quando la ragione ha predominato sullo sconforto, sul senso di frustrazione e impotenza, ho capito che questa volta è giusto così.

Come penso sapete, la terapia genica ad oggi prevede per tutte le patologie, un'unica somministrazione del "farmaco" in quanto si utilizza un virus che funge come una sorta di macchina che trasporta nel corpo umano il messaggio corretto del gene che ne è il passeggero. Quando una persona viene a contatto con un virus, prendiamo ad esempio quello della varicella, diventa immune, vale a dire che il suo corpo reagisce per proteggersi da nuovi attacchi e, se viene nuovamente a contatto con quello stesso virus, lo riconosce e lo rifiuta; riferendomi all'esempio della varicella, questo significa che non la si prende più.

Ora domando, è eticamente corretto somministrare la terapia genica a delle persone che non potranno mai più essere trattate nuovamente perchè diventate immuni se, per mantenere gli effetti positivi, si rendesse necessario nel corso degli anni somministrare una dose di rinforzo, o se, per esempio, trattandosi di bambini, la dose somministrata si rivelasse insufficiente quando da adulti il loro peso risulterà essere molto più elevato, o ancora, se trattandosi dei primi studi clinici sui pazienti AF occorra potenziare o migliorare alcuni aspetti? Se....Se?

Bene! Ci si sta occupando di questo e credetemi, tutti, e dico, tutti dovremmo mirare a raggiungere un obiettivo tangibile che segni una svolta nel campo della ricerca, dove non ci si debba più affidare alla sensazione individuale di sentirsi forse un po' meglio se si prende questo o quell'altro farmaco, magari spendendo una somma in denaro elevata perchè ci viene detto che potrebbe migliorare un po' la nostra situazione.

Abbiamo riposto grande fiducia in Byrne e Corti, fiducia mai venuta a mancare che si rinnova continuamente; apprezziamo le loro grandi capacità e la loro visione molto orientata al benessere dei pazienti. Continueremo ad affiancarli e sostenerli in modo che si possa rapidamente giungere ad un trial clinico sui pazienti che tutti auspichiamo confermi le grandi aspettative che la comunità scientifica globale, non solo dedicata alla AF, in generale ripone sulle potenzialità della terapia genica in modo, per quanto ci riguarda, di aprire il percorso della sperimentazione clinica in Italia le cui basi sono già state gettate.

Ma questo è il Capitolo 2 della storia delle nostre esistenze!

Di nuovo, a nome GoFAR, i Migliori Auguri di Buon Natale e Felice Anno Nuovo

Con affetto,

Mina