

LA SCOPERTA AL SAN MATTEO

Era un farmaco tossico ora cura la malattia rara

La Teleangiectasia emorragica è ereditaria e colpisce 2 persone ogni 10mila
Testata la Talidomide su 31 pazienti gravi: evitate le trasfusioni continue

di Anna Ghezzi

PAVIA

La famigerata talidomide può curare la Teleangiectasia emorragica ereditaria, una malattia genetica rara che causa emorragie continue e rende necessarie trasfusioni settimanali: lo hanno dimostrato con uno studio clinico su 31 pazienti in tre anni i ricercatori di San Matteo e Università di Pavia con un progetto finanziato da Telethon.

Ne soffrono circa 20 mila persone nel nostro Paese e 2 milioni nel mondo. I sintomi cominciano intorno ai 30 anni: sanguinamenti ripetuti dal naso, dall'intestino, e più raramente nel cervello, nei polmoni e nel fegato che peggiorano con l'avanzare dell'età. Nei pazienti adulti spesso comporta la necessità di frequenti trasfusioni di sangue anche una a settimana. La scoperta è descritta in uno studio pubblica-



Nel 1961 venne ritirato dal commercio

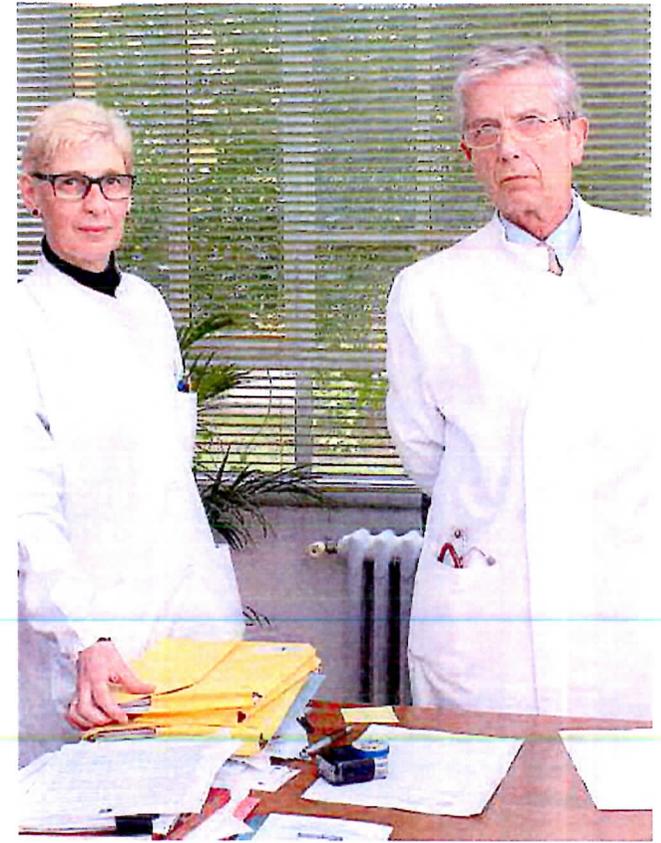
La storia della talidomide inizia ufficialmente negli anni 50. La prima apparizione sul mercato fu con il prodotto commerciale denominato Grippex per le malattie respiratorie. Nel 1954 la Chemie Grünenthal, ottenne il brevetto per Contergan il "miracoloso" farmaco anti-nausea e sedativo. Assunto dalle donne in gravidanza è noto per aver portato alla nascita di oltre dodicimila bambini focomelici ovvero con uno

sviluppo degli arti, superiori e inferiori, parziale, se non del tutto incompleto. Ne seguì il ritiro dal commercio nel 1961. Ma la vita del farmaco non è finita allora. Oggi è nuovamente usato contro le manifestazioni cutanee del lupus, ma sono le prospettive di impiego nella cura del mieloma multiplo e delle malattie infiammatorie croniche intestinali ad aver riportato la talidomide in copertina.

to da Lancet Hematology da un gruppo di ricercatori coordinato dalla professoressa Rosangela Invernizzi del dipartimento di medicina interna del San Matteo diretto dal professore Carlo Balduini, insieme al direttore di Otorino Marco Benazzo e al genetista Cesare Da-

nesino dell'università. Finora la malattia veniva trattata solo temporaneamente con un intervento per cauterizzare il vaso sanguinante. Ma col tempo diventa impossibile intervenire, compaiono anticorpi che rendono difficile trovare sangue compatibile per le trasfu-

sioni. «La talidomide inibisce la formazione dei vasi, e nella teleangiectasia emorragica c'è un'abnorme proliferazione dei vasi nella mucosa del naso. Che sono molto fragili e si rompono - spiega Balduini - La sperimentazione ha coinvolto 31 malati con forme molto gra-



Rosangela Invernizzi e Carlo Balduini di Medicina interna

vi costretti a subire frequenti trasfusioni di sangue. Il 100% ha risposto positivamente: non avevo mai visto un risultato simile». Dopo un mese di terapia (una pastiglia di talidomide al giorno a basse dosi) le emorragie si sono arrestate; e dopo l'interruzione della cura,

la remissione dei sintomi si è mantenuta per sei mesi. Gli effetti collaterali? Sonnolenza e stitichezza. Il prossimo passo sarà un nuovo studio, su un campione più ampio di pazienti, anche meno gravi, per cercare di mantenere ancora più a lungo il risultato.