Tiratura: 256.390 Diffusione: 156.213

la Repubblica

Settimanale

Raffaello Cortina Editore

Data 10-07-2021
Pagina 30
Foglio 1

BIO-SCIENZA

DI
Elena Cattaneo

Senza *fallimenti* non c'è scienza. Lo studioso deve fare i conti con *ostacoli inaspettati*. A volte li supera, a volte li aggira. O capisce che sono *insormontabili* e cambia strada, utilizzandoli per capire la direzione giusta

SANTIAGO RAMÓN Y CAJAL, premio Nobel per la Medicina, nel suo libro *Advices for a young investigator* scriveva, un secolo e mezzo fa, che per i giovani studenti e ricercatori sarebbe "meravigliosamente stimolante" se i loro maestri – oltre a celebrare la magnificenza delle loro scoperte – ne raccontassero l'origine, senza tralasciare "la serie di errori e di passi falsi che l'hanno preceduta".
È fondamentale infatti comprendere come il metodo scientifico sia in primo luogo un modo per "imparare a sbagliare", e il fallimento il "segnale" che indica la strada migliore verso il risultato sperato mentre ne esclude altre.
La vita del ricercatore è scandita più da fallimenti che da successi. La scienza procede per prove ed errori ed è inevitabile che ogni studioso sia chiamato a fare i conti con ostacoli inaspettati. A volte li supera, a volte li aggira, a volte prende atto che sono insormontabili e cambia strada. Certo, i fallimenti sono difficili da accettare, ma il metodo scientifico insegna a utilizzarli per capire come individuare la direzione giusta in cui avanzare. Vi racconto una storia che mi riguarda da vicino.

Nel 2012 i ricercatori impegnati nella ricerca sull'Huntington, malattia degenerativa ereditaria che studio da oltre trent'anni, hanno prodotto le prime prove su un "oligonucleotide antisenso" (ASO), un minuscolo pezzo di DNA prodotto in laboratorio e complementare al gene che se "mutato" diviene responsabile della malattia. Iniettato nei pazienti, l'ASO riconosce il gene e, legandosi ad esso, produce l'effetto di "silenziarlo", annullando o riducendo i suoi effetti tossici sull'organismo.

Nel 2016 l'ASO denominato HTTrx (poi sviluppato da Roche) è diventato il "primo potenziale prodotto terapeutico specifico per l'Huntington", in grado di riconoscere il gene malato, iniettato nei pazienti.
Nel 2019 il *New England Journal of Medicine* ha pubblicato i risultati della prima fase di sperimentazione clinica su 46 persone.
Li aspettavamo con il fiato sospeso, erano entusiasmanti: all'aumentare della dose di HTTrx iniettata nei pazienti si misurava una progressiva diminuzione dei livelli di proteina mutata. Le agenzie regolatorie hanno consentito di passare direttamente all'ultima fase di studio clinico su 660 pazienti. Quasi in parallelo partiva anche la sperimentazione di un farmaco simile, sviluppato dall'azienda Wave. Nel marzo scorso è arrivato lo stop: entrambe le sperimentazioni sono state interrotte dai comitati indipendenti di esperti chiamati a valutarne efficacia, effetti avversi e rapporto rischi/benefici. Quel "treno in corsa" ha subìto una battuta di arresto, un duro colpo per tutti.
La sintesi delle valutazioni dei due comitati parla di "assenza di effetti collaterali" ma informa che il rapporto rischi/benefici non giustifica la continuazione del trattamento. Studiosi ed enti di ricerca, con le aziende farmaceutiche, stanno ora decifrando ogni dato emerso e hanno già iniziato a immaginare un percorso diverso, studiando come e se sia possibile migliorare le molecole o la strategia di somministrazione.
La procedura per la ripartenza è rodata: ogni fallimento viene "dissezionato", ogni dato condiviso, per evitare che altri studiosi si incamminino su quella strada sbagliata.

Contemporaneamente bisogna continuare a tessere e alimentare le reti che legano ogni ricercatore a chi, fuori dai laboratori, ne attende i "nuovi passi avanti".
Ogni giorno, migliaia di studiosi nel mondo, giovani e meno giovani, dedicano la loro vita a comprendere le cause di malattie oggi incurabili e a immaginare come combatterle. Ogni giorno, con una determinazione inarrestabile consci di essere responsabili delle speranze di chi, in lotta contro il tempo, attende una cura e un futuro.

Elena Cattaneo
Senatrice a vita dal 2013, è farmacologa e biologa, insegna all'Università di Milano, dove dirige il laboratorio di biologia delle cellule staminali. Oltre a numerosi articoli scientifici sulla corea di Huntington, ha pubblicato *Armati di scienza* (Raffaello Cortina Editore, 2021) e ha curato l'introduzione della ripubblicazione del volume *NGF - La Molecola della Vita* di Rita Levi Montalcini (Treccani 2019).

SI RINGRAZIA MARIANGELA MODAFFERI – ILLUSTRAZIONE DI MARTA SIGNORI

005345

Ritaglio stampa ad uso esclusivo del destinatario, non riproducibile.

Raffaello Cortina