



Brendan Fraser, 41 anni, e Harrison Ford, 67, in una scena di *Misure straordinarie*, al cinema dal 23 aprile.

Cinema

CI SALVI LEI, DR. FORD

In *Misure straordinarie* l'attore aiuta due bambini colpiti da un morbo raro

di **Barbara Zorzoli**

Fresco di un riconoscimento alla carriera ai César, gli Oscar francesi, Harrison Ford, l'attore più pagato di Hollywood (65 milioni di dollari), sperimenta nuovi personaggi. Lo fa in *Misure straordinarie*, dove indossa il camice del Dr. Stonehill, uno scienziato che aiuta una coppia (Brandon Fraser e Keri Russel) a salvare i due figli affetti dal morbo di Pompe (una rara forma di distrofia muscolare) e si ritrova in lotta contro le case farmaceutiche. Il personaggio di Ford si ispira al professore di biologia William Canfield dell'università dell'Oklahoma, che nel 2002 trovò la cura per questa malattia. «Aspettavo da tempo un personaggio così interes-

sante, diverso dai miei soliti. Non avrei mai pensato di diventare un cervellone, io sono uno tipo semplice».

Come si è preparato alla parte?

«Sono andato a trovare il dottor Canfield e la sua equipe a Oklahoma City, mi sono documentato e ho masticato il gergo scientifico».

Lei che rapporto ha con la medicina?

«Sono stato fortunato. Ho incontrato medici di tutti i tipi, da quelli accademici ai più alternativi».

Il suo personaggio vive per il lavoro. È così anche per lei?

«Ho altre passioni oltre al lavoro. Ad esempio, amo pilotare uno dei miei otto aerei».

La speranza e l'impegno

Sarà nelle sale dal 23 aprile **"Misure straordinarie"**, il film con **Harrison Ford e Brendan Fraser** (da sin., a lato) che ripercorre la vera storia di un medico e di un manager, padre di due bambini affetti da **una rara e gravissima malattia metabolica, la glicogenosi, che colpisce un bambino su 100.000 nati.** Insieme i due si impegnano per trovare una terapia che migliori condizioni e prospettive di vita dei piccoli malati. **Il film è stato presentato a Milano, all'interno di un pomeriggio di studio organizzato dalla Associazione Italiana Glicogenosi.**





Il coraggio che guarisce

John Crowley è il padre che ha ispirato *Misure straordinarie*, l'uomo che ha mollato tutto per darsi alla ricerca di una cura per i suoi bambini, fidandosi di uno scienziato outsider.

«La natura non è crudele, ci ha solo scelti a caso», dice. «Oggi la nostra casa è felice. Ma non ce l'avrei fatta senza mia moglie e quella pizza mangiata in corridoio...»

DI MARIA TERESA COMETTO



Aileen e John Crowley non sono tipi che si danno per vinti. E lo hanno ampiamente dimostrato. Dodici anni dopo aver scoperto che i loro due figli più piccoli, Megan e Patrick, avevano una rara malattia genetica, sono insieme più forti che mai e in prima linea nella ricerca medica. Tanto da voler raccontare la loro straordinaria avventura con un libro, *Chasing miracles* (A caccia di miracoli), appena uscito in America, e il film di Tom Vaughan *Misure straordinarie* (nelle sale dal 23 aprile), con Brendan Fraser nella parte di John, Keri Russell in quella di Aileen e Harrison Ford nel ruolo dello scienziato inventore della cura che ha salvato la vita a Megan e Patrick. Ai due bambini nel 1998 (lei aveva 15 mesi e lui era appena nato) era stato diagnosticato il morbo di Pompe, che, a causa della mancanza di un enzima, indebolisce i muscoli, ingrossa il cuore e, si pensava, avrebbe portato alla morte sicura entro la prima infanzia. In quel mo-

•Segue

DALL'ALTO, FICTION E REALTÀ A CONFRONTO. BRENDAN FRASER, 42 ANNI, CON IL PICCOLO DIEGO VELAZQUEZ IN UNA SCENA DI *MISURE STRAORDINARIE*; E JOHN CROWLEY, 43 ANNI, CON IL FIGLIO JOHN JR., IL MAGGIORE DEI SUOI TRE RAGAZZI, L'UNICO SANO.

G | John Crowley



A FIANCO, JOHN CROWLEY CON LA MOGLIE AILEEN, 42, E IL FIGLIO JOHN JR., OGGI 16 ANNI, IN PIEDI AL CENTRO DELLA FOTO. IN BASSO DA SINISTRA, SEDUTI SULLA SEDIA A ROTELLE, MEGAN, 13, E PATRICK, 12. I DUE FRATELLI AFFETTI DA MORBO DI POMPE.

mento John prese la decisione più importante: lasciare il suo lavoro di manager in una casa farmaceutica e fondare una piccola azienda di biotecnologia, concentrata solo sulla ricerca di una cura. E l'ha trovata davvero, sperimentandola con successo sui due figli a partire dal 2003. «Oggi Megan e Patrick frequentano la seconda e la prima media inferiore: li ho appena portati a scuola», ci racconta John al telefono, dal suo ufficio di Amicus Therapeutics, l'azienda nel New Jersey di cui è presidente e amministratore delegato.

I suoi figli sono vivi, ma su una sedia a rotelle. Non possono camminare da soli né respirare senza ventilatore meccanico. Non è, comunque, un destino crudele?

«La natura non è mai crudele, va solo brutalmente a caso. Ma penso che Dio ci dia la forza, la grazia e l'ispirazione per migliorare la vita e rendere possibili, attraverso di noi, i miracoli.

Oggi la nostra casa è un posto chiososo e felice, dove le sedie a rotelle sfrecciano per i corridoi e due cani Jack Russell cercano di tener testa ai nostri tre fantastici figli, Megan, Patrick e loro fratello maggiore John Jr.»

Anche la vostra tenacia come coppia ha del miracoloso. Come ce l'avete fatta?

«Aileen e io ci conosciamo dal liceo e siamo sposati da 20 anni. Ma, cosa ancora più importante, siamo maturati insieme. Certi traumi possono allontanare marito e moglie o far capire quanto si ha in comune. Poi conta sapersi dividere il lavoro. All'inizio pretendevo che Aileen organizzasse i turni delle infermiere e seguisse le pratiche delle polizze sanitarie. Ma ho capito che non è il suo forte, mentre è bravissima con i ragazzi: la sua dolcezza ci tiene uniti».

Quanto è duro essere genitori di bambini con bisogni così speciali?

«Molto. Ma il segreto è trovare il tempo per stare insieme da soli e continuare a

essere anche una coppia. Pochi mesi fa Aileen e io eravamo pronti per uscire a cena quando l'infermiera, che doveva assistere Megan e Patrick, ha fatto un pasticcio nel maneggiare i loro tubi, cosa che può costare la vita. L'abbiamo mandata via e siamo rimasti a casa, ma senza rinunciare alla serata romantica: abbiamo apparecchiato una piccola tavola nel corridoio, davanti alla stanza da letto di Megan, ordinato una pizza a domicilio e l'abbiamo mangiata vestiti da sera, Aileen bellissima in un abito nero, sorseggiando vino e ascoltando il respiro ritmico dei nostri figli. Ci crede che è stata la più bella serata a due mai avuta?».

Il film parla soprattutto di Megan: perché?

«All'inizio non doveva essere così, ma quando il produttore l'ha incontrata si è reso conto di che personaggio fosse: piena di vita, esuberante. Mi sembra incredibile che oggi stia già pensando all'università».

Megan e Patrick hanno visto il film?

«Tutta la famiglia l'ha visto, due volte. Ed è piaciuto a tutti. Alla scena, tra l'altro verissima, in cui John Jr. svuota il salvadanaio e mi dà i suoi risparmi per la ricerca sulla malattia dei fratellini, lui ha esclamato: "Wow! Faccio una bella figura!"».

Che rapporti ha avuto con Harrison Ford?

«Fantastici. È venuto a trovarmi nel mio ufficio, è stato con i medici e ha passato molto tempo con Megan e Patrick. Alla fine siamo diventati buoni amici».

C'è una scena in cui, dopo una grave crisi di Megan, un dottore dice che forse sarebbe una benedizione se smettesse di soffrire. Voi l'avete mai pensato?

«Certo, ed è stato proprio durante quella crisi. Ma lei si è ribellata e l'ha superata. Aveva due anni, era piena di tubi, ma la sua espressione era chiara: "Non mollo". In quel momento anche noi abbiamo ritrovato il coraggio di lottare con più determinazione».

Tra gli altri ostacoli da voi superati c'è stato anche il conflitto tra gli interessi degli azionisti della sua azienda biotech e quelli dei suoi figli. Non è un sistema spietato?

«Spero che dal film la gente capisca le dinamiche fra scienza e business e quanto sia complesso il percorso che porta a una nuova medicina. Ma alla fine questo "sistema" salva molte vite. Grazie alle tecnologie, entro 20-30 anni, troveremo la cura per molte delle 7.000 malattie genetiche esistenti».

Quanti bambini sono guariti con la medicina Myozyme che lei ha contribuito a far produrre?

«Un migliaio sui circa 5.000 malati nel mondo. Delle due sorelline, che si vedono alla fine del film, la più grande è morta, ma la più giovane ora ha nove anni, cammina da sola e va a scuola». ■

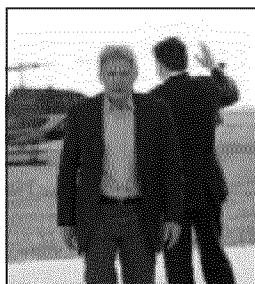
Backstage

Avevo appena visto a New York il film *Misure straordinarie*. Emozionata, aspettavo la chiamata di John Crowley. «Buongiorno Maria Teresa!». In perfetto italiano, arriva la sua voce squillante sul filo del telefono. «Devo ringraziare i miei nonni materni, Frank e Janette Valentino, lui nato a Napoli, lei a Palermo: l'ho imparato da loro e non l'ho mai dimenticato», mi spiega in tono allegro. Ascoltare, inaspettatamente, tutta la sua storia nella mia lingua me lo ha fatto sentire ancora più vicino.

Harrison Ford contro "big pharma"

di FRANCESCO ALÒ

Il dramma medico tratto da una storia vera è un genere di grande tradizione. Lo puoi affrontare con genuina sfrontatezza (*Lo scafandro e la farfalla*), delicata leggerezza (*Dietro la maschera*), crudo realismo (*Il mio piede sinistro*), tenebrosa dolcezza (*Elephant Man*) o solenne partecipazione (*L'olio di Lorenzo*). **Misure straordinarie** appartiene alla malattia inquadrata del quinto tipo anche se il meccanismo è meno



MISURE STRAORDINARIE
(drammatico, Usa, 105')

di: Tom Vaughan
con: Harrison Ford,
Brendan Fraser,
Keri Russell,
Meredith Droeger

★★

oliato rispetto al film di George Miller. Qui il manager educato John Crowley (Brendan Fraser) e lo scienziato burbero Robert Stonehill (Harrison Ford) combattono insieme il morbo di Pompe, disturbo genetico di cui soffrono i figli di Crowley. Due omoni abituati all'avventura per famiglie (si può dire: il vecchio e il nuovo Indiana Jones) alle prese con speculazioni farmaceutiche, consigli di amministrazione, flebo e ospedali per curare due piccole creature. In fondo sono sempre il Ford (anche produttore) e il Fraser

che amiamo: infaticabili lottatori in buona fede. Prodotto dalla televisiva Cbs, soffre di una certa mancanza di ambizione cinematografica. Ma è cinema perbene. Il vero John Crowley è diventato un'autorità in fatto di fondazioni mediche.

© RIPRODUZIONE RISERVATA





Il padre che ha inventato la cura per i suoi figli

Harrison Ford è produttore e interprete di **Misure straordinarie**, la storia di una famiglia che lotta per guarire i bambini colpiti da una rara malattia. In America il film è stato un fiasco. Ma lui non si pente: «L'ho fatto per la ricerca»

di ANNA LOMBARDI

NEW YORK. Un padre che lotta per i suoi figli malati. Contro Big Pharma, contro il sistema sanitario burocratizzato. Sembra una storia fatta apposta per commuovere l'America della rivoluzione sanitaria voluta da Barack Obama. E invece no. «Il pubblico non ci ha premiato» ammette Harrison Ford, «ma resto convinto che oggi il cinema abbia bisogno più che mai di storie come *Misure straordinarie*». Il film di Tom Vaughan che oggi approda nelle sale italiane, è la storia della battaglia di un padre per salvare i suoi figli, affetti da una rara malattia genetica, la glicogenosi di tipo 2 o malattia di Pompe - ovvero carenza, dovuta a una mutazione genetica, dell'enzima necessario a scomporre il glicogeno, che provoca il deterioramento del funzionamento muscolare. Ma è anche la storia di un medico che, per portare avanti le ricerche,

deve svincolarsi dalla morsa delle case farmaceutiche, non interessate a produrre un farmaco che serve a pochi. Il medico è Harrison Ford, che ha testardamente voluto produrre il film, a costo di vedersi attaccare dalla critica, che ha definito «sopra le righe» la sua interpretazione, fra l'altro lontana dalla figura del reale scopritore della cura, il taiwanese Yuan-Tsong Chen.

Papà coraggio è, invece, Brendan Fraser, che nella parte del vero John Crowley non sbaglia quasi mai. E pensare che a spingere l'ex Indiana Jones a opzionare per Hol-

GENITORI COMBATTIVI
 Sopra, Harrison Ford (a destra) con Brendan Fraser in *Misure straordinarie*, da oggi nei cinema. Sotto, Keri Russell e Diego Velázquez in un'altra scena del film



lywood la storia della famiglia Crowley - papà John, mamma Aileen e i loro tre bambini, John Jr., oggi quindicenne, l'unico sano, mentre Megan, dodici, e Patrick di undici sono affetti da glicogenosi - è stato un libro di successo. Quello che la giornalista del *Wall Street Journal*, Geeta Anand, Premio Pulitzer per la letteratura, ha pubblicato nel 2006 intitolato *La cura: come un padre ha raccolto cento milioni di dollari - e si è opposto al sistema sanitario - nel tentativo di salvare i suoi bambini*. Una storia che si apre come una favola amara: «Il ricordo più antico della piccola Megan è suo padre che le dice "un giorno ti porterò una medicina speciale"...». Pensare che il sogno dei Crowley era essere una famiglia normale. Fidanziati fin dal liceo, John e Aileen si erano sposati giovanissimi, ma avevano aspettato di raggiungere la stabilità economica prima di avere figli. La batosta arriva nel 1998: a

spettacoli □ DRITTO AL CUORE / 2

quindici mesi la piccola Megan non cammina. Le analisi rivelano che è malata, come il fratellino Patrick, di appena una settimana. Il verdetto è spietato: non sopravviveranno.

Ma John Crowley non si dà per vinto. Abbandona il lavoro di consulente finanziario a San Francisco e porta la famiglia a Princeton, New Jersey, per stare vicino a un team medico che svolge ricerche sulla malattia. Per un po' lavora alla Squibb, grande azienda farmaceutica, che lascia quando scopre che non studia farmaci per malattie rare, perché non generano profitto economico. In società con un ricercatore, decide di fondare una compagnia biotecnologica, la Novazyme, specializzata in ricerche sulla malattia di Pompe e finanziata con i centomila dollari ricavati impegnando la casa di famiglia.

Quando, nel 2001, gli studi sono a buon punto, Crowley capisce che per garantire che il prodotto venga testato e prodotto serve una società più forte. Vende, dunque, la sua azienda alla Genzyme Corp per 137 milioni di dollari, realizzando il più lucroso affare della storia farmaceutica per un prodotto non ancora testato.

La Genzyme è specializzata in farmaci per malattie rare, conta su fondi statali ma deve seguire procedure complicate. Crowley mantiene una carica direttiva, ma non può garantire che i suoi bambini, che ormai hanno tre e quattro anni e sono in condizioni critiche, vengano testati per primi. È il Food and Drug Administration, il dipartimento del ministero della Sanità che si occupa di rilasciare le licenze di vendita, a stabilire i criteri per testare i nuovi farmaci. E, infatti, si decide che i primi test siano fatti su neonati con meno di otto mesi, che hanno più possibilità di essere guariti. Quan-



RITRATTO DI FAMIGLIA
 Sopra, i Crowley. In primo piano Megan, dodici anni, e Patrick, undici. John Jr., 15 anni, è tra papà John e mamma Aileen. Sotto, la locandina del film firmato da Tom Vaughan



do un secondo giro di test, nel 2002, esclude ancora Megan e Patrick, i colleghi di John studiano una formula su misura per i piccoli Crowley: testarli per studiare perché la malattia si sviluppa in modi differenti visto che, nonostante abbiano lo stesso patrimonio genetico, in Patrick i sintomi sono più gravi. Ma ancora una volta le leggi americane impediscono il trattamento. Qualcuno al ministero ha pensato che somministrare il farmaco ai figli di un manager dell'azienda produttrice sia un grave favoritismo.

A questo punto, John Crowley è davvero disperato, tanto da progettare di rubare il farmaco e iniettarlo lui stesso. Ma sarebbe inutile: ormai le vene dei bambini sono troppo fragili e il farmaco va somministrato in ospedale. Il tempo passa, i bambini sono sempre più gravi. Improvvisamente, però, qualcosa si sblocca nella burocrazia e i due piccini entrano in cura all'inizio del gennaio 2004. Sei anni dopo, Megan e Patrick sono vivi. Respirano attraverso una macchina, ma riescono a visitare il set del film. «Qualsiasi cosa ne dica la critica» ha detto Harrison Ford, «il mio film ha contribuito a raccontare la loro storia nel mondo e a raccogliere nuovi fondi per la ricerca».

ANNA LOMBARDI ✕

GRANDE SCHERMO. Il film con Harrison Ford «MISURE STRAORDINARIE», LA RICERCA VA AL CINEMA

La pellicola racconta la storia dei coniugi Crowley e della loro battaglia per battere la malattia di Pompe di Carmen Morrone

«Non nutra troppe speranze, è una lotta-ria»: è una delle frasi che Harrison Ford rivolge - impersonando un ricercatore nel film *Misure straordinarie* - ad un padre disperato che cerca di salvare la vita ai figli. Una frase del genere, il medico Generoso Andria (nella foto) ammette di averla detta. «Magari non ho usato



quelle parole un po' crude, ma è un discorso che purtroppo si fa ogni volta che si intraprende una sperimentazione». *Misure straordinarie*, che esce il 23 aprile in tutta

Italia, è il film che racconta la storia della famiglia Crowley e della ricerca condotta da William Canfield per curare la malattia di Pompe, una sindrome rara che provoca debolezza muscolare sino a portare a gravi problemi respiratori.

Il film finisce di narrare la vicenda quando il farmaco messo a punto negli Stati Uniti, dall'impresa farmaceutica avviata proprio dai coniugi Crowley, viene utilizzato in altri Paesi. Fra questi l'Italia in cui, dal 2005 grazie a Telethon, la ricer-

ca continua a opera di Giancarlo Parenti del Tigem, l'istituto Telethon di Napoli, e Generoso Andria, dell'università partenopea Federico II, che spiega: «Stiamo per avviare una sperimentazione clinica per testare l'efficacia della terapia combinata chaperone NB-DNJ più l'enzima Myozyme. Ci aspettiamo un rallentamento della malattia o la sua stabilizzazione».

Andria, che come pediatria si è sempre occupato di malattie genetiche del metabolismo, nel 2002, dopo essere contattato dai genitori di Rossella Passero, una bambina malata di 2 anni, contribuisce - con l'intervento dell'allora ministro della Salute, Girolamo Sirchia -, all'ingresso in Italia del farmaco prodotto dai Crowley. Da allora sono stati molti i pazienti trattati - in questo momento sono un centinaio -, mentre le stime più recenti dicono che un neonato su 40mila nasce con la malattia di Pompe. «Spero che il film non induca a pensare che basta trovare, ed già una grande impresa, un bel po' di soldi e creare una ditta farmaceutica per produrre il farmaco che serve. Esistono già strutture adeguate che fanno ricerca tutti i giorni, che hanno bisogno però di fondi. Per questo Telethon ha grandi meriti e a Napoli uno in più », conclude Andria. «Ha migliorato la ricerca pubblica portando efficienza e trasparenza».

© RIPRODUZIONE RISERVATA

Harrison Ford

NON È ANCORA ARRIVATO IL MOMENTO DEL DIVANO

INTERVISTA

C'è un tempo, nella vita di una star di Hollywood, in cui il proprio nome non sta più in cima al cartellone, perché l'età avanza e bisogna lasciare spazio a nuovi protagonisti. A lui succede con «Misure straordinarie», nei cinema dal 23 aprile. Fine di un mito d'azione? Non proprio, perché se George (Lucas) e Steven (Spielberg) chiamano, il vecchio Indiana Jones è sempre pronto a sfoderare frusta e cappello.

Harrison Ford, 67 anni.

Di «Misure straordinarie», in uscita il 23 aprile (la foto a sinistra è tratta dal film), è anche produttore esecutivo.

di MARCO GIOVANNINI

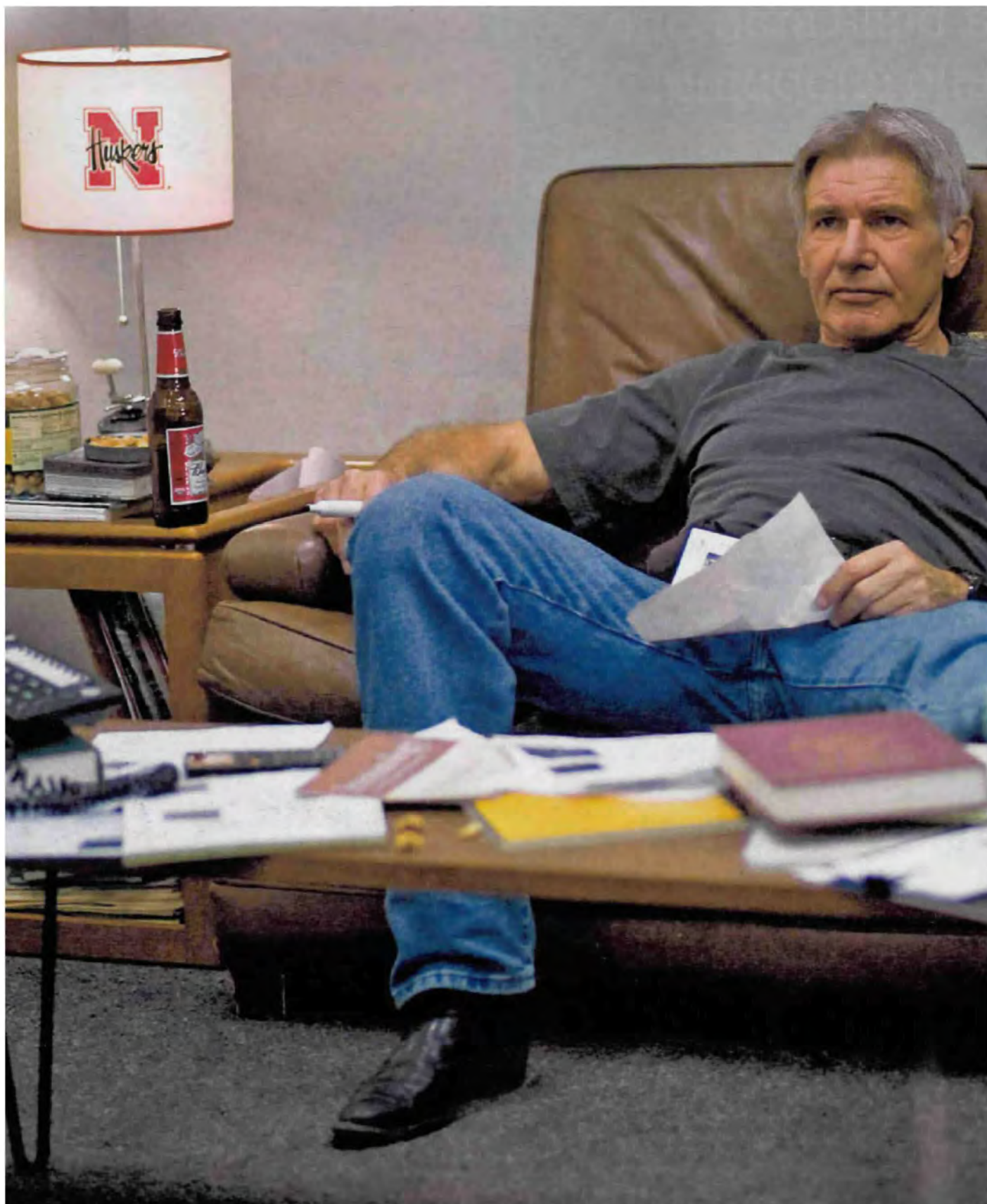
Fateci caso: nei manifesti di *Misure straordinarie*, l'ultimo film di Harrison Ford (nelle sale italiane dal 23 aprile), il suo nome è preceduto da quello di Brendan Fraser, il vero protagonista. Non succedeva dai tempi di *Il ritorno dello Jedi*, 27 anni fa. «Primo o secondo nome, chisseneffrega, l'importante è esserci in un film» dice l'interessato, abituato come al solito a parlare chiaro.

A luglio Ford compirà 68 anni. Ha ancora un fisico invidiabile ed è terzo nella classifica degli attori in attività che hanno fatto guadagnare più soldi agli studios: i suoi 32 film hanno incassato 3,424 miliardi di dollari (media: 107 milioni a pellicola), anche se lo hanno da poco superato Tom Hanks (3,5 miliardi) ed Eddie Murphy (3,475). Ford oggi è «il nonno vivente più sexy del mondo» per la rivista per pensionati *Grand*, eppure nella vita privata è legato dal 2002 all'attrice Calista Flockhart, di 22 anni più giovane di lui, che dovrebbe sposare a breve, dopo essersi deciso a regalarle il fatidico anello il giorno di San Valentino del 2009.

In *Misure straordinarie* interpreta il Dottor Stonehill, un ricercatore convinto di avere trovato una cura contro una rara distrofia muscolare considerata letale, la sindrome di Pompe, ma che non ha i fondi per sperimentarla. È a lui che si rivolge, come ultima speranza, Tony Crawley (Brendan Fraser), che ha due figli malati a cui sono stati diagnosticati pochi anni di vita.

Perché ha voluto a tutti i costi fare questo film?

Ho letto un articolo sul *Wall Street Journal* sul caso di Thomas Crawley e dei suoi figli. Mi è sembrata una storia degna di essere conosciuta - >



186



Cedo il passo a Brendan

Brendan Fraser (sopra con Ford e Keri Russel) è un padre i cui figli hanno una rara malattia. Il ruolo era di Harrison Ford che però ha rinunciato (per via dell'età) e interpreta il medico che lo aiuta.

> ta. Non è stato affatto facile produrlo, ci sono voluti sei anni.

È vero che all'inizio pensava di interpretare lei il padre?

Non era un'idea mia, ma degli altri produttori. Sarei stato un padre troppo in là con gli anni per i bambini. Voglio essere in pace con la mia età, nell'ultimo *Indiana Jones*, due anni fa, mi sono rifiutato di tingermi i capelli, anche se Steven Spielberg me l'aveva chiesto.

C'è un ruolo che non ha mai interpretato e che le piacerebbe fare?

Vediamoci: mai fatto una donna, e neanche un pesce. Ecco, potrei fare un pesce femmina, sai che sballo coi costumi... Perdoni l'ironia, ma io non ragiono così: non cerco personaggi che l'attore Harrison Ford vorrebbe interpretare, cerco storie delle quali l'attore Harrison Ford può mettersi al servizio.

Come si giudica come attore?

Non sono un artista, sono un artigiano. Recitare non è una missione, è un mestiere. Attori non si nasce, si diventa.

È vero che se non ce l'avesse fatta sarebbe diventato falegname?

Sfatiamo questa leggenda. Mi sono messo a lavorare come falegname perché col cinema non ci campavo. Così potevo essere meno ricattabile e accettare solo i ruoli che mi piacevano. Sono arrivato a Los Angeles a 24 anni e solo a 35 sono riuscito a diventare attore professionista, senza la necessità di un secondo lavoro.

È ancora in grado di costruire un tavolo?

Aggiusto, ma costruisco meno. Sono



salito di grado: ora faccio il designer.

Chi è veramente Harrison Ford?

Uno che si stufa facilmente e ha bisogno di rinnovarsi. Ma non sono un avventuratore. Amo la moto, però non ci sono salito fino a 45 anni, perché non mi fidavo di me. Amo gli aerei, ma fino a 50 anni non mi sono sentito pronto a guidarli.

È noto che non ama le interviste. Perché?

Sono laureato in filosofia, amerei le discussioni profonde. Ma la maggior parte delle domande sono del tipo: «È notte, la strada è deserta e lei viene assalito. Per difendersi preferisce usare la spada laser di Ian Solo o la frusta di Indiana Jones?».

La domanda più oziosa riguardante «Misere straordinarie»?

«Lei è il protagonista della serie *Indiana Jones*, Brendan Fraser invece della serie *La nummia*. Come è che non avete fatto un film d'avventura?».

Che cosa non funziona a Hollywood?

Non lo so più, vivo fra New York e il Wyoming. Penso che sia rimasto tutto come quando sono arrivato da Chicago negli anni Sessanta. Volevano farmi mettere la cravatta, cambiarmi il look e anche il nome, perché c'era già stato un altro Harrison Ford, star del muto che aveva la sua stella sull'Hollywood boulevard.

Come è riuscito a evitarlo?

spettacoli

Proponendo lo pseudonimo più fesso che mi venisse in mente, Kurt Affaire... **Il suo Dottor Stonehill dice: «Non mi interessano i soldi, io sono uno scienziato». Lei potrebbe dire: «Non mi interessano i soldi, io sono un attore»?**

No. Gliel'ho detto prima, è il mio mestiere. Gratis non lo farei. Nei primi tempi hollywoodiani la Columbia mi mise sotto contratto per 7 anni a 150 dollari la settimana: una miseria. E lì ho capito che sei tu che devi valutare te stesso e decidere il prezzo che vali. Quando George Lucas mi offrì *American Graffiti*, stavo per perdere il ruolo, perché volevo un aumento di 15 dollari a settimana. Ma fui inflessibile: come falegname guadagnavo 15 dollari l'ora.

Diventerà mai regista?

Absolutamente no. È faticosissimo. Il mio amico Bob Hoskins ha paragonato il suo primo film a una condanna a morte eseguita dal becco dei pinguini. E Bill

Murray dice che si lavora sette volte di più per gli stessi soldi.

Il suo cult movie?

Il buio oltre la siepe, con Gregory Peck. Però, se voglio ridere, niente batte *Scemo & +scemo* con Jim Carrey.

Ha avuto una sola nomination all'Oscar (per «Witness-il testimone»). Si sente sottovalutato?

Un attore che lavora tanto quanto ho lavorato io non ha il diritto di sentirsi sottovalutato.

Shia LaBeouf, suo figlio in «Indiana Jones e il regno del teschio di cristallo», ancora si commuove quando racconta che alla fine delle riprese lei gli ha regalato il suo cappello con la dedica «Ora è tuo, ragazzo». Perché l'ha fatto?

Volevo dimostrargli la mia stima. Ma gli ho dato solo il cappello: mai pensato che Shia sarebbe diventato il nuovo Indy. Sarà sempre e solo il figlio di Indy.

Vuol dire che ci sarà un quinto episodio?

Di solito funziona così: George (Lucas) scrive una storia, Steven (Spielberg) e Harrison (Ford) hanno facoltà di veto o di approvazione. Siamo ancora alla prima fase. Ma ci sono due condizioni fondamentali: bisogna metterci meno dei 18 anni che sono passati fra il terzo e il quarto e sperare che io sia ancora vivo. ●

— UN FILM DA OSCAR? MEGLIO CHE FACCIA SOLDI —

Harrison Ford LAVA I PIATTI, PILOTA AEREI, FA BRICOLAGE. E A CHI GLI CHIEDE PERCHÉ ABBLA FATTO L'ATTORE RISPONDE: «NON VOLEVO ANDARE IN PENSIONE E RICEVERE UN OROLOGIO»

DI EVA JAMES E LILY ROGERS
 FOTO DI JIM WRIGHT

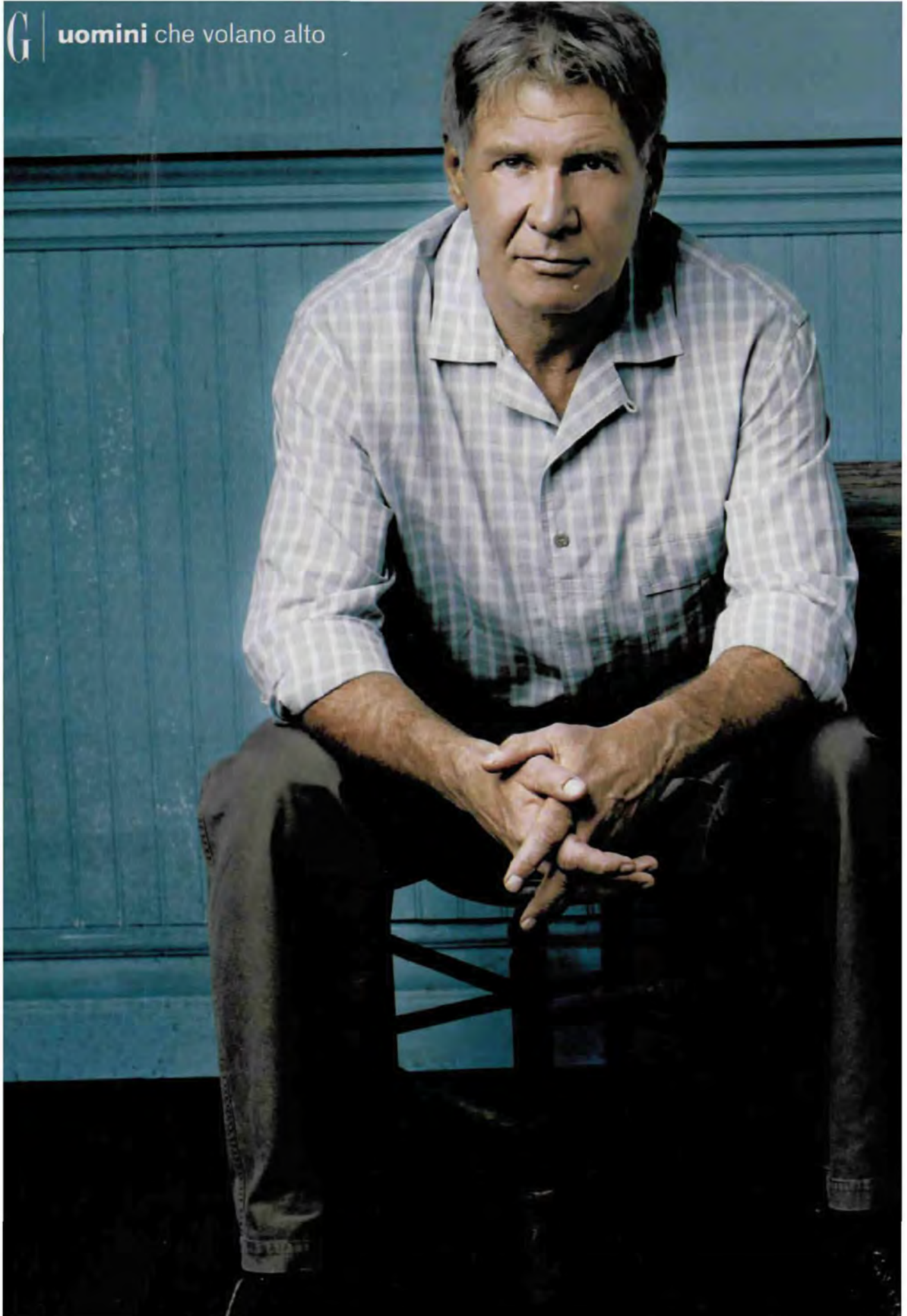


HARRISON FORD, 67 ANNI, È TRA I PROTAGONISTI DEL FILM *MISURE STRAORDINARIE* (NELLE SALE DAL 23 APRILE), DI CUI È ANCHE PRODUTTORE ESECUTIVO.

Per molti anni, l'unica cosa "privata" che diceva di sé era che gli piaceva fare il falegname. Era il suo mestiere quando recitare non lo aveva ancora reso uno degli attori più ricchi di sempre e, fosse vero o no che Indiana Jones si diletta con la pialla, tutti gli intervistatori la prendevano per buona. Da quando sta con Calista Flockhart (alias Ally McBeal, o Kitty Walker, se seguite *Brothers & Sisters*) sembra diventato più loquace. Racconta com'è che porta un orecchino (ma che c'azzecca con Harrison Ford?), dell'amicizia con Bill Clinton, di come adori volare. Forse è l'età (67 anni, tre volte nonno) che lo ha addolcito. O, forse, semplicemente adesso gli va, visto che lui fa solo quello che gli pare. Vola in Europa seguendo rotte diverse dai più, possiede una tenuta in Wyoming che è più grande del Central Park

•Segue

G | uomini che volano alto



Harrison Ford

ACCANTO, BRENDAN FRASER, 41 ANNI, CON HARRISON FORD, IN UNA SCENA DI *MISURE STRAORDINARIE*



«Non esistono tante parti per gli attori della mia età. E quelle che ci sono le interpreta tutte Clint Eastwood!»



di New York, parla di cinema come un amministratore delegato. D'altronde, Harrison Ford ha fatturato da corporation (successi come *Guerre Stellari* e *Indiana Jones*). E se gli altri attori hanno il vezzo di dire che l'arte viene prima e non lo fanno per denaro, lui ribadisce: «Non m'interessa girare un film che non faccia soldi. E non faccio niente che non mi appassioni. Soprattutto al cinema».

Negli ultimi tempi sta lavorando parecchio. L'ultima notizia che lo riguarda viene da Jon Favreau, il regista dell'annunciato fantawestern *Cowboys & aliens* (tratto dalla graphic novel di Scott Mitchell Rosenberg): «Smettetela di chiedermi se nel film ci sarà Harrison Ford», ha scritto su Twitter. «C'è, ma non ditelo a nessuno». E intanto, il 23 aprile, esce *Misure straordinarie*, in cui Ford è uno scienziato che cerca la cura per il morbo di Pompe, rara malattia genetica di cui soffrono 40 mila persone in tutto il mondo e che ha effetti simili alla distrofia muscolare. Il film è diretto dall'inglese Tom Vaughan, racconta la storia vera di due genitori (Aileen e John Crowley, intervistato a pag. 55, e interpretato sullo schermo da Brendan Fraser), che lottano contro il tempo per trovare il rimedio che salvi la vita ai loro figli.

Si dice che lei non guardi quasi mai un film che ha interpretato. È una leggenda?

«Non vado molto al cinema, a parte qualche cartone animato con mio figlio Liam (nove anni, adottato da Ford con la Flockhart, ndr). Rivedo quello che ho girato solo se posso essere utile a migliorare il risultato, tagliare una scena, cambiare il montaggio. Mi piace risolvere problemi. Altrimenti, quando un film è finito, non me ne occupo più».

Però di "Misure straordinarie" è anche il produttore esecutivo, questo cambia un po' le cose...

«Significa che sono coinvolto in ogni decisione: marketing, pubblicità, montaggio, scelta del regista, casting. È gratificante: puoi assicurarti della qualità generale del lavoro ancora prima di iniziarlo».

Il film è tratto da una storia vera. Però il suo personaggio, lo scienziato Robert Stonehill, non esiste nella realtà. Perché l'ha creato?

«Lui mette insieme gli sforzi dei tanti ricercatori che hanno studiato una cura per i due bambini malati. Ci voleva un personaggio che raccontasse la storia come una lotta della scienza contro il tempo e la rendesse più universale. Mi sembrava lo spazio giusto per me».

Non farà fatica a trovare ruoli adatti a lei?

«Non ci sono molte parti per gli uomini della mia età, e quelle che ci sono le interpreta Clint Eastwood!» (ride). «Scherzo, sono ancora piuttosto occupato: a luglio uscirà anche un altro film, *Morning glory*».

Quanto le dispiace di non avere mai vinto un Oscar?

«Non m'interessano molto i premi e non sono attratto dal tipo di ruoli che, di solito, portano all'Oscar. Così faccio quello che più mi piace».

Come il suo hobby del volo?

«Provo una grande libertà lassù: decido dove andare e a quale altitudine. Mi piace volare sulla campagna e atterrare fuori pista. E poi il volo è una passione che richiede tempo. Devi aggiornarti sui diversi modelli di aereo, sulle nuove misure di sicurezza, devi volare un certo numero di ore. Per fortuna, posso farlo per lavoro: sono appena stato a Dallas e a San Francisco per promuovere il film, le prossime tappe sono Chicago e Toronto. E poi sarò cinque giorni a Wichita, in Kansas, per un corso di sicurezza per jet».

Ha mai volato all'estero?

«Sì, ormai da 25 anni non salgo su un aereo di una compagnia di linea».

L'aereo più grande che ha pilotato?

«Un Cessna Citation Sovereign».

E con quello vola fino in Europa?

«Sì, se mi fermo in Nuova Scozia per fare carburante. Non devo nemmeno seguire le rotte di linea».

Altre cose che le piace fare?

*Segue

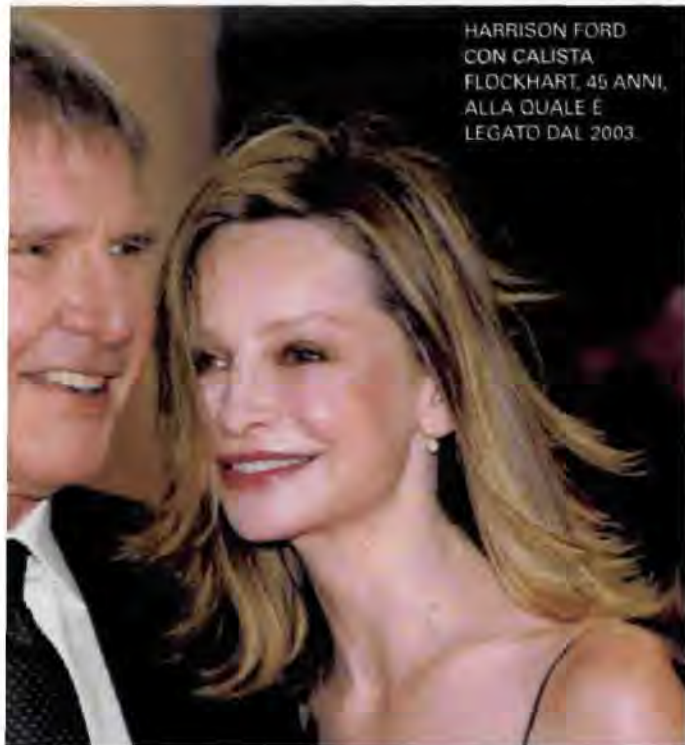
«Pulire la casa, lavare i piatti. E ho un talento per stirare. Sono attività terapeutiche».

Non credo che le abbia imparate dalla sua fidanzata...

«Infatti no. Ho sempre amato i lavori manuali. Mi soddisfano più di altre attività "speculative"».

Infatti tutti sanno che lei ha l'hobby della falegnameria. George Lucas, il produttore di "Guerre Stellari", ha ancora l'armadio che gli ha costruito?

«Ma questa è una leggenda! Non ho mai costruito niente per lui... a parte i miei personaggi. E poi non pratico il bricolage da un pezzo».



HARRISON FORD
CON CALISTA
FLOCKHART, 45 ANNI,
ALLA QUALE È
LEGATO DAL 2003.

In Wyoming ha una tenuta immensa. Per caso, lei e Calista avete anche un orto? Oggi va molto di moda, ce n'è uno persino alla Casa Bianca...

«Di verdure ne mangiamo molte, ma le compriamo al mercato. Per il resto gioco a tennis tutti i giorni e seguo una dieta molto disciplinata: né junk food né zucchero, solo quello contenuto nel vino rosso. E un whisky, alla sera».

Non c'è un peccato di gola al quale proprio non resiste?

«Adoro il cibo messicano che vendono nei furgoncini di Los Angeles».

Che cosa la spinge ancora a fare film?

«Ho bisogno di stimoli intellettuali, di far parte di una squadra che cerca di dar vita a un'idea. È un lavoro fantastico. E poi non riesco a stare fermo».

Ne è sicuro?

«Ho scelto questo mestiere perché mi piace e perché non volevo finire come la maggior parte dei miei ami-

ci dopo il college: ripetere le stesse cose, chiuso dentro un ufficio, per 20 anni e, alla pensione, ricevere un orologio».

Da giovane non è andato in Vietnam...

«Pensavo che fosse una guerra sbagliata, i vietnamiti non ci erano entrati in giardino».

Suo padre era cattolico, sua madre ebrea. In quale fede religiosa è stato educato?

«Quella democratica».

Nel senso del partito di Obama?

«Assolutamente sì. Per mio padre essere un democratico significava avere una visione del mondo: giustizia sociale, eguaglianza, ricerca del bene per tutti».

Le radici della sua filantropia vengono da lì?

«Quando ho avuto a disposizione una quantità spropositata di denaro, mi è sembrato giusto occuparmi di un po' di problemi. Ma non credo negli attori che fanno da portavoce alle cause sociali: preferisco restare più anonimo. Anche il mio impegno in campo ambientale è noto a tutti».

Quanto contano i soldi?

«Diventano importanti solo quando non ne hai».

Nel 2003 ha ritirato l'Oscar de "Il pianista" al posto di Roman Polanski, che non poteva entrare in America. Che cosa ne pensa dei suoi arresti domiciliari?

«Non è un argomento di cui sono disposto a discutere. Roman è un amico, tutto qui».

Allora torniamo al film. Prima di girarlo, ha incontrato i Crowley, i genitori dei due ragazzi affetti dal morbo di Pompe. Come è andata?

«Ho visto John, il padre, da solo. Dei ragazzi avevo solo dei ritagli di giornale e un video. Volevo capire se lui poteva aiutarmi a esplorare meglio l'aspetto scientifico della vicenda, mi serviva per sviluppare la sceneggiatura e tradurre le informazioni tecniche in aspetti più cinematografici».

Qual è la cosa più coraggiosa che lei ha fatto per i suoi figli (5, di cui 4 dai precedenti due matrimoni, ndr)?

«Per fortuna non ho mai avuto vere emergenze sanitarie, al massimo ne ho dovuto portare uno al pronto soccorso con un osso rotto».

Ha mai detto loro: «La forza sia con te»?

«È una frase accattivante, ma non è importante. Ciò che conta è diventare "la Forza". Per te stesso e, magari, anche per altri».

Perché si è messo l'orecchino al lobo sinistro?

«È successo una sera a New York. Insieme a Melissa (Matheson, la sua ex moglie, ndr) sono entrato in un negozio di piercing. Non pensavo che mi avrebbero ripetuto questa domanda per anni. Vede, bastano 60 dollari per scioccare il mondo!». ■

MISURE STRAORDINARIE



Forse non si può difendere un film solo per il finale, ma *Misure straordinarie* va aspettato. La dimensione temporale viene dilatata, sospesa in spazi che ritornano (Nebraska, Chicago, Seattle, Portland) e bisogna avere un istinto particolare per saper filmare l'attesa. Tom Vaughan, proveniente dalla commedia *Notte brava a Las Vegas*, è invece soltanto un diligente esecutore, niente più. La pellicola è tratta dal libro *The Cure* di Geeta Anand e ispirata alla storia vera di John Crowley, in ascesa professionale, che decide di lasciare perdere tutto quando viene diagnosticata ai due figli più piccoli una malattia incurabile. Per cercare di salvarli, unisce le sue forze con quelle di un ricercatore di talento sottovalutato insieme al quale fonda una compagnia biotecnologica allo scopo di creare una medicina salvavita. La necessità illustrativa raffredda spesso questo melodramma ospedaliero corretto a cui manca però una spinta decisiva, quella che aveva, per esempio, *L'olio di Lorenzo* di Miller in cui Nolte e la Sarandon spadroneggiavano rispetto a Fraser e la Russell. Per fortuna c'è Harrison Ford, volto dolente e animo chiuso, tra *A proposito di Henry* e *Crossing Over*. Lui sì che se li mangia ancora tutti. S. E.

LA SCHEDA DEL FILM

TITOLO ORIGINALE *Extraordinary Measures*
 PRODUZIONE Usa 2010 REGIA Tom Vaughan
 SCENEGGIATURA Robert Nelson Jacobs CAST
 Harrison Ford, Brendan Fraser, Keri Russell, Jared
 Harris, Courtney B. Vance, Meredith Dungey
 MUSICHE Andrea Guerra DISTRIBUZIONE Sony

DRAMMATICO
DURATA 105'

ROMANZO NITRO IMPAZZIE TENDENZE EDITORIALI

Nuova sfida di Harrison Ford scienziato in un melodramma

La storia (vera) di due bambini malati nello stile classico di Hollywood

Sugli schermi

Il veterano del cinema Usa a 68 anni firma anche come produttore esecutivo la pellicola. Brendan Fraser è l'uomo che tra ostacoli e colpi di scena non si arrende al destino dei figli

Con i suoi sessantotto anni (li compirà il prossimo 13 luglio), Harrison Ford sembra essere rimasto l'ultimo baluardo vetero-hollywoodiano di fronte a un cinema che sta cambiando pelle e protagonisti con una velocità impressionante. E non è naturalmente solo questione di età (in fondo Spielberg ha solo quattro anni di meno, Coppola tre di più, Scorsese gli è coetaneo) ma piuttosto di formazione generazionale, di educazione, di affinità, tutte cose che in un attore si notano di più che in un regista. Nonostante gli sforzi ringiovanenti della cura Indie.

La riprova salta agli occhi vedendo questo *Misure straordinarie* (diretto da Tom Vaughan), di cui è prima che coprotagonista soprattutto produttore esecutivo (che nel gergo cinematografico sta a indicare il vero motore di un film). Nei panni del brillante ma soprattutto anticonformista Robert Stonehill, Ford guarda alla grande tradizione degli «scienziati hollywoodiani» quelli capaci di dimenticarsi l'appuntamento della vita per

portare a termine un esperimento o di dar fuoco alla casa se le ricerche lo richiedono (lui tiene la musica talmente alta da non accorgersi nemmeno delle telefonate), come in una delle tante biografie romanzate che la Fox dedicava nei suoi anni d'oro ai campioni delle più autentiche virtù americane, esempi di una nostalgia per un passato «incontaminato» da riconquistare che non può essere stato estraneo neppure alla forza evocativa dello «Yes, We Can» di Obama. E forse neppure al rifiuto del vero scienziato di Oklahoma City di vedersi riflesso nel film, tanto che il suo vero nome William Canfield è stato cambiato in Stonehill.

Certo, gli anni passano per tutti e se una volta Canfield/Stonehill sarebbe stato il protagonista assoluto di un film, oggi deve accettare il ruolo del coprotagonista, lasciando al padre angosciato per la malattia dei figli il compito di «aggiornare» la sceneggiatura ai giorni nostri, fatti di conti economici più che di slanci umanitari, di fusioni societarie più che intuizioni illuminanti, ma il quadro di fondo cambia poco e la fiducia nella volontà e nella testardaggine dell'individuo resta quella di sempre, dei pionieri, dei medici di campagna, dei meno fortunati che alla fine «ce la fanno».

Proprio com'è la vera storia di John Crowley (nel film interpretato da Brendan Fraser), «figlio di un poliziotto e di una cameriera», che riesce a salire la scala sociale a furia di volontà e buoni risultati negli studi, fino a laurearsi e a trovare ottimi posti manageriali. Fino al giorno in cui — e questo accadeva nel 1998 — ai suoi figli Megan e Patrick fu diagnosticato il morbo di Pompe, una patologia neuromuscolare che impedisce di smaltire correttamente il glicogeno e «toglie» energia ai muscoli, causando disfunzioni respiratorie e car-

diache che portano inevitabilmente alla morte. In alcuni bambini praticamente nel primo anno di vita, in altri, più resistenti e combattivi, entro gli otto/nove anni.

È questo appunto il caso dei due figli di John, che conosciamo all'inizio del film su una carrozzina, attaccati a respiratori artificiali, con il padre che non vuole accettare l'impotenza della scienza di fronte a quella malattia. Costruito tutto sul contrasto tra la vitalità compressa dei due piccoli malati e il rabbioso dolore dei genitori (accanto a John c'è, altrettanto determinata, la moglie Aileen, interpretata da Keri Russell), il film non maschera certo la strada che vuole percorrere, quella di un lungo, tortuoso percorso verso la soluzione del problema, toccando tutte le corde che le regole del melodramma impongono, dalla speranza alla delusione, tra ostacoli e colpi di scena. Come andrà a finire, l'ha già scritto la cronaca, visto che come sottolinea un cartello prima dei titoli di testa, il film è «tratto da una storia vera».

La vera novità (cinematograficamente parlando) è il ruolo del Dio Dollaro e lo spazio che la sceneggiatura (di Robert Nelson Jacobs, dal romanzo di Geeta Anand, pubblicato in Italia da Rizzoli) lascia ai modi in cui Crowley trovò i finanziamenti per le ricerche di Stonehill, molto più dettagliati e presenti che nei film della Hollywood di ieri. Ma si sa, se gli eroi restano sempre identici, i tempi cambiano e minimizzare la componente finanziaria e commerciale avrebbe voluto dire cancellare una buona dose di «realismo» al film. Col rischio di togliere

credibilità all'inevitabile happy ending.



La scena clou

Il primo contatto era finito con un reciproco insulto. Ma la malattia dei figli è di quelle che fanno digerire ben di peggio e John decide di presentarsi di persona allo scienziato di Oklahoma City. Lui praticamente lo ignora ma Crowley è deciso a tutto e lo segue fino al bancone di un bar: è qui che il padre e lo scienziato finalmente si conoscono, svelando ognuno un'umanità che l'altro nemmeno supponeva e dando inizio al sodalizio da cui nascerà il centro di ricerche che aiuterà i piccoli col morbo di Pompe.

Le stelle



La storia vera di un padre disposto a tutto per salvare i figli affetti dal morbo di Pompe

*da evitare **interessante
da non perdere *capolavoro

Spettacoli





MISURE STRAORDINARIE ★★

Drammatico (Usa, 2010), di Tom Vaughan, con Harrison Ford, Brendan Fraser. John sa che il figlio è affetto da una malattia considerata incurabile, ma non s'arrende. E scova uno strano medico che la pensa diversamente. **Buoni senti-**

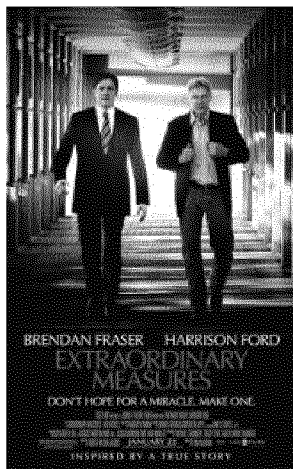
menti per un Harrison Ford diverso dal solito. (dal 23/4)

MEDICINA E BIOTECH | FILM

21 aprile 10

I miracoli possibili

di Roberta Pizzolante



Tom Vaughan

Misure straordinarie

con Brendan Fraser e Harrison Ford

Sony Picture 2010

Quando si mette sul mercato un farmaco per la cura di una malattia che colpisce pochissime persone, quale può essere considerato un buon margine di profitto e quale tasso di mortalità una perdita accettabile? E' questa la logica – può apparire brutale – che guida le industrie farmaceutiche quando decidono di impegnarsi nello sviluppo e commercializzazione di un cosiddetto farmaco orfano. Come racconta il film "Misure straordinarie" (www.misurestraordinarie.it), dal 23 aprile in Italia, promosso in anteprima a Roma, Torino e Milano (dal 12 al 14 aprile scorso) dalla Fondazione Telethon e dall'Associazione Italiana Glicogenosi (Aig) per sensibilizzare il pubblico sull'importanza della ricerca scientifica sulle malattie rare.

Tratto dal libro "The Cure" della scrittrice premio Pulitzer Geeta Anand, il film è ispirato alla storia vera di una famiglia colpita da una malattia incurabile, la malattia di Pompe (o glicogenosi di tipo II), patologia neuromuscolare causata dal difetto di un enzima e caratterizzata dal mancato smaltimento del glicogeno, la riserva energetica dei muscoli, che quindi finisce per accumularsi danneggiando prima di tutto il cuore e i polmoni. Nel mondo colpisce 10 mila tra neonati, bambini e adulti, 300 in Italia. Una fetta di popolazione troppo piccola, quindi, per attrarre l'interesse di Big Pharma.

Il film ci presenta John Crowley (interpretato da Brendan Fraser), uomo in carriera che molla tutto per tentare di salvare Megan e Patrick, i due figli più piccoli, ai quali viene diagnosticata questa malattia. Crowley riesce a scovare un brillante ma sottovalutato ricercatore fuori dagli schemi, Robert Stonehill (Harrison Ford). Insieme fondano un'azienda biotecnologica per sviluppare una terapia salvavita e alla fine ce la faranno, dopo una dura lotta contro il rigido sistema sanitario Usa.

Al pubblico viene presentato sia il lungo e difficile cammino che un composto deve superare per essere approvato, i rigidi protocolli per la produzione di molecole, sia la logica del profitto che guida le aziende, poco interessate a sviluppare farmaci senza garanzie di un sostanzioso ritorno economico. Interessante anche l'attenzione data al tema della condivisione delle conoscenze: come mette in evidenza il protagonista, è necessario che i ricercatori che lavorano allo sviluppo di molecole per la stessa malattia possano confrontarsi e condividere alcuni risultati piuttosto che lavorare in competizione tra di loro.

Ma il film, più che denunciare il modus operandi delle aziende farmaceutiche, vuole stimolare il pubblico a informarsi sulle malattie rare e sui farmaci orfani e far uscire dall'ombra i malati che ne sono affetti. Negli Usa la pellicola ha suscitato molto interesse verso questa malattia, che è stata tra le più ricercate su internet mentre il sito www.pompe.com ha avuto 20 mila accessi in soli due giorni, e nei confronti dei veri protagonisti della storia, i ricercatori che hanno lavorato 10 anni prima di mettere a punto la terapia enzimatica a base di alglucosidasi alfa che, se somministrata nello stadio iniziale della malattia, è in grado di prolungare la sopravvivenza dei bambini affetti dalla forma classica, riducendo

significativamente la cardiomiopatia.

Questo farmaco, sviluppato dall'azienda biotech Genzyme, ha cambiato in positivo la vita di molti pazienti, ma non di tutti. Per le altre forme della patologia Telethon sta studiando terapie complementari: nel 2009 il gruppo dell'Istituto Telethon di Genetica e Medicina di Napoli guidato da Giancarlo Parenti ha dimostrato in laboratorio che, affiancando alla terapia sostitutiva dei farmaci "aiutanti", si può potenziare

ulteriormente l'efficacia dell'aglucosidasi alfa. E' partita così quest'anno una sperimentazione sull'essere umano coordinata da Generoso Andria dell'Università "Federico II" di Napoli.

Per le malattie rare occorrono “Misure straordinarie”

clicMedicina - redazione@clicmedicina.it

Pamela è una ragazza toscana con una grande voglia di vivere, frequenta con successo i corsi di Psicologia all'Università, ama la musica e trascorre il proprio tempo libero con gli amici. A soli 24 anni è un simbolo per chi ha lottato per la vita e ce l'ha fatta perché questa giovane donna, affetta da Glicogenosi di tipo II - una patologia neuromuscolare rara, cronica e debilitante, che danneggia il cuore, i muscoli di gambe e braccia e quelli della respirazione - seppur costretta a una sedia a rotelle e all'ausilio di un respiratore, oggi è viva, mangia da sola e guarda al suo futuro con entusiasmo.

Per lei, come per i circa 200 malati statisticamente stimati in Italia colpiti da questa rara malattia, è infatti dal 2006 disponibile una cura a cui si è giunti grazie a uno straordinario lavoro di ricerca in cui caparbi studiosi hanno creduto e che un'azienda biotecnologica americana, la Genzyme, ha trasformato in farmaco e portato al letto del paziente. Una cura in grado di salvare a questi malati una vita altrimenti destinata a finire, nella maggior parte dei casi, entro il primo anno a causa di una grave compromissione del cuore e muscolare.

Ma se per il trattamento della Malattia di Pompe (o Glicogenosi di tipo II) esiste oggi una terapia enzimatica sostitutiva non bisogna dimenticare che la stragrande maggioranza delle oltre 7000 malattie rare oggi stimate rimane ancora privo di qualsiasi cura: farmacologica o dietetica.

Dei numeri che bene evidenziano come in questo campo ci sia ancora troppo da fare e che il primo punto su cui è necessario intervenire è proprio quello della ricerca.

“Misure straordinarie” per la ricerca

Un recente studio Cergas-Bocconi, elaborato in collaborazione con Assolombarda e Aiop Lombardia e illustrato nel corso del dibattito dalla dr.ssa Amelia Compagni evidenzia importanti nodi critici del sistema di finanziamento alla ricerca da parte del Ministero del Lavoro, della Salute e delle Politiche Sociali.

Dall'indagine emerge infatti una debole capacità di indirizzo delle priorità di ricerca, un sistema non in grado di premiare a sufficienza l'eccellenza, un'incapacità a valorizzare realtà che da un anno all'altro migliorano la propria produttività scientifica oltre che criteri di valutazione che non tengono conto delle forti differenze che esistono fra i diversi centri di ricerca. Un quadro complessivo che evidenzia una governance del processo di finanziamento e metodi adottati per la valutazione e il monitoraggio delle attività di ricerca finanziate, in cui ancora molto resta da fare per arrivare a una ricerca sanitaria avanzata, efficiente e in grado di rispondere ai bisogni reali dei sistemi sanitari moderni.

E poi, al di là dell'investimento nella ricerca da parte dello Stato, ci sono altri problemi che caratterizzano specificamente il nostro Paese. Un confronto con il sistema americano, presentato dal **Professor Luigi Varesio**, oggi Direttore del Servizio di Biologia Molecolare dell'Istituto Pediatrico “G. Gaslini” di Genova, ma per 18 anni negli Stati Uniti, mostra come in Italia non si sia in grado di portare chi ha successo ad avere una carriera e uno stipendio: si procede con contratti sempre più miseri, di durata limitata, con il rischio di perdere il bagaglio di know how e di conoscenza accumulato. E poi c'è la piaga dei concorsi per l'assegnazione di un posto che penalizza e spesso blocca il ricambio e l'assunzione di persone che hanno le competenze specifiche e la giusta personalità per inserirsi in un gruppo di lavoro. Senza dimenticare che, nel nostro Paese, spesso il ricercatore deve gestire troppi aspetti amministrativi, contabili, normativi, che non gli competono.

Ma non ci sono solo ombre sulla ricerca nostrana, come mostra l'esempio della Fondazione Telethon, attualmente impegnata anche in alcuni progetti che riguardano specificamente la malattia di Pompe. Il **Professor Giancarlo Parenti**, ricercatore dell'Istituto Telethon e professore associato di Pediatria all'Ateneo Federico II sta studiando approcci terapeutici complementari alla Terapia Enzimatica Sostitutiva per rafforzarne ulteriormente l'azione. In particolare approcci basati sull'uso di piccole molecole, definiti “chaperones” farmacologici, in grado di stimolare l'attività enzimatica residua e di migliorare la conformazione tridimensionale, la stabilità, la maturazione e la localizzazione nei lisosomi dell'enzima. Inoltre, sempre presso il TIGEM e il Dipartimento di Pediatria di Napoli, è stato dimostrato che l'uso combinato di chaperones farmacologici e della terapia enzimatica sostitutiva ha un effetto sinergico. Questo approccio “combinato” apre nuove prospettive per migliorare ulteriormente l'efficacia della terapia.

“Misure straordinarie” per la diagnosi

E se per la Malattia di Pompe la ricerca ha portato alla scoperta di una terapia enzimatica sostitutiva, maggiormente efficace se precocemente somministrata, diventa indispensabile un iter diagnostico rapido e una diagnosi precoce.

Nelle forme infantili della Malattia di Pompe, infatti, un ritardo di diagnosi anche di soli 2 - 3 mesi dall'inizio della sintomatologia può risultare fatale.

La regione Toscana, la prima in Italia a introdurre dal 2004 lo screening neonatale allargato per quaranta malattie metaboliche ereditarie, rispetto alle 5 previste a livello Nazionale, potrebbe anche vedere presto regolamentata l'estensione dello screening neonatale alla diagnosi di Malattia di Pompe, spiega la dottoressa Alice Donati dell'AOU Meyer di Firenze.

“Misure straordinarie” per la famiglia

La malattia rara infine è anche e forse soprattutto una malattia della famiglia: molto

spesso le mamme che devono occuparsi a tempo pieno della gestione della malattia devono lasciare il lavoro e la famiglia diventa monoreddito con tutte le difficoltà che

ne derivano specie in un momento di grave crisi economica. Pertanto diventano necessari strumenti legislativi che consentano alle famiglie di sopravvivere economicamente ad esempio con ammortizzatori sociali (es cassa integrazione, part-time) e defiscalizzazioni e agevolazioni (locazioni agevolate, mutui) per la casa che diventa nell'esperienza di malattia rara sia luogo di vita insieme sia luogo di cura.

Genetica**La malattia di Pompe
colpisce muscoli e cuore**

La glicogenosi di tipo 2 è una rara e grave patologia congenita che si manifesta soprattutto nei neonati. I centri per la terapia

Guarda anche**Malattia di Pompe, in Italia si sperimenta una nuova cura**

Misure straordinarie, il film sulla malattia di Pompe con Harrison Ford

La malattia di Pompe, o glicogenosi di tipo 2, è una patologia rara, che venne descritta per la prima volta negli anni 30 dal patologo olandese Johannes Pompe.

«È ereditaria ed è dovuta alla mutazione di un enzima, chiamato alfa-glucosidasi, che non svolge appieno la sua fondamentale attività: quella di smaltire il glicogeno presente nell'organismo», spiega Giancarlo Parenti, professore associato al dipartimento di pediatria dell'Università Federico II di Napoli e ricercatore al Tigem.

«Il glicogeno è una delle principali forme di riserva energetica delle cellule: se non viene "consumato", si accumula soprattutto nei muscoli, cuore compreso, provocando danni gravi. I bambini colpiti dalla malattia di Pompe presentano alterazioni simili a chi soffre di distrofie muscolari: in molti casi sono destinati alla sedia a rotelle, non respirano autonomamente e, nei casi estremi, muoiono entro il primo anno di vita per insufficienza cardiaca».

Dal 2000 è disponibile una terapia enzimatica sostitutiva. In pratica, ai pazienti affetti da glicogenosi di tipo 2 viene somministrato ogni 15 giorni, via flebo, un enzima prodotto in laboratorio, identico a quello umano, che svolge il lavoro al posto dell'alfa-glucosidasi.

Guarda l'elenco dei centri d'eccellenza per la malattia di Pompe segnalati dall'Associazione italiana glicogenosi.

Massimo Cadoria - OK La salute prima di tutto

Michelangelo, anteprima da record

Sala gremita per il film "Misure Straordinarie"



L'ingresso del Michelangelo gremito poco prima dell'inizio del film

MODENA. Grande successo e anche qualche spettatore visibilmente commosso al cinema Michelangelo, gremito di persone lunedì sera, per l'anteprima del film, che sarà in programmazione nelle sale di tutta Italia a partire dal fine settimana, intitolato "Misure straordinarie: smisero di sperare in un miracolo. Lo fecero".

Il nuovo film, che ha già riscosso molto successo presso il pubblico d'oltreoceano, interpretato dal prestante Brendan Fraser e dall'insostituibile Harrison Ford, racconta una storia vera: quella di una padre di famiglia, John Crowley, bene interpretato dall'ex sex symbol Fraser, qui con parecchi chili di troppo rispetto ai tempi del colos-

sal "La mummia", credibile e convincente nei panni di un padre impegnato nel sovrumano sforzo di trovare un nuovo farmaco in grado di salvare la vita ai due figli, entrambi affetti da una rara malattia, il morbo di Pompe.

Un obiettivo difficile che viene conseguito dopo peripezie varie con l'aiuto di uno strampalato ma irresistibile Ford che interpreta il geniale ricercatore anticonformista dottor Stonehill che si adopera perchè la lotta intrapresa dal padre dei due piccoli pazienti vada a buon fine. Una trama che ricorda un poco "L'olio di Lorenzo" diretto da George Miller, magistralmente interpretato da Nick Nolte e Susan Sarandon, genitori che caparbiamente e

in violazione dei protocolli sanitari, studiano giorno e notte per trovare una medicina che salverà la vita del loro unico figlio.

Due pellicole che hanno il merito di sensibilizzare l'opinione pubblica sul problema delle malattie rare spesso incurabili per l'alto costo della produzione di farmaci, su cui proprio per una questione di costi troppo spesso la ricerca si inceppa. L'anteprima offerta al cinema Michelangelo, gremito in ogni ordine di posti, in collaborazione con Aig, Associazione Italiana Glicogenosi, è stata offerta dalla Genzyme, azienda biotecnologica statunitense, impegnata nello studio di malattie rare che ha l'unica sua filiale italiana a Modena dove esiste all'ospedale Policlinico un centro di eccellenza per la cura, appunto, delle malattie rare.

Il film dimostra che solo una stretta interazione tra le associazioni rappresentanti le famiglie dei bambini malati, ricercatori motivati e una forte mobilitazione dell'opinione pubblica per la raccolta di fondi utili alla ricerca può fare il miracolo: scoprire e produrre l'agognato farmaco salvavita.

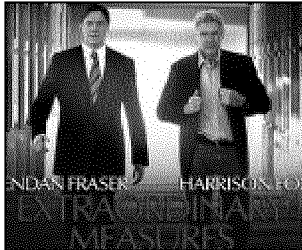
Giulia Manzini



News

"Misure straordinarie": un film con Harrison Ford per promuovere la ricerca sulle malattie rare

La pellicola si ispira alla storia vera di un padre che combatte per guarire i suoi due figli colpiti dalla malattia di Pompe. A Milano, Torino e Roma anteprime del film organizzate da Telethon e Associazione italiana glicogenosi. Dal 23 aprile in tutte le sale



ROMA - Dal 23 aprile approderà nelle sale italiane "Misure straordinarie" (Extraordinary Measures), un film interpretato da Harrison Ford e Brendan Fraser, ispirato alla storia vera di una famiglia colpita da una gravissima patologia rara, allora incurabile. Basato sul libro "The Cure" della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand, il film racconta di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser), impegnato nello straordinario sforzo di trovare e sviluppare un farmaco per salvare Megan e Patrick, i due figli più piccoli, ai quali viene diagnosticata la malattia di Pompe (o glicogenosi di tipo II). Insieme alla moglie Aileen e con grande determinazione, Crowley scova un brillante ma sottovalutato ricercatore anticonformista, Robert Stonehill (Harrison Ford). Insieme fondano un'azienda biotecnologica per sviluppare una terapia salvavita: il primo spinto dal desiderio di salvare i figli, l'altro dal bisogno di mettere alla prova se stesso e le proprie teorie, i due uomini sviluppano un rispetto reciproco nella lotta contro il tempo e contro il sistema sanitario statunitense, con l'obiettivo di trovare un farmaco in grado di salvare la vita a coloro che sono colpiti da questa malattia.

In collaborazione con Sony Pictures Releasing Italia, che distribuisce il film, la Fondazione Telethon e l'Aig (Associazione italiana glicogenosi) hanno promosso la programmazione in anteprima del film a Milano, Torino e Roma, per sensibilizzare il pubblico sull'importanza della ricerca scientifica sulle malattie rare, come quella di Pompe. La Fondazione Telethon ha dato un importante contributo alla ricerca sulle malattie da accumulo lisosomiale, di cui anche la glicogenosi di tipo II fa parte: ad oggi ha infatti finanziato ben 45 progetti di ricerca, per un totale di circa 10 milioni di euro.

Per quanto riguarda in particolare la malattia di Pompe - patologia oggi trattata dalla biotech americana Genzyme con una terapia enzimatica sostitutiva che ha cambiato la storia naturale di questa malattia - il gruppo dell'Istituto Telethon di Genetica e medicina di Napoli guidato da Giancarlo Parenti ha dimostrato in laboratorio che, affiancando a questa terapia salvavita dei farmaci "aiutanti", se ne può potenziare ulteriormente l'efficacia. Alla luce di questi risultati nel 2010 ha preso il via una sperimentazione sull'uomo coordinata da Generoso Andria dell'Università "Federico II" di Napoli.

L'Aig onlus nasce nel 1996 per volontà di un gruppo di genitori con figli affetti da glicogenosi per promuovere la ricerca scientifica, sensibilizzare l'opinione pubblica e dare un aiuto pratico e psicologico alle famiglie. In questi anni ha fornito un servizio di consulenza globale (psicologica, specialistica, fisioterapica e legale); organizzato convegni con la partecipazione delle famiglie e di numerosi ricercatori e studiosi; realizzato audiovisivi per la gestione della tecnica della nutrizione enterale pediatrica al domicilio dei pazienti; contattato alcuni istituti di ricerca italiani ed esteri per promuovere la ricerca di base e clinica; promosso iniziative per la raccolta di fondi da destinare alla ricerca scientifica, in particolare in ambito genetico; organizzato campagne d'informazione e sensibilizzazione attraverso i mass media; istituito borse di studio per promuovere una maggiore conoscenza della malattia.

(15 aprile 2010)

Misure Straordinarie

PUBBLICATO DA ATTUALITÀ DOM, 18/04/2010 - 19:04

IN USCITA nelle sale cinematografiche italiane **Misure Straordinarie**, il film - protagonista **Harrison Ford** - che affronta da un'angolazione inedita una sindrome, la **malattia di Pompe**, una delle circa 7 mila patologie rare che si stima in Italia colpisca 200 persone. Questa patologia, in virtù di un **deficit enzimatico**, determina un mancato smaltimento del **glicogeno** che tende così ad accumularsi danneggiando cuore, muscoli di gambe e braccia e quelli respiratori. I bambini colpiti soffrono così di **ipotonia muscolare** e ingrossamento del cuore con grave **rischio di mortalità** entro il primo anno di vita

«HARRISON FORD si è calato nella difficile avventura delle malattie rare con un preciso obiettivo: far sì che gli spettatori si pongano domande e approfondiscano le loro conoscenze su queste patologie e sui farmaci orfani» afferma **Fabrizio Seidita**, presidente dell'**Associazione italiana glicosidasi (AIG)**. «Per associazioni come la nostra, impegnate tutti i giorni nell'assistenza e nel supporto ai malati, queste si rivelano occasioni uniche per portare all'attenzione dell'opinione pubblica i problemi concreti che in Italia devono affrontare quasi due milioni di persone colpite da una malattia rara».



PER INIZIATIVA di **Genzyme**, l'anteprima del film MISURE STRAORDINARIE si è tenuta a Modena al CINEMA TEATRO MICHELANGELO lunedì 19 aprile, preceduta da una prolusione a cura del management Genzyme.

«Per più di dieci anni Genzyme ha lavorato allo studio della malattia di Pompe – ha dichiarato **Massimo Boriero** Presidente di Genzyme in Italia –. Tale impegno ha portato allo sviluppo del primo e unico trattamento approvato per la cura della malattia: la terapia enzimatica sostitutiva con **alglucosidasi alfa**».

«Sebbene non ci sia stato da parte di Genzyme alcun coinvolgimento nella realizzazione del film, – ha aggiunto **Riccardo Palmisano** Amministratore Delegato e Direttore Generale di Genzyme in Italia - la nostra speranza è che questa pellicola contribuisca ad aumentare sia la conoscenza delle malattie rare che l'importanza della ricerca sui farmaci orfani». (a.m.)

BLOG DI ATTUALITÀ | ATTUALITÀ | VOLONTARIATO

OK GLI ESPERTI RISPONDONO AI LETTORI

◀ Gli americani studiano, eccome, le malattie rare.

Addirittura sarà Harrison Ford a interpretare lo scienziato eroe che ha trovato una terapia per la glicogenosi in un film di prossima uscita. Indirizzo alla redazione di OK questa mia: vorrei sapere se anche i nostri ricercatori si impegnano per patologie come questa o se siamo l'ultima ruota del carro ▶▶

Alessandro S. (Caserta)



Giancarlo Parenti



pediatra

È nato nel 1956 a Napoli, dove si è laureato e specializzato in pediatria. Nel capoluogo campano è professore associato al dipartimento di pediatria dell'Università Federico II e ricercatore presso il Tigem (Istituto Telethon di genetica e medicina).



Nelle sale il film sulla disfunzione

Harrison Ford (a sinistra) e Brendan Fraser in una scena di *Misure straordinarie*, nelle sale dal 23 aprile. Il film narra la storia vera di John Crowley, padre di due figli colpiti dalla malattia di Pompe, e del medico che li cura.

Malattia di Pompe: in Italia si sperimenta una nuova cura

Gentile Alessandro,

il ruolo di Harrison Ford in *Misure straordinarie* è ispirato a William Canfield, un ricercatore americano dell'Università dell'Oklahoma che nel 1998 ha iniziato a studiare una cura per la malattia di Pompe, o glicogenosi di tipo 2.

Mentre dagli Stati Uniti arriva questo bel film nelle sale, **a Napoli si sta sperimentando una nuova terapia per la patologia rara**, che venne descritta per la prima volta negli anni 30 dal patologo olandese Johannes Pompe.

Una patologia rara dovuta alla mutazione di un enzima

La glicogenosi di tipo 2, ereditaria, è dovuta alla mutazione di un enzima, chiamato alfa-glucosidasi, che non svolge appieno la sua fondamentale attività: quella di smaltire il glicogeno presente nell'organismo. Il glicogeno è una delle principali forme di riserva energetica delle cellule: se non viene «consumato», si accumula soprattutto nei muscoli, cuore compreso, provocando danni gravi. **I bambini colpiti dalla malattia di Pompe presen-**

tano alterazioni simili a chi soffre di distrofie muscolari: in molti casi sono destinati alla sedia a rotelle, non respirano autonomamente e, nei casi estremi, muoiono entro il primo anno di vita per insufficienza cardiaca.

Per tornare a Canfield, la sua figura è importante perché, con un gruppo di scienziati, ha messo a punto la terapia enzimatica sostitutiva, disponibile dal 2000. In pratica, ai pazienti affetti da glicogenosi di tipo 2 viene somministrato ogni 15 giorni, via flebo, un enzima prodotto in laboratorio, identico

a quello umano, che svolge il lavoro al posto dell'alfa-glucosidasi.

Ricerca all'Università di Napoli finanziata da Telethon

Questa terapia, però, ha i suoi limiti, e non solo per i costi alti (si va dai 150mila ai 450mila euro l'anno): gli effetti non sono costanti e alcuni pazienti non rispondono in maniera ottimale alla cura.

Anche per questo **un gruppo di ricercatori dell'Istituto Telethon di genetica e medicina (Tigem) di Napoli, coordinato da me, dal 2005 ha iniziato a studiare un'alternativa terapeutica:** utilizzare due «aiutanti farmacologici» (chiamati chaperon) per potenziare l'attività dell'enzima mutato. Si è visto, per esempio, che se l'alfa-glucosidasi funziona solo al 2%, con gli chaperon si può arrivare al 10%, e non è poco.

Da qualche mese la terapia si testa sui pazienti

Nel marzo dell'anno scorso, poi, abbiamo fatto una scoperta importante, pubblicata sulla rivista scientifica *Molecular Therapy*: gli chaperon non solo proteggono l'enzima danneggiato, ma aumentano anche l'efficacia della terapia enzimatica sostitutiva, quindi le due strategie terapeutiche possono essere associate per avere risultati migliori.

Da qualche mese è partita la sperimentazione sui bambini, sponsorizzata da Telethon e coordinata da Generoso Andria, direttore del dipartimento clinico di pediatria all'Università Federico II di Napoli.

Giancarlo.Parenti@ok.rcs.it

SUL SITO DI OK
I CENTRI D'ECCELLENZA ITALIANI
PER LA GLICOGENOSI DI TIPO 2

LI TROVI INSERENDO
NEL «CERCA SALUTE» LE PAROLE
CHIAVE **MALATTIA DI POMPE**

Oggi al cinema con la Gazzetta

Questa sera al Michelangelo per voi il film con Harrison Ford

MODENA. Stasera, alle 20.30, al cinema Michelangelo di via Giardini, anteprima del film "Misure straordinarie", interpretato da Brendan Fraser e Harrison Ford. Grazie alla Genzyme che ha organizzato la serata, i nostri lettori avranno la possibilità di assistere gratis alla proiezione. Se non lo avete ritirato nei giorni scorsi, per assistere al film basterà presentarsi stasera al cinema michelangelo con il tagliando pubblicato qui a fianco e si potrà, fino ad esaurimento dei posti, assistere al film. Il film dà conto dell'esperienza del dolore di una famiglia, dove i più piccoli (Megan e Patrick) sono affetti dalla malattia di Pompe, o glicogenosi di tipo II. Una malattia contro la quale uniscono le forze sia il padre che un ricercatore an-

ticonformista. Una collaborazione fattiva che mette in luce il coraggio di un genitore disposto a fare tutto il possibile per salvare i suoi figli, e l'impegno di uno studioso che vuole affermare le sue teorie in tempi brevi, a dispetto della lentezza del sistema sanitario Usa. Il film, che trae il racconto dal libro "The cure" di Gaeta Anand, vincitore del premio Pulitzer, trattiene tutta l'ansia e la tensione che sostanziano la pena di una famiglia, ma dispiega anche il sentimento della speranza. Una storia che ha determinato uno straordinario interesse nel Nord America. (n.c.)

Si entra gratis
con il tagliando
pubblicato qui a fianco

GAZZETTA DI MODENA e GENZYME

Vi invitano alla proiezione del film

MISURE STRAORDINARIE

Con **HARRISON FORD**
BRENDAN FRASER

LUNEDÌ 19
APRILE

ore 20.30

CINEMA MICHELANGELO
MODENA

Via Giardini, 255

CONSEGNANDO QUESTO TAGLIANDO ALLA CASSA DEL CINEMA RICEVERETE FINO AD ESAURIMENTO SCORTE 1 BIGLIETTO OMAGGIO PER ASSISTERE GRATUITAMENTE ALLA PELLICOLA. **NON SONO VALIDE FOTOCOPIE**





Business e ricerca possono andare a braccetto?

Roberta Villa earned 1 points Ora ha 10572 points.

Inviato da Roberta Villa il 19 aprile, 2010 - 11:37

Enti di Ricerca · Ricerca e sviluppo

Ricerca & sviluppo

Ai di là della toccante vicenda umana, *Extraordinary Measures*, il nuovo film con Harrison Ford in uscita venerdì 23 aprile nelle sale italiane, pone l'accento su una questione cruciale nell'ambito della ricerca biomedica: il vero anello debole della catena è la difficoltà di passare dall'idea geniale di uno scienziato a un prodotto concretamente a disposizione dei malati. Da un lato ci sono le grandi aziende farmaceutiche, che non possono permettersi di investire in una ricerca di base che potrebbe non dare alcun frutto; dall'altro le istituzioni pubbliche e no profit, le università e i centri di ricerca, che non hanno né i fondi né le competenze specifiche necessarie per sviluppare e portare sul mercato un farmaco.

«Ecco perché in Italia si pubblica tanto e si brevetta poco» dice Riccardo Palmisano, amministratore delegato di Genzyme Italia, ramo della multinazionale che, nella vicenda narrata dal film, acquista la piccola azienda biotecnologica fondata da un manager dell'industria farmaceutica, ma soprattutto padre di due bambini con la malattia di Pompe, e da uno scienziato scorbutico interpretato da Harrison Ford. Il primo nella corsa contro il tempo per salvare la vita ai suoi figli, il secondo mosso dall'ambizione di dimostrare il valore della sua ricerca, arrivano a riconoscere di aver bisogno del supporto dell'industria per raggiungere il loro obiettivo. Tanto che alla fine, il primo farmaco a essere immesso sul mercato per la cura della malattia di cui si parla non sarà quello ipotizzato dal protagonista, ma uno proveniente dalla ricerca aziendale, un prodotto forse meno brillante dal punto di vista teorico, ma più facilmente realizzabile e utilizzabile come cura nella pratica clinica.

In occasione di un'anteprima del film riservata alla stampa, lo spunto cinematografico ha offerto quindi l'occasione di parlare non solo di malattie rare, e dell'indispensabile interazione tra famiglie, ricerca e industria, ma anche di proposte concrete per superare il *gap* che separa i laboratori dagli scaffali delle farmacie.

Riccardo Palmisano, medico oltre che manager, ha raccontato a Lascienzainrete la sua iniziativa, che ha appena lanciato, nel corso del 2009, ma che già ha avuto tanto successo da essere copiata dalla consorella giapponese.

L'idea è di centralizzare e decentralizzare insieme, in un processo in cui il ramo nazionale dell'azienda, nello specifico Genzyme Italia, si pone come un ponte tra le realtà di ricerca locali, di cui conosce l'eccellenza, e la casa madre statunitense, una delle cinque principali società di biotecnologie farmaceutiche nel mondo, con 12.000 dipendenti e 4,5 milioni di dollari di fatturato.

Una realtà enorme nata, in una vicenda analoga a quella raccontata dal film, dall'insistenza di una mamma, che pretese venisse sperimentato anche sul suo bambino, affetto da malattia di Gaucher, un prototipo di enzima che i National Institutes of Health stavano provando solo sugli adulti. Fu quella determinazione a dimostrare che la scarsa efficacia che fino ad allora il farmaco aveva dimostrato dipendeva solo dal suo sottodosaggio.

E' evidente come ora che Genzyme è un colosso di queste dimensioni sia più difficile che abbia un contatto diretto con le intuizioni che ricercatori di ottimo livello possono avere in varie parti del mondo. Il vostro ruolo di mediazione servirebbe quindi a finanziare progetti di ricerca in Italia?

Sì, ma non solo. Ai centri con cui abbiamo stipulato un accordo, che lavorano ancora in fase preclinica, solo a ricerche in vitro o su modelli animali, non offriamo solo denaro, che pure è ovviamente importante e non basta mai. Diamo anche la consulenza scientifica di un'azienda leader al mondo nel campo dello studio delle malattie rare, per evitare di ripercorrere strade che si sono già rivelate fallimentari: è dal 1981, infatti, quando è stata

fondata a Cambridge, nel Massachusetts, che la Genzyme si occupa di queste patologie, puntando sulla possibilità, che allora sembrava insensata, di poter trarre profitto anche dai piccolissimi numeri, cioè da molecole, in particolare enzimi carenti in alcune condizioni ereditarie, che avevano un mercato nell'ordine di centinaia quando non decine di pazienti al mondo.

La produzione di questi enzimi non è facile: anche in questo possiamo appoggiare i ricercatori.

Inoltre possiamo fornire loro il supporto legale necessario per brevettare le molecole e attraversare tutte le fasi di autorizzazione richieste dalle agenzie di regolazione. Tanto per avere un'idea dei numeri in gioco, registrare il

nostro ultimo farmaco orfano è costato 600 milioni di dollari. Quale università o istituzione no profit potrebbe permetterselo?

Cosa pensate di ricavarne in cambio?

Nel momento in cui la ricerca preclinica riuscisse ad arrivare al traguardo della «prova di concetto», cioè a dimostrare di avere tutte le carte in regola per poter funzionare, Genzyme Italia offrirebbe per prima alla casa madre statunitense la possibilità di acquistare il pacchetto del lavoro fino ad allora eseguito, perché ne faccia un medicinale da portare sul mercato.

Avendo lavorato fianco a fianco con i ricercatori, noi di Genzyme Italia conosceremo meglio i dettagli del prodotto e saremo più convincenti nel venderlo alla nostra capogruppo; gli scienziati, da parte loro, riceveranno dalla vendita nuovi fondi per finanziare altre ricerche, in una sola *tranche* o sotto forma di *royalties* sulle vendite.

Ci sono già progetti in corso?

Sì, abbiamo già stipulato accordi prima di tutto con Telethon, e in particolare con il Tigem di Napoli, per lo studio di una molecola per la cura della mucopolisaccaridosi di tipo III, anche detta malattia di Sanfilippo. Con il CNR invece stiamo lavorando alla caccia di un possibile approccio terapeutico alla sclerosi laterale amiotrofica. Sosteniamo poi la fondazione Toscana Life Science che, nel Parco scientifico toscano, studia una nefropatia poco conosciuta, ma molto grave, che può portare il paziente all'insufficienza renale precoce. Inoltre collaboriamo con Bint, uno spin-off dell'Università Politecnica Marchigiana che sta seguendo due filoni di ricerca di base su vettori per la terapia genica e cellulare, studi che potrebbero porre le basi per un nuovo approccio alla cura delle patologie genetiche grazie all'uso di nuove tipologie di vettori di DNA. Roberta Villa



Roberta Villa
Medico, giornalista scientifico

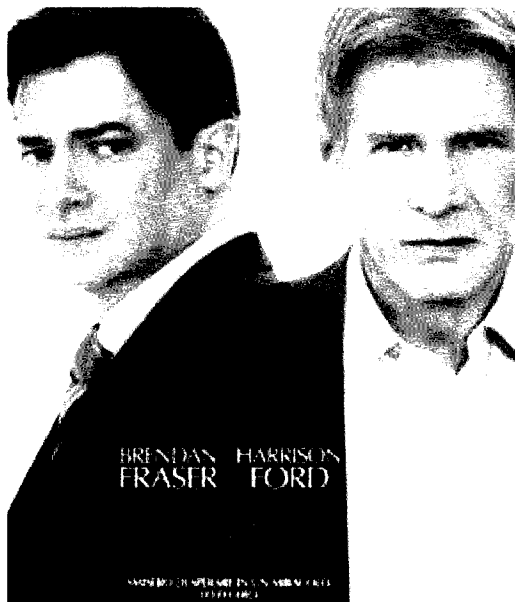
Scegli un punteggio

Nessun voto finora

Vota:

Genzyme porta a Modena l'anteprima del film "Misure straordinarie"

del 19 aprile 2010 @ 11:47 in Cinema, Modena, Salute



Questa sera "Misure straordinarie", il nuovo film con Harrison Ford e Brendan Fraser ispirato alla storia vera di una famiglia colpita dalla rara malattia di Pompe (o glicogenosi di tipo II) arriva in anteprima a Modena con alcuni giorni d'anticipo rispetto all'uscita nelle sale cinematografiche nazionali.

L'evento è possibile grazie a Genzyme: azienda biotecnologica statunitense, da sempre impegnata nello studio e nello sviluppo di farmaci per il trattamento e la cura delle malattie rare, che ha scelto di portare il film nella città che ospita la sua unica sede italiana: Modena appunto.

La pellicola racconta la storia vera di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser), impegnato nello straordinario sforzo per trovare un farmaco in grado di salvare la vita dei suoi due figli più piccoli, affetti dalla malattia di Pompe. Crowley scova un brillante ma sottovalutato ricercatore anticonformista, Robert Stonehill (Harrison Ford) ed insieme lavorano giorno e notte in una drammatica lotta contro il tempo...

"Per più di 10 anni Genzyme ha lavorato allo studio della malattia di Pompe: una grave patologia neuromuscolare rara, cronica e debilitante, spesso mortale che si stima colpisca in Italia circa 200 persone – ha dichiarato Massimo Boriero Presidente di Genzyme in Italia e Senior Vice President International Group – Tale impegno ha portato allo sviluppo del primo e unico trattamento approvato per la cura della malattia: la terapia enzimatica sostitutiva (alglucosidasi alfa,) in grado di ridare a questi malati una vita altrimenti destinata, nella maggior parte dei casi, a finire nel giro di 12/15 mesi a causa di gravi compromissioni a livello cardiaco e muscolare".

"Sebbene non ci sia stato da parte di Genzyme alcun coinvolgimento nella realizzazione del film, – ha aggiunto Riccardo Palmisano Amministratore Delegato e Direttore Generale di Genzyme in Italia – la nostra speranza è che questa storia contribuisca ad aumentare sia la conoscenza delle malattie rare che l'importanza della ricerca sui farmaci orfani a tutti i livelli: dall'opinione pubblica, alla classe medica, alle istituzioni centrali e regionali. In particolare, la storia descritta nel film sottolinea l'importanza della collaborazione tra ricerca accademica e no profit, associazioni dei pazienti ed industria di ricerca: solo attraverso la collaborazione di questi tre attori fondamentali si possono raggiungere risultati di eccellenza come quelli che Genzyme ha portato nel trattamento della Malattia di Pompe".

"Il film bene rappresenta la tragedia delle famiglie colpite da una malattia rara che diventa "malattia della famiglia" – dichiara Fabrizio Seidita, Presidente dell'Associazione Italiana Glicogenosi. – Molto spesso le mamme che devono occuparsi a tempo pieno della gestione

della malattia devono lasciare il lavoro e la famiglia diventa monoreddito, con tutte le difficoltà che ne derivano. Ecco perché ritengo necessario che lo Stato preveda strumenti legislativi che consentano alle famiglie di sopravvivere economicamente ad esempio con ammortizzatori sociali, defiscalizzazioni e agevolazioni per la casa che diventa, nell'esperienza di malattia rara, sia luogo di vita che luogo di cura".

LA MALATTIA DI POMPE. La malattia di Pompe appartiene alla famiglia delle malattie rare da accumulo lisosomiale ed è caratterizzata dal mancato smaltimento del glicogeno, la riserva energetica dei muscoli. A causa del difetto di un enzima, il glicogeno si accumula e danneggia il cuore, i muscoli di gambe e braccia e quelli della respirazione. I bambini colpiti dalla malattia sono caratterizzati principalmente da ipotonia muscolare e ingrossamento del cuore. La morte in genere interviene entro il primo anno di vita per insufficienza cardiaca. I malati che superano i due anni sono invece costretti in carrozzina e, nei casi più gravi, devono usare un supporto meccanico per respirare.

Genzyme porta a Modena l'anteprima del film "Misure straordinarie"



Questa sera "Misure straordinarie", il nuovo film con Harrison Ford e Brendan Fraser ispirato alla storia vera di una famiglia colpita dalla rara malattia di Pompe (o glicogenosi di tipo II) arriva in anteprima a Modena con alcuni giorni d'anticipo rispetto all'uscita nelle sale cinematografiche nazionali.

L'evento è possibile grazie a Genzyme: azienda biotecnologica statunitense, da sempre impegnata nello studio e nello sviluppo di farmaci per il trattamento e la cura delle malattie rare, che ha scelto di portare il film nella città che ospita la sua unica sede italiana: Modena appunto.

La pellicola racconta la storia vera di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser), impegnato nello straordinario sforzo per trovare un farmaco in grado di salvare la vita dei suoi due figli più piccoli, affetti dalla malattia di Pompe. Crowley scova un brillante ma sottovalutato ricercatore anticonformista, Robert Stonehill (Harrison Ford) ed insieme lavorano giorno e notte in una drammatica lotta contro il tempo...

"Per più di 10 anni Genzyme ha lavorato allo studio della malattia di Pompe: una grave patologia neuromuscolare rara, cronica e debilitante, spesso mortale che si stima colpisca in Italia circa 200 persone – ha dichiarato Massimo Boriero Presidente di Genzyme in Italia e Senior Vice President International Group – Tale impegno ha portato allo sviluppo del primo e unico trattamento approvato per la cura della malattia: la terapia enzimatica sostitutiva (alglucosidasi alfa,) in grado di ridare a questi malati una vita altrimenti destinata, nella maggior parte dei casi, a finire nel giro di 12/15 mesi a causa di gravi compromissioni a livello cardiaco e muscolare".

"Sebbene non ci sia stato da parte di Genzyme alcun coinvolgimento nella realizzazione del film, – ha aggiunto Riccardo Palmisano Amministratore Delegato e Direttore Generale di Genzyme in Italia – la nostra speranza è che questa storia contribuisca ad aumentare sia la conoscenza delle malattie rare che l'importanza della ricerca sui farmaci orfani a tutti i livelli: dall'opinione pubblica, alla classe medica, alle istituzioni centrali e regionali. In particolare, la storia descritta nel film sottolinea l'importanza della collaborazione tra ricerca accademica e no profit, associazioni dei pazienti ed industria di ricerca: solo attraverso la collaborazione di questi tre attori fondamentali si possono raggiungere risultati di eccellenza come quelli che Genzyme ha portato nel trattamento della Malattia di Pompe".

"Il film bene rappresenta la tragedia delle famiglie colpite da una malattia rara che diventa "malattia della famiglia" – dichiara Fabrizio Seidita, Presidente dell'Associazione Italiana Glicogenosi. – Molto spesso le mamme che devono occuparsi a tempo pieno della gestione della malattia devono lasciare il lavoro e la famiglia diventa monoreddito, con

tutte le difficoltà che ne derivano. Ecco perché ritengo necessario che lo Stato preveda strumenti legislativi che consentano alle famiglie di sopravvivere economicamente ad esempio con ammortizzatori sociali, defiscalizzazioni e agevolazioni per la casa che diventa, nell'esperienza di malattia rara, sia luogo di vita che luogo di cura".

LA MALATTIA DI POMPE. La malattia di Pompe appartiene alla famiglia delle malattie rare da accumulo lisosomiale ed è caratterizzata dal mancato smaltimento del glicogeno, la riserva energetica dei muscoli. A causa del difetto di un enzima, il glicogeno si accumula e danneggia il cuore, i muscoli di gambe e braccia e quelli della respirazione. I bambini colpiti dalla malattia sono caratterizzati principalmente da ipotonia muscolare e ingrossamento del cuore. La morte in genere interviene entro il primo anno di vita per insufficienza cardiaca. I malati che superano i due anni sono invece costretti in carrozzina e, nei casi più gravi, devono usare un supporto meccanico per respirare.

Lunedì in anteprima al Michelangelo il film "Misure Straordinarie" con Harrison Ford e Brendan Fraser

Al cinema gratis con la Gazzetta

Ingressi omaggio presentando il coupon alla cassa della sala di via Giardini

MODENA. Grande attesa per il film "Misure straordinarie", con Brendan Fraser e Harrison Ford, che la Gazzetta di Modena propone, in anteprima, ai suoi lettori, lunedì alle 20.30, al Cinema Teatro Michelangelo. Un film drammatico che il lettore potrà vedere senza spendere un centesimo, ritagliando il "coupon", qui a fianco, da presentare alla biglietteria del cinema per aver diritto all'ingresso gratuito, fino ad esaurimento posti.

E' la storia ad alta tensione emotiva a determinare l'interesse per il film che vede protagonisti un padre e un medico impegnati a sconfiggere la malattia di Pompe, una malattia rara e debilitante di cui sono affetti due bambini. Una di quelle malattie di fronte alle quali l'uomo è spesso impotente. Si deve ad aziende, come la statunitense Genzyme (a Modena ha l'unica sede italiana che ci consente di vedere questo film), che opera nel campo

delle biotecnologie farmaceutiche, se si sono ottenuti risultati sorprendenti nella cura di patologie progressive: la malattia di Gaucher di tipo 3, la malattia di Niemann Pick, la Distrofia Muscolare di Duchenne, la Sclerosi Multipla, la Sclerosi Laterale Amiotrofica. Malattie che richiedono una straordinaria partecipazione affettiva, come mette in luce il film tratto dal libro "The cure" di Gaeta Anand, e che la giornalista Margherita De Bac nel

volume "Noi, quelli della malattie rare. Storie di vita, d'amore e coraggio", pubblicato nel 2008 da Sperling & Kupfer, (il ricavato del libro sarà devoluto a sostegno della lotta contro queste malattie) configura come commoventi storie di intensa umanità. «La partita non è vinta. In compenso le malattie rare non sono più un tabù. Secondo stime sono 6000, la maggior parte senza cura e incompatibili con una lunga aspettativa di vita», ma la giornalista non si ferma nel dare un aiuto. Il libro è sostenuto da tanta speranza. «La speranza, in queste occasioni, è - nota Raoul Bova nella prefazione - l'unicacosa a cui aggrapparsi. La paura di essere dimenticati diventa un tormento». (m.f.)



Ecco il caso "Misure Straordinarie"

Un film sulla Malattia di Pompe

Può un film cambiare la realtà in meglio? E se quel film è un blockbuster hollywoodiano con protagonista un mostro sacro del cinema come Harrison Ford? Se lo chiede Pamela, studentessa toscana di 24 anni con una malattia dal nome difficile, la Glicogenosi di tipo II o Malattia di Pompe. E insieme a lei tutti i (pochi) malati affetti dalla stessa patologia, che aspettano impazienti l'uscita nelle sale italiane di "Misure Straordinarie", il prossimo 23 aprile.



Hanno una ragione speciale per crederci. La storia raccontata nel film è un po' anche la loro storia. Prendendo le mosse da un articolo apparso sul Wall Street Journal e dal successivo libro "The Cure" della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand, "Misure Straordinarie" racconta la storia vera di John Crowley (interpretato da Brendan Fraser), la cui vita tranquilla cambia drasticamente quando ai suoi due figli più piccoli - Megan e Patrick - viene diagnosticata una malattia incurabile, la Glicogenosi di tipo II. Incapace di arrendersi, Crowley coinvolge il brillante scienziato Robert Stonehill (Harrison Ford) e con lui fonda una compagnia biotecnologica che ha come unico scopo quello di trovare una cura per la malattia.

Il film, uscito nelle sale americane alla fine di gennaio, non ha incassato cifre record al botteghino ma ha ottenuto un risultato indiscutibilmente più importante: far uscire dall'ombra i malati di Glicogenosi, troppo spesso dimenticati da istituzioni e comunità scientifica. Si pensi che, grazie al tam-tam mediatico e alla crescente attenzione di rotocalchi e trasmissioni televisive negli Stati Uniti, "Malattia di Pompe" è stata una delle frasi più cliccate su Internet durante la programmazione del film.

In Italia, almeno fino a oggi, sono in pochi ad aver sentito parlare di questa malattia, un disturbo che colpisce appena una manciata di persone nel nostro Paese - se ne stimano circa 200 - , qualche migliaia in tutto il mondo, e che per questo rientra in quella categoria particolare di mali chiamati "rari". La speranza di

Pamela è che l'uscita della pellicola possa richiamare l'attenzione dell'opinione pubblica sulla sua situazione e su quella degli altri circa 2 milioni di malati rari in Italia. Perché, se per la sua malattia esiste una terapia, c'è ancora molto da fare, in termini di ricerca e di legislazione. Insomma, come suggerisce il titolo del film, servono misure straordinarie per dare un lieto fine alla sua storia vera.

Camilla Mastellari

MALATTIE RARE: UNA STORIA VERA DIVENTA FILM


La famiglia Crowley al completo: da sinistra, John, 43 anni, il figlio John Jr., 15, la moglie Aileen, e i due bimbi affetti dalla malattia di Pompe: Megan (a sinistra), 13, e Patrick, 12.


DALLA VITA AL CINEMA

Sopra, Brendan Fraser, 41 (nel cerchio rosso, con il «dottor» Harrison Ford, 67), interpreta John Crowley (a sinistra, indicato dal tondo). È una scena del film *Misure straordinarie*, tratto da *The Cure* della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand. Verrà proiettato in anteprima il 13 aprile a Milano (Anteo Spazio Cinema) e il 14 a Roma (Embassy): la prenotazione è obbligatoria on line (dal 6 aprile) su www.misurestraordinarie.it.

Noi, la Famiglia Coraggio

Due figli con una patologia genetica. La lotta del papà (interpretato da Brendan Fraser) premiata con la scoperta della cura. Che tocca da vicino una bimba italiana

di Daniela Cipolloni

Milano, aprile

Scoprire che tuo figlio è venuto al mondo con una malattia genetica rara. Così rara che non ha una cura, perché troppo poche sono le persone che ne soffrono. Così grave che è impossibile arrestarne la corsa, tragica... Alla piccola Rossella di Napoli i medici hanno diagnosticato questo male semiconosciuto, chiamato malattia di Pompe (o glicogenosi di tipo II), a soli 9 mesi. Sembrava che per lei non ci fosse speranza di superare l'anno di vita.

Nel frattempo, però, negli Stati Uniti due genitori, John e Aileen Crowley, lottavano come leoni per sfidare la stessa, infausta

sorte, toccata a 2 dei loro 3 figli: Megan in fasce e Patrick di 15 mesi. Entrambi come Rossella nati con un difetto ereditario che provoca la «corrosione» dei muscoli del corpo, indebolendoli sino alla paralisi

e alla letale insufficienza cardiorespiratoria.

Quando all'età di 2 anni Rossella è stata ricoverata all'ospedale Monaldi di Napoli, in condizioni disperate, non poteva sapere che a migliaia di

Colpa di una proteina che non c'è

• La **malattia di Pompe** appartiene a un gruppo di patologie ereditarie del metabolismo (glicogenosi). Esistono diverse forme, tutte caratterizzate dalla mancanza di una proteina «spazzina», che pulisce le cellule. Se l'enzima manca, il glicogeno (la molecola che funge da riserva d'energia per i muscoli) s'accumula. Da qui il deterioramento muscolare, che compromette anche respirazione e lavoro del cuore. Se entrambi i genitori sono portatori sani di questo errore nel Dna (spesso senza saperlo), ogni figlio della coppia ha il 25 per cento di probabilità di nascere malato. La malattia di Pompe colpisce in Italia un bimbo ogni 100 mila. E proprio su questa patologia il Tigem, l'Istituto Telethon di genetica e medicina di Napoli, lavora per rendere ancora più efficaci le cure disponibili.



chilometri di distanza questa famiglia statunitense avrebbe cambiato il corso della sua esistenza e quella di decine di altri bambini, come lei condannati a una fine prematura.

Ebbene, lo scorso 26 dicembre Rossella ha compiuto 10 anni. È su una sedia a rotelle, attaccata 24 ore su 24 a un ventilatore che la aiuta a respirare. Ma è viva («Sulla sua carrozzina, va che sembra Schumacher», sorride il padre, Biagio Passero). In questi giorni, poi, si sente quasi una star. Non vede l'ora di portare al cinema le amiche a vedere *Misure straordinarie*, con Brendan Fraser e Harrison Ford, nelle sale dal 23 aprile. Il film indirettamente parla un →



Rossella, Biagio e Tilde sono i "Crowley" italiani

● **Rossella Passero** ha compiuto 10 anni. A soli 9 mesi, però, pareva che per lei non ci fosse speranza alcuna di varcare l'anno di vita. Ma la fibra è forte. I suoi genitori, Biagio e Tilde, sono persone tenaci. Hanno superato assieme i lunghi ricoveri, e persino uno sciopero della fame e della sete (foto sopra), quando l'unico farmaco che avrebbe potuto salvare la figlia (l'enzima mancante prodotto artificialmente) non veniva distribuito in Italia, perché ancora in fase sperimentale. Oggi, ogni 15 giorni la bimba si reca in ospedale, dove riceve 22 flebo di *Myozyme*, il medicinale salva-vita; la terapia è assai costosa, circa 800 euro a fiala, ed è riservata a un centinaio di pazienti in Italia (a carico del Sistema sanitario).

► po' anche di lei, di Rossella, e di come si è salvata. La pellicola diretta da Tom Vaughan racconta la storia vera dei Crowley, marito e moglie che da un giorno all'altro si sentono crollare il mondo addosso e decidono di risollevarlo. Convincono un ricercatore dell'università dell'Oklahoma a sviluppare il primo farmaco contro la malattia di Pompe per salvare la vita ai due figli che ne sono affetti.

UN'AVVINCENTE ODISSEA

Investono tutti i loro risparmi per fondare una piccola compagnia farmaceutica (in seguito acquisita dalla casa Genzyme) e alla fine scovano la cura. La prima cura contro questa malattia genetica rarissima. Il medicinale per la glicogenosi di tipo II è pronto nel 2002: si chiama *Myozyme* (alfa-glucosidasi). Non è ancora in commercio, nessuno sa veramente se funzioni. Quando in Italia approda la notizia che in America lo stanno sperimentando, i ge-

nitore di Rossella s'aggrappano con le mani e coi denti a quel barlume di speranza.

«La piccola stava morendo, non potevamo aspettare. Ci siamo incatenati davanti ai cancelli dell'ospedale e abbiamo iniziato tre giorni di sciopero della fame e della sete, supplicando l'allora ministro della Salute, Girolamo Sirchia, di aiutare Rossella a ottenere il farmaco», racconta mamma Tilde.

La protesta finisce su tv e giornali, fa scalpore. Commuove il ministro che, assieme al pediatra di Rossella, il professor Generoso Andria dell'Università Federico II di Napoli, intercede con l'azienda americana. Rossella viene ammessa, unica «cavia» italiana, nel blindatissimo studio clinico statunitense. «Purtroppo, altri bimbi non hanno avuto la stessa fortuna e per loro il tempo è scaduto prima che il farmaco dimostrasse di essere effettivamente efficace», si rammarica Fabrizio Seidita, presidente dell'Associazione italiana gli-

cogenosi (Aig) e padre di Nicolò, affetto dalla malattia.

Finalmente nel 2006 il *Myozyme* viene approvato ufficialmente. «Una svolta storica per la malattia di Pompe», spiega Giancarlo Parenti, ricercatore dell'Istituto Telethon di Napoli e professore associato di Pediatria all'ateneo Federico II. «Si tratta di una terapia enzimatica sostitutiva: viene somministrato l'enzima di cui i pazienti sono privi. È l'assenza di tale proteina a provocare i danni irreparabili ai muscoli».

COCKTAIL DI FARMACI

Per una... «straordinaria» coincidenza, proprio mentre sui grandi schermi sbarca *Misure straordinarie*, Parenti sta per avviare in team con Andria e il supporto di Telethon un nuovo trattamento, da abbinare al *Myozyme*, per contrastare ancor più efficacemente la malattia. «La terapia enzimatica sostitutiva migliora drasticamente il decorso della malattia. Tuttavia, dopo i primi entusiasmi, si

è scoperto che non tutti i pazienti beneficiano allo stesso modo della cura», prosegue Parenti. La strada della ricerca, insomma, non è finita. Il gruppo di Napoli, in collaborazione con le università di Firenze, Pavia e Milano, punta su una nuova classe di farmaci chiamati *chaperones*, che sembrano agire come «aiutanti» della terapia standard. «Rafforzano l'azione del *Myozyme* e stimolano l'eventuale attività residua dell'enzima, mantenendolo più tempo possibile nelle cellule», spiega Parenti.

«La speranza è riuscire a prevenire il danno muscolare». Ovviamente, Rossella è in pole position anche in questa nuova sperimentazione.

E si punta al futuro. «Abbiamo grandemente migliorato la comprensione dei meccanismi che generano l'atrofia muscolare», dice Parenti. «E un domani, forse, potremo ripopolare i muscoli "perforati" dalla malattia con le cellule staminali».

Daniela Cipolloni

LE ANTEPRIME DELLA GAZZETTA

Debutta lunedì al Michelangelo "Misure Straordinarie"

Protagonista Harrison Ford: visione gratuita per i lettori, da domani il coupon

Il film tratto dal libro "The cure" della Anand sulle malattie rare

MODENA. Alla Gazzetta di Modena il privilegio, offerto da "Genzyme", azienda di biotecnologie farmaceutiche statunitense con unica sede italiana a Modena, di invitare i propri lettori all'anteprima del film drammatico "Misure straordinarie"

(Extraordinary Measures, con Harrison Ford), lunedì, alle 20.30, al Cinema Teatro Michelangelo. Basterà presentare alla biglietteria del cinema il "coupon" che verrà pubblicato da domani sulla Gazzetta per ritirare un biglietto omaggio (naturalmente fino ad esaurimento dei circa 300 posti disponibili).

Il film dà conto dell'esperienza del dolore di una fami-

glia, dove i più piccoli, Megan e Patrick, sono affetti dalla malattia di Pompe, o glicogenosi di tipo II. Una terribile malattia contro la quale uniscono le forze sia il padre dei bambini John Crowley (sostenuto dalla moglie Aileen), interpretato da Brendan Fraser, e il ricercatore anticonformista Robert Stonehill, interpretato da Harrison Ford. Una collaborazione fattiva che mette in luce il coraggio di un genitore, disposto a fare tutto il possibile per salvare i suoi figli, e l'impegno di uno studioso che vuole affermare le sue teorie in tempi brevi, a dispetto della lentezza del sistema sanitario statunitense. Il film, che trae il racconto dal libro "The cure" di Gaeta Anand, vincitrice del Premio Pulitzer, trattiene tutta l'ansia e la tensione che sostanziano la pena di una famiglia, ma dispiega anche il sentimento della speranza.

Una storia che ha determinato uno straordinario interesse nel Nord America, ancor prima dell'uscita del

film, il 22 gennaio scorso.

L'attenzione non dovrebbe essere minore in Italia, dove il film sarà nelle sale dal 23 aprile. Ma i lettori della Gazzetta avranno l'opportunità di vedere il film quattro giorni prima.

La pellicola di 105 minuti consente di farsi partecipe dell'angoscia che reca la malattia di Pompe, una patologia neuromuscolare rara, cronica e debilitante, spesso mortale, che oggi può essere curata, grazie a Genzyme che dal 2000 ha reso disponibile una terapia enzimatica sostitutiva con Myozyme. E' la prima e unica cura attualmente approvata. La Genzyme, impegnata in attività di ricerca di frontiera, come indicano i risultati ottenuti per altre malattie rare, ha messo a disposizione le proprie competenze per il libro "Noi, quelle della malattie rare. Storie di vita, amore e coraggio", di Margherita De Bac, giornalista del Corriere della Sera. La prefazione è di Raoul Bova.

Michele Fuoco





Recensioni sul Cinema Estero

Le Recensioni sui film americani, inglesi, francesi e chi più ne ha, più ne metta!

MISURE STRAORDINARIE



Misure straordinarie, un film di Tom Vaughan, interpretato da Harrison Ford e Brendan Fraser, è ispirato alla storia vera di una famiglia colpita da una gravissima patologia rara. Basato sul libro *The Cure* della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand, il film racconta di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser), impegnato nello straordinario sforzo di sviluppare un farmaco per salvare Megan e Patrick, i due figli più piccoli, ai quali viene diagnosticata la sindrome di Pompe (o glicogenosi di tipo II). Insieme alla moglie Aileen (Keri Russell) e con grande determinazione, Crowley scova un brillante ma sottovalutato ricercatore anticonformista, Robert Stonehill (Harrison Ford). Insieme fondano un'azienda biotecnologica per mettere in pratica e perfezionare una terapia salvavita: il primo spinto dal desiderio di salvare i figli, l'altro dal bisogno di mettere alla prova se stesso e le proprie teorie, i due uomini lottano contro il tempo e contro il sistema sanitario statunitense, con l'obiettivo di mettere a punto un farmaco in grado di salvare la vita a coloro che sono colpiti da questa malattia.

Un compito non facile quello di confrontarsi con la malattia, per i protagonisti, Harrison Ford e Brendan Fraser, abituati a districarsi, tra arche, teschi, tombe, maledizioni e mummie: un'altra ardua impresa tenacemente condotta a termine. Viene naturale porsi delle domande di fronte alla drammaticità di vite come quella della famiglia del protagonista, tuttavia un film non può mai contenere completamente la realtà di concetti come malattia, dolore e perdita. La determinazione dei protagonisti (adulti e bambini) conduce la vicenda a un finale che porta un messaggio di speranza, anche se le difficoltà restano e

tutto non può essere spiegato in poco più di cento minuti di pellicola.

In collaborazione con la casa di produzione Sony Pictures, la Fondazione Telethon e l'Associazione Italiana Glicogenosi (AIG) hanno promosso la programmazione in anteprima del film a Milano, Torino e Roma dal 12 al 14 aprile, per sensibilizzare il pubblico sull'importanza della ricerca scientifica sulla malattie rare, come la sindrome di Pompe. Il film esce nelle sale italiane il 23 aprile.

Inserita il 14 - 04 - 10

Fonte: Roberto Mazzone

Commenti 0

Ricerca: Harrison Ford 'scienziato' per Telethon contro malattie rare

Mar 13 Apr - 18.48



Milano, 13 apr. (Adnkronos Salute) - La battaglia contro le malattie rare arriva sul grande schermo con il volto di Harrison Ford, protagonista del film 'Misure straordinarie' (titolo originale 'Extraordinary Measures') in cui l'attore americano interpreta il ruolo di uno scienziato in lotta contro la glicogenosi di tipo II o malattia di Pompe. Una patologia ai tempi della storia completamente orfana di cure, che nel nostro Paese conta circa 1.000-1.500 pazienti.

In collaborazione con Sony Pictures Releasing Italia, che distribuisce il film nella Penisola, la Fondazione Telethon e l'Associazione italiana glicogenosi (Aig) promuovono una programmazione in anteprima a Torino, Milano e Roma, per sensibilizzare il grande pubblico sull'importanza della ricerca scientifica sulle malattie rare. Contro le patologie da accumulo lisosomiale, di cui la Pompe fa parte, Telethon ha infatti finanziato a oggi 45 progetti, per un totale di circa 10 milioni di euro. Dopo la prima proiezione italiana, ieri a Torino, l'appuntamento meneghino è per questa sera (Cinema Anteo ore 20.45), mentre domani il film si presenterà alla Capitale.

'Misure straordinarie' è ispirato a una storia vera raccontata nel libro 'The Cure', firmato della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand. Il film parla di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser sullo schermo), determinato a trovare un farmaco per salvare i due figli più piccoli Megan e Patrick, colpiti dalla malattia Pompe. Con la moglie Aileen, Crowley scova un brillante, ma sottovalutato ricercatore anticonformista, Robert Stonehill (Harrison Ford). Insieme fondano un'azienda biotecnologica per sviluppare una terapia salvavita, in una drammatica guerra contro il tempo e contro il sistema sanitario statunitense.

Poca conoscenza, poca ricerca e numeri troppo piccoli per 'calamitare' in modo sistematico gli interessi commerciali di Big Pharma. Anche contro queste difficoltà, oltre che contro la sofferenza di patologie ancora orfane di una cura risolutiva, devono combattere ogni giorno i pazienti con malattie rare e gli scienziati impegnati al loro fianco, spiega all'ADNKRONOS SALUTE Giancarlo Parenti, fra i ricercatori dell'Istituto Telethon di genetica e medicina (Tigem) di Napoli e professore associato presso il Dipartimento di pediatria dell'università Federico II del capoluogo campano.

La malattia di Pompe, ricorda Parenti, "colpisce una persona su 40 mila (quindi un migliaio, 1.500 italiani, contando una popolazione complessiva di circa 60 milioni di abitanti) e può comparire sia nei bambini, in forme molto gravi e invalidanti, sia in età adulta. Dipende dalla mancanza di un enzima (l'alfa-glucosidasi acida) che ha il compito di degradare il glicogeno, la riserva energetica dell'organismo, particolarmente importante per il corretto funzionamento di cuore, fegato, sistema respiratorio e muscoli scheletrici. I sintomi della patologia sono dunque paragonabili a quelli di una

distrofia muscolare". I pazienti finiscono spesso sulla sedia a rotelle, alcuni non riescono più a respirare in autonomia.

"Oggi - continua il ricercatore - per questi malati esiste già una terapia enzimatica sostitutiva", sviluppata dall'azienda biotecnologica americana Genzyme e "somministrata attraverso infusioni ogni due settimane". Un trattamento che ha cambiato in positivo la vita di molti pazienti, ma non di tutti. Da qui l'impegno di Telethon "per trovare nuove strategie di trattamento, alternative o complementari".

In particolare, evidenzia Parenti, Telethon sta lavorando su speciali "molecole 'chaperon' che aiutano ad aumentare l'attività residua dell'enzima mancante nei pazienti con malattia di Pompe. Nei malati questa attività è vicina allo zero, mentre con questi farmaci in pazienti con particolari mutazioni responsive può arrivare a 5-10".

Non solo. "Abbiamo poi osservato che, se queste molecole chaperon vengono somministrate insieme alla terapia enzimatica sostitutiva - prosegue il ricercatore - si ottiene un effetto sinergico superiore a quello calcolabile sommando l'azione dei due trattamenti". Una strada promettente: "In laboratorio funziona benissimo - assicura lo scienziato - e se funzionasse anche in clinica, potrebbero beneficiarne tutti i pazienti e non soltanto quelli portatori di mutazioni responsive". Per verificarlo "Telethon ha già approvato uno studio multicentrico su scala nazionale". Sarà coordinato da Generoso Andria dell'università Federico II di Napoli e "coinvolgerà 10-15 bambini. Stiamo aspettando i fondi dedicati, ma intanto è già partita la somministrazione su un paio di piccoli pazienti".

Infine, anche contro la malattia di Pompe si spera di riuscire a percorrere il filone della terapia genica, cioè la sostituzione del difetto genetico all'origine della sindrome. "Ci sono alcuni problemi da risolvere - osserva Parenti - ma gli studi sono in corso". Intanto, conclude, "confidiamo che anche grazie al film con Harrison Ford si possa promuovere la conoscenza di queste patologie", per avvicinare la società al mondo delle malattie rare e far sentire i pazienti sempre meno 'orfani'. I segnali dagli Usa sono confortanti: con l'uscita del film nelle sale nordamericane, il 22 gennaio scorso, 'malattia di Pompe' è stata una delle voci più cliccate su Internet e il sito www.pompe.com ha registrato 20 mila accessi in appena due giorni.

di Carmen Morrone

CINEMA. Harrison Ford lotta contro le malattie rare

13 aprile 2010

Esce "Misure straordinarie" il film che racconta la storia di una famiglia che finanzia la ricerca per la cura della malattia di Pompe

In uscita il 23 aprile prossimo nelle sale cinematografiche italiane, "Misure straordinarie" (anteprime stasera a Milano, domani a Roma promosse dall'**associazione italiana glicogenosi**- <http://www.aig-aig.it/>), interpretato da Harrison Ford, racconta la storia di una famiglia colpita dalla malattia di Pompe, una gravissima patologia rara che oggi può essere curata. Basato sul libro The Cure della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand, il film è ispirato alla storia vera di un padre di famiglia, John Crowley (interpretato da Brendan Fraser), impegnato nello straordinario sforzo per trovare e sviluppare una cura per i suoi figli, affetti dalla malattia di Pompe (o glicogenosi di tipo II).

Uscito nelle sale nordamericane lo scorso 22 gennaio, il film ha suscitato un'ondata di interesse per la malattia di Pompe e per lo straordinario lavoro, durato più di 10 anni, che i ricercatori hanno portato avanti per sviluppare la terapia enzimatica sostitutiva, l'unica approvata in grado di cambiare il destino dei pazienti affetti da questa devastante patologia.

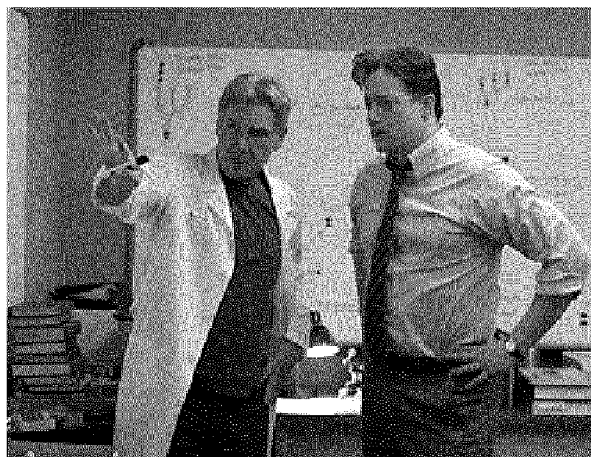
Anche in Italia un fronte della ricerca grazie al sostegno che Telethon dà dal 2005 al Tigem, istituto Telethon di Napoli in cui operano i ricercatori Generoso Andria e Giancarlo Parenti. **Sulle pagine del settimanale Vita in edicola da sabato 17 aprile** Generoso Andria racconta l'esperienza italiana e la storia di Rossella Passero, 10 anni, nel 2002 prima paziente italiana trattata con il farmaco prodotto dall'azienda avviata dalla famiglia Crowley.

www.telethon.it

Ricerca: Harrison Ford 'scienziato' per Telethon contro malattie rare

Milano, 13 apr. (Adnkronos Salute) – La battaglia contro le malattie rare arriva sul grande schermo con il volto di Harrison Ford, protagonista del film 'Misure straordinarie' (titolo originale 'Extraordinary Measures') in cui l'attore americano interpreta il ruolo di uno scienziato in lotta contro la glicogenosi di tipo II o malattia di Pompe. Una patologia ai tempi della storia completamente orfana di cure, che nel nostro Paese conta circa 1.000-1.500 pazienti. In collaborazione con Sony Pictures Releasing Italia, che distribuisce il film nella Penisola, la Fondazione Telethon e l'Associazione italiana glicogenosi (Aig) promuovono una programmazione in anteprima a Torino, Milano e Roma, per sensibilizzare il grande pubblico sull'importanza della ricerca scientifica sulle malattie rare. Contro le patologie da accumulo lisosomiale, di cui la Pompe fa parte, Telethon ha infatti finanziato a oggi 45 progetti, per un totale di circa 10 milioni di euro. Dopo la prima proiezione italiana, ieri a Torino, l'appuntamento meneghino è per questa sera (Cinema Anteo ore 20.45), mentre domani il film si presenterà alla Capitale. 'Misure straordinarie' è ispirato a una storia vera raccontata nel libro 'The Cure', firmato dalla scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand. Il film parla di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser sullo schermo), determinato a trovare un farmaco per salvare i due figli più piccoli Megan e Patrick, colpiti dalla malattia di Pompe. Con la moglie Aileen, Crowley scova un brillante, ma sottovalutato ricercatore anticongomista, Robert Stonehill (Harrison Ford). Insieme fondano un'azienda biotecnologica per sviluppare una terapia salvavita, in una drammatica guerra contro il tempo e contro il sistema sanitario statunitense. Poca conoscenza, poca ricerca e numeri troppo piccoli per 'calamitare' in modo sistematico gli interessi commerciali di Big Pharma. Anche contro queste difficoltà, oltre che contro la sofferenza di patologie ancora orfane di una cura risolutiva, devono combattere ogni giorno i pazienti con malattie rare e gli scienziati impegnati al loro fianco, spiega all'ADNKRONOS SALUTE Giancarlo Parenti, fra i ricercatori dell'Istituto Telethon di genetica e medicina (Tigem) di Napoli e professore associato presso il Dipartimento di pediatria dell'università Federico II del capoluogo campano. La malattia di Pompe, ricorda Parenti, "colpisce una persona su 40 mila (quindi un migliaio, 1.500 italiani, contando una popolazione complessiva di circa 60 milioni di abitanti) e può comparire sia nei bambini, in forme molto gravi e invalidanti, sia in età adulta. Dipende dalla mancanza di un enzima (l'alfa-glucosidasi acida) che ha il compito di degradare il glicogeno, la riserva energetica dell'organismo, particolarmente importante per il corretto funzionamento di cuore, fegato, sistema respiratorio e muscoli scheletrici. I sintomi della patologia sono dunque paragonabili a quelli di una distrofia muscolare". I pazienti finiscono spesso sulla sedia a rotelle, alcuni non riescono più a respirare in autonomia. "Oggi – continua il ricercatore – per questi malati esiste già una terapia enzimatica sostitutiva", sviluppata dall'azienda biotecnologica americana Genzyme e "sommministrata attraverso infusioni ogni due settimane". Un trattamento che ha cambiato in positivo la vita di molti pazienti, ma non di tutti. Da qui l'impegno di Telethon "per trovare nuove strategie di trattamento, alternative o complementari". In particolare, evidenzia Parenti, Telethon sta lavorando su speciali "molecole 'chaperon' che aiutano ad aumentare l'attività residua dell'enzima mancante nei pazienti con malattia di Pompe. Nei malati questa attività è vicina allo zero, mentre con questi farmaci in pazienti con particolari mutazioni responsive può arrivare a 5-10". Non solo. "Abbiamo poi osservato che, se queste molecole chaperon vengono somministrate insieme alla terapia enzimatica sostitutiva – prosegue il ricercatore – si ottiene un effetto sinergico superiore a quello calcolabile sommando l'azione dei due trattamenti". Una strada promettente: "In laboratorio funziona benissimo – assicura lo scienziato – e se funzionasse anche in clinica, potrebbero beneficiarne tutti i pazienti e non soltanto quelli portatori di mutazioni responsive". Per verificarlo "Telethon ha già approvato uno studio multicentrico su scala nazionale". Saranno coordinato da Generoso Andria dell'università Federico II di Napoli e "coinvolgeranno 10-15 bambini. Stiamo aspettando i fondi dedicati, ma intanto è già partita la somministrazione su un paio di piccoli pazienti". Infine, anche contro la malattia di Pompe si spera di riuscire a percorrere il filone della terapia genica, cioè la sostituzione del difetto genetico all'origine della sindrome. "Ci sono alcuni problemi da risolvere – osserva Parenti – ma gli studi sono in corso". Intanto, conclude, "confidiamo che anche grazie al film con Harrison Ford si possa promuovere la conoscenza di queste patologie", per avvicinare la società al mondo delle malattie rare e far sentire i pazienti sempre meno 'orfani'. I segnali dagli Usa sono confortanti: con l'uscita del film nelle sale nordamericane, il 22 gennaio scorso, 'malattia di Pompe' è stata una delle voci più cliccate su Internet e il sito www.pompe.com ha registrato 20 mila accessi in appena due giorni. (13-APR-10, 18:34)

A Torino "Misure straordinarie" in anteprima nazionale



Il film che parla di malattie rare vede come protagonisti Harrison Ford e Brendan Fraser

Si terrà a Torino l'anteprima nazionale di *Misure straordinarie*, film ispirato a una storia vera e basato sul libro *The Cure* della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand.

La pellicola, diretta da Tom Vaughan, racconta l'eccezionale impresa di un padre, John Crowley (Brendan Fraser), impegnato a trovare e sviluppare un farmaco per salvare i suoi due figli più piccoli, ai quali viene diagnosticata la malattia di Pompe (o glicogenosi di tipo II): ad aiutarlo a compiere il miracolo, sarà Robert Stonehill (Harrison Ford), un brillante, ma sottovalutato, ricercatore anticonformista. Insieme fondano un'azienda biotecnologica con l'obiettivo di sviluppare una terapia salvavita. Il primo spinto dalla possibilità di salvare i figli, l'altro dal desiderio di mettere alla prova sé stesso e le proprie teorie, i due uomini sviluppano un rispetto reciproco nella lotta contro il tempo ma anche contro il sistema sanitario statunitense.

Uscito nelle sale nordamericane lo scorso 22 gennaio, il film ha suscitato un'ondata di interesse per la malattia di Pompe e per lo straordinario lavoro, durato più di 10 anni, che i ricercatori hanno portato avanti per sviluppare la terapia enzimatica sostitutiva, l'unica approvata in grado di cambiare il destino dei pazienti affetti da questa devastante patologia. Altre anteprime del film saranno organizzate dalla Fondazione Telethon e dall'Associazione Italiana Glicogenosi a Milano (il 13 aprile) e a Roma (il 14 aprile).

Info: Ideal Cityplex, ore 20.45. Ingresso gratuito, prenotazioni aperte da martedì 6 aprile sul sito www.misurestraordinarie.it

Arriva 'misure straordinarie' l'anteprima del film a Milano

Un film, Misure straordinarie, con Harrison Ford e Brendan Fraser protagonisti che interpretano la storia vera di un padre di famiglia che tenta di tutto per trovare e sviluppare una cura per i figli affetti da una malattia rara come quella di Pompe (o Glicogenosi di tipo II), un tempo incurabile.

La pellicola, distribuita da Sony Pictures, arriverà sul grande schermo a fine aprile in Italia, e la Fondazione Telethon insieme all'Associazione Italiana Glicogenosi (Aig) organizzano un'anteprima a Torino (il 12 aprile), **Milano (il 13 aprile)** per sensibilizzare il pubblico italiano sull'importanza della ricerca scientifica sulle **malattie rare, patologie trascurate dalla**

ricerca pubblica e privata.

Le proiezioni a Milano e Torino sono a ingresso gratuito dietro prenotazione effettuabile sul sito www.misurestraordinarie.it, a partire da martedì 6 aprile. In occasione della serata sarà possibile fare una donazione a Telethon, che ha dato un importante contributo alla ricerca sulle malattie da accumulo lisosomiale, di cui anche la glicogenosi di tipo II fa parte. Ad oggi l'organizzazione presieduta da Luca Cordero di Montezemolo ha finanziato 45 progetti di ricerca, per un totale di circa 10 milioni di euro.

Sarà presente alle proiezioni il presidente dell'associazione italiana Glicogenosi, Fabrizio Seidita. Per quanto riguarda la malattia di Pompe, il gruppo dell'Istituto Telethon di Napoli guidato da Giancarlo Parenti ha dimostrato in laboratorio che affiancando la terapia enzimatica sostitutiva, con dei farmaci si può potenziarne ulteriormente l'efficacia. Alla luce di questi risultati ha preso il via una sperimentazione sull'uomo coordinata dall'Università Federico II di Napoli.



Misure straordinarie

SALUTE

Ricerca: Harrison Ford 'scienziato' per Telethon contro malattie rare

Milano, 13 apr. (Adnkronos Salute) - La battaglia contro le malattie rare arriva sul grande schermo con il volto di Harrison Ford, protagonista del film 'Misure straordinarie' (titolo originale 'Extraordinary Measures') in cui l'attore americano interpreta il ruolo di uno scienziato in lotta contro la glicogenosi di tipo II o malattia di Pompe. Una patologia ai tempi della storia completamente orfana di cure, che nel nostro Paese conta circa 1.000-1.500 pazienti. In collaborazione con Sony Pictures Releasing Italia, che distribuisce il film nella Penisola, la Fondazione Telethon e l'Associazione italiana glicogenosi (Aig) promuovono una programmazione in anteprima a Torino, Milano e Roma, per sensibilizzare il grande pubblico sull'importanza della ricerca scientifica sulle malattie rare. Contro le patologie da accumulo lisosomiale, di cui la Pompe fa parte, Telethon ha infatti finanziato a oggi 45 progetti, per un totale di circa 10 milioni di euro. Dopo la prima proiezione italiana, ieri a Torino, l'appuntamento meneghino è per questa sera (Cinema Anteo ore 20.45), mentre domani il film si presenterà alla Capitale. 'Misure straordinarie' è ispirato a una storia vera raccontata nel libro 'The Cure', firmato della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand. Il film parla di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser sullo schermo), determinato a trovare un farmaco per salvare i due figli più piccoli Megan e Patrick, colpiti dalla malattia Pompe. Con la moglie Aileen, Crowley scova un brillante, ma sottovalutato ricercatore anticonformista, Robert Stonehill (Harrison Ford). Insieme fondano un'azienda biotecnologica per sviluppare una terapia salvavita, in una drammatica guerra contro il tempo e contro il sistema sanitario statunitense. Poca conoscenza, poca ricerca e numeri troppo piccoli per 'calamitare' in modo sistematico gli interessi commerciali di Big Pharma. Anche contro queste difficoltà, oltre che contro la sofferenza di patologie ancora orfane di una cura risolutiva, devono combattere ogni giorno i pazienti con malattie rare e gli scienziati impegnati al loro fianco, spiega all'ADNKRONOS SALUTE Giancarlo Parenti, fra i ricercatori dell'Istituto Telethon di genetica e medicina (Tigem) di Napoli e professore associato presso il Dipartimento di pediatria dell'università Federico II del capoluogo campano. La malattia di Pompe, ricorda Parenti, "colpisce una persona su 40 mila (quindi un migliaio, 1.500 italiani, contando una popolazione complessiva di circa 60 milioni di abitanti) e può comparire sia nei bambini, in forme molto gravi e invalidanti, sia in età adulta. Dipende dalla mancanza di un enzima (l'alfa-glucosidasi acida) che ha il compito di degradare il glicogeno, la riserva energetica dell'organismo, particolarmente importante per il corretto funzionamento di cuore, fegato, sistema respiratorio e muscoli scheletrici. I sintomi della patologia sono dunque paragonabili a quelli di una distrofia muscolare". I pazienti finiscono spesso sulla sedia a rotelle, alcuni non riescono più a respirare in autonomia. "Oggi - continua il ricercatore - per questi malati esiste già una terapia enzimatica sostitutiva", sviluppata dall'azienda biotecnologica americana Genzyme e "somministrata attraverso infusioni ogni due settimane". Un trattamento che ha cambiato in positivo la vita di molti pazienti, ma non di tutti. Da qui l'impegno di Telethon "per trovare nuove strategie di trattamento, alternative o complementari". In particolare, evidenzia Parenti, Telethon sta lavorando su speciali "molecole 'chaperon' che aiutano ad aumentare l'attività residua dell'enzima mancante nei pazienti con malattia di Pompe. Nei malati questa attività è vicina allo zero, mentre con questi farmaci in pazienti con particolari mutazioni responsive può arrivare a 5-10". Non solo. "Abbiamo poi osservato che, se queste molecole chaperon vengono somministrate insieme alla terapia enzimatica sostitutiva - prosegue il ricercatore - si ottiene un effetto sinergico superiore a quello calcolabile sommando l'azione dei due trattamenti". Una strada promettente: "In laboratorio funziona benissimo - assicura lo scienziato - e se funzionasse

anche in clinica, potrebbero beneficiarne tutti i pazienti e non soltanto quelli portatori di mutazioni responsive". Per verificarlo "Telethon ha già approvato uno studio multicentrico su scala nazionale". Sarà coordinato da Generoso Andria dell'università Federico II di Napoli e "coinvolgerà 10-15 bambini. Stiamo aspettando i fondi dedicati, ma intanto è già partita la somministrazione su un paio di piccoli pazienti". Infine, anche contro la malattia di Pompe si spera di riuscire a percorrere il filone della terapia genica, cioè la sostituzione del difetto genetico all'origine della sindrome. "Ci sono alcuni problemi da risolvere - osserva Parenti - ma gli studi sono in corso". Intanto, conclude, "confidiamo che anche grazie al film con Harrison Ford si possa promuovere la conoscenza di queste patologie", per avvicinare la società al mondo delle malattie rare e far sentire i pazienti sempre meno 'orfani'. I segnali dagli Usa sono confortanti: con l'uscita del film nelle sale nordamericane, il 22 gennaio scorso, 'malattia di Pompe' è stata una delle voci più cliccate su Internet e il sito www.pompe.com ha registrato 20 mila accessi in appena due giorni.

Ricerca: Harrison Ford 'scienziato' per Telethon contro malattie rare

ultimo aggiornamento: 13 aprile, ore 18:34

Milano, 13 apr. (Adnkronos Salute) - La battaglia contro le malattie rare arriva sul grande schermo con il volto di Harrison Ford, protagonista del film 'Misure straordinarie' (titolo originale 'Extraordinary Measures') in cui l'attore americano interpreta il ruolo di uno scienziato in lotta contro la glicogenosi di tipo II o malattia di Pompe. Una patologia ai tempi della storia completamente orfana di cure, che nel nostro Paese conta circa 1.000-1.500 pazienti.

In collaborazione con Sony Pictures Releasing Italia, che distribuisce il film nella Penisola, la Fondazione Telethon e l'Associazione italiana glicogenosi (Aig) promuovono una programmazione in anteprima a Torino, Milano e Roma, per sensibilizzare il grande pubblico sull'importanza della ricerca scientifica sulle malattie rare. Contro le patologie da accumulo lisosomiale, di cui la Pompe fa parte, Telethon ha infatti finanziato a oggi 45 progetti, per un totale di circa 10 milioni di euro. Dopo la prima proiezione italiana, ieri a Torino, l'appuntamento meneghino è per questa sera (Cinema Anteo ore 20.45), mentre domani il film si presenterà alla Capitale.

'Misure straordinarie' è ispirato a una storia vera raccontata nel libro 'The Cure', firmato della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand. Il film parla di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser sullo schermo), determinato a trovare un farmaco per salvare i due figli più piccoli Megan e Patrick, colpiti dalla malattia Pompe. Con la moglie Aileen, Crowley scova un brillante, ma sottovalutato ricercatore anticonformista, Robert Stonehill (Harrison Ford). Insieme fondano un'azienda biotecnologica per sviluppare una terapia salvavita, in una drammatica guerra contro il tempo e contro il sistema sanitario statunitense.

Poca conoscenza, poca ricerca e numeri troppo piccoli per 'calamitare' in modo sistematico gli interessi commerciali di Big Pharma. Anche contro queste difficoltà, oltre che contro la sofferenza di patologie ancora orfane di una cura risolutiva, devono combattere ogni giorno i pazienti con malattie rare e gli scienziati impegnati al loro fianco, spiega all'ADNKRONOS SALUTE Giancarlo Parenti, fra i ricercatori dell'Istituto Telethon di genetica e medicina (Tigem) di Napoli e professore associato presso il Dipartimento di pediatria dell'università Federico II del capoluogo campano.

La malattia di Pompe, ricorda Parenti, "colpisce una persona su 40 mila (quindi un migliaio, 1.500 italiani, contando una popolazione complessiva di circa 60 milioni di abitanti) e può comparire sia nei bambini, in forme molto gravi e invalidanti, sia in età adulta. Dipende dalla mancanza di un enzima (l'alfa-glucosidasi acida) che ha il compito di degradare il glicogeno, la riserva energetica dell'organismo, particolarmente importante per il corretto funzionamento di cuore, fegato, sistema respiratorio e muscoli scheletrici. I sintomi della patologia sono dunque paragonabili a quelli di una distrofia muscolare". I pazienti finiscono spesso sulla sedia a rotelle, alcuni non riescono più a respirare in autonomia.

"Oggi - continua il ricercatore - per questi malati esiste già una terapia enzimatica sostitutiva", sviluppata dall'azienda biotecnologica americana Genzyme e "somministrata attraverso infusioni ogni due settimane". Un trattamento che ha cambiato in positivo la vita di molti pazienti, ma non di tutti. Da qui l'impegno di Telethon "per trovare nuove strategie di trattamento, alternative o

complementari".

In particolare, evidenzia Parenti, Telethon sta lavorando su speciali "molecole 'chaperon' che

aiutano ad aumentare l'attività residua dell'enzima mancante nei pazienti con malattia di Pompe. Nei malati questa attività è vicina allo zero, mentre con questi farmaci in pazienti con particolari mutazioni responsive può arrivare a 5-10".

Non solo. "Abbiamo poi osservato che, se queste molecole chaperon vengono somministrate insieme alla terapia enzimatica sostitutiva - prosegue il ricercatore - si ottiene un effetto sinergico superiore a quello calcolabile sommando l'azione dei due trattamenti". Una strada promettente: "In laboratorio funziona benissimo - assicura lo scienziato - e se funzionasse anche in clinica, potrebbero beneficiarne tutti i pazienti e non soltanto quelli portatori di mutazioni responsive". Per verificarlo "Telethon ha già approvato uno studio multicentrico su scala nazionale". Sarà coordinato da Generoso Andria dell'università Federico II di Napoli e "coinvolgerà 10-15 bambini. Stiamo aspettando i fondi dedicati, ma intanto è già partita la somministrazione su un paio di piccoli pazienti".

Infine, anche contro la malattia di Pompe si spera di riuscire a percorrere il filone della terapia genica, cioè la sostituzione del difetto genetico all'origine della sindrome. "Ci sono alcuni problemi da risolvere - osserva Parenti - ma gli studi sono in corso". Intanto, conclude, "confidiamo che anche grazie al film con Harrison Ford si possa promuovere la conoscenza di queste patologie", per avvicinare la società al mondo delle malattie rare e far sentire i pazienti sempre meno 'orfani'. I segnali dagli Usa sono confortanti: con l'uscita del film nelle sale nordamericane, il 22 gennaio scorso, 'malattia di Pompe' è stata una delle voci più cliccate su Internet e il sito www.pompe.com ha registrato 20 mila accessi in appena due giorni.

Ricerca Harrison Ford 'scienziato' per Telethon contro malattie rare

» **Medicina**

13 April 2010 1:40 PM (7 giorni fa)

La battaglia contro le malattie rare arriva sul grande schermo con il volto di Harrison Ford, protagonista del film 'Misure straordinarie' (titolo originale 'Extraordinary Measures') in cui l'attore americano interpreta il ruolo di uno scienziato in lotta contro la glicogenosi di tipo II o malattia di Pompe

Ricerca: Harrison Ford 'scienziato' per Telethon contro malattie rare

ultimo aggiornamento: 13 aprile, ore 18:34

Warning: include(newsBarTop.inc.php) [function.include]: failed to open stream: No such file or directory in /opt/apache2/www60/IGN/Daily_Life/Benessere/news/3.1.246835397.inc.php on line 19

Warning: include() [function.include]: Failed opening 'newsBarTop.inc.php' for inclusion (include_path='./usr/share/php/usr/share/pear') in /opt/apache2/www60/IGN/Daily_Life/Benessere/news/3.1.246835397.inc.php on line 19

Milano, 13 apr. (Adnkronos Salute) - La battaglia contro le malattie rare arriva sul grande schermo con il volto di Harrison Ford, protagonista del film 'Misure straordinarie' (titolo originale 'Extraordinary Measures') in cui l'attore americano interpreta il ruolo di uno scienziato in lotta contro la glicogenosi di tipo II o malattia di Pompe. Una patologia ai tempi della storia completamente orfana di cure, che nel nostro Paese conta circa 1.000-1.500 pazienti.

Warning: include(newsAdv.inc.php) [function.include]: failed to open stream: No such file or directory in /opt/apache2/www60/IGN/Daily_Life/Benessere/news/3.1.246835397.inc.php on line 19

Warning: include() [function.include]: Failed opening 'newsAdv.inc.php' for inclusion (include_path='./usr/share/php/usr/share/pear') in /opt/apache2/www60/IGN/Daily_Life/Benessere/news/3.1.246835397.inc.php on line 19

In collaborazione con Sony Pictures Releasing Italia, che distribuisce il film nella Penisola, la Fondazione Telethon e l'Associazione italiana glicogenosi (Aig) promuovono una programmazione in anteprima a Torino, Milano e Roma, per sensibilizzare il grande pubblico sull'importanza della ricerca scientifica sulle malattie rare. Contro le patologie da accumulo lisosomiale, di cui la Pompe fa parte, Telethon ha infatti finanziato a oggi 45 progetti, per un totale di circa 10 milioni di euro. Dopo la prima proiezione italiana, ieri a Torino, l'appuntamento meneghino è per questa sera (Cinema Anteo ore 20.45), mentre domani il film si presenterà alla Capitale.

'Misure straordinarie' è ispirato a una storia vera raccontata nel libro 'The Cure', firmato dalla scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand. Il film parla di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser sullo schermo), determinato a trovare un farmaco per salvare i due figli più piccoli Megan e Patrick, colpiti dalla malattia Pompe. Con la moglie Aileen, Crowley scova un brillante, ma sottovalutato ricercatore anticonformista, Robert Stonehill (Harrison Ford). Insieme fondano un'azienda biotecnologica per sviluppare una terapia salvavita, in una drammatica guerra contro il tempo e contro il sistema sanitario statunitense.

Poca conoscenza, poca ricerca e numeri troppo piccoli per 'calamitare' in modo sistematico gli interessi commerciali di Big Pharma. Anche contro queste difficoltà, oltre che contro la sofferenza di patologie ancora orfane di una cura risolutiva, devono combattere ogni giorno i pazienti con malattie rare e gli scienziati impegnati al loro fianco, spiega all'ADNKRONOS SALUTE Giancarlo Parenti, fra i ricercatori dell'Istituto Telethon di genetica e medicina (Tigem) di Napoli e professore associato presso il Dipartimento di pediatria dell'università Federico II del capoluogo campano.

La malattia di Pompe, ricorda Parenti, "colpisce una persona su 40 mila (quindi un migliaio, 1.500 italiani, contando una popolazione complessiva di circa 60 milioni di abitanti) e può comparire sia nei bambini, in forme molto gravi e invalidanti, sia in età adulta. Dipende dalla mancanza di un enzima (l'alfa-glucosidasi acida) che ha il compito di degradare il glicogeno, la riserva energetica dell'organismo, particolarmente importante per il corretto funzionamento di cuore, fegato, sistema respiratorio e muscoli scheletrici. I sintomi della patologia sono dunque paragonabili a quelli di una distrofia muscolare". I pazienti finiscono spesso sulla sedia a rotelle, alcuni non riescono più a respirare in autonomia.

"Oggi - continua il ricercatore - per questi malati esiste già una terapia enzimatica sostitutiva", sviluppata dall'azienda biotecnologica americana Genzyme e "sommministrata attraverso infusioni ogni due settimane". Un trattamento che ha cambiato in positivo la vita di molti pazienti, ma non di tutti. Da qui l'impegno di Telethon "per trovare nuove strategie di trattamento, alternative o complementari".

In particolare, evidenzia Parenti, Telethon sta lavorando su speciali "molecole 'chaperon' che aiutano ad aumentare l'attività residua dell'enzima mancante nei pazienti con malattia di Pompe. Nei malati questa attività è vicina allo zero, mentre con questi farmaci in pazienti con particolari mutazioni responsive può arrivare a 5-10".

Non solo. "Abbiamo poi osservato che, se queste molecole chaperon vengono somministrate insieme alla terapia enzimatica sostitutiva - prosegue il ricercatore - si ottiene un effetto sinergico superiore a quello calcolabile sommando l'azione dei due trattamenti". Una strada promettente: "In laboratorio funziona benissimo - assicura lo scienziato - e se funzionasse anche in clinica, potrebbero beneficiarne tutti i pazienti e non soltanto quelli portatori di mutazioni responsive". Per verificarlo "Telethon ha già approvato uno studio multicentrico su scala nazionale". Sarà coordinato da Generoso Andria dell'università Federico II di Napoli e "coinvolgerà 10-15 bambini. Stiamo aspettando i fondi dedicati, ma intanto è già partita la somministrazione su un paio di piccoli pazienti".

Infine, anche contro la malattia di Pompe si spera di riuscire a percorrere il filone della terapia genica, cioè la sostituzione del difetto genetico all'origine della sindrome. "Ci sono alcuni problemi da risolvere - osserva Parenti - ma gli studi sono in corso". Intanto, conclude, "confidiamo che anche grazie al film con Harrison Ford si possa promuovere la conoscenza di queste patologie", per avvicinare la società al mondo delle malattie rare e far sentire i pazienti sempre meno 'orfani'. I segnali dagli Usa sono confortanti: con l'uscita del film nelle sale nordamericane, il 22 gennaio scorso, 'malattia di Pompe' è stata una delle voci più cliccate su Internet e il sito www.pompe.com ha registrato 20 mila accessi in appena due giorni.

'Misure straordinarie', storia vera sul tema delle malattie rare

A cura de Il Pensiero Scientifico Editore

09/04/2010 9.07.00

Dal 23 aprile approderà nelle sale italiane "Misure straordinarie" (Extraordinary Measures), un film interpretato da Harrison Ford e Brendan Fraser, ispirato alla storia vera di una famiglia colpita da una gravissima patologia rara, allora incurabile. Basato sul libro The Cure della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand, il film racconta di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser), impegnato nello straordinario sforzo di trovare e sviluppare un farmaco per salvare Megan e Patrick, i due figli più piccoli, ai quali viene diagnosticata la malattia di Pompe (o glicogenosi di tipo II). Insieme alla moglie Aileen e con grande determinazione Crowleyscova un brillante ma sottovalutato ricercatore anticonformista, Robert Stonehill (Harrison Ford). Insieme fondano un'azienda biotecnologica per sviluppare una terapia salvavita: il primo spinto dal desiderio di salvare i figli, l'altro dal bisogno di mettere alla prova se stesso e le proprie teorie, i due uomini sviluppano un rispetto reciproco nella lotta contro il tempo e contro il sistema sanitario statunitense, con l'obiettivo di trovare un farmaco in grado di salvare la vita a coloro che sono colpiti da questa malattia.

In collaborazione con Sony Pictures Releasing Italia, che distribuisce il film, la Fondazione Telethon e l'Associazione Italiana Glicogenosi (AIG) hanno promosso la programmazione in anteprima del film a Milano, Torino e Roma dal 12 al 14 aprile, per sensibilizzare il pubblico sull'importanza della ricerca scientifica sulle malattie rare, come quella di Pompe. La Fondazione Telethon ha dato un importante contributo alla ricerca sulle malattie da accumulo lisosomiale, di cui anche la glicogenosi di tipo II fa parte: ad oggi ha infatti finanziato ben 45 progetti di ricerca, per un totale di circa 10 milioni di euro.

Per quanto riguarda in particolare la malattia di Pompe, - patologia oggi trattata dalla biotech americana Genzyme con una terapia enzimatica sostitutiva che ha cambiato la storia naturale di questa malattia - il gruppo dell'Istituto Telethon di Genetica e Medicina di Napoli guidato da Giancarlo Parenti ha dimostrato in laboratorio che, affiancando a questa terapia salvavita dei farmaci "aiutanti", si può potenziarne ulteriormente l'efficacia. Alla luce di questi risultati nel 2010 ha preso il via una sperimentazione sull'uomo coordinata da Generoso Andria dell'Università "Federico II" di Napoli.

ANTEPRIMA

Il film di Harrison Ford per Telethon

In attesa dell'arrivo nelle sale a fine aprile del film "Misure straordinarie" ("Extraordinary Measures"), la Fondazione Telethon, Aiace Torino e l'Associazione Italiana Glicogenosi (Aig) organizzano a Torino un'anteprima che si svolgerà lunedì 12 aprile alle ore 20:45 presso il Cinema Ideal Cityplex, in corso Beccaria 4 a Torino. L'obiettivo dell'anteprima, che oltre a Torino interesserà le città di Milano e Roma, è di sensibilizzare il pubblico italiano sull'importanza della ricerca scientifica sulla malattie rare come quel-



la di Pompe. Il film "Extraordinary Measures", interpretato da Harrison Ford e Brendan Fraser, racconta infatti la storia di una famiglia colpita da una gravissima patologia rara ed allora incurabile. Il film è ispirato alla storia vera di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser), impegnato nello straordinario sforzo di trovare e sviluppare un farmaco per salvare Megan e Patrick, i due figli più piccoli, ai quali è stata diagnosticata la malattia di Pompe (o glicogenosi di tipo II).



Anteprima targata Telethon per 'Misure straordinarie'

Fonte: Kataweb
Leggi l'articolo

(venerdì 09 aprile 2010 19:30)

Tag: torino | news | misure | telethon | misure straordinarie | comunicati stampa | anteprima | spettacoli | approder



Dal circuito nordamericano, il 23 aprile approderà nelle sale italiane ***Misure straordinarie*** (*Extraordinary Measures*), un film interpretato da Harrison Ford e Brendan Fraser, ispirato alla storia vera di una famiglia colpita da una gravissima patologia rara, allora incurabile.

Basato sul libro *The Cure* della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand, il film racconta di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser), impegnato nello straordinario sforzo di trovare e sviluppare un farmaco per salvare Megan e Patrick, i due figli più piccoli, ai quali viene diagnosticata la malattia di Pompe (o glicogenosi di tipo II).

Insieme alla moglie Aileen e con grande determinazione **Crowley scova un brillante ma sottovalutato ricercatore anticonformista, Robert Stonehill** (Harrison Ford). Insieme fondano un'azienda biotecnologica per sviluppare una terapia salvavita: il primo spinto dal desiderio di salvare i figli, l'altro dal bisogno di mettere alla prova se stesso e le proprie teorie, i due uomini sviluppano un rispetto reciproco nella lotta contro il tempo e contro il sistema sanitario statunitense, con l'obiettivo di trovare un farmaco in grado di salvare la vita a coloro che sono colpiti da questa malattia.

In collaborazione con la casa di produzione Sony Pictures, la **Fondazione Telethon e l'Associazione Italiana Glicogenosi (AIG)** hanno promosso la **programmazione in anteprima del film a Milano, Torino e Roma dal 12 al 14 aprile**, per sensibilizzare il pubblico sull'importanza della ricerca scientifica sulla malattie rare, come quella di Pompe ([info qui](#)).

9 aprile 2010 @ 18:30

Anteprima targata Telethon per 'Misure straordinarie'

**CINEFESTIVAL** —

Dal circuito nordamericano, il 23 aprile approderà nelle sale italiane *Misure straordinarie* (Extraordinary Measures), un film interpretato da Harrison Ford e Brendan Fraser, ispirato alla storia vera di una famiglia colpita da una gravissima patologia rara, allora incurabile.

Basato sul libro *The Cure* della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand, il film racconta di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser), impegnato nello straordinario sforzo di trovare e sviluppare un farmaco per salvare Megan e Patrick, i due figli più piccoli, ai quali viene diagnosticata la malattia di Pompe (o glicogenosi di tipo II).

Insieme alla moglie Aileen e con grande determinazione Crowley scova un brillante ma sottovalutato ricercatore anticonformista, Robert Stonehill (Harrison Ford). Insieme fondano un'azienda biotecnologica per sviluppare una terapia salvavita: il primo spinto dal desiderio di salvare i figli, l'altro dal bisogno di mettere alla prova se stesso e le proprie teorie, i due uomini sviluppano un rispetto reciproco nella lotta contro il tempo e contro il sistema sanitario statunitense, con l'obiettivo di trovare un farmaco in grado di salvare la vita a coloro che sono colpiti da questa malattia.

In collaborazione con la casa di produzione Sony Pictures, la Fondazione Telethon e l'Associazione Italiana Glicogenosi (AIG) hanno promosso la programmazione in anteprima del film a Milano, Torino e Roma dal 12 al 14 aprile, per sensibilizzare il pubblico sull'importanza della ricerca scientifica sulla malattie rare, come quella di Pompe (info qui).

Continua a leggere Anteprima targata Telethon per 'Misure straordinarie'...

Dal circuito nordamericano, **il 23 aprile approderà nelle sale italiane *Misure straordinarie* (*Extraordinary Measures*)**, un film interpretato da Harrison Ford e Brendan Fraser, ispirato alla storia vera di una famiglia colpita da una gravissima patologia rara, allora incurabile.

Basato sul libro ***The Cure*** della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand, **il film racconta di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser), impegnato nello straordinario sforzo di trovare e sviluppare un farmaco per salvare Megan e Patrick**, i due figli più piccoli, ai quali viene diagnosticata la malattia di Pompe (o glicogenosi di tipo II).

Insieme alla moglie Aileen e con grande determinazione ***Crowley scova un brillante ma sottovalutato ricercatore anticonformista, Robert Stonehill*** (Harrison Ford). Insieme fondano un'azienda biotecnologica per sviluppare una terapia salvavita: il primo spinto dal desiderio di salvare i figli, l'altro dal bisogno di mettere alla prova se stesso e le proprie teorie, i due uomini sviluppano un rispetto reciproco nella lotta contro il tempo e contro il sistema sanitario statunitense, con l'obiettivo di trovare un farmaco in grado di salvare la vita a coloro che sono colpiti da questa malattia.

In collaborazione con la casa di produzione Sony Pictures, **la Fondazione Telethon e l'Associazione Italiana Glicogenosi (AIG) hanno promosso la programmazione in anteprima del film a Milano, Torino e Roma dal 12 al 14 aprile**, per sensibilizzare il pubblico sull'importanza della ricerca scientifica sulle malattie rare, come quella di Pompe ([info qui](#)).

La Fondazione Telethon ha dato un importante contributo alla ricerca sulle malattie da accumulo lisosomiale, di cui anche la glicogenosi di tipo II fa parte: ad oggi ha infatti finanziato ben 45 progetti di ricerca, per un totale di circa 10 milioni di euro.

Per quanto riguarda in particolare la malattia di Pompe, - patologia oggi trattata dalla biotech americana Genzyme con una terapia enzimatica sostitutiva che ha cambiato la storia naturale di questa malattia - ***il gruppo dell'Istituto Telethon di Genetica e Medicina di Napoli guidato da Giancarlo Parenti ha dimostrato in laboratorio che, affiancando a questa terapia salvavita dei farmaci "aiutanti", si può potenziarne ulteriormente l'efficacia.***

Alla luce di questi risultati nel 2010 ha preso il via una sperimentazione sull'uomo coordinata da Generoso Andria dell'Università "Federico II" di Napoli. L'Associazione Italiana Glicogenosi ONLUS nasce nel 1996 per volontà di un gruppo di genitori con figli affetti da glicogenosi per promuovere la ricerca scientifica, sensibilizzare l'opinione pubblica e dare un aiuto pratico e psicologico alle famiglie.

In questi anni ha fornito un servizio di consulenza globale (psicologica, specialistica, fisioterapica e legale); organizzato convegni con la partecipazione delle famiglie e di numerosi ricercatori e studiosi; realizzato audiovisivi per la gestione della tecnica della nutrizione enterale pediatrica al domicilio dei pazienti; contattato alcuni istituti di ricerca italiani ed esteri per promuovere la ricerca di base e clinica; promosso iniziative per la raccolta di fondi da destinare alla ricerca scientifica, in particolare in ambito genetico; organizzato campagne d'informazione e sensibilizzazione attraverso i mass media; istituito borse di studio per promuovere una maggiore conoscenza della malattia.

Anteprima targata Telethon per 'Misure straordinarie'

Publicato da Carlo Griseri alle 18:30 in Comunicati stampa



Dal circuito nordamericano, **il 23 aprile approderà nelle sale italiane Misure straordinarie (*Extraordinary Measures*)**, un film interpretato da Harrison Ford e Brendan Fraser, ispirato alla storia vera di una famiglia colpita da una gravissima patologia rara, allora incurabile.

Basato sul libro ***The Cure*** della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand, **il film racconta di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser), impegnato nello straordinario sforzo di trovare e sviluppare un farmaco per salvare Megan e Patrick**, i due figli più piccoli, ai quali viene diagnosticata la malattia di Pompe (o glicogenosi di tipo II).

Insieme alla moglie Aileen e con grande determinazione ***Crowley scova un brillante ma sottovalutato ricercatore anticonformista, Robert Stonehill*** (Harrison Ford). Insieme fondano un'azienda biotecnologica per sviluppare una terapia salvavita: il primo spinto dal desiderio di salvare i figli, l'altro dal bisogno di mettere alla prova se stesso e le proprie teorie, i due uomini sviluppano un rispetto reciproco nella lotta contro il tempo e contro il sistema sanitario statunitense, con l'obiettivo di trovare un farmaco in grado di salvare la vita a coloro che sono colpiti da questa malattia.

In collaborazione con la casa di produzione Sony Pictures, **la Fondazione Telethon e l'Associazione Italiana Glicogenosi (AIG) hanno promosso la programmazione in anteprima del film a Milano, Torino e Roma dal 12 al 14 aprile**, per sensibilizzare il pubblico sull'importanza della ricerca scientifica sulla malattie rare, come quella di Pompe ([info qui](#)).

La Fondazione Telethon ha dato un importante contributo alla ricerca sulle malattie da accumulo lisosomiale, di cui anche la glicogenosi di tipo II fa parte: ad oggi ha infatti finanziato ben 45 progetti di ricerca, per un totale di circa 10 milioni di euro.

Per quanto riguarda in particolare la malattia di Pompe, - patologia oggi trattata dalla biotech americana Genzyme con una terapia enzimatica sostitutiva che ha cambiato la storia naturale di questa malattia - **il gruppo dell'Istituto Telethon di Genetica e Medicina di Napoli guidato da Giancarlo Parenti ha dimostrato in laboratorio che**, affiancando a questa terapia salvavita dei farmaci "aiutanti", **si può potenziarne ulteriormente l'efficacia**.

Alla luce di questi risultati nel 2010 ha preso il via una sperimentazione sull'uomo coordinata da Generoso Andria dell'Università "Federico II" di Napoli. L'Associazione Italiana Glicogenosi ONLUS nasce nel 1996 per volontà di un gruppo di genitori con figli affetti da glicogenosi per promuovere la ricerca scientifica, sensibilizzare l'opinione pubblica e dare un aiuto pratico e

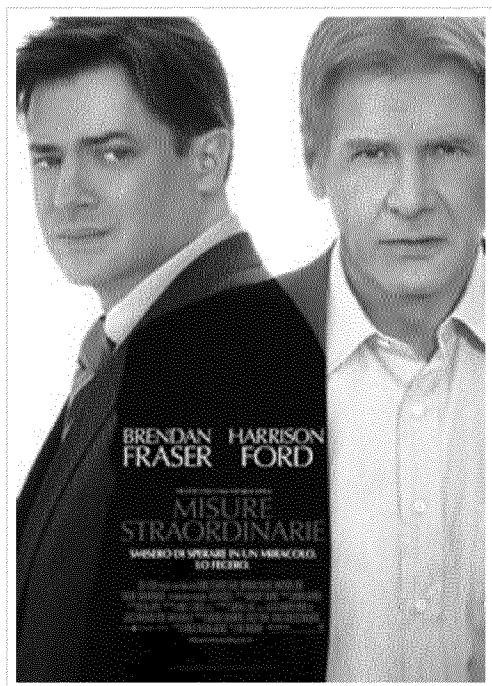
psicologico alle famiglie.

In questi anni ha fornito un servizio di consulenza globale (psicologica, specialistica, fisioterapica e legale); organizzato convegni con la partecipazione delle famiglie e di numerosi ricercatori e studiosi; realizzato audiovisivi per la gestione della tecnica della nutrizione enterale pediatrica al domicilio dei pazienti; contattato alcuni istituti di ricerca italiani ed esteri per promuovere la ricerca di base e clinica; promosso iniziative per la raccolta di fondi da destinare alla ricerca scientifica, in particolare in ambito genetico; organizzato campagne d'informazione e sensibilizzazione attraverso i mass media; istituito borse di studio per promuovere una maggiore conoscenza della malattia.

Malattie rare, arriva "Misure straordinarie"

08 Apr 2010

Vai all'anteprima del film a Milano



Dal 23 aprile approderà nelle sale italiane "Misure straordinarie" (Extraordinary Measures), un film interpretato da **Harrison Ford** e **Brendan Fraser**, ispirato alla storia vera di una famiglia colpita da una gravissima patologia rara, allora incurabile. Basato sul libro *The Cure* della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand, il film racconta di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser), impegnato nello straordinario sforzo di trovare e sviluppare un farmaco per salvare Megan e Patrick, i due figli più piccoli, ai quali viene diagnosticata la malattia di Pompe (o glicogenosi di tipo II).

Insieme alla moglie Aileen e con grande determinazione Crowley scova un brillante ma sottovalutato ricercatore anticonformista, Robert Stonehill (Harrison Ford). Insieme fondano un'azienda biotecnologica per sviluppare una terapia salvavita: il primo spinto dal desiderio di salvare i figli, l'altro dal bisogno di mettere alla prova se stesso e le proprie teorie, i due uomini sviluppano un rispetto reciproco nella lotta contro il tempo e contro il sistema sanitario statunitense, con l'obiettivo di trovare un farmaco in grado di salvare la vita a coloro che sono colpiti da questa

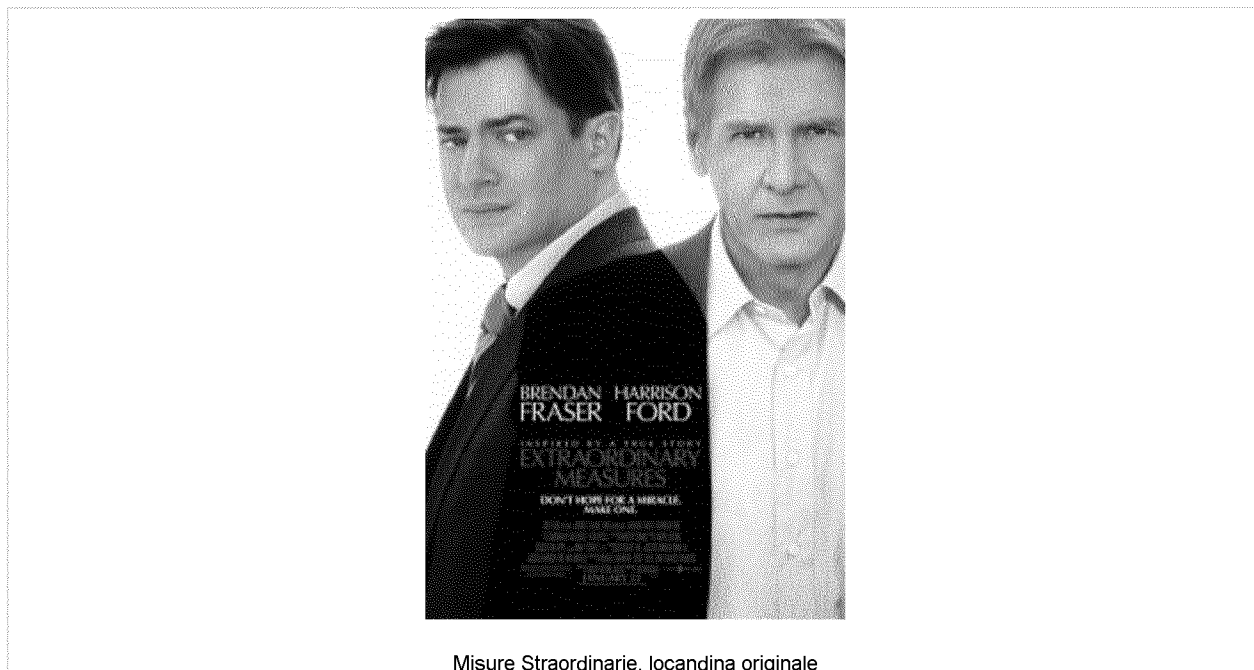
malattia.

In collaborazione con Sony Pictures Releasing Italia, che distribuisce il film, la Fondazione Telethon e l'Associazione Italiana Glicogenosi (AIG) hanno promosso la programmazione in anteprima del film a **Milano, Torino e Roma dal 12 al 14 aprile**, per sensibilizzare il pubblico sull'importanza della ricerca scientifica sulla malattie rare, come quella di Pompe.

L'appuntamento a Milano è per il 13 aprile, al cinema Anteo. Per partecipare all'anteprima, occasione di raccolta fondi per la ricerca, è necessario prenotarsi sul sito www.misurestraordinarie.it

Misure Straordinarie in anteprima gratis

Mirko Z. | apr 07, 2010 | Commenti 3



Misure Straordinarie, locandina originale

Telethon e L'Associazione italiana glicogenosi ti offrono un invito per due persone per assistere all'anteprima del film **Misure Straordinarie** con Harrison Ford e Brendan Fraser. L'anteprima si terrà a Milano, Roma e Torino, la data non è stata scritta (l'uscita al cinema è fissata per il 23 aprile), invitiamo chi si aggiudicherà le anteprime a riportarla tra i commenti, grazie!

Trama: John Crowley è un uomo di origini modeste ma che, per merito dei suoi sforzi, è diventato un apprezzato professionista, grazie anche al supporto della moglie Aileen, che in tanti anni di matrimonio non ha mai smesso di credere in lui e di amarlo, e all'affetto dei suoi tre figli. Tuttavia, quando ai due figli minori, Megan e Patrick, viene diagnosticata una malattia incurabile, John decide di rischiare tutto quello che possiede e sfidando convenzioni e moralismo si mette in cerca di una cura che possa salvare la vita ai suoi bambini.

Si unisce quindi a Robert Stonehill, un brillante ricercatore sottovalutato a causa del suo anticonformismo, e insieme i due fondano un'azienda bio-tecnologica. Uomini molto diversi tra loro – uno spinto dalla fede nelle proprie teorie scientifiche, l'altro dall'amore per i propri figli – John e Robert combatteranno fianco a fianco in una lotta contro il tempo e contro gli interessi delle case farmaceutiche. (Tratto da Yahoo Movies).

Misure straordinarie film benefico all' Ideal

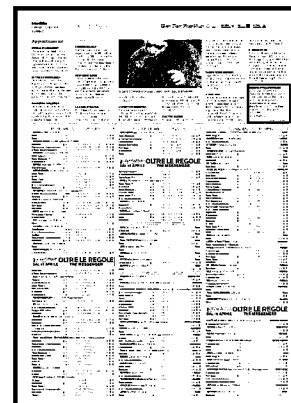
Repubblica — 06 aprile 2010 pagina 6 sezione: TORINO

ORGANIZZATA da Aiace e Sony con Telethon e Associazione italiana Glicogenosi, lunedì 12 è in programma all' Ideal Cityplex l' anteprima del film di Tom Vaughan "Misure straordinarie", tratto dal libro "The Cure" della scrittrice Geeta Anand, con Brendan Fraser e Harrison Ford, storia di genitori coraggio che sfidano le lobby per aiutare i figli malati. Per assistere alla proiezione gratuita è necessario prenotarsi da oggi sul sito www.misurestraordinarie.it. La mail di conferma sarà valida come biglietto di ingresso. L' anteprima è gratuita. Offerte su www.telethon.it o su www.aig-aig.it.

MISURE STRAORDINARIE

La Fondazione Telethon e l'Associazione Italiana Glicogenosi, in collaborazione con Aiace Torino e Sony Pictures, propongono l'anteprima del film «Misure straordinarie», alle 20.45 all'Ideal Cityplex in corso Beccaria 4. Info 011/538962.
(a cura di gabri.c.)

© RIPRODUZIONE RISERVATA



Anteprima



Il dottor Harryson Ford aiuta Brendan Fraser

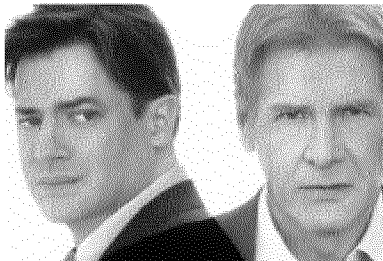
È in programma domani sera all'Ideal l'anteprima del film «Misure straordinarie» di Tom Vaughan. Appuntamento alle 20,45, organizzano la Fondazione Telethon e l'Associazione Italiana Glicogenosi (Aig) con l'Aiace e la Sony. Ingresso libero (occorre prenotarsi sul sito www.misurestraordinarie.it). Info. 011/538962. Il film narra la storia vera di John Crowley, uomo di origini modeste che ha rischiato tutto per trovare una cura con cui salvare la vita dei figli da una malattia terribile. Incoraggiato dalla moglie, arriva a contattare un brillante, sottovalutato, ricercatore anticonformista. Loro sono Brendan Fraser e Harrison Ford, la sceneggiatura è del quotato Robert Nelson Jacobs («Chocolat»). [D. CA.]

Misure straordinarie

Una scena del film proposto domani in anteprima nella sala Uno dell'Ideal



Anteprima "MISURE STRAORDINARIE" per TELETHON e ASSOCIAZIONE ITALIANA GLICOGENOSI lunedì 12 aprile



Dal libro "The cure", premio Pulitzer, una storia vera sul dramma delle malattie rare

Anteprima "MISURE STRAORDINARIE" per TELETHON e ASSOCIAZIONE ITALIANA GLICOGENOSI

il film della Sony Pictures con Harrison Ford e Brendan Fraser

per sensibilizzare il pubblico sul tema delle patologie orfane

Dal circuito nordamericano, il 23 aprile approderà nelle

sale italiane "Misure straordinarie" (Extraordinary Measures), un film interpretato da Harrison Ford e Brendan Fraser, ispirato alla storia vera di una famiglia colpita da una gravissima patologia rara, allora incurabile. Basato sul libro **The Cure** della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand, il film racconta di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser), impegnato nello straordinario sforzo di trovare e sviluppare un farmaco per salvare Megan e Patrick, i due figli più piccoli, ai quali viene diagnosticata la malattia di Pompe (o glicogenosi di tipo II). Insieme alla moglie Aileen e con grande determinazione, Crowley scova un brillante ma sottovalutato ricercatore anticonformista, Robert Stonehill (Harrison Ford). Insieme fondano un'azienda biotecnologica per sviluppare una terapia salvavita: il primo spinto dal desiderio di salvare i figli, l'altro dal bisogno di mettere alla prova se stesso e le proprie teorie, i due uomini sviluppano un rispetto reciproco nella lotta contro il tempo e contro il sistema sanitario statunitense, con l'obiettivo di trovare un farmaco in grado di salvare la vita a coloro che sono colpiti da questa malattia.

In collaborazione con la casa di produzione Sony Pictures, la Fondazione Telethon e l'Associazione Italiana Glicogenosi (AIG) hanno promosso la programmazione in anteprima del film a Milano, Torino e Roma dal 12 al 14 aprile, per sensibilizzare il pubblico sull'importanza della ricerca scientifica sulla malattie rare, come quella di Pompe.

A Torino l'anteprima del film, organizzata in collaborazione con AIACE Torino, si terrà lunedì 12 aprile, al Cinema Ideal Cityplex, alle ore 20.45. L'ingresso è gratuito. È necessaria la prenotazione, effettuabile da martedì 6 aprile sul sito www.misurestraordinarie.it. Info: Aiace Torino, tel. 011 538962, www.aiacetorino.it; www.telethon.it; www.aig-aig.it

La Fondazione Telethon ha dato un importante contributo alla ricerca sulle malattie da accumulo lisosomiale, di cui anche la glicogenosi di tipo II fa parte: ad oggi ha infatti finanziato ben 45 progetti di ricerca, per un totale di circa 10 milioni di euro. Per quanto riguarda in particolare la malattia di Pompe, - patologia oggi trattata dalla biotech americana Genzyme con una terapia enzimatica sostitutiva che ha cambiato la storia naturale di questa malattia il gruppo dell'Istituto Telethon di Genetica e Medicina di Napoli guidato da Giancarlo Parenti ha dimostrato in laboratorio che, affiancando a questa terapia salvavita dei farmaci "aiutanti", si può potenziarne ulteriormente l'efficacia. Alla luce di questi risultati, nel 2010 ha preso il via una sperimentazione sull'uomo coordinata da

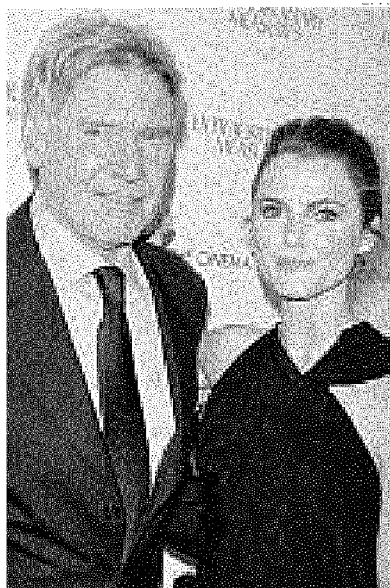
Generoso Andria dell'Università "Federico II" di Napoli.

L'Associazione Italiana Glicogenosi ONLUS, nasce nel 1996 per volontà di un gruppo di genitori con figli affetti da glicogenosi, per promuovere la ricerca scientifica,

sensibilizzare l'opinione pubblica e dare un aiuto pratico e psicologico alle famiglie. In questi anni ha fornito un servizio di consulenza globale (psicologica, specialistica, fisioterapica e legale); organizzato convegni con la partecipazione delle famiglie e di numerosi ricercatori e studiosi; realizzato audiovisivi per la gestione della tecnica della nutrizione enterale pediatrica al domicilio dei pazienti; contattato alcuni istituti di ricerca italiani ed esteri per promuovere la ricerca di base e clinica; promosso iniziative per la raccolta di fondi da destinare alla ricerca scientifica, in particolare in ambito genetico; organizzato campagne d'informazione e sensibilizzazione attraverso i mass media; istituito borse di studio per promuovere una maggiore conoscenza della malattia.

La pellicola con Ford affronta il calvario di una famiglia affetta da Glicogenosi

«Misure Straordinarie» l'anteprima in città



► Harrison Ford e Keri Russell

■ Sarà Torino la prima città ad ospitare in anteprima il film,

Misure Straordinarie, con Harrison Ford e Brendan Fraser protagonisti che interpretano la storia vera di un padre di famiglia che tenta di tutto per trovare e sviluppare una cura per i figli affetti da una malattia rara come quella di Pompe (o Glicogenosi di tipo II), un tempo incurabile. La pellicola, di-

tribuita da Sony Pictures, arriverà sul grande schermo a fine aprile in Italia, e la Fondazione Telethon insieme all'Associazione Italiana Glicogenosi (Aig) organizzano un'anteprima a Milano, Torino e Roma dal 12 al 14 aprile per sensibilizzare il pubblico italiano sull'importanza della ricerca scientifica sulle malattie rare, patologie

trascurate dalla ricerca pubblica e privata. Le proiezioni a Milano, Torino, e nella capitale sono a ingresso gratuito dietro prenotazione effettuabile sul sito www.misurestraordinarie.it, a partire da martedì 6 aprile. In occasione della serata sarà possibile fare una donazione a Telethon, che ha dato un importante contributo alla ricerca sulle malattie da accumulo lisosomiale, di cui anche la glicogenosi di tipo II fa parte. Ad oggi l'organizzazione presieduta da Luca Cordero di Montezemolo ha infatti finanziato 45 progetti di ricerca, per un totale di circa 10 milioni di euro. ■



Anteprima Telethon
**Le malattie rare
 in un film con Ford**



■ Nel film *Misure Straordinarie*, Harrison Ford e Brendan Fraser interpretano la storia vera di un padre di famiglia che tenta di tutto per trovare una cura per i figli affetti da una malattia rara come

quella di Pompe (o Glicogenosi di tipo II), un tempo incurabile. La pellicola, distribuita da Sony Pictures, arriverà nelle sale a fine aprile in Italia, e la Fondazione Telethon insieme all'Associazione Italiana Glicogenosi (Aig) organizzano

un'anteprima a Milano, Torino e Roma dal 12 al 14 aprile per sensibilizzare il pubblico italiano sull'importanza della ricerca scientifica sulle malattie rare. Le anteprime sono a ingresso gratuito (www.misurestraordinarie.it).



**ANTEPRIMA MILANESE
 HARRISON FORD
 TESTIMONIAL TELETHON**


UN FILM, MISURE STRAORDINARIE, con Harrison Ford e Brendan Fraser protagonisti che interpretano la storia vera di un padre di famiglia che tenta di tutto per trovare e sviluppare una cura per i figli affetti da una malattia rara come quella di Pompe (o Glicogenosi di tipo II), un tempo incurabile. La pellicola, distribuita da Sony Pictures, arriverà sul grande schermo a fine aprile in Italia, e la Fondazione Telethon insieme all'Associazione Italiana Glicogenosi (Aig) organizzano un'anteprima a Milano il 12 aprile per

sensibilizzare il pubblico italiano sull'importanza della ricerca scientifica sulle malattie rare, patologie trascurate dalla ricerca pubblica e privata. La proiezione sarà a ingresso gratuito dietro prenotazione effettuabile sul sito www.misurestraordinarie.it, a partire da martedì 6 aprile. In occasione della serata sarà possibile fare una donazione a Telethon, che ha dato un importante contributo alla ricerca sulle malattie da accumulo lisosomiale, di cui anche la glicogenosi di tipo II fa parte.

16 SA ORE MILANO

L'Amn, più come per Linette in vista del week end di Pasqua

ANTERNA MILANESE
 L'antenna milanese della Rai 1, in vista del week end di Pasqua, ha deciso di puntare su un'anteprima del film "Misure straordinarie" con Harrison Ford e Brendan Fraser.

PICCOLA COPPIOLA
 Il film "Misure straordinarie" è una coppiola che racconta la storia di un padre di famiglia che tenta di tutto per trovare e sviluppare una cura per i figli affetti da una malattia rara come quella di Pompe (o Glicogenosi di tipo II), un tempo incurabile.

IL COMICO
 L'antenna milanese della Rai 1, in vista del week end di Pasqua, ha deciso di puntare su un'anteprima del film "Misure straordinarie" con Harrison Ford e Brendan Fraser.

LA BIBLIOTECA
 La produzione presenta il primo libro della collana "Misure straordinarie" che racconta la storia di un padre di famiglia che tenta di tutto per trovare e sviluppare una cura per i figli affetti da una malattia rara come quella di Pompe (o Glicogenosi di tipo II), un tempo incurabile.

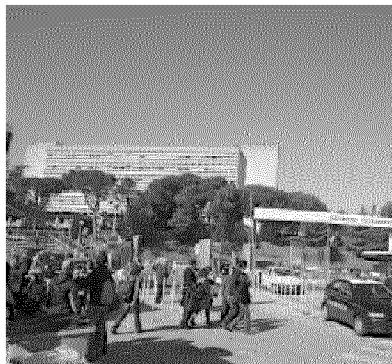
ATTUALITÀ
 Il film "Misure straordinarie" è una coppiola che racconta la storia di un padre di famiglia che tenta di tutto per trovare e sviluppare una cura per i figli affetti da una malattia rara come quella di Pompe (o Glicogenosi di tipo II), un tempo incurabile.

TI SERVE UN PRESITTO?

TELEFONATI
 02-8841.12.12-82

FEDERICO II LA SONY PICTURES GIRA UN FILM SU QUESTA PATOLOGIA DEVASTANTE, PROTAGONISTI SARANNO HARRISON FORD E BRENDAN FRASER

Sperimentazione sull'uomo al Policlinico per sconfiggere la malattia di Pompe



Un film, *Misure Straordinarie*, con Harrison Ford e Brendan Fraser protagonisti che interpretano la storia vera di un padre di famiglia che tenta di tutto per trovare e sviluppare una cura per i figli affetti da una malattia rara come quella di

Pompe (o Glicogenosi di tipo II), un tempo incurabile. La pellicola, distribuita da Sony Pictures, arriverà sul grande schermo a fine aprile in Italia, e la Fondazione Telethon insieme all'Associazione Italiana Glicogenosi (Aig) organizzano un'anteprima a Milano, Torino e Roma dal 12 al 14 aprile per sensibilizzare il pubblico italiano sull'importanza della ricerca scientifica sulle malattie rare, patologie trascurate dalla ricerca pubblica e privata. Ma è Napoli in questo caso ad avere la corona d'alloro. Le proiezioni a Milano, Torino, e nella capitale sono a ingresso gratuito dietro prenotazione effettuabile sul sito www.misurestraordinarie.it, a partire da martedì 6 aprile. In occasione della serata sarà possibile fare una donazione a Telethon, che ha dato un importante contributo alla ricerca sulle malattie da accumulo lisosomiale, di cui anche la glicogenosi di tipo II fa parte. Ad oggi l'organizzazione presieduta da Luca Cordero di Montezemolo ha infatti finanziato 45 progetti di ricerca, per un totale di circa 10 milioni di euro.

Per quanto riguarda in particolare la malattia di Pompe, il gruppo dell'Istituto Telethon di Napoli guidato da Giancarlo Parenti ha dimostrato in laboratorio che affiancando la terapia enzimatica sostitutiva, già disponibile da alcuni anni grazie al farmaco prodotto dalla ditta Genzyme, con dei farmaci "aiutanti" si può potenziarne ulteriormente l'efficacia.

Alla luce di questi risultati, nell'anno in corso ha preso il via una sperimentazione sull'uomo coordinata da Generoso Andria dell'Università "Federico II", ecco perchè il capoluogo partenopeo in questo settore ha avuto un ruolo relevantissimo e perchè si aspettava di essere inserita tra le città dell'anteprima del film.



La pellicola con Harrison Ford affronta il calvario di una famiglia per i figli affetti da Glicogenosi

Arriva «Misure Straordinarie» l'anteprima del film a Milano

■ Un film, *Misure Straordinarie*, con Harrison Ford e Brendan Fraser protagonisti che interpretano la storia vera di un padre di famiglia che tenta di tutto per trovare e sviluppare una cura per i figli affetti da una malattia rara come quella di Pompe (o Glicogenosi di tipo II), un tempo incurabile. La pellicola, distribuita da Sony Pictures, arriverà sul grande schermo a fine aprile in Italia, e la Fondazione Telethon insieme all'Associazione Italiana Glicogenosi (Aig) organizzano un'anteprima a Torino (il 12 aprile), Milano (il 13 aprile) per sensibilizzare il pubblico italiano sull'im-

portanza della ricerca scientifica sulle malattie rare, patologie trascurate dalla ricerca pubblica e privata. Le proiezioni a Milano e Torino sono a ingresso gratuito dietro prenotazione effettuabile sul sito www.misurestraordinarie.it, a partire da martedì 6 aprile. In occasione della serata sarà possibile fare una donazione a Telethon, che ha dato un importante contributo alla ricerca sulle malattie da accumulo lisosomiale, di cui anche la glicogenosi di tipo II fa parte. Ad oggi l'organizzazione presieduta da Luca Cordero di Montezemolo ha finanziato 45

progetti di ricerca, per un totale di circa 10 milioni di euro. Sarà presente alle proiezioni il presidente dell'associazione italiana Glicogenosi, Fabrizio Seidita. Per quanto riguarda la malattia di Pompe, il gruppo dell'Istituto Telethon di Napoli guidato da Giancarlo Parenti ha dimostrato in laboratorio che affiancando la terapia enzimatica sostitutiva, con dei farmaci si può potenziarne ulteriormente l'efficacia. Alla luce di questi risultati ha preso il via una sperimentazione sull'uomo coordinata dall'Università Federico II di Napoli. ■





Anteprime per il film sulla glicogenosi interpretato da Harrison Ford

redazione | mercoledì 31 marzo 2010

Sezione: **CINEMONITOR**

Sottosezione: **NEWS**

Un film sulla glicogenosi | Anteprime a Roma, Milano e Torino

Nelle sale italiane a fine aprile, *Misure straordinarie* con Harrison Ford tratta il difficile tema della malattia. Imperniata sulla storia vera di una famiglia con figli affetti da glicogenosi, la pellicola diretta da Tom Vaughan avrà un'anteprima - organizzata da Telethon insieme all'Associazione Italiana Glicogenosi - a Milano, Torino e Roma (12 - 14 aprile), al fine di sensibilizzare il pubblico. Nella finzione di *Misure straordinarie*, infatti, un padre (Brendan Fraser) fa di tutto per trovare una cura per i propri figli affetti dalla glicogenosi di tipo II.

USCITE

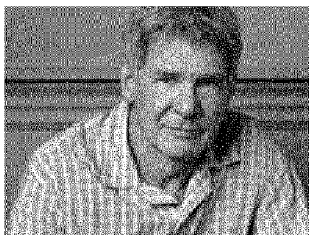
31/3/2010

11:10 - Campagna Telethon con Harrison Ford

Esce *Misure Straordinarie*, film con **Harrison Ford** sulla storia vera di una famiglia con figli affetti da una malattia rara. Nella pellicola il padre fa di tutto per trovare una cura per i figli affetti dalla Glicogenosi di tipo II, un tempo incurabile. Il film arriverà nelle sale italiane a fine aprile.

Telethon insieme all'Associazione Italiana Glicogenosi organizzano un'anteprima a Milano, Torino e Roma (**12 - 14 aprile**) per sensibilizzare il pubblico.

Campagna Telethon con film Harrison Ford



Esce 'Misure Straordinarie', un film con Harrison Ford sulla storia vera di una famiglia con figli affetti da una malattia rara. Nella pellicola il padre tenta di tutto per trovare una cura per i figli affetti dalla malattia di Pompe (o Glicogenosi di tipo II), un tempo incurabile. Il film arriverà nelle sale a fine aprile in Italia. Telethon insieme all'Associazione Italiana Glicogenosi organizzano un'anteprima a Milano, Torino e Roma (12-14 aprile) per sensibilizzare il pubblico.

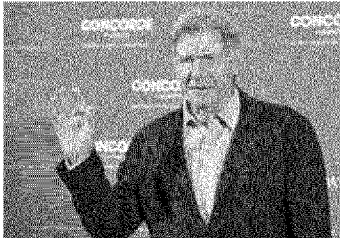
Categoria: Cinema

Cinema

Campagna Telethon con film Harrison Ford

Su storia vera famiglia con figli affetti da malattia di Pompe

30 marzo, 19:11



(ANSA) - ROMA, 30 MAR - Esce 'Misure Straordinarie', un film con Harrison Ford sulla storia vera di una famiglia con figli affetti da una malattia rara. Nella pellicola il padre tenta di tutto per trovare una cura per i figli affetti dalla malattia di Pompe (o Glicogenosi di tipo II), un tempo incurabile. Il film arriverà nelle sale a fine aprile in Italia. Telethon insieme all'Associazione Italiana Glicogenosi organizzano un'anteprima a Milano, Torino e Roma (12-14 aprile) per sensibilizzare il pubblico.

L'ANTEPRIMA DEL NUOVO FILM DI HARRISON FORD INTRODUCE LA CAMPAGNA DI COMUNICAZIONE DI TELETHON



30 March 2010

Un film, *Misure Straordinarie*, con Harrison Ford e Brendan Fraser protagonisti che interpretano la storia vera di un padre di famiglia che tenta di tutto per trovare e sviluppare una cura per i figli affetti da una malattia rara come quella di Pompe (o Glicogenosi di tipo II), un tempo incurabile. La pellicola, distribuita da Sony Pictures, arriverà sul grande schermo a fine aprile in Italia, e la Fondazione Telethon insieme all'Associazione Italiana Glicogenosi (Aig) organizzano un'anteprima a Milano, Torino e Roma dal 12 al 14 aprile per sensibilizzare il pubblico italiano sull'importanza della ricerca scientifica sulle malattie rare, patologie trascurate dalla ricerca pubblica e privata.

Le proiezioni a Milano, Torino, e nella capitale sono a ingresso gratuito dietro prenotazione effettuabile sul sito www.misurestraordinarie.it, a partire da martedì 6 aprile. In occasione della serata sarà possibile fare una donazione a Telethon, che ha dato un importante contributo alla ricerca sulle malattie da accumulo lisosomiale, di cui anche la glicogenosi di tipo II fa parte. Ad oggi l'organizzazione presieduta da Luca Cordero di Montezemolo ha infatti finanziato 45 progetti di ricerca, per un totale di circa 10 milioni di euro.

Per quanto riguarda in particolare la malattia di Pompe, il gruppo dell'Istituto Telethon di Napoli guidato da Giancarlo Parenti ha dimostrato in laboratorio che affiancando la terapia enzimatica sostitutiva, già disponibile da alcuni anni grazie al farmaco prodotto dalla ditta Genzyme, con dei farmaci 'aiutanti' si può potenziarne ulteriormente l'efficacia. Alla luce di questi risultati, nel 2010 ha preso il via una sperimentazione sull'uomo coordinata da Generoso Andria dell'Università 'Federico II' di Napoli.

Ricerca: Harrison Ford 'scienziato' per Telethon contro malattie rare

La battaglia contro le malattie rare arriva sul grande schermo con il volto di Harrison Ford, protagonista del film 'Misure straordinarie' (titolo originale 'Extraordinary Measures') in cui l'attore americano interpreta il ruolo di uno scienziato in lotta contro la glicogenosi di tipo II o malattia di Pompe. Una patologia ai tempi della storia completamente orfana di cure, che nel nostro Paese conta circa 1.000-1.500 pazienti. In collaborazione con Sony Pictures Releasing Italia, che distribuisce il film nella Penisola, la Fondazione Telethon e l'Associazione italiana glicogenosi (Aig) promuovono una programmazione in anteprima a Torino, Milano e Roma, per sensibilizzare il grande pubblico sull'importanza della ricerca scientifica sulle malattie rare. Contro le patologie da accumulo lisosomiale, di cui la Pompe fa parte, Telethon ha infatti finanziato a oggi 45 progetti, per un totale di circa 10 milioni di euro. Dopo la prima proiezione italiana, ieri a Torino, l'appuntamento meneghino è per questa sera (Cinema Anteo ore 20.45), mentre domani il film si presenterà alla Capitale. 'Misure straordinarie' è ispirato a una storia vera raccontata nel libro 'The Cure', firmato della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand. Il film parla di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser sullo schermo), determinato a trovare un farmaco per salvare i due figli più piccoli Megan e Patrick, colpiti dalla malattia Pompe. Con la moglie Aileen, Crowley scova un brillante, ma sottovalutato ricercatore anticonformista, Robert Stonehill (Harrison Ford). Insieme fondano un'azienda biotecnologica per sviluppare una terapia salvavita, in una drammatica guerra contro il tempo e contro il sistema sanitario statunitense. Poca conoscenza, poca ricerca e numeri troppo piccoli per 'calamitare' in modo sistematico gli interessi commerciali di Big Pharma. Anche contro queste difficoltà, oltre che contro la sofferenza di patologie ancora orfane di una cura risolutiva, devono combattere ogni giorno i pazienti con malattie rare e gli scienziati impegnati al loro fianco, spiega all'ADNKRONOS SALUTE Giancarlo Parenti, fra i ricercatori dell'Istituto Telethon di genetica e medicina (Tigem) di Napoli e professore associato presso il Dipartimento di pediatria dell'università Federico II del capoluogo campano. La malattia di Pompe, ricorda Parenti, "colpisce una persona su 40 mila (quindi un migliaio, 1.500 italiani, contando una popolazione complessiva di circa 60 milioni di abitanti) e può comparire sia nei bambini, in forme molto gravi e invalidanti, sia in età adulta. Dipende dalla mancanza di un enzima (l'alfa-glucosidasi acida) che ha il compito di degradare il glicogeno, la riserva energetica dell'organismo, particolarmente importante per il corretto funzionamento di cuore, fegato, sistema respiratorio e muscoli scheletrici. I sintomi della patologia sono dunque paragonabili a quelli di una distrofia muscolare". I pazienti finiscono spesso sulla sedia a rotelle, alcuni non riescono più a respirare in autonomia. "Oggi - continua il ricercatore - per questi malati esiste già una terapia enzimatica sostitutiva", sviluppata dall'azienda

biotecnologica americana Genzyme e "somministrata attraverso infusioni ogni due settimane". Un trattamento che ha cambiato in positivo la vita di molti pazienti, ma non di tutti. Da qui l'impegno di Telethon "per trovare nuove strategie di trattamento, alternative o complementari". In particolare, evidenzia Parenti, Telethon sta lavorando su speciali "molecole 'chaperon' che aiutano ad aumentare l'attività residua dell'enzima mancante nei pazienti con malattia di Pompe. Nei malati questa attività è vicina allo zero, mentre con questi farmaci in pazienti con particolari mutazioni responsive può arrivare a 5-10". Non solo. "Abbiamo poi osservato che, se queste molecole chaperon vengono somministrate insieme alla terapia enzimatica sostitutiva - prosegue il ricercatore - si ottiene un effetto sinergico superiore a quello calcolabile sommando l'azione dei due trattamenti". Una strada promettente: "In laboratorio funziona benissimo - assicura lo scienziato - e se funzionasse anche in clinica, potrebbero beneficiarne tutti i pazienti e non soltanto quelli portatori di mutazioni responsive". Per verificarlo "Telethon ha già approvato uno studio multicentrico su scala nazionale". Sarà coordinato da Generoso Andria dell'università Federico II di Napoli e "coinvolgerà 10-15 bambini. Stiamo aspettando i fondi dedicati, ma intanto è già partita la somministrazione su un paio di piccoli pazienti". Infine, anche contro la malattia di Pompe si spera di riuscire a percorrere il filone della terapia genica, cioè la sostituzione del difetto genetico all'origine della sindrome. "Ci sono alcuni problemi da risolvere - osserva Parenti - ma gli studi sono in corso". Intanto, conclude, "confidiamo che anche grazie al film con Harrison Ford si possa promuovere la conoscenza di queste patologie", per avvicinare la società al mondo delle malattie rare e far sentire i pazienti sempre meno 'orfani'. I segnali dagli Usa sono confortanti: con l'uscita del film nelle sale nordamericane, il 22 gennaio scorso, 'malattia di Pompe' è stata una delle voci più cliccate su Internet e il sito www.pompe.com ha registrato 20 mila accessi in appena due giorni.

Anteprima targata Telethon per 'Misure straordinarie'

Publicato da Carlo Griseri alle 18:30 in Comunicati stampa



Dal circuito nordamericano, **il 23 aprile approderà nelle sale italiane *Misure straordinarie* (*Extraordinary Measures*)**, un film interpretato da Harrison Ford e Brendan Fraser, ispirato alla storia vera di una famiglia colpita da una gravissima patologia rara, allora incurabile.

Basato sul libro ***The Cure*** della scrittrice Premio Pulitzer Geeta Anand, **il film racconta di un padre di famiglia, John Crowley (Brendan Fraser), impegnato nello straordinario sforzo di trovare e sviluppare un farmaco per salvare Megan e Patrick**, i due figli più piccoli, ai quali viene diagnosticata la malattia di Pompe (o glicogenosi di tipo II).

Insieme alla moglie Aileen e con grande determinazione ***Crowley scova un brillante ma sottovalutato ricercatore anticonformista, Robert Stonehill*** (Harrison Ford). Insieme fondano un'azienda biotecnologica per sviluppare una terapia salvavita: il primo spinto dal desiderio di salvare i figli, l'altro dal bisogno di mettere alla prova se stesso e le proprie teorie, i due uomini sviluppano un rispetto reciproco nella lotta contro il tempo e contro il sistema sanitario statunitense, con l'obiettivo di trovare un farmaco in grado di salvare la vita a coloro che sono colpiti da questa malattia.

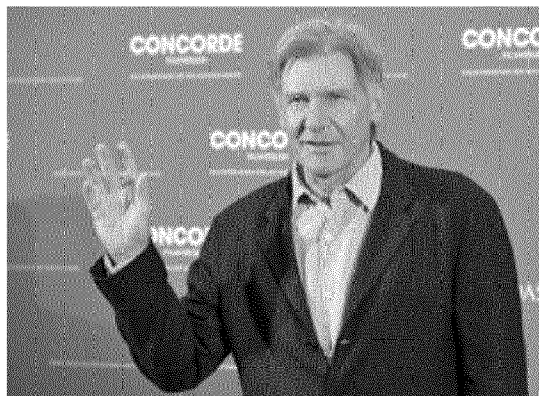
In collaborazione con la casa di produzione Sony Pictures, **la Fondazione Telethon e l'Associazione Italiana Glicogenosi (AIG) hanno promosso la programmazione in anteprima del film a Milano, Torino e Roma dal 12 al 14 aprile**, per sensibilizzare il pubblico sull'importanza della ricerca scientifica sulle malattie rare, come quella di Pompe ([info qui](#)).

La Fondazione Telethon ha dato un importante contributo alla ricerca sulle malattie da accumulo lisosomiale, di cui anche la glicogenosi di tipo II fa parte: ad oggi ha infatti finanziato ben 45 progetti di ricerca, per un totale di circa 10 milioni di euro.

Per quanto riguarda in particolare la malattia di Pompe, - patologia oggi trattata dalla biotech americana Genzyme con una terapia enzimatica sostitutiva che ha cambiato la storia naturale di questa malattia - **il gruppo dell'Istituto Telethon di Genetica e Medicina di Napoli guidato da Giancarlo Parenti ha dimostrato in laboratorio che**, affiancando a questa terapia salvavita dei farmaci "aiutanti", **si può potenziarne ulteriormente l'efficacia**.

Alla luce di questi risultati nel 2010 ha preso il via una sperimentazione sull'uomo coordinata da Generoso Andria dell'Università "Federico II" di Napoli. L'Associazione Italiana Glicogenosi ONLUS nasce nel 1996 per volontà di un gruppo di genitori con figli affetti da glicogenosi per promuovere la ricerca scientifica, sensibilizzare l'opinione pubblica e dare un aiuto pratico e psicologico alle famiglie.

In questi anni ha fornito un servizio di consulenza globale (psicologica, specialistica, fisioterapica e legale); organizzato convegni con la partecipazione delle famiglie e di numerosi ricercatori e studiosi; realizzato audiovisivi per la gestione della tecnica della nutrizione enterale pediatrica al domicilio dei pazienti; contattato alcuni istituti di ricerca italiani ed esteri per promuovere la ricerca di base e clinica; promosso iniziative per la raccolta di fondi da destinare alla ricerca scientifica, in particolare in ambito genetico; organizzato campagne d'informazione e sensibilizzazione attraverso i mass media; istituito borse di studio per promuovere una maggiore conoscenza della malattia.



Ultimi articoli

"Giovanni e Paolo e il Mistero dei Pupi", la mafia si combatte anche con i cartoni animati

Cameron: "Avatar 2 negli oceani alieni e poi su un nuovo pianeta"

"Matrimoni e altri disastri", un viaggio attraverso i pregiudizi borghesi



Campagna Telethon con film Harrison Ford

(ANSA) - ROMA, 30 MAR - Esce 'Misure Straordinarie', un film con Harrison Ford sulla storia vera di una famiglia con figli affetti da una malattia rara. Nella pellicola il padre tenta di tutto per trovare una cura per i figli affetti dalla malattia di Pompe (o Glicogenosi di tipo II), un tempo incurabile. Il film arriverà nelle sale a fine aprile in Italia. Telethon insieme all'Associazione Italiana Glicogenosi organizzano un'anteprima a Milano, Torino e Roma (12-14 aprile) per sensibilizzare il pubblico.

Persapepeme di più

Prossimamente

**HARRISON FORD
E IL POMPE DISEASE**

Fino a quattro anni fa non esisteva una specifica terapia. Oggi la malattia di Pompe, rara, neuromuscolare di origine genetica, è curata e comincia a essere conosciuta grazie anche a un film con Harrison Ford, *Extraordinary Measures*, tratto dal libro *The Cure* della scrittrice Premio Pulitzer



Geeta Anand. Nel film, uscito negli Usa lo scorso 22 gennaio, e in programmazione in Italia dal prossimo mese di aprile, Ford interpreta un biologo che dedica tutta la sua vita

per trovare una cura a questa rara patologia. Scena dopo scena viene descritto lo straordinario lavoro, durato più di 10 anni, che i ricercatori hanno portato avanti per sviluppare la terapia enzimatica sostitutiva, l'unica finora in grado di cambiare il destino dei malati. In Italia si stimano circa 400 pazienti (un centinaio dei quali già in trattamento), di cui almeno una cinquantina nel Sud e circa quindici in Sicilia. In estrema sintesi, questa malattia è causata dalla carenza o dalla totale mancanza di un enzima chiamato alfa-glucosidasi acida o maltasi acida, necessario per scomporre il glicogeno, una forma di zucchero accumulato nelle cellule muscolari. Quando nelle cellule muscolari si deposita una

quantità eccessiva di glicogeno, le cellule si danneggiano e i muscoli non sono più in grado di funzionare correttamente. Delle prospettive per la cura di questa malattia rara, chiamata anche Glicogenosi II, si è parlato a Messina nel "III Workshop Italiano per la gestione della Malattia di Pompe", organizzato dall'Università con il patrocinio di Aig (Associazione italiana glicogenosi) e Aim (Associazione Italiana di Miologia) e promossa dall'azienda biotecnologica Genzyme. Fortunatamente dal 2006 è possibile curare i pazienti con un enzima sostitutivo prodotto artificialmente

(tiziana lenzo)



E' in uscita un film sulla glicogenosi Malattia di Pompe superstar

MESSINA – A quasi ottant'anni dalla sua scoperta la malattia di Pompe finisce sul grande schermo. E' infatti prevista per il 25 aprile prossimo l'uscita di un film tratto da una storia vera in cui Harrison Ford ("Misure estreme") dismessi i panni di Indiana Jones indossa il camice di un ricercatore capace di scoprire una terapia efficace per due bambini colpiti da malattia di Pompe. L'attenzione verso questa patologia, incluso nel novero delle malattie rare, potrebbe pertanto aumentare nell'opinione pubblica come nelle istituzioni. Attenzione peraltro alta nella comunità scientifica che si è appena riunita a Messina in occasione del III Workshop nazionale per la gestione della malattia di Pompe. «Fino al 2006 i bambini con la malattia di Pompe erano destinati a morire entro l'anno di vita – afferma Antonio Toscano, professore ordinario di Neurologia all'università di Messina, presidente dell'Associazione italiana di miologia e chairman del congresso siciliano –, mentre adesso grazie alla nuova terapia di sostituzione enzimatica possiamo dire che la sopravvivenza si è allungata significativamente».

Un workshop a Messina traccia lo stato dell'arte su diagnosi e terapia della glicogenosi di tipo II

Malattia di Pompe superstar

La patologia al centro di un film in prossima uscita

Messina - DANILÒ RUGGERI

Quando nel 1932 il dottor Johannes C. Pompe, patologo di Amsterdam, studiando un bambino con ipertrofia cardiaca, descrisse una malattia che oggi porta il suo nome, non si sarebbe certo aspettato che quella scoperta sarebbe approdata sul grande schermo. Eppure il 25 aprile prossimo uscirà nelle sale cinematografiche "Misure straordinarie" (Extraordinary Measures), un film interpretato da Harrison Ford, che racconta la storia di una famiglia colpita dalla malattia di Pompe (vedi box). Un evento mediatico che potrebbe portare più attenzione da parte di istituzioni e politici su questa patologia, membro della grande famiglia delle malattie rare. Un'attenzione che, invece, è alta da parte della comunità scientifica, come testimonia il successo del III Workshop italiano per la gestione della malattia di Pompe, appena tenutosi al Policlinico Universitario "G. Martino" di Messina. Il motivo dell'interesse nasce anche dal fatto che da qualche anno è disponibile una terapia per questa tesauriformi e

più in dettaglio glicogenosi tipo II. «Fino al 2006 i bambini con la malattia di Pompe erano destinati a morire entro l'anno di vita – afferma Antonio Toscano, professore ordinario di Neurologia all'università di Messina, presidente dell'Associazione italiana di miologia e chairman del congresso siciliano prima ricordato –, mentre adesso alla luce dei dati di follow-up di studi americani e olandesi sull'utilizzo della nuova terapia di sostituzione enzimatica possiamo dire che sicuramente la sopravvivenza si è allungata almeno fino a 3 anni».

Le due forme

La malattia di Pompe è una malattia genetica autosomica recessiva dovuta al deficit dell'enzima lisosomiale alfa-glucosidasi, in precedenza più noto come maltasi acida. «La patologia è legata all'accumulo di glicogeno principalmente nel tessuto muscolare e cardiaco e presenta due differenti quadri fenotipici», spiega il professore,

«una forma infantile e una ad esordio tardivo nell'età adulta. La forma pediatrica si manifesta entro i primi mesi di vita e presenta un quadro clinico caratterizzato da insufficienza respiratoria, cardiomegalia e cardiopatia ipertrofica insieme a grave ipotonia muscolare. Se non diagnosticata e trattata precocemente causa la mortalità nei primissimi anni di vita. Nell'adulto si osserva una forma legata soprattutto all'ipostenia con gravi difficoltà deambulatorie che in un 20% dei casi esordisce con un disturbo respiratorio. In molti casi è il riscontro casuale di un'elevazione della creatinichinasi sierica (CK), indice di necrosi muscolare, a spingere verso un approfondimento diagnostico». Oltre al quadro clinico, peraltro aspecifico, la diagnosi si avvale di rilevati laboratoristici, in cui si eseguono valutazioni biochimiche su sangue, su coltura di fibroblasti o su biopsia muscolare, e strumentali con

elettromiografia, risonanza magnetica muscolare e studio morfologico del muscolo, spesso fortemente indicativo.

Mutazioni genetiche,

«Poiché sono state identificate oltre 250 mutazioni genetiche diverse nel gene che codifica per l'alfa-glucosidasi, lo studio molecolare ha un ruolo marginale nell'iter diagnostico», dice Toscano. Che a proposito di studi di genetica sottolinea una curiosità storica: «Circa 15 anni fa studiammo un gruppo di pazienti insieme al "Gemelli" di Roma e trovammo che la gran parte dei malati siciliani aveva una mutazione genica tipica della popolazione olandese, una dimostrazione dell'influsso avuto dalla "calata" dei Normanni».

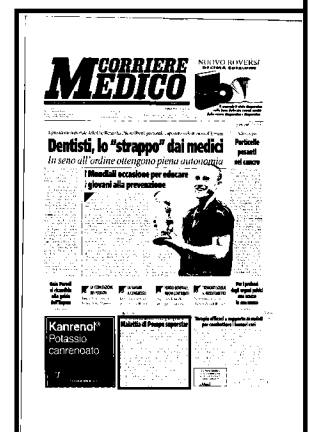
L'importanza della diagnosi precoce si deve alla necessità di avviare il prima possibile un trattamento. «La terapia si basa sulla somministrazione dell'enzima sostitutivo artificiale e può essere erogata dai centri di riferimento presenti sul territorio nazionale (co-

me quello diretto dal professor Toscano, che rappresenta il centro di riferimento più importante del Sud Italia, ndr) quando ci siano le condizioni cliniche accertate, visto che comunque si parla di un trattamento estremamente impegnativo economicamente, dell'ordine dei 300 mila euro

per anno per paziente adulto e oltre 150 mila euro per anno in caso di pazienti pediatrici". In Italia in questo momento su circa 400 casi stimati di malattia di Pompe, sono circa 100 i pazienti in terapia, di cui circa l'80-85% adulti. «La terapia nel bambino fino a tre anni ha dato risultati molto importanti in termini sia di sopravvivenza sia di qualità delle vi-

ta», riporta il ricercatore messinese. «Nell'adulto ci sono lavori parziali, ma già l'Emea ha inserito nella nuova scheda tecnica del farmaco alcuni risultati di questi studi che mostrano un miglioramento per quanto

riguarda la funzionalità motoria, respiratoria e cardiaca. Vorrei senz'altro sottolineare l'impegno dell'Associazione italiana dei pazienti con glicogenosi (Aig) nel sostegno dei malati e delle iniziative volte a una maggiore conoscenza di questa patologia, che in quanto malattia rara soffre di un'insufficiente attenzione da parte di molte regioni italiane».



PER FAR CAPIRE MEGLIO IL PROBLEMA ANCHE UN FILM

Glicogenosi: la cura ora c'è, le difficoltà restano. E si «schiera» Harrison Ford

Solo 300 i malati in Italia di questa patologia genetica in cui mancanza un enzima per scomporre il glicogeno

MILANO - Meno di 300 malati in tutta Italia, 50 al Sud, di questi 50 una quindicina vivono in Sicilia. Una percentuale alta, quella siciliana, visto che stiamo parlando della malattia di Pompe o glicogenosi II, patologia genetica rara in cui la mancanza di un enzima necessario per scomporre il glicogeno, (forma di zucchero accumulato nei muscoli) fa sì che il «surplus» danneggi i muscoli e, quando la malattia si presenta sin dall'infanzia, anche il cuore. Proprio la Sicilia, o meglio Messina, ha ospitato, nei giorni scorsi, in occasione della Giornata mondiale delle malattie rare, un incontro dedicato alla malattia di Pompe, organizzato da Antonio Toscano, presidente della Società italiana miologi, neurologi che si occupano in particolare di malattie neuromuscolari. Nell'incontro si è fatto il punto della situazione, soprattutto considerando che da due anni è disponibile un farmaco che sostituisce l'enzima mancante. «Siamo felici di poter dire che la terapia funziona, — spiega Toscano, responsabile dell'Unità operativa di neurologia e malattie neuromuscolari del Policlinico universitario di Messina — ma occorre che la diagnosi sia tempestiva. Per questo sollecitiamo tutte le regioni ad applicare lo screening neonatale sulla glicogenosi II: ora la cura c'è, anche se molto dispendiosa». La terapia costa infatti decine di migliaia di euro l'anno per paziente, costi dovuti al fatto che si tratta di un prodotto innovativo riservato a pochi pazienti. «Purtroppo — sottolinea Fabrizio Seidita, pediatra e presidente dell'Associazione italiana glicogenosi (Aig, Assago in provincia di Milano, via Roma 2/G, tel. 02.45703334) — i malati spesso si trovano a fare i conti con i budget delle Asl e non tutte sono sempre immediatamente disponibili a fornire il farmaco».

IL FILM - A sensibilizzare opinione pubblica e Istituzioni contribuirà ora anche il cinema, il film «Misure Straordinarie» (ad aprile nei cinema italiani) ispirato alla storia vera di John Crowley (impersonato da Brendan Fraser), un padre che, per cercare la cura per due dei suoi tre figli, affetti dalla malattia di Pompe, si allea con un brillante ricercatore impersonato da Harrison Ford. I due fondano un'azienda biotecnologica che poi svilupperà la cura salvavita oggi a disposizione di tutti. Il film racconta soltanto in parte i problemi sopportati dalle famiglie ma, come ha dichiarato lo stesso Ford, «non volevamo dare giudizi sui sistemi sanitari e sulle aziende farmaceutiche, ma mettere a fuoco l'impegno straordinario di chi si dedica alla ricerca».

Edoardo Stucchi

07 marzo 2010 (ultima modifica: 08 marzo 2010)

© RIPRODUZIONE RISERVATA

Glicogenosi In un film con Harrison Ford

La cura ora c'è, le difficoltà restano

Meno di 300 malati in tutta Italia, 50 al Sud, di questi 50 una quindicina vivono in Sicilia. Una percentuale alta, quella siciliana, visto che stiamo parlando della malattia di Pompe o glicogenosi II, patologia genetica rara in cui la mancanza di un enzima necessario per scomporre il glicogeno, (forma di zucchero accumulato nei muscoli) fa sì che il "surplus" danneggi i muscoli e, quando la malattia si presenta sin dall'infanzia, anche il cuore.

Proprio la Sicilia, o meglio Messina, ha ospitato, nei giorni scorsi, in occasione della Giornata mondiale delle malattie rare, un incontro dedicato alla malattia di Pompe, organizzato da Antonio Troiano, presidente della Società italiana miologi, neurologi che si occupano in particolare di malattie neuromuscolari. Nell'incontro si è fatto il punto della situazione, soprattutto considerando che da due anni è disponibile un farmaco che sostituisce l'enzima mancante. «Siamo felici di poter dire che la terapia funziona, — spiega Troiano, responsabile dell'Unità operativa di neurologia e malattie neuromuscolari del Policlinico universitario di Messina — ma occorre che la diagnosi sia tempestiva. Per questo sollecitiamo tutte le regioni ad applicare lo screening neonatale sulla glicogenosi II: ora la cura c'è, anche se molto dispendio-



Harrison Ford in «Misura Straordinarie»

sa». La terapia costa infatti decine di migliaia di euro l'anno per paziente, costi dovuti al fatto che si tratta di un prodotto innovativo riservato a pochi pazienti. «Purtroppo — sottolinea Fabrizio Seidita, pediatra e presidente dell'Associazione italiana glicogenosi (Aig, Assago in provincia di Milano, via Roma 2/G, tel. 02.45703334) — i malati spesso si trovano a fare i conti con i budget delle Asl e non tutte sono sempre immediatamente disponibili a fornire il farmaco». A sensibilizzare opinione pubblica e Istituzioni contribuirà ora anche il cinema, il film «Misura Straordinarie» (ad aprile nei cinema italiani) ispirato alla storia vera di John Crowley (impersonato da Brendan Fraser), un padre che, per cercare la cura per due dei suoi tre figli, affetti dalla malattia di Pompe, si allea con un brillante ricercatore imper-

sonato da Harrison Ford. I due fondano un'azienda biotecnologica che poi svilupperà la cura salvavita oggi a disposizione di tutti. Il film racconta soltanto in parte i problemi sopportati dalle famiglie ma, come ha dichiarato lo stesso Ford, «non volevamo dare giudizi sui sistemi sanitari e sulle aziende farmaceutiche, ma mettere a fuoco l'impegno straordinario di chi si dedica alla ricerca».

Edoardo Stucchi

© RIPRODUZIONE RISERVATA

Attualità

La voce non va messa alle corde
Il presidente della Camera non vorrà essere un mulo di parlere

La cura ora c'è, le difficoltà restano

NOTTI IN BIANCO?
Contro l'insonnia senza farmaci.

INTESTINO TURBATO?

A Messina un convegno con i massimi esperti italiani della Malattia di Pompe: una malattia rara "protagonista" del film "Misure straordinarie" con Harrison Ford



Messina - Quasi 300 malati in Italia, 50 nel sud Italia, una quindicina in tutta la Sicilia e adesso un film in uscita con Harrison Ford che interpreta un biologo che dedica tutta la sua vita per trovare una cura a questa rara patologia. Di Malattia di Pompe (o Glicogenosi II) il prossimo 26 e 27 febbraio si parlerà a Messina nel "III Workshop Italiano per la gestione della Malattia di Pompe". La giornata - organizzata dall'Università degli Studi di Messina con il patrocinio di AIG (Associazione Italiana Glicogenosi) e AIM (Associazione Italiana di Miologia) e promossa da Genzyme (Azienda biotecnologica impegnata nella ricerca, nel trattamento e nella diffusione di una più approfondita conoscenza delle malattie rare da accumulo lisosomiale) - fornirà a neurologi, pediatri, pneumologi, neuropsichiatri infantili, genetisti e altri specialisti, informazioni su aspetti clinici e terapeutici di questa malattia genetica multisistemica.

La glicogenosi II è una patologia molto rara che, fino al 2006, non aveva alcuna specifica terapia. Oggi, per i malati, è a disposizione una terapia enzimatica sostitutiva, il cui meccanismo di azione consiste nella sostituzione dell'enzima endogeno mancante (ERT) (alfa-glicosidasi o maltasi acida) che determina la degradazione del glicogeno. Il glicogeno non utilizzato tende ad accumularsi nei vari tessuti quali muscoli scheletrici, cuore, etc.

"L'Unità Operativa Complessa di Neurologia e Malattie Neuromuscolari del Policlinico Universitario di Messina costituisce un sicuro punto di riferimento e di eccellenza per tutto il sud Italia per la diagnosi e la terapia delle Malattie Neuromuscolari, tra le quali le Miopatie metaboliche come la Malattia di Pompe - spiega il Professor Antonio Toscano, coordinatore scientifico del workshop e Presidente dell'AIM. - A pochi giorni dalla celebrazione della

giornata mondiale delle Malattie Rare, desideriamo sottolineare l'importanza di una diagnosi in tempi reali che consenta un tempestivo accesso alla terapia. Vogliamo inoltre riconfermare la grande attenzione per i pazienti con Malattia di Pompe (solo nel nostro centro, negli ultimi 12 anni, 29 pazienti con diagnosi di Malattia di Pompe, dei quali almeno 8 già in trattamento con ERT), in perfetta sinergia con l'AIG che, fortunatamente, svolge un ruolo di assoluto rilievo nel fornire ai pazienti ed ai loro familiari un quotidiano supporto nell'orientamento sanitario, logistico e psicologico".

"L'articolo 32 della nostra Costituzione dovrebbe tutelare la salute di tutti i cittadini, ma questo purtroppo non per tutti è vero - spiega il Dr. Fabrizio Seidita, medico pediatra e Presidente dell'AIG - Spesso i malati rari sono accomunati dal triste destino di dover fare i conti con i budget delle ASL che non sempre riescono a sostenere il peso fiscale di trattamenti notevolmente innovativi, indispensabili al malato, ma anche onerosi. Anche in questo ambito, si inserisce l'attività della nostra Associazione che si muove cercando di sensibilizzare i centri di riferimento regionali sull'indispensabilità della cura.

Indispensabilità che non può in alcun modo sottostare a logiche economiche, pena un notevole regresso dello stato di salute del paziente.

Per noi i momenti di sensibilizzazione e di cultura su queste Malattie come in occasione del convegno di Messina sono fondamentali - prosegue il Dr Seidita - L'arrivo poi in Italia di un film, con protagonista Harrison Ford, che specificamente si occupa di questa patologia, calandosi nella nuova e complessa avventura delle malattie rare, ci fa ben sperare in un superamento delle barriere entro le quali queste patologie sono state fino ad oggi confinate e nella possibilità di riuscire finalmente a toccare la sensibilità del grande pubblico su questo tema."

COS'E' LA MALATTIA DI POMPE O GLICOGENOSI DI TIPO II

È una malattia genetica del metabolismo dovuta al deficit dell'enzima lisosomiale alfa-glicosidasi. La malattia presenta due differenti quadri fenotipici:

la forma infantile che si manifesta entro i primi mesi di vita e presenta un quadro clinico caratterizzato da grave ipotonia, cardiomegalia e cardiopatia ipertrofica con insufficienza respiratoria. Se non diagnosticata e trattata precocemente causa la mortalità nei primissimi anni di vita.

la forma ad esordio tardivo colpisce invece prevalentemente i muscoli e risparmia generalmente il cuore. I sintomi di esordio compaiono in adolescenza o in età adulta: i pazienti perdono la capacità di deambulare autonomamente, mentre dal punto di vista respiratorio si realizza un deterioramento progressivo della capacità ventilatoria che, se cronica, necessita il ricorso a una ventilazione assistita o alla trachetomia.

Malattia di Pompe: “protagonista” del film “Misure straordinarie” con Harrison Ford

Quasi 300 malati in Italia, 50 nel sud Italia, una quindicina in tutta la Sicilia e adesso un film in uscita con **Harrison Ford** che interpreta un biologo che dedica tutta la sua vita per trovare una cura a questa rara patologia. Di Malattia di Pompe (o Glicogenosi II) il prossimo **26 e 27 febbraio** si parlerà a Messina nel “III Workshop Italiano per la gestione della Malattia di Pompe”.

La giornata - organizzata dall'Università degli Studi di Messina con il patrocinio di AIG (Associazione Italiana Glicogenosi) e AIM (Associazione Italiana di Miologia) e promossa da Genzyme (Azienda biotecnologica impegnata nella ricerca, nel trattamento e nella diffusione di una più approfondita conoscenza delle malattie rare da accumulo lisosomiale) – fornirà a neurologi, pediatri, pneumologi, neuropsichiatri infantili, genetisti e altri specialisti, informazioni su aspetti clinici e terapeutici di questa malattia genetica multisistemica.

La glicogenosi II è una patologia molto rara che, fino al 2006, non aveva alcuna specifica terapia. Oggi, per i malati, è a disposizione una terapia enzimatica sostitutiva, il cui meccanismo di azione consiste nella sostituzione dell'enzima endogeno mancante (ERT) (alfa-glucosidasi o maltasi acida) che determina la degradazione del glicogeno. Il glicogeno non utilizzato tende ad accumularsi nei vari tessuti quali muscoli scheletrici, cuore, etc.

*“L'Unità Operativa Complessa di Neurologia e Malattie Neuromuscolari del Policlinico Universitario di Messina costituisce un sicuro punto di riferimento e di eccellenza per tutto il sud Italia per la diagnosi e la terapia delle Malattie Neuromuscolari, tra le quali le Miopatie metaboliche come la Malattia di Pompe - spiega il **Professor Antonio Toscano**, coordinatore scientifico del workshop e Presidente dell'AIM. - A pochi giorni dalla celebrazione della giornata mondiale delle Malattie Rare, desideriamo sottolineare l'importanza di una diagnosi in tempi reali che consenta un tempestivo accesso alla terapia. Vogliamo inoltre riconfermare la grande attenzione per i pazienti con Malattia di Pompe (solo nel nostro centro, negli ultimi 12 anni, 29 pazienti con diagnosi di Malattia di Pompe, dei quali almeno 8 già in trattamento con ERT), in perfetta sinergia con l'AIG che, fortunatamente, svolge un ruolo di assoluto rilievo nel fornire ai pazienti ed ai loro familiari un quotidiano supporto nell'orientamento sanitario, logistico e psicologico ”.*

*“L'articolo 32 della nostra Costituzione dovrebbe tutelare la salute di tutti i cittadini, ma questo purtroppo non per tutti e' vero – spiega il **Dr. Fabrizio Seidita**, medico pediatra e Presidente dell'AIG - Spesso i malati rari sono accomunati dal triste destino di dover fare i conti con i budget delle ASL che non sempre riescono a sostenere il peso fiscale di trattamenti notevolmente innovativi, indispensabili al malato, ma anche onerosi. Anche in questo ambito, si inserisce l'attività della nostra Associazione che si muove cercando di sensibilizzare i centri di riferimento regionali sull'indispensabilità della cura. Indispensabilità che non può in alcun modo sottostare a logiche economiche, pena un notevole regresso dello stato di salute del paziente.*

*Per noi i momenti di sensibilizzazione e di cultura su queste Malattie come in occasione del convegno di Messina sono fondamentali – prosegue il **Dr Seidita** - L'arrivo poi in Italia di un film, con protagonista Harrison Ford, che specificamente si occupa di questa patologia, calandosi nella nuova e complessa avventura delle malattie rare, ci fa ben sperare in un superamento delle barriere entro le quali queste patologie sono state fino ad oggi confinate e nella possibilità di riuscire finalmente a toccare la sensibilità del grande pubblico su questo tema.”*

Cos'è la malattia di pompe o glicogenosi di tipo II

È una malattia genetica del metabolismo dovuta al deficit dell'enzima lisosomiale alfa-glucosidasi. La malattia presenta due differenti quadri fenotipici: la forma infantile che si manifesta entro i primi mesi di vita e presenta un quadro clinico caratterizzato da grave ipotonia, cardiomegalia e cardiopatia ipertrofica con insufficienza respiratoria. Se non diagnosticata e trattata precocemente causa la mortalità nei primissimi anni di vita.

la forma ad esordio tardivo colpisce invece prevalentemente i muscoli e risparmia generalmente il cuore. I sintomi di esordio compaiono in adolescenza o in età adulta: i pazienti perdono la capacità di deambulare autonomamente, mentre dal punto di vista respiratorio si realizza un deterioramento progressivo della capacità ventilatoria che, se cronica, necessita il ricorso a una ventilazione assistita o alla trachetomia.

Malattia di Pompe: le cure possibili illustrate ad un congresso a Messina

Pubblicato da Giuliano In Malattie, Ricerca Medica
Giovedì, 25 Febbraio 2010



Una malattia rara la **Malattia di Pompe**, si pensi ai soli 300 pazienti in tutta Italia di cui il 20% nel sud della penisola ed una quindicina in Sicilia che tuttavia è finita sotto i riflettori persino del cinema con l'interpretazione da parte dell'attore **Harrison Ford** nei panni di un **biologo** che cerca di fare piena luce sulla patologia pure nota come Glicogenosi II. Ma anche il mondo scientifico si è attivato nello studio di questa patologia, lo dimostra la giornata che si terrà a Messina il prossimo 26 e 27 febbraio.

Screening neonatale

Indagini e diagnosi precoci di patologie genetiche e metaboliche
www.biotechsol.com

Problemi erettivi risolti

Così sono riuscito ad aumentare la potenza sessuale in modo naturale
aumentare-la-potenza-sessuale.com

Annunci Google

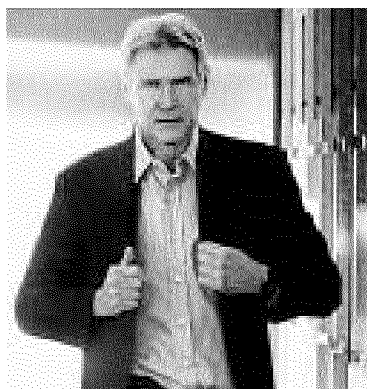
Ad organizzare l'incontro al fine di far luce sulla Malattia di Pompe, l'Università degli Studi di Messina con il patrocinio di AIG (Associazione Italiana Glicogenosi) e AIM (Associazione Italiana di Miologia) e promossa da Genzyme (Azienda biotecnologica impegnata nella ricerca, nel trattamento e nella diffusione di una più approfondita conoscenza delle malattie rare da accumulo lisosomiale) che forniranno a neurologi, pediatri, pneumologi, neuropsichiatri infantili, genetisti e altri specialisti, informazioni su aspetti clinici e terapeutici di questa malattia genetica multisistemica.

Dunque, come accennato, parliamo di una malattia molto rara rimasta senza alcuna terapia fino a quattro anni or sono ma che negli ultimi tempi si avvale sempre di più dell'apporto terapeutico che un enzima è in grado di determinare nella cura della patologia, difatti è possibile sostituire l'enzima mancante, causa del problema, l'ERT, ovvero, l'alfa-glicosidasi o maltasi acida che determina la degradazione del **glicogeno**. Il glicogeno non utilizzato tende ad accumularsi nei vari tessuti quali **muscoli scheletrici, cuore, etc**

"L'Unità Operativa Complessa di Neurologia e Malattie Neuromuscolari del Policlinico Universitario di Messina costituisce un sicuro punto di riferimento e di eccellenza per tutto il sud Italia per la diagnosi e la terapia delle Malattie Neuromuscolari, tra le quali le Miopatie metaboliche come la Malattia di Pompe - spiega il Professor Antonio Toscano, coordinatore scientifico del workshop e Presidente dell'AIM. - A pochi giorni dalla celebrazione della giornata mondiale delle Malattie Rare, desideriamo sottolineare l'importanza di una diagnosi in tempi reali che consenta un tempestivo accesso alla terapia. Vogliamo inoltre riconfermare la grande attenzione per i pazienti con Malattia di Pompe (solo nel nostro centro, negli ultimi 12 anni, 29 pazienti con diagnosi di Malattia di Pompe, dei quali almeno 8 già in trattamento con ERT), in perfetta sinergia con l'AIG che, fortunatamente, svolge un ruolo di assoluto rilievo nel fornire ai pazienti ed ai loro familiari un quotidiano supporto.

La **Malattia di Pompe o glicogenosi di tipo II** può presentarsi in due forme, infantile e tardiva, nel primo caso assistiamo alla nascita di bambini che presentano serie **malformazioni cardiache**, insufficienza respiratoria fino alla morte precocissima. Nel caso invece della forma ad esordio tardivo la malattia

genetica affligge i muscoli striati e non quello cardiaco, fatto che di norma avviene nell'adolescenza o da adulti, col risultato che i pazienti non riescono più a camminare regolarmente dovendosi fare assistere da carrozzelle e rimanendo del tutto invalidi, mentre dal punto di vista respiratorio si realizza un deterioramento progressivo della capacità ventilatoria che, se cronica, necessita il ricorso a una ventilazione assistita o alla trachetomia.



Gli spettacoli

Harrison Ford “Io, scienziato in guerra con Big Pharma”

SILVIA BIZIO

Harrison Ford

“Io, uno scienziato contro Big Pharma”

L'attore veste per la prima volta i panni di un ricercatore “Le lobby farmaceutiche e la ‘moral majority’ ostacolano il progresso”

SILVIA BIZIO

LOS ANGELES
Indiana Jones e quel suo alter-ego della serie *La Mummia*, ovvero Harrison Ford e Brendan Fraser, combattono insieme in un nuovo film, *Misure straordinarie*. Ma niente fruste, pistole e sortilegi

stavolta: l'unica arma è il puro spirito di ricerca e il rifiuto di arrendersi nel disperato tentativo di scoprire la cura contro un male crudele e misterioso che ha colpito i due figlioletti del personaggio di Fraser. Diretto dallo scozzese Tom Vaughan e ispirato a una storia vera, il dramma medico *Misure straordinarie* (nelle sale americane in questi giorni, uscirà ad aprile in Italia) mette in scena un Harrison Ford nel ruolo per lui inusuale di un insigne scienziato ricercatore genetista, un genio burbero e solitario che tuttavia accoglie la sfida del padre dei fratellini colpiti dalla rarissima e micidiale sindrome di Pompe (paralisi, blocco respiratorio e morte in pochi anni), per cui non esiste terapia alcuna. Lo scienziato accetta di aiutare il padre, un businessman di successo, purché questi riesca a raccogliere i 500 mila dollari necessari per finanziare la ricerca e mettere a segno una scoperta sensazionale che scar-

dinerrebbe varie teorie dell'ortodossia medica e varie politiche di stanziamento federale per la ricerca scientifica in genere.

Harrison Ford, 67 anni, ha interpretato per il cinema personaggi di tutti i tipi, da cowboy spaziali (Han Solo in *Guerre Stellari*) ad archeologi temerari (Indiana Jones), da presidenti (*Air*

**“Misure estreme”
lo vede recitare al
fianco di Brendan
Fraser suo alter ego
in “La mummia”**

Force One) a poliziotti, da mariti in crisi, detective, avvocati, ma mai uno scienziato, mezzo “pazzo” per di più. Ne abbiamo parlato con l'attore a Los Angeles, dove vive con la compagna Calista Flockhart e dove ha da poco finito di girare la commedia *Morning Glory*, in cui recita

un burbero giornalista televisivo vicino alla pensione e alle prese con mediocri indici d'ascolto. Voleva ridere un po', il celebre attore, dopo la sfiaccante intensità di *Misure straordinarie*, che ha anche prodotto. «Un film», precisa, «che vuole anche essere una costruttiva e stimolante critica al sistema della ricerca scientifica nel nostro e altri paesi, laddove le lobby farmaceutiche, i conflitti tra le accademie e le sparate reazionarie della "moral majority" non fanno che ostacolare il progresso. Come la ridicola controversia sulle cellule staminali e altre ricerche in campo genetico fondamentali per sconfiggere mali come quello dei bambini nel film».

Harrison, il dr. Stonehill è un personaggio decisamente diverso da quelli a cui ci ha abituati. Ci teneva a cambiare?

«Cerco sempre di cambiare. Certo, questo era un ruolo del tutto nuovo per me. E alla mia età è ancora bello esplorare altre dimensioni dell'essere umano e

scoprire di poter ritrarre perfino un cervellone della scienza, io che mi considero uno molto semplice e pratico. Era proprio la scienza e i suoi metodi che mi hanno attratto in questo film:

entrare nella mente di uno scienziato, vedere come ragiona, come agisce. Non è facile drammatizzare la scienza in un film che cerca anche di intrattenere il pubblico. Mi è piaciuto recitare un grande accademico, autorevole ma privo delle risorse finanziarie necessarie per le sue complesse ricerche, perché questa è la realtà della ricerca accademica in America. Trovare fondi è sempre una rognna, che oltretutto fa perdere tempo prezioso ai ricercatori stessi».

Che rapporto ha con la medicina?

«Stonehill è uno scienziato, un topo da laboratorio che non ha mai visitato un paziente! A lui i malati non interessano, lui pensa solo al mondo sotto al microscopio. Mi chiedeva dei medici: beh, ne ho incontrati di tutti i tipi. Dai ciarlatani ai più vir-

tuosi e davvero devoti alla scienza. Io ho avuto sempre buone esperienze coi medici... soprattutto con gli ortopedici e i pediatri, con tutti i figli che ho avuto!».

Comesiente adesso? Che bilancio fa della sua vita?

«Mi sento fortunato. Non avrei mai sognato una carriera così ricca di soddisfazioni. Mi diverto ancora a lavorare sui set dei film, mi piace la sfida che mi lanciano certi registi o autori, spero di continuare a lavorare fino a che mi reggono le gambe. Con Steven Spielberg stiamo pensando a un quinto Indiana Jones. E lo faremo appena George Lucas riuscirà a mettere insieme un copione decente, ci sta già lavorando».

Lei lavorò vent'anni fa con Roman Polanski per il thriller *Frantic*. Cosa pensa della sua vicenda?

«Voglio molto bene a Polanski, è un amico, ho grande stima per lui. Ma non posso aggiungere altro. Lo appoggerò sempre».

© RIPRODUZIONE RISERVATA

I farmaci biotech sbarcano a Hollywood

01 febbraio 2010



Una laurea in legge, il master ad Harvard appena conseguito, un bel lavoro. Una moglie e dei bellissimoi bambini. Sembra il ritratto del sogno americano. Invece il dramma sta per iniziare perché alla bambina, Megan, di 15 mesi, viene diagnosticata la **malattia di Pompe**.

E' l'inizio della storia, un pò romanzata ma sostanzialmente vera, della messa a punto del farmaco **alglucosidasi alfa**, la terapia enzimatica sostitutiva indicata per il trattamento di questa malattia, raccontata nel film "**Extraordinary Measures**" appena uscito nelle sale americane e che arriverà in Italia il prossimo 15 aprile.

Il film si basa sulla vicenda, vera, di **John Crowley**, un padre che cerca di mettere a punto una cura per la malattia di Pompe che affligge due dei tre figli.

La malattia di Pompe è una rara malattia genetica che nel mondo colpisce circa 10mila persone. Nel nostro paese, in mancanza di un registro unico, si stima che i malati siano tra i 150 e i 200. E' causata dal deficit dell'enzima alfa-glucosidasi che degrada il glicogeno trasformandolo in glucosio. Se manca questo enzima, il glicogeno si accumula nei vari tessuti, in particolare nel cuore e nei tessuti muscolari (anche nel diaframma). L'accumulo progressivo di glicogeno è causa di svariati segni e sintomi, tra cui ingrossamento del cuore, difficoltà respiratorie e indebolimento muscolare.

Alla comunicazione della terribile diagnosi per la figlia Megan, che rischia di spezzarle la vita in poco tempo, mentre la moglie in un primo momento si abbatte, il marito passa tutta la notte a cercare su internet le informazioni riguardo la malattia. Qualche tempo dopo si scopre che anche il figlio nato successivamente, Patrick, è affetto dalla stessa malattia. Un terzo figlio, John Jr., è invece sano.

Cercando un trattamento, Crowley, che adesso ha 36 anni, lascia il lavoro di manager finanziario in Bristol-Myers Squibb, incontra decine di scienziati e alla fine unisce i propri sforzi con uno di essi, William Canfield (che nel film si chiama Robert Stonehill ed è interpretato da **Harrison Ford**).

Canfield è un ricercatore dell'Oklahoma fondatore di una piccola società biotech chiamata Novazyme Pharmaceuticals nella quale anche Crowley inizia a lavorare (nel film la società è invece fondata dallo stesso Crowley).

Il dottor Canfield lavora al progetto con grande energia, anche perché provare le sue teorie significherebbe riscattarsi nei confronti della comunità scientifica che lo ha sempre visto come una pecora nera.

Per finanziare le ricerche sul farmaco, Crowley vende anche la propria casa per 100mila dollari e raccoglie il capitale di rischio necessario. Alla fine i due riescono a sviluppare un enzima con un potenziale curativo per la malattia di Pompe.

Rendendosi però conto che per completare il progetto, e quindi rendere disponibile il farmaco anche per i propri figli, è necessaria un'azienda più strutturata e molte più risorse economiche, all'insaputa di Canfield, nel 2001 Crowley vende la propria impresa a un'azienda farmaceutica (nella realtà si tratta di Genzyme), ricavandone 137,5 milioni di dollari.

Proseguono sia le ricerche già intraprese da Crowley e Canfield, che quelle intraprese dagli scienziati dell'azienda farmaceutica e vengono messi a punto complessivamente quattro enzimi. Nel 2002, nel corso di un'analisi denominata "The Mother of All Experiments", l'azienda decide di puntare le ricerche su uno dei tre enzimi messi a punto autonomamente, perché giudicato il più promettente. Lo sviluppo clinico viene poi effettuato in collaborazione con gli scienziati della Duke University e dell'Erasmus Medical Center.

Nel film, il dramma nel dramma inizia quando l'azienda decide che i pazienti sui quali inizialmente testare il farmaco sperimentale saranno quelli di più giovane età, in cui le possibilità di successo del farmaco sono maggiori. Vengono quindi esclusi i bambini di Crowley, già grandicelli. L'uomo, alle prese con un terribile conflitto di interesse, si ribella e cerca di rubare il farmaco. Preferiamo non raccontarvi il finale del film, alquanto commovente, per lasciarvi il piacere di gustarlo da soli.

Nella realtà, nel 2006 Genzyme mette in commercio il farmaco **alglucosidasi alfa**, una copia dell'enzima umano prodotto con la tecnologia del DNA ricombinante. Il farmaco, che prende il nome di Myozyme, favorisce la degradazione del glicogeno impedendone l'accumulo nelle cellule.

Il farmaco diventa così disponibile per la cura della malattia di Pompe, anche per Megan e Patrick (non quelli della finzione cinematografica ma quelli veri), che sono ancora vivi e ricevono la terapia enzimatica sostitutiva.

Crowley, quello vero, nel frattempo ha lasciato Genzyme ed è diventato amministratore delegato di Amicus Therapeutics, società biotech che sta sviluppando sostanze cosiddette "chaperones" che hanno la funzione di incrementare la residua attività enzimatica nel corso di malattie come Fabry, Gaucher e Pompe. Tale approccio terapeutico è attualmente ancora in fase sperimentale.

Su questa storia, che ha dell'incredibile, è stato scritto "**The Cure**", un libro pubblicato nel 2006 e vincitore del premio Pulitzer. Adesso esce anche il film, un po' melodrammatico, ma che può aiutarci a riflettere su questa malattia e in generale sulle

malattie rare, sulla ricerca farmacologica e sulle logiche industriali.

Le chiavi di lettura del film possono essere tante. Un dato di fatto è che oggi per questa malattia c'è una terapia e che i malati di Pompe hanno una migliore prospettiva di vita.

La "**comunità Pompe**", formata dai malati e dai loro famigliari, ha reagito al film in modo complessivamente positivo ritenendolo uno stimolo a conoscere meglio la malattia e a dare visibilità ai malati e alle loro storie di sofferenza ma anche di grande coraggio. Non è stata invece apprezzata la dimenticanza degli sforzi di tanti altri ricercatori e di tanti altri bambini che negli anni scorsi hanno avuto un ruolo importante nella messa a punto della cura. C'erano infatti diverse equipe di ricerca che studiavano la malattia di Pompe ed incentrare l'attenzione solo sulla storia della famiglia Crowley sembra sminuire il ruolo

fondamentale svolto dai ricercatori, dalla comunità scientifica e dalle tante famiglie che, con il loro gioco di quadra, si sono così profondamente impegnate nella ricerca di una cura.

Non bisogna però dimenticare che si tratta pur sempre di un film e che le storie, quelle che piacciono alla gente, hanno bisogno di eroi.

Come è cambiata la situazione per questi malati dopo l'uscita del farmaco?

E' ancora presto per trarre delle conclusioni definitive, visto che è in commercio da circa 3 anni e che i primi pazienti che lo hanno utilizzato nei trials clinici hanno una storia di cura di circa 10 anni. Si può però rimarcare una netta discontinuità tra il prima e il dopo la disponibilità del farmaco.

In precedenza i bambini malati della forma infantile, la più severa e a velocissima evoluzione, avevano un'aspettativa di vita di pochi anni con una qualità di vita molto negativa (immobilizzati su una sedia a rotelle e ventilati artificialmente). I bambini che hanno ricevuto il trattamento per primi, e quindi adesso hanno 10-12 anni di vita, non solo sono sopravvissuti ma non hanno segni visibili di malattia che è stata bloccata dalla somministrazione dell'enzima. Fino ad ora, il farmaco ha cambiato la storia naturale della malattia di questi bambini. Bisognerà vedere quale sarà l'evoluzione nei prossimi anni, c'è molta speranza e fiducia.

Il fattore chiave per garantire ai bambini malati di Pompe le migliori chance di una vita soddisfacente è la diagnosi precoce attraverso uno **screening neonatale**. I casi più gravi, immediatamente riconoscibili clinicamente, sono da trattare subito con il farmaco. A parte questi casi, per fortuna limitati al 10% del totale, non tutti i bambini con deficit enzimatico sono però destinati a sviluppare la malattia. In questi casi bisogna procedere a un monitoraggio molto frequente per riconoscere dai segni biologici l'inizio della malattia conclamata per poi trattarla subito.

Per concludere, il film non solo è la descrizione di un'avventura ma è anche un invito alla speranza, un messaggio di ottimismo per comunicare a quanti si sentano impotenti dinanzi alla malattia che non bisogna mai arrendersi.

IL TEMA DELLE MALATTIE RARE IN UN NUOVO FILM CON HARRISON FORD

18 January 2010

Nuovo ruolo da eroe per Harrison Ford. La star hollywoodiana fa coppia con Brendan Fraser nel nuovo film del regista inglese Tom Vaugh dedicato al tema delle malattie rare. Smessi frusta e cappello, Indiana Jones, che a luglio compirà 68 anni, indosserà il camice dello scienziato solitario in "Misure straordinarie". Il film, che esce il 22 gennaio nelle sale Usa e ad aprile da noi, è ispirato alla storia vera di John e Aileen Crowley, ai cui bimbi viene diagnosticata una rara malattia degenerativa. La coppia cerca disperatamente una cura. Ma per i medici non ne esiste una. L'incontro con il dottor Robert Stonehill (Harrison Ford), brillante ricercatore dal carattere un po' spigoloso, cambierà le cose. Crowley e Stonehill sfideranno le industrie farmaceutiche, disinteressate alla produzione di "farmaci orfani": insieme riusciranno a trovare la cura e a introdurre sul mercato il farmaco creato.

"Non volevamo dare giudizi sul sistema sanitario o sulle industrie farmaceutiche - ha dichiarato Ford in un'intervista - il film parla di una storia privata. Mi piacerebbe che gli spettatori si ponessero delle domande dopo averlo visto. Come io mi sono informato come non facevo da tempo per un personaggio da interpretare, così vorrei che il pubblico approfondisse le sue conoscenze su malattie rare e farmaci orfani".

Cinema. L'attore veste i panni di uno scienziato che si occupa di malattie rare I farmaci orfani di Harrison Ford

La sfida di due medici

Una pellicola per riflettere

Harrison Ford veste i panni di un differente tipo di eroe, rispetto ai ruoli in cui siamo abituati a vederlo, in *Extraordinary Measures* in uscita ad aprile. Non più frusta e cappello come in *Indiana Jones* o immerso nelle ambientazioni futuristiche che l'hanno portato al successo di *Guerre Stellari* e *Blade Runner*. Ora interpreta uno scienziato la cui figura è ispirata ad una persona reale.

Nel film del regista inglese Tom Vaughn, Ford è il dottor Canfield, un rispettato biologo dell'università dell'Oklahoma. Canfield nel 2002 creò un farmaco per i malati del morbo di Pompe insieme a John Crowley, genitore di due bambini affetti dalla malattia, che causa l'assenza di un enzima essenziale per la funzione dei muscoli del corpo. Il medicinale

rientra nella categoria dei farmaci orfani, ovvero quelli che non vengono prodotti dalle industrie farmaceutiche a causa della domanda insufficiente dovuta alla rarità della malattia trattata. Sfidando l'indifferenza delle case farmaceutiche,

Crowley e Canfield riuscirono a introdurre sul mercato il farmaco. «Sono stato a contatto con scienziati per molto tempo prima dell'inizio delle riprese - racconta il 67enne Harrison Ford - ho voluto fare conoscenza con un mondo, quello delle malattie rare, di cui si sa molto poco».

Per gli Usa le malattie rare sono le patologie che affliggono meno di 200.000 persone. «Sono morbi di cui nemmeno si ha familiarità con il nome, ma se ci toccano da vicino, se magari colpiscono uno dei nostri familiari la prospettiva cambia». La famiglia Crowley ha due figli affetti dal morbo di Pompe: l'aspettativa di vita era di 9 anni fino al giorno della scoperta di Canfield, che ora ha reso possibile a questo tipo di malati una vita quasi normale.

John Crowley è interpretato sul grande schermo da Brendan Fraser. «Ho conosciuto Crowley e i suoi figli durante le riprese - racconta l'attore, sono persone fantastiche. I bambini sono costretti sulla sedia a rotelle, ma hanno una forza incredibile. L'unione fra due caratteri contrastanti come quello di Crowley e il dottor Canfield ha reso possibile ciò che era inimmaginabile».

Oggi giorno i due hanno una ditta che si occupa esclusivamente di produrre farmaci orfani, che non suscitano interesse nelle grandi industrie per gli scarsi introiti che portano, nonostante negli Stati Uniti una legge preveda deduzioni dalle tasse per chi compie studi sulle malattie rare. «Non volevamo dare giudizi sul sistema sanitario o sulle industrie farmaceutiche», prosegue Ford: «Il film parla di una storia privata. Mi piacerebbe che gli spettatori si ponessero delle domande dopo averlo visto. Vorrei che il pubblico approfondisse le sue conoscenze su malattie rare e farmaci orfani».

«Non volevamo dare giudizi sul sistema sanitario o sulle industrie farmaceutiche», prosegue Ford: «Il film parla di una storia privata. Mi piacerebbe che gli spettatori si ponessero delle domande dopo averlo visto. Vorrei che il pubblico approfondisse le sue conoscenze su malattie rare e farmaci orfani».



Harrison Ford sfida i colossi farmaceutici

Sarà un medico-eroe nel nuovo film "Extraordinary measures"

Harrison Ford presenta il nuovo film "Extraordinary measures"



Harrison Ford veste i panni di un differente tipo di eroe, rispetto ai ruoli in cui siamo abituati a vederlo, in *Extraordinary Measures* in uscita ad aprile. Non più frusta e cappello come in *Indiana Jones* o immerso nelle ambientazioni futuristiche che l'hanno portato al successo di *Guerre Stellari* e *Blade Runner*. Ora interpreta uno

Una storia vera interpretata anche da Brendan Fraser

scienziato la cui figura è ispirata ad una persona reale. Nel film, del regista Tom Vaughn,

Ford è il dottor Canfield, un rispettato biologo dell'università dell'Okhlahoma.

Canfield nel 2002 creò un farmaco per i malati del morbo di Pompe insieme a John Crowley, genitore di due bambini affetti dalla malattia, che causa l'assenza di un enzima essenziale per la funzione dei muscoli del corpo. Il medicinale rientra nella categoria dei farmaci orfani, ovvero quelli che non vengono prodotti dalle industrie farmaceutiche a causa della domanda insufficiente dovuta alla rarità della malattia trattata. Sfidando l'indifferenza delle case farmaceutiche Crowley, interpretato sul grande schermo da Brendan Fraser, e Canfield

riuscirono a introdurre sul mercato il farmaco creato. «Sono stato a contatto con scienziati per molto tempo prima dell'inizio delle riprese - racconta il 67enne Ford - ho voluto fare conoscenza con un mondo, quello delle malattie rare, di cui si sa molto poco». Per gli Usa le malattie rare sono le patologie che affliggono meno di 200.000 persone. «Sono morbi di cui nemmeno si ha familiarità con il nome, ma se ci toccano da vicino, se magari affliggono uno dei nostri familiari la prospettiva cambia». La famiglia Crowley ha due figli affetti dal morbo di Pompe: l'aspettativa di vita era di 9 anni fino al giorno della scoperta di Canfield, che ora ha reso possibile a questo tipo di malati una vita quasi normale. John Crowley è interpretato sul grande schermo da Brendan Fraser. «Ho conosciuto Crowley e i suoi figli durante le riprese - racconta l'attore visto nella saga della *Mummia* - sono persone fantastiche. I bambini sono costretti sulla sedia a rotelle, ma hanno una forza incredibile. L'unione fra due caratteri contrastanti come quello di Crowley e il dottor Canfield ha reso possibile ciò che era inimmaginabile».



FORD: IO BIOLOGO D'ASSALTO

In "Extraordinary Measures" è uno scienziato che lotta contro le case farmaceutiche

ANDREA INDIANO

LOS ANGELES. Siamo abituati a vederlo correre nella giungla impugnando la frusta o districarsi fra omicidi e inseguimenti nei thriller. Al limite si è concesso qualche tocco di romanticismo nelle commedie sentimentali, ma non si era mai visto un Harrison Ford paladino della giustizia. Nel suo nuovo film "Extraordinary Measures", l'attore 67enne interpreta un biologo che sfida i colossi farmaceutici per creare un farmaco orfano, ovvero uno di quei medicinali che non vengono prodotti a causa della domanda insufficiente dovuta alla rarità della malattia trattata.

La figura di Ford è basata sul medico William Canfield, tuttora professore di biologia all'università dell'Oklahoma. Proprio Canfield nel 2002 creò un farmaco orfano per i malati del morbo di Pompe insieme a John Crowley, genitore di due bambini affetti dalla malattia che provoca l'assenza di un enzima essenziale per la funzione dei muscoli del corpo. L'aspettativa di vita per i malati di morbo di Pompe era di nove anni fino

al giorno della scoperta di Canfield, che ora ha reso possibile una vita quasi normale ai piccoli malati.

Ford per una volta interpreta un personaggio ispirato a una persona reale. Ha conosciuto il dottor Canfield?

«Certo, sono stato a contatto con molti scienziati e sono stato a Oklahoma City a conoscere lui e la sua équipe. Mi sono informato anche sul caso dei farmaci orfani: è un argomento molto difficile che tocca un campo, quello delle malattie rare, altrettanto complesso. Per gli Usa le malattie rare sono le patologie che affliggono meno di duecentomila persone. Può sembrare un numero esiguo, ma quando entri in contatto con questi casi, all'interno della propria famiglia, la prospettiva cambia. I Crowley hanno due figli malati di Pompe. Sapevano che dopo i nove anni non li avrebbero potuti più vedere eppure hanno lottato e li hanno salvati. Dove c'è forza di volontà si può arrivare a risultati insperati».

Ha visto il film con la famiglia Crowley?

«Sì, temevo che non potesse pia-

cere, ma alla fine erano soddisfatti. I bambini sono venuti sul set più di una volta ed è stato bellissimo. Hanno conosciuto chi li interpreta ed erano molto felici. È incredibile quanta forza abbiano dimostrato di avere».

Qual è la cosa più grande che ha fatto per i suoi figli?

«Nulla di paragonabile a quello che ha fatto Crowley. Al massimo li ho portati all'ospedale per un osso rotto, ma nulla di più. Lui invece ha dimostrato una caparbietà incredibile. Ha perso il lavoro e rischiato la salute per salvare i suoi bambini. Ha lottato contro le case farmaceutiche e anche dopo il loro iniziale rifiuto non si è dato per vinto. Da persone così c'è solo da imparare».

Quindi il film non condanna l'indifferenza delle case farmaceutiche per queste malattie?

«Il film parla di un caso singolo, non vuole essere una critica a nessuno, ma spero che apra gli occhi a molta gente su questo genere di malattie. Le case farmaceutiche sono industrie e guardano al profitto. Uno dei temi del film è proprio l'oggettività aziendale che non si può mescolare con le emozioni

personali. Quindi spero che il film faccia nascere una discussione sul sistema farmaceutico e su quello sanitario. Certamente non è stato semplice trovare investitori, il tema trattato non era dei più facili. Siamo stati fortunati a trovare la Cbs».

Come mai ha voluto allontanarsi dai soliti ruoli per cui è famoso?

«Finalmente ho avuto la possibilità di cambiare, fare ricerche sul personaggio che avrei interpretato come non mi permettevo da tempo. Di so-

lito mi mandano sempre le stesse sceneggiature, ma questa ho capito subito che era speciale. E il mio prossimo film sarà una commedia con Diane Keaton, quindi solo dopo quarant'anni di carriera Hollywood comincia a darmi ruoli diversi».

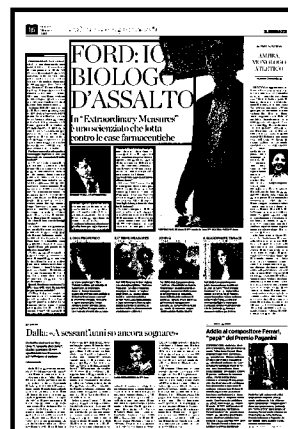
La rivedremo ancora nel ruolo di Indiana Jones?

«Non lo so. Dal terzo al quarto capitolo sono passati diciotto anni quindi credo che io e Spielberg ci penseremo ancora un pò. Però sono contento che

nell'ultima puntata siano stati creati nuovi personaggi e nuove storie che possono dare un futuro alla saga».

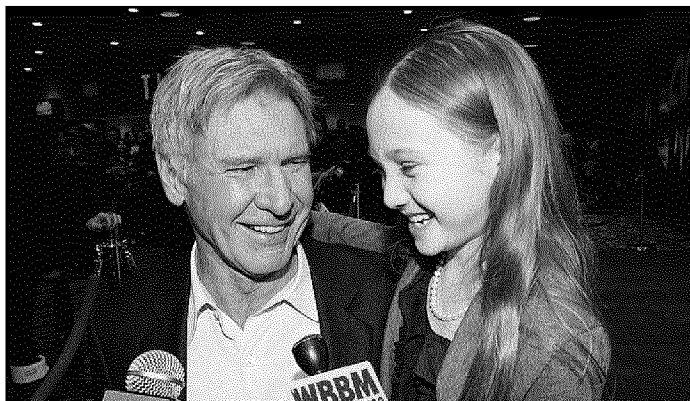
Suo figlio Liam, 8 anni, ha visto i film di Indiana?

«No, non è il suo genere. Preferisce fumetti e cartoni animati. Quando ho tempo libero sto con lui o mi dedico al volo, la mia passione. Proprio in questi giorni andrò a rinnovare il brevetto. Non vado molto al cinema, preferisco stare in famiglia e cercare nuove storie da raccontare».



Nel film "Extraordinary Measures"

Harrison Ford, eroe che sfida i colossi farmaceutici Usa



Harrison Ford e la piccola attrice Meredith Droeger

Nick Preston
LOS ANGELES

Harrison Ford veste i panni di un differente tipo di eroe, rispetto ai ruoli in cui siamo abituati a vederlo, in "Extraordinary Measures" che uscirà ad aprile. Non più frusta e cappello come in Indiana Jones o immerso nelle ambientazioni futuristiche che l'hanno portato al successo di "Guerre Stellari" e "Blade Runner".

Ora interpreta uno scienziato la cui figura è ispirata ad una persona reale. Nel film, del regista inglese Tom Vaughn, Ford è il dottor Canfield, un rispettato biologo dell'università dell'Okhlahoma. Canfield, nel 2002, creò un farmaco per i malati del morbo di Pompe insieme a John Crowley, genitore di due bambini affetti dalla malattia, che causa l'assenza

di un enzima essenziale per la funzione dei muscoli del corpo. Il medicinale rientra nella categoria dei farmaci orfani, ovvero quelli che non vengono prodotti dalle industrie farmaceutiche a causa della domanda insufficiente dovuta alla rarità della malattia trattata.

Sfidando l'indifferenza delle case farmaceutiche Crowley, interpretato sul grande schermo da Brendan Fraser, e Canfield riuscirono a introdurre sul mercato il farmaco creato. «Sono stato a contatto con scienziati per molto tempo prima dell'inizio delle riprese - racconta il 67enne Ford - ho voluto fare conoscenza con un mondo, quello delle malattie rare, di cui si sa molto poco». Per gli Usa le malattie rare sono le patologie che affliggono meno di 200.000 persone. «Sono morbi di cui nemmeno si ha

familiarità con il nome, ma se ci tocchiamo da vicino, se magari affliggono uno dei nostri familiari la prospettiva cambia».

La famiglia Crowley ha due figli affetti dal morbo di Pompe: l'aspettativa di vita era di 9 anni fino al giorno della scoperta di Canfield, che ora ha reso possibile a questo tipo di malati una vita quasi normale. Brendan Fraser racconta: «Ho conosciuto Crowley e i suoi figli durante le riprese - racconta noto per la saga della Mummia - sono persone fantastiche. I bambini sono costretti sulla sedia a rotelle, ma hanno una forza incredibile. L'unione fra due caratteri contrastanti come quello di Crowley e il dottor Canfield ha reso possibile ciò che era inimmaginabile».

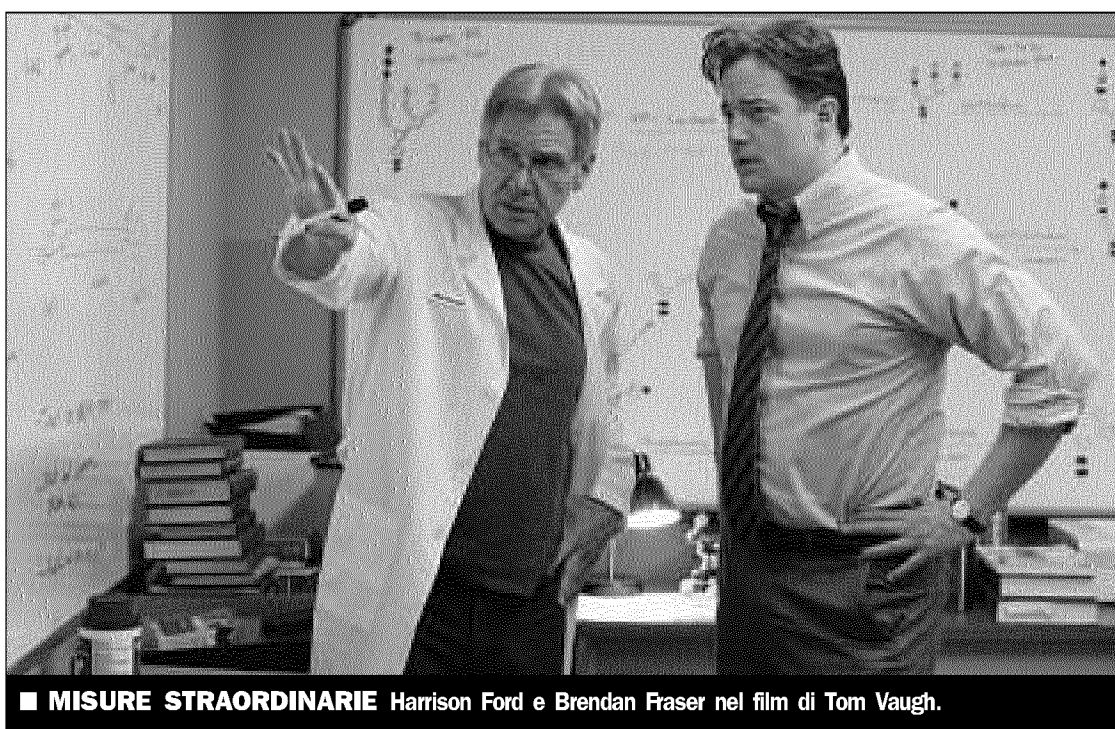
Oggi giorno i due hanno una ditta che si occupa esclusivamente di produrre farmaci orfani, che non suscitano interesse nelle grandi industrie per gli scarsi introiti che portano, nonostante negli Stati Uniti una legge preveda deduzioni dalle tasse per chi compie studi sulle malattie rare. «Non volevamo dare giudizi sul sistema sanitario o sulle industrie farmaceutiche - prosegue Ford - il film parla di una storia privata. Mi piacerebbe che gli spettatori si ponessero delle domande dopo averlo visto e che approfondissero le conoscenze su malattie rare e farmaci orfani». ◀



Harrison Ford, il suo nuovo eroe indossa il camice

In "Misure straordinarie" è un ricercatore che trova la cura per una rara malattia. a pagina 14

Harrison Ford, il suo nuovo eroe indossa il camice



■ MISURE STRAORDINARIE Harrison Ford e Brendan Fraser nel film di Tom Vaugh.

AD APRILE NELLE SALE Indiana Jones depone frusta e cappello e indossa il camice. È il ricercatore solitario di "Misure straordinarie". Basato su una storia vera.

LOS ANGELES- Nuovo ruolo da eroe per Harrison Ford. La star hollywoodiana fa coppia con Brendan Fraser ("La Mummia", "Viaggio al centro della Terra") nel nuovo film del regista inglese Tom Vaugh. Smessi frusta e cappello, Indiana Jones, che a luglio compirà 68 anni, indosserà il camice dello scienziato solitario in "Misure straordinarie".

Dramma a lieto fine

Il film, che esce il 22 gennaio nelle sale Usa e ad aprile da noi, è ispirato alla storia vera di John e Aileen Crowley (Brendan Fraser e Keri Russell), ai cui bimbi (Diego Velazquez e Meredith Droeger) viene diagnosticata una rara malattia degenerativa.

La coppia cerca disperatamente una cura. Ma per i medici non ne esiste una. L'incontro con il dottor Robert Stonehill (Harrison Ford), brillante ricercatore dal carattere un po' spigoloso, cambierà le cose. Crowley e Stonehill sfideranno le industrie farmaceutiche, disinteressate alla produzione di "farmaci orfani" (prodotti potenzialmente utili per trattare una malattia rara, ma che non hanno un mercato che ripaghi le spese del loro sviluppo): insieme riusciranno a trovare la cura e a introdurre sul mercato il farmaco creato. "Non volevamo dare giudizi sul sistema sanitario o sulle industrie farmaceutiche - ha dichiarato Ford in un'intervista - il film parla di una storia privata. Mi piacerebbe che gli spettatori si ponessero delle domande dopo averlo visto. Come io mi sono informato come non facevo da tempo per un personaggio da interpretare, così vorrei che il pubblico approfondisse le sue conoscenze su malattie rare e farmaci orfani".