

11 aprile 2016 17:08

ITALIA: Terapia genica contro neuroni malati nel cervello

Usare la terapia genica per correggere i difetti genetici dei neuroni malati, e bloccare così i danni che sono alla base di una grave malattia cerebrale. E' quanto stanno sperimentando, al momento sugli animali, i ricercatori dell'Ospedale San Raffaele di Milano e della Fondazione Telethon, che hanno pubblicato i loro risultati sulla rivista scientifica EMBO Molecular Medicine. Lo studio è guidato da Angela Gritti, che al San Raffaele dirige l'unità Terapia genica con cellule staminali neurali per le malattie da accumulo lisosomiale, e ha dimostrato "l'efficacia della terapia genica intracerebrale per bloccare il danno neurologico nella malattia di Krabbe, causata da mutazioni nel gene GALC". La malattia colpisce il sistema nervoso e consiste nell'accumulo di sostanze tossiche nella guaina che riveste i neuroni. I ricercatori, in particolare, hanno inserito nei neuroni malati una versione funzionante del gene GALC, in modo che sostituisse quello danneggiato dalla mutazione. Iniettando direttamente nel cervello di alcuni animali con la malattia uno speciale virus, reso innocuo in laboratorio e 'addestrato' per portare il gene all'interno dei neuroni, "è stato possibile produrre una proteina che non solo ripulisce dagli accumuli tossici le cellule bersaglio della terapia, ma che viene anche trasportata nel tessuto nervoso a beneficio delle altre cellule malate". Gli scienziati sono riusciti a dimostrare che la terapia è sicura, e che "permette di ridurre alcuni effetti della malattia in breve tempo anche su un primate non umano". Il prossimo passo sarà validare la sua sicurezza ed efficacia su un numero maggiore di animali, prima di poter avviare la sperimentazione nell'uomo. Lo stesso studio, inoltre, ha sperimentato la stessa terapia anche per la leucodistrofia metacromatica, simile alla malattia di Krabbe ma causata da mutazioni in un altro gene. Per la leucodistrofia è in corso dal 2010 uno studio clinico con un'altra terapia genica, che preleva staminali midollo osseo del paziente. "La terapia sta dando ottimi risultati, soprattutto quando somministrata nella fase pre-sintomatica della malattia - concludono i ricercatori - mentre la nuova tecnica potrebbe in futuro offrire una speranza per i bambini in cui il decorso della malattia è già iniziato, o per pazienti con un esordio tardivo dei sintomi".