Terapia genica per il diabete: il futuro si avvicina

Data 30 dicembre 2000
Categoria metabolismo

Dalla sperimentazione sui roditori una speranza per una terapia efficace
Le Scienze - 05.12.2000. Il diabete di tipo I (detto anche insulino-dipendente) è una malattia tanto studiata quanto ancora misteriosa. Decenni di ricerche non hanno infatti ancora fruttato una terapia risolutiva per questa malattia, dove in sostanza l’opzione obbligatoria rimane il controllo della glicemia attraverso la somministrazione di insulina esogena.
Nuove speranze sono arrivate negli ultimi anni dalla terapia genica, ma nessuna applicazione definitiva è stata finora sviluppata, anche perché, sebbene efficace su alcuni modelli animali, la terapia genica pone concreti problemi di sicurezza e ha in generale un’efficacia variabile e a breve termine. Questa settimana, per la prima volta, un gruppo di ricercatori della Yonsei University di Seul e dell' Università di Calgary riportano su Nature un esperimento positivamente concluso sui roditori, nel quale la terapia genica del diabete ha condotto a una remissione permanente della malattia. Il diabete di tipo I consiste nella perdita - da parte del pancreas - della capacità di secernere insulina a causa della progressiva distruzione delle cellule beta responsabili della produzione dell’ormone. Gli ammalati perdono così la possibilità di controllare il livello di glucosio nel sangue, un difetto che, se non trattato, può risultare letale. La distruzione delle cellule beta sembra dovuta a una reazione autoimmunitaria. L'équipe di ricerca, diretta da Ji-Won Yoon, ha utilizzato come modello sperimentale ratti con diabete indotto attraverso una sostanza chimica e topi affetti invece da diabete autoimmunitario. Agli animali è stato somministrato un costrutto di DNA recante l’informazione per una sostanza analoga all’insulina particolare, modificata in modo da poter essere attiva senza bisogno del processamento post-secrezione che invece avviene naturalmente per quella fisiologica. Il DNA è stato introdotto nelle cellule utilizzando un vettore costituito da un virus particolarmente diffuso in terapia genica. L’adenovirus è stato modificato inserendo nella sequenza l’informazione genetica per la molecola insulino-analoga. Tutti gli animali trattati, sia quelli con diabete chimico che autoimmunitario hanno mostrato una normalizzazione del livello di glucosio nel sangue e il recupero della capacità di controllo della glicemia che è rimasto stabile durante i cinque mesi di test. Si tratta di un significativo passo avanti nella direzione giusta, benché la terapia genica presenti ancora numerosi interrogativi da risolvere e il trasferimento dal laboratorio alla clinica appaia, come al solito, ancora in salita.

© 2004 - 2026 Pillole - Registrazione T. di Roma n. 2/06 | stampato il 14/11/2026 alle ore 5:17 | Pagina 1 di 1