Terapia genica per il Parkinson

Data 30 dicembre 2000
Categoria neurologia

Esperimenti condotti sul cervello di scimmie Rhesus aprono interessanti prospettive per la cura di questa grave malattia neurologica

Le Scienze - 06.12.2000. È stata sperimentata con successo sui primati una terapia genica per eliminare la sintomatologia e inibire la progressione del Morbo di Parkinson. Un nuovo approccio dagli effetti prolungati nel tempo e privo di tossicità, sperimentato dai ricercatori del Rush – Presbyterian – St. Luke’s Medical Center di Chicago e di Losanna in Svizzera.
Il Morbo di Parkinson è una patologia invalidante a lenta progressione che colpisce una particolare regione del cervello denominata substantia nigra. In questa sede le cellule nervose subiscono una graduale degenerazione perdendo la loro capacità di produrre dopamina, il neurotrasmettitore responsabile del passaggio degli impulsi nervosi che consentono di compiere movimenti normali. La carenza di dopamina induce nel paziente parkinsoniano la comparsa di tremori incontrollabili, lentezza nei movimenti, rigidità delle articolazioni, difficoltà di deambulazione o di equilibrio.
Studi condotti su scimmie Rhesus che presentavano segni precoci di Parkinson hanno permesso di valutare l’efficacia della nuova terapia genica nell’indurre la remissione del deficit strutturale e funzionale. La terapia si basa sull’iniezione intracerebrale di un lentivirus appositamente modificato e adattato al trasporto di un gene che codifica per un fattore protettivo. Tale fattore, denominato GDNF (fattore neurotrofico di derivazione gliale), è in grado di rinforzare le cellule produttrici di dopamina e incrementare la produzione del neurotrasmettitore.
La ricerca ha coinvolto tre gruppi di primati sottoposti a cicli di iniezioni intracerebrali di lenti-GDNF. Un gruppo di 8 scimmie di 25 anni nelle quali la patologia, pur non avendo ancora compromesso l’integrità cellulare aveva bloccato o almeno ridotto la produzione di dopamina, dopo un trattamento di tre mesi con iniezioni intracerebrali di lenti-GDNF, ha sviluppato una ripresa molto consistente della produzione del neurotrasmettitore, fino a livelli simili a quelli riscontrabili nel cervello di soggetti giovani. In un secondo gruppo di primati, di giovane età, sottoposto all’induzione chimica di una condizione simil-parkinsoniana e successivamente trattato con la terapia genica, è stata rilevata la remissione della sintomatologia. Il trattamento ha, inoltre, esercitato appieno la sua funzione protettiva sul sistema di produzione della dopamina, consentendo un incremento dei livelli del neurotrasmettitore. Infine, in un gruppo di scimmie sane trattate con il lentivirus per il GDNF sono stati rilevati livelli elevati del fattore protettivo anche a otto mesi di distanza, a testimonianza della capacità della terapia di mantenere i suoi effetti a lungo termine.
I ricercatori auspicano che entro cinque anni possano iniziare le prove di applicazione clinica sull’uomo.

© 2004 - 2026 Pillole - Registrazione T. di Roma n. 2/06 | stampato il 13/11/2026 alle ore 22:26 | Pagina 1 di 1