Nuova cura genetica per l’emofilia

Data 27 giugno 2001
Categoria scienze_varie

Utilizzato un nuovo e più sicuro metodo non virale di trasferimento dei geni.
Un test preliminare del Beth Israel Deaconess Medical Center ha dimostrato che una terapia genetica basata sul fattore VIII per i casi più gravi di emofilia A è sicura e ben tollerata. I risultati mostrano inoltre che il trattamento può essere efficace nel ridurre le emorragie spontanee. I risultati di questa sperimentazione sono descritti sulla rivista "New England Journal of Medicine". ……
Questo primo studio ha riguardato sei pazienti affetti da una grave forma del morbo. Nonostante l’obiettivo fosse la semplice verifica della sicurezza della terapia, quattro pazienti hanno mostrato un netto aumento del fattore VIII nel sangue. Inoltre, in nessun paziente sono stati osservati effetti secondari o reazioni immunitarie.
La novità più interessante riguarda la tecnica non virale in vivo utilizzata per trasferire il gene per il fattore VIII nelle cellule prelevate dai pazienti, tecnica che presenta pochi rischi poiché non coinvolge virus come vettori. Il processo inizia con l'isolamento di fibroblasti dalla pelle. Il gene viene poi introdotto nelle cellule mediante brevi scariche elettriche. In seguito, le cellule vengono iniettate nel tessuto adiposo dell'addome del paziente.
R.F. Fonte www.lescienze.it