Curata malattia genetica durante gravidanza con staminali

Data 30 settembre 2005
Categoria scienze_varie

Topi geneticamente affetti da osteopetrosi, una malattia fatale, hanno ricevuto staminali a metà della gravidanza e sono sopravvissuti come i controlli.

Un gruppo di ricercatori del Reparto Genoma Umano dell'Istituto di Tecnologie Biomediche del Consiglio Nazionale delle Ricerche (Itb-Cnr) di Milano ha curato, nel topo, una grave malattia genetica utilizzando cellule staminali ematopoietiche somministrate durante la gravidanza.
Sono stati studiati topi affetti da osteopetrosi, malattia fatale che nell'uomo conduce a morte generalmente nei primi anni divita.
Le cellule staminali ematopoietiche sono state somministrate poco dopo la metà della gravidanza. In conseguenza di ciò i topi hanno presentato durata e qualità di vita simili a quella dei topi sani.
"Questo studio dimostra che in futuro la terapia con cellule staminali somministrate precocemente potrebbe essere di grande utilità clinica", commenta il Nobel Renato Dulbecco. La ricerca eseguita nell'animale "apre una nuova possibilità terapeutica per tutte quelle malattie che sono già manifeste alla nascita e che pertanto devono essere necessariamente trattate durante la gravidanza", sottolinea il prof. Dulbecco. "E, nell'uomo, numerose sono le malattie che potrebbero trarre giovamento da questo approccio".

L'osteopetrosi infantile maligna detta morbo di Albers-Schonberg è una malattia rara ereditaria a carattere recessivo, letale. Colpisce un bambino ogni 150.000.
Nei soggetti affetti da Osteopetrosi gli osteoclasti sono assenti oppure, non funzionano o funzionano poco e male. L'incapacità degli osteoclasti di riassorbire l'osso immaturo comporta deficit midollare. Il rimodellamento dell'osso compromesso causa un restringimento dei forami dei nervi cranici, con compressione nervosa secondaria, soprattutto del nervo ottico. Dal punto di vista istopatologico, persiste la spongiosa primitiva, con nuclei di cartilagine calcificata all'interno dell'osso. Il rimodellamento anomalo dell'osso primitivo in osso lamellare produce un osso fragile, che è soggetto a fratture. Per questo, i segni clinici caratteristici della malattia comprendono le fratture, i disturbi visivi ed il difetto del midollo. L'unica cura disponibile al momento è il trapianto di midollo che, anche quando attecchisce, non riesce a modificare i danni già instauratisi. L'identificazione del gene responsabile di questa malattia ha consentito la diagnosi precoce dei bambini affetti e l'identificazione dei portatori delle mutazioni, permettendo anche di effettuare la diagnosi prenatale, prerequisito indispensabile per l'esecuzione del trapianto in utero, come è già avvenuto per la sindrome di Omenn, una grave immunodeficienza ereditaria, il cui gene è stato identificato dai ricercatori dell'Itb-Cnr nel 1998.

Fonte: 29 settembre, 2005
Proc. Natl. Acad. Sci., 10.1073/pnas.0507637102
segnalato da: Immediapress

© 2004 - 2026 Pillole - Registrazione T. di Roma n. 2/06 | stampato il 20/11/2026 alle ore 23:34 | Pagina 1 di 1