RNA nella cura delle malattie ereditarie

Data 20 luglio 2004
Categoria scienze_varie

Per la prima volta, alcuni ricercatori hanno usato piccole molecole di RNA impacchettate all'interno di virus per curare topi con una malattia ereditaria. Il risultato potrebbe condurre presto verso trial clinici sugli esseri umani basati sull'interferenza dell'RNA (RNAi).
La corea di Huntington e l'atassia spinocerebellare (SCA) sono malattie ereditarie, dovute a una proteina difettosa, caratterizzate da degenerazione nervosa, perdita di coordinazione e spasticità. Rimuovere la proteina tossica è un compito difficile che gli attuali farmaci non sono in grado di eseguire. L'RNAi invece potrebbe esserne in grado, in quanto può portare fuori strada lo specifico RNA messaggero (mRNA) che contribuisce a produrla.

Per mettere alla prova questo approccio, Beverly Davidson dell'Università dell'Iowa e colleghi hanno costruito un virus che, dopo aver infettato una cellula, produce molecole di RNA corrispondenti alla proteina difettosa atassina-1, la causa della SCA. Tentativi simili sono stati fatti anche per il morbo di Huntington, ma il mRNA per l'atassina-1 è più breve e più facile da manipolare. I ricercatori hanno iniettato il virus nei cervelli di topi malati con la versione umana della SCA. Normalmente, questi topi soffrono della degenerazione delle cellule di Purkinje nel cervelletto, una parte del cervello importante per l'equilibrio e i movimenti. Ma i topi trattati con il virus hanno mostrato segni di miglioramento, e mantenevano l'equilibrio più a lungo dei topi malati non sottoposti al trattamento.
I risultati dello studio sono stati presentati da Davidson al convegno di Minneapolis dell'American Society of Gene Therapy

fonte: http://www.lescienze.it

© 2004 - 2026 Pillole - Registrazione T. di Roma n. 2/06 | stampato il 15/11/2026 alle ore 5:22 | Pagina 1 di 1