Un comune antibiotico contro la distrofia muscolare

Data 30 ottobre 1999
Categoria neurologia

Dimostrata l’efficacia nel topo, già pronto lo studio sull’uomo

2.8.1999
È la gentamicina, un antibiotico piuttosto diffuso, a essersi dimostrata efficace nella cura della distrofia muscolare. I risultati dello studio, che verranno pubblicati il 15 agosto nel "Journal of Clinical Investigation", sono promettenti, anche se in realtà a beneficiare della terapia sarebbe solo il 15 per cento dei malati affetti da distrofia muscolare di Duchenne.
In questi soggetti la malattia è determinata da un’alterazione genetica presente nel gene della distrofina, una proteina cruciale per la vita e la funzione dei muscoli: il difetto consiste nella presenza di un anomalo "codone di stop", il segnale che identifica la fine delle proteine, all’interno della sequenza del DNA che contiene l’informazione per la distrofina. La presenza di questo segnale determina l’interruzione prematura della sintesi proteica: il risultato è dunque la produzione di una proteina "tronca", cioè più corta del normale, e per questo priva della sua funzionalità. La mancanza della distrofina determina il lento deterioramento dei tessuti muscolari, responsabile della perdita delle capacità motorie e della morte precoce dei malati.
I ricercatori dell’Università della Pennsylvania hanno provato a fornire dosi diverse di gentamicina a topi portatori della specifica anomalia genetica e hanno osservato che in questo modo essi riuscivano a correggere il proprio difetto e a produrre la distrofina completa. Le analisi effettuate hanno dimostrato che la gentamicina induce il sistema di produzione delle proteine a ignorare la presenza del segnale di stop, portando a termine la sintesi della distrofina. Gli studiosi hanno inoltre verificato che il topo elimina dal proprio organismo la gentamicina molto più velocemente dell’uomo: questo potrebbe tradursi nella necessità di minori dosaggi nella somministrazione ai pazienti. Si tratta ora di determinare se il sistema funziona anche nell’organismo umano ed è in progetto l’inizio della sperimentazione in breve tempo.
Al di là dei potenziali benefici per i malati di distrofia, la scoperta potrebbe rappresentare un utile approccio terapeutico anche per altre malattie determinate da difetti genetici analoghi, quali ad esempio la fibrosi cistica
Le Scienze www.lescienze.it

© 2004 - 2026 Pillole - Registrazione T. di Roma n. 2/06 | stampato il 19/11/2026 alle ore 18:10 | Pagina 1 di 1