

Distrofia, nuove speranze dalle staminali adulte

Publicati su «Nature» i risultati di uno studio italiano, condotto sui cani, realizzato da ricercatori del San Raffaele di Milano e dell'Università di Pavia
Ora si punta alla sperimentazione clinica

di ENRICO NEGROTTI

Dopo i risultati ottenuti sui topi malati di distrofia muscolare, un altro importante esperimento con cellule staminali sui cani affetti da distrofia di Duchenne con esito positivo dà una cauta fiducia ai ricercatori di poter un giorno passare a una sperimentazione clinica sull'uomo di questa fatale patologia degenerativa, che porta alla paralisi dei muscoli. L'esito degli studi, finanziati in gran parte dal Telethon e compiuti da ricercatori italiani dell'Istituto San Raffaele di Milano e dell'Università di Pavia (con la collaborazione della Scuola veterinaria di Maisons-Alfort, in Francia), è pubblicato sul numero di «Nature» di questa settimana, accompagnato da un editoriale. «Anche se il cane malato di distrofia muscolare di Duchenne rappresenta il modello animale più vicino alla malattia umana – osserva Giulio Cossu, direttore dell'Istituto Cellule staminali del San Raffaele e coordinatore del lavoro – il passaggio alla sperimentazione clinica richiede tempi lunghi e molta cautela». Iniettando attraverso le arterie un particolare tipo di cellula staminale adulta (il mesoangioblasto), tredici cani di razza Golden Retriever affetti da distrofia muscolare di Duchenne ereditata dalla madre (e non fatti ammalare appositamente come spesso accade nei trial scientifici) hanno mostrato una netta ripresa del tono muscolare e sono tornati a camminare. Infatti la distrofia di Duchenne (che insieme alla variante di Becker rappresenta il 50% di tutte le distrofie muscolari) è una patologia causata dall'alterazione di un gene presente sul cromosoma X che produce una proteina, la distrofina, necessaria a costituire la fibra muscolare. La malattia (sia negli uomini, sia nei cani) si manifesta quasi esclusivamente nei maschi (che hanno un solo cromosoma X), ereditandola dalla madre. I ricercatori del San Raffaele di Milano e dell'Università di Pavia hanno prelevato le cellule staminali dai vasi sanguigni di cani sani e le hanno trasferite negli animali malati attraverso cinque iniezioni a distanza di un mese l'una dall'altra: una percentuale, variabile tra il 10 e il 70%, delle fibre muscolari dei cani malati ha prodotto la versione normale della distrofina. Le valutazioni della funzionalità del tessuto muscolare sono state eseguite nel Laboratorio di Fisiologia e biofisica muscolare dell'Università di Pavia diretto da Roberto Bettinelli. «Lo studio –

aggiunge Maurilio Sampaolesi, del Dipartimento di Medicina sperimentale dello stesso ateneo – è il frutto di frenetica attività sperimentale durata tre anni. Il mio laboratorio ha fornito l'apporto e le competenze di biologia cellulare e ingegneria tissutale per l'analisi delle cellule staminali di cane». «Questo studio è il frutto di precedenti risultati incoraggianti ottenuti sui topi – sottolinea Cossu –. Speriamo di poter iniziare un trial clinico in un futuro prossimo; nel frattempo raccomandiamo ai pazienti di continuare a rimanere in cura presso i loro specialisti che saranno costantemente informati dei progressi della ricerca e di una sua applicazione clinica».

APPUNTAMENTO

Neuroscienze spiegate al pubblico sabato a Milano

«Porte aperte alle neuroscienze» è il nome dell'iniziativa, di cui domani si terrà la prima edizione, aperta a studenti e cittadini per essere aggiornati sui più recenti acquisizioni della ricerca sul cervello fino alla possibilità di costruire pillole «individuali», farmaci «intelligenti» che funzionino in base delle molecole cerebrali di ciascun paziente. La giornata, che si svolge presso il Dibit dell'Istituto San Raffaele di Milano (via Olgettina 58) è infatti intitolata «Il cervello: dai neuroni alla coscienza alle emozioni. Nuove sfide contro le sue malattie» ed è organizzata in collaborazione con numerose associazioni di pazienti di malattie neurologiche e psichiatriche. La mattinata, riservata alle scuole, prevede visite guidate ai laboratori e incontri con gli esperti, nonché una presentazione delle neuroscienze nei diversi corsi di laurea presenti all'Università Vita-Salute San Raffaele. Al pomeriggio invece spazio a incontri e dibattiti del pubblico con gli specialisti sul presente e futuro delle malattie nervose e mentali. A fine giornata una tavola rotonda, moderata da Ernesto Galli Della Loggia, vedrà la presenza di filosofi, neuroscienziati ed epistemologi che si confronteranno sulle implicazioni delle nuove sfide lanciate dai recenti progressi delle neuroscienze.