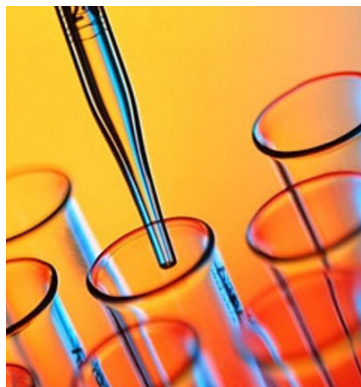




Distrofie muscolari: nuovo target terapeutico

Una proteina potenzia il trattamento a base di trapianto di staminali

Individuata una proteina in grado di potenziare le terapie a base di cellule staminali nel trattamento contro le distrofie muscolari. Il lavoro, svolto dal team di Elisabetta Dejana dell'IFOM (Istituto FIRC di Oncologia Molecolare) e dell'Università degli Studi di Milano in stretta collaborazione con Giulio Cossu del San Raffaele di Milano e dell'University College di Londra, ha messo in evidenza il ruolo di JAM-A, una proteina contenuta nelle cellule che rivestono la parete interna dei vasi sanguigni, nell'aumentare l'efficacia del trapianto con cellule staminali per il trattamento delle distrofie muscolari. I risultati della ricerca sono stati pubblicati su EMBO Molecular Medicine.

Le distrofie muscolari sono una classe di malattie genetiche neuromuscolari che portano a una progressiva e inesorabile degenerazione del tessuto muscolare scheletrico. Tra queste, una delle forme più comuni e severe è la distrofia muscolare di Duchenne: questa patologia colpisce 1 bambino maschio ogni 3500 nati e i piccoli soggetti affetti da questa patologia manifestano fin dalla prima infanzia difficoltà nel camminare che si aggravano progressivamente fino all'immobilità e a una prematura morte per complicanze cardiorespiratorie.

Attualmente non esistono terapie risolutive per queste fatali patologie: sono però attualmente in corso numerosi studi pre-clinici e clinici per la messa a punto di nuovi approcci sperimentali, come quello condotto da Giulio Cossu nell'Ospedale San Raffaele di Milano e basato **sul trapianto di mesoangioblasti**: queste cellule vengono isolate dai muscoli di donatori compatibili e iniettate nella circolazione sanguigna di pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne. Ma questo approccio sperimentale incontra molti ostacoli che ne diminuiscono l'efficacia: uno dei principali consiste nella necessità per i mesoangioblasti di superare le pareti endoteliali dei vasi sanguigni per raggiungere il muscolo distrofico malato e generare così nuove e funzionali fibre muscolari. In questo passaggio solo un limitato numero di cellule riescono a raggiungere il tessuto danneggiato. "Proprio per superare questo limite – spiega Elisabetta Dejana – il nostro studio ha identificato in laboratorio un nuovo meccanismo d'azione in grado di aumentare il flusso di mesoangioblasti attraverso le pareti dei vasi sanguigni, garantendo quindi il raggiungimento del muscolo danneggiato".

Lo studio condotto all'IFOM di Milano ha permesso quindi di **identificare delle molecole che potrebbero essere utilizzate in futuro per migliorare l'efficacia delle terapie cellulari per il trattamento delle distrofie muscolari**. “Ovviamente siamo ancora lontani dalla prospettiva di una sperimentazione a livello clinico – precisa Dejana - ma i risultati sono incoraggianti e lo studio è un chiaro esempio di come la ricerca di base sia fondamentale per il miglioramento delle strategie terapeutiche. Lo sviluppo di questi risultati – conclude la ricercatrice – potranno fornirci anche degli elementi conoscitivi preziosi anche per lo studio delle patologie tumorali, in particolare per le metastasi. La modulazione di JAM-A si potrebbe rivelare strategica nel bloccare la disseminazione tumorale attraverso le pareti dei vasi sanguigni”.

di red. (06/02/2014)

<http://salute24.ilsole24ore.com/articles/16376-distrofie-muscolari-nuovo-target-terapeutico>