



Distrofie muscolari, nuova molecola promette bene

Mercoledì 05 Febbraio 2014

MILANO – Una proteina di adesione dei vasi sanguigni aumenta l'efficacia del trapianto con cellule staminali nel trattamento delle distrofie muscolari. La scoperta nasce da una ricerca condotta dall'IFOM e dall'Università Statale di Milano, in collaborazione con l'University College di Londra e il San Raffaele di Milano e contribuisce a nuove prospettive di trattamento di questa malattia.

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 (DMD) è la forma più severa e comune, che colpisce 1 bambino maschio ogni 3500 nati. Chi soffre di DMD ha difficoltà a camminare e progressivamente arriva all'immobilità e complicanze cardiorespiratorie che risultano fatali. Di DMD oggi non si guarisce, ma la ricerca non si ferma e sono attualmente in corso numerosi studi pre-clinici sull'uso del trapianto di cellule staminali di muscolo scheletrico, i mesoangioblasti, per contrastare l'avanzamento della malattia.

Un team di ricercatori dell'IFOM (Istituto FIRC di Oncologia Molecolare) e dell'Università degli Studi di Milano, in stretta collaborazione con il laboratorio di con Giulio Cossu del San Raffaele di Milano, che è pioniere del trapianto di mesoangioblasti, e dell'University College di Londra, hanno scoperto che una proteina di adesione dei vasi sanguigni, la JAM-A, contribuirebbe al successo del trapianto di mesoangioblasti nei pazienti con DMD. JAM-A, infatti, aiuterebbe i mesoangioblasti a superare le pareti endoteliali dei vasi sanguigni per raggiungere il muscolo malato e generare così nuove e funzionali fibre muscolari.

“Modulando l'attività di JAM-A, proteina altamente coinvolta nelle giunzioni endoteliali, in un modello animale affetto da distrofia muscolare, il numero di cellule staminali che ripopolano e rigenerano il muscolo danneggiato aumenta” spiegano le ricercatrici **Monica Giannotta** e **Sara Benedetti**, prime autrici del lavoro “e l'aumentata rigenerazione muscolare corrisponde di fatto ad un significativo miglioramento della funzionalità muscolare dei topi distrofici che mantengono e a volte perfino migliorano la loro capacità di correre.”

“Ovviamente siamo ancora lontani dalla prospettiva di una sperimentazione a livello clinico – precisa **Elisabetta Dejana**, professore ordinario di Patologia Generale nel Dipartimento di Bioscienze all’Università degli Studi di Milano e a capo della ricerca – 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 – continua la ricercatrice milanese – 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.” La ricerca, condotta con il sostegno dei programmi Optistem ed Endostem della Comunità Europea e dall’Associazione Italiana per la Ricerca sul Cancro, è stata pubblicata in questi giorni sulla prestigiosa rivista internazionale EMBO Molecular Medicine, che le dedica anche la copertina.

Alessandra Gilardini, Ph.D.

Referenza:

Gianotta M, et al. Targeting endothelial junctional adhesion molecule-A/EPAC/ Rap-1 axis as a novel strategy to increase stem cell engraftment in dystrophic muscles. EMBO Mol Med. 2014 Jan 8. DOI: 10.1002/emmm.201302520

http://brainfactor.it/index.php?option=com_content&view=article&id=937:distrofie-muscolari-nuova-molecola-promette-bene&catid=8:neurobiologia&Itemid=3