

# UN PASSO AVANTI NELLA TERAPIA GENETICA

Nella rivista «Nature Medicine» dell'agosto 1998, degli scienziati fanno un resoconto sulla terapia di un gene per le forme dominanti della degenerazione della retina. Il gruppo di ricerca, guidato dal Dr. William Hauswirth e il Dr. Alfred Lewin, scienziati di una fondazione di genetica dell'università della Florida, hanno trovato una terapia di ribozyme, che riduce drasticamente la perdita della vista in un soggetto animale con retinite pigmentosa avanzata.

La funzione della cellula fotorecettore è del 93% più grande negli occhi trattati con il ribozyme che negli occhi non trattati.

Il Dr. Hauswirth ha commentato:

*«Questa è la prima prova della terapia di ribozyme in un soggetto animale sofferente della degenerazione della retinite. I risultati sono molto incoraggianti. Per questi primi esperimenti, abbiamo scelto un modello di roditore con la forma più comune di retinite pigmentosa dominante. Comunque, i ribozymi possono essere sviluppati per qualsiasi malattia degenerativa dominante di retinite.»*

*Prossimamente pensiamo di testare la sicurezza e l'efficacia di ribozyme in altri soggetti animali. Se avremo successo, chiederemo l'approvazione del FDA*

*per iniziare la terapia di ribozymi sugli esseri umani.»*

Nelle malattie autosomiche dominanti, i pazienti hanno un gene in buona salute e funzionante e un gene con una malattia che causa un cambiamento genetico. Questo gene, produce una proteina difunzionale che danneggia la cellula fotorecettore. I ribozymi sono delle molecole che contengono dei codici genetici che mettono in disordine l'abilità del gene di produrre delle proteine dannose. Quando il gene malato è inattivato, il gene che sta bene può fornire alla cellula fotorecettore le proteine necessarie. Testando questo trattamento, il Dr. Hauswirth ha collaborato con vari ricercatori, incluso il Dr. Matthew La Vail, Direttore della fondazione centro di ricerca dell'università della California a San Francisco, e il Dr. John Flannery dell'università della California a Berkeley. Con la terapia di ribozyme, i ricercatori hanno stabilito «la prova di principio» per due forme di terapie di geni. Nei lavori fatti precedentemente, la terapia di rimpiazzo di gene aveva ritardato la degenerazione di retinite nei modelli animali con forme di malattie di caratteristiche ereditarie.