

RICERCA ALL'UNIVERSITÀ DI MILANO

La staminale si autotrapianta

*Progressi nello studio
della distrofia muscolare
di Duchenne*

Se ci poteva essere il timore che dopo un autotrapianto di cellule staminali, potesse instaurarsi un'inflammatione, un'infezione o un tumore, o manifestarsi un rigetto, ora non c'è più, grazie a una sperimentazione condotta su bambini affetti da distrofia muscolare di Duchenne (Dmd) da Nereo Bresolin e Yvan Torrente, ricercatori dell'Università di Milano e della Fondazione Ospedale Maggiore Policlinico, Mangiagalli e Regina Elena. Il lavoro è in corso di pubblicazione. Gli scienziati hanno scoperto anche quali molecole siano necessarie alla migrazione delle cellule staminali in questione dai vasi sanguigni al tessuto malato. Un'informazione importante anche per l'oncologia, perché bloccare l'azione di tali molecole significherebbe bloccare le metastasi dei tumori.

Al fine di abbreviare la strada che conduce alla terapia, in aprile si incontreranno a Milano i rappresentanti di alcuni tra i più importanti gruppi di ricerca del mondo impegnati nello studio della Dmd per unirsi in un consorzio appoggiato dalle famiglie dei malati.

La distrofia di Duchenne è una malattia letale dovuta a un difetto del gene responsabile del-

la produzione della proteina detta distrofina. Quando manca la distrofina, i muscoli scheletrici e cardiaci si deteriorano e si indeboliscono progressivamente fino a provocare l'impossibilità di camminare, gravi difficoltà respiratorie e la morte entro i 20 anni. Al momento non esiste alcuna cura, ma i ricercatori diretti da Bresolin hanno messo a punto una metodica dell'ingegneria genetica detta *exon skipping*, già validata nel topo, che offre una valida possibilità di correggere il difetto da cui è generata la patologia, in modo da rendere le cellule staminali del paziente umano capaci di produrre distrofina.

«Abbiamo preso in osservazione otto bambini affetti da Dmd — dice Bresolin — e a tutti abbiamo aperto lo stesso muscolo della gamba per prelevare le staminali. A tutti abbiamo applicato le stesse procedure con questa eccezione: abbiamo iniettato a cinque di essi, in un muscolo del mignolo della mano, le cellule prelevate e agli altri tre solo la soluzione fisiologica senza cellule, per validare le procedure. Poiché si trattava di un trapianto autologo, cioè fatto con cellule dello stesso paziente, era improbabile che si manifestasse rigetto, anche se non impossibile. Lo scopo era verificare non solo questo, ma soprattutto se si generassero infezioni, infiammazioni o neoplasie. Tutte queste ipotesi sono state smentite, a distanza di due anni dal trapianto, con tutte le metodiche disponibili, compresa la biopsia e la risonanza magnetica». (r.ma.)