



De Stefano (Sin): «Nuove terapie su meccanismi alla base patologie»•

Descrizione

(Adnkronos) «La terapia genica, le terapie basate sull'RNA, l'editing genetico e le Car-T stanno aprendo nuove prospettive anche in Neurologia. Possiamo parlare di una rivoluzione, se vogliamo, anche se forse è ancora un po' presto per utilizzare questo termine, perché la maggior parte di questi approcci terapeutici, molto diversi tra loro, è ancora in fase di sperimentazione. Esistono, tuttavia, grandi speranze e possibilità concrete di sviluppare, nel prossimo futuro, approcci terapeutici significativamente diversi da quelli attualmente disponibili in neurologia. Sono tutti differenti, ma accomunati dall'obiettivo di intervenire sui meccanismi alla base della malattia, agendo sul bersaglio responsabile del danno, che può essere, per esempio, una determinata proteina. L'obiettivo è impedire o limitare la progressione della patologia e, in prospettiva, fare in modo che la malattia non si manifesti o abbia un impatto molto più contenuto». Così Nicola De Stefano, presidente eletto Sin Società italiana di neurologia, intervenendo in occasione del 56° Congresso della Società italiana di neurologia (Sin), in programma dal 24 al 27 ottobre a Firenze.

«L'editing genetico e gli interventi sull'RNA messaggero continua il neurologo consentono di agire sui meccanismi che regolano la produzione di determinate proteine, responsabili di disfunzioni che possono portare a malattie croniche, come la sclerosi laterale amiotrofica (Sla) e alcune forme di demenza. In alcuni casi è possibile intervenire attraverso molecole che chiamiamo oligonucleotidi antisenso, con l'obiettivo di modificare questi meccanismi. Le Car-T rappresentano invece un approccio completamente diverso» precisa «Si utilizzano cellule T ingegnerizzate in grado di bloccare gli antigeni alla base di patologie gravi, come la sclerosi multipla e altre malattie immunomediate, tra cui alcune forme di encefalite. In questo caso, si interviene direttamente sulle cellule che portano alla problematica autoimmune, limitando i processi infiammatori e, di conseguenza, la neurodegenerazione. Sono 2 approcci diversi ma che creano entrambe le condizioni affinché venga a mancare l'elemento, spesso una proteina, che provoca il danno. Quanto prima si agisce, meglio è, ma è un aspetto che dovremo valutare meglio quando avremo a disposizione i risultati degli studi in corso, soprattutto per quanto riguarda le Car-T, che si trovano ancora in fasi molto iniziali di sperimentazione».

«Per gli oligonucleotidi antisenso, invece» osserva De Stefano «esistono già esperienze significative in alcune patologie: in alcune forme familiari di Sla si sono osservati risultati promettenti,

così come nell'atrofia muscolare spinale nei bambini, con miglioramenti rilevanti e, in alcuni casi, addirittura la risoluzione della malattia. Per molte altre patologie dobbiamo invece attendere: sono in corso sperimentazioni che considero promettenti, ma saranno i risultati dei prossimi anni a dirci quali benefici si avranno.

??

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Ottobre 26, 2026

Autore

redazione

default watermark