

Sla, ricercatrice Pasinelli: â??Stiamo sviluppando trattamenti molecolari miratiâ?•

Descrizione

default watermark

(Adnkronos) â?? Nel trattamento della sclerosi laterale amiotrofica (Sla), â??il cambiamento scientifico piÃ¹ significativo riguarda il fatto che stiamo passando da un approccio terapeutico che cerca di rallentare la progressione della malattia a uno mirato, contro i meccanismi molecolari che la causano. Oggi, grazie alla genetica e a nuove tecnologie, come gli oligonucleotidi antisenso, siamo in grado di identificare un bersaglio preciso e di sviluppare piccole molecole, gli oligonucleotidi antisenso (Aso), che cercano di legarsi e di distruggere quel bersaglio ben precisoâ?•. Lo ha detto Piera Pasinelli, direttrice Jefferson Weinberg Als Center, Thomas Jefferson University, Philadelphia (Usa), intervenendo a â??La promessa 2026â??, la maratona live organizzata per sostenere la ricerca sulla sclerosi laterale amiotrofica (Sla). Tutto questo â??non Ã¨ soltanto una teoria â?? continua lâ??esperta â?? Con il tofersen, che Ã¨ giÃ approvato per la terapia della Sla associata al gene Sod1 o il clinical trial che Ã¨ appena terminato con oligonucleotidi antisenso contro un altro gene Fus â?? che ha dato dei risultati molto promettenti â?? abbiamo giÃ dimostrato che questo approccio Ã¨ efficace. Ormai da piÃ¹ di trentâ??anni lavoro su questa malattia: la Sla si puÃ² trattareâ?•.

â??Gli Aso sono piccoli filamenti sintetici progettati per intervenire in modo estremamente specifico su un determinato gene â?? spiega Pasinelli â?? Per capire come funzionano, credo sia utile ricordare che i geni sono porzioni di Dna che contengono le informazioni e le istruzioni necessarie per produrre le proteine. Queste istruzioni, tuttavia, non vengono utilizzate direttamente. Vengono prima trascritte in una molecola chiamata Rna messaggero, che trasporta lâ??informazione genetica dal Dna ai meccanismi cellulari responsabili della produzione delle proteine. Ed Ã¨ proprio su questa molecola, lâ??Rna, che agiscono gli Aso. Questa molecola viene progettata per riconoscere e legarsi a una specifica sequenza di Rna. In questo caso, il legame tra lâ??Aso e lâ??Rna puÃ² determinarne la degradazione, riducendo cosÃ¬ la produzione della proteina corrispondenteâ?•.

Nel caso del gene Tardbp, che produce la proteina Tdp 43, la situazione Ã¨ un poâ?? piÃ¹ complessa. â??Questa proteina Ã¨ essenziale per il corretto funzionamento delle cellule nervose â?? chiarisce lâ??esperta â?? Non vogliamo quindi eliminarla completamente, ma intervenire in modo selettivo sulla produzione della proteina mutata o sui suoi effetti, preservando il piÃ¹ possibile la funzione della proteina normale. Gli Aso su cui stiamo lavorando insieme a Neil Shenider sono progettati proprio con questo obiettivo: riconoscere una sequenza specifica di Rna derivante dalla trascrizione del gene

mutato, cosÃ¬ da intervenire selettivamente sulla produzione della proteina alterata, senza compromettere quella della proteina normale. Questo Ã¨ il principio alla base di una terapia molecolare personalizzata â?? conclude â?? agire in modo estremamente mirato sulla causa genetica della malattia, cercando di preservare le funzioni biologiche che rimangono normaliâ?•.

â??

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

default watermark

Data di creazione
Novembre 18, 2026
Autore
redazione