

RICERCA: Da nanoparticelle speranze per distrofia duchenne

Da nanoparticelle di polimetilmetacrilato, un materiale inerte utilizzato nelle protesi articolari, arrivano gli ultimi e positivi sviluppi nel filone di ricerca che mira a convertire la forma più grave della distrofia muscolare, quella di Duchenne (DMD), in quella più lieve, la distrofia di Becker (DMB). Uno studio, finanziato da Telethon e pubblicato su *Molecular Therapy*, realizzato da un gruppo di ricerca e coordinato da Alessandra Ferlini, del dipartimento di Medicina Sperimentale e Diagnostica dell'Università di Ferrara ha dimostrato che piccolissime sferette (grandi un miliardesimo di metro) sono in grado di trasportare all'interno dell'organismo piccole molecole di RNA, gli oligonucleotidi antisenso, che consentono alle cellule di sintetizzare le proteine. Il processo a carico degli oligonucleotidi antisenso permette di sintetizzare, non la distrofina, ma una proteina più corta ma comunque funzionale. Da qui, la possibilità di convertire la distrofia muscolare di Duchenne, in cui c'è l'assenza completa di distrofina, nella distrofia di Becker, in cui l'organismo produce una proteina più corta, pur sempre funzionale. Attualmente il gruppo della Ferlini sta testando quattro tipi di nanoparticelle, ancora più piccole e con maggiore capacità di legare il farmaco. "E' importante dimostrare che queste nanoparticelle non provochino effetti collaterali - ha spiegato la ricercatrice - si tratterebbe così di una terapia sicura, che si presta anche a vie di somministrazione non invasive".