

RICERCA: Ideata molecola-guida che aiuta cura malattia rara

Ideato un farmaco 'accompagnatore' che guida la terapia farmacologica già in uso per curare una grave malattia rara di natura ereditaria e potenzia gli effetti della cura. Si tratta del nuovo approccio terapeutico per la malattia di Pompe, grave patologia metabolica di origine genetica che colpisce i muscoli, in particolare il cuore: ad annunciarlo è un lavoro pubblicato sulla rivista Molecular Therapy da **Giancarlo Parenti**, ricercatore dell'Istituto Telethon di Genetica e Medicina (Tigem) di Napoli, in collaborazione con l'Università Federico II del capoluogo partenopeo. La malattia di Pompe è dovuta ad un difetto enzimatico che manda in tilt il metabolismo della nostra riserva energetica, il glicogeno, con esiti gravissimi per i muscoli. La cura scoperta da poco consiste nel somministrare farmacologicamente l'enzima per sopperire a quello difettoso prodotto dal corpo del paziente. Ma la cura non sempre fa effetto. Adesso gli scienziati hanno capito come potenziarla, ovvero somministrando insieme all'enzima una molecola-guida, un chaperone, che accompagna il farmaco e ne potenzia l'efficacia.