

DISTROFIA MUSCOLARE: SCOPERTA POSSIBILE CURA

Porta la firma di alcuni ricercatori italiani la scoperta di una possibile cura contro le distrofie muscolari: si tratta di un farmaco attualmente in studio contro il cancro al seno che sembra in grado di arrestare la progressione della degenerazione muscolare tipica della malattia e di promuovere la rigenerazione della massa dei muscoli scheletrici. Lo studio, svolto in collaborazione con Giulia Minetti, Chiara Mozzetta e Silvia Fortuni dell'Istituto Dulbecco Telethon Institute (DTI) di Roma e, tra gli altri, con esperti dell'Istituto di Ricerche di Biologia Molecolare e dell'Istituto Dermopatico dell'Immacolata a Roma, è stato diretto da Lorenzo Puri del Burnham Institute di La Jolla.

I risultati degli esperimenti su topolini malati di distrofia sono stati pubblicati sulla rivista "Nature Medicine". Il farmaco, un inibitore dell'enzima "istone deacetilasi" chiamato "Trichostatina A", potrebbe rappresentare la prima cura veramente efficace contro questa grave malattia di natura genetica che ad oggi non dispone ancora di alcuna terapia. La distrofia muscolare rappresenta in realtà un gruppo di malattie genetiche tutte caratterizzate da degenerazione muscolare progressiva con esito fatale nella prima età adulta. La forma più comune, con un malato ogni 3500 nuovi maschi nati, è la distrofia di Duchenne, dovuta ad un difetto genetico a carico del cromosoma sessuale femminile, il cromosoma X.

Con il suo gruppo di ricerca, Puri studia da dieci anni queste malattie e insieme a Vittorio Sartorelli aveva identificato in passato due famiglie di enzimi che svolgono un'azione connessa col promuovere o, al contrario, inibire la rigenerazione muscolare. Si tratta delle "acetil-transferasi", che la promuovono, e delle acetil-deacetilasi che, viceversa, la inibiscono. La Trichostatina A, oggi in studi clinici contro il cancro al seno, spegne gli enzimi inibitori della rigenerazione muscolare: per questo motivo i ricercatori hanno pensato di testare la molecola come una possibile cura contro le distrofie. E la loro intuizione è stata premiata: nei topolini con la distrofia di Duchenne trattati con Trichostatina A la funzione muscolare non si riduce; inoltre, il farmaco promuove la rigenerazione della massa muscolare e i topolini distrofici trattati sono in grado di compiere esercizi fisici come i topolini sani.

"Abbiamo identificato un nuovo modo di trattare la distrofia muscolare - ha dichiarato entusiasta Puri - un significativo avanzamento rispetto all'uso di steroidi, gli unici farmaci oggi somministrati, ma solo come cura palliativa". Tuttavia, bisogna prima dimostrare che la Trichostatina A sia altrettanto efficace anche sui pazienti, ha puntualizzato Puri esprimendo cautela. Fortunatamente, trattandosi di un farmaco già in studio per un'altra malattia, la Trichostatina A potrebbe arrivare a sperimentazioni cliniche su pazienti distrofici con un iter un po' più snello di quanto normalmente richiesto.