



*A cura del prof. Adriano Chiò, Ordinario di Neurologia, Responsabile del Centro SLA, Università degli Studi di Torino*



Le malattie neurodegenerative sono patologie progressive e non curabili, anche se in alcuni casi trattabili, che provocano la degenerazione progressiva e/o la morte delle cellule nervose. Nel complesso, causano disturbi nel movimento o del funzionamento cognitivo. Le più frequenti sono la malattia di Alzheimer, la malattia di Parkinson, le malattie del motoneurone come la Sclerosi Laterale Amiotrofica (SLA) e l'Atrofia Muscolare Spinale (SMA).



Prof. Adriano Chiò

Negli ultimi anni si sono sviluppate tecnologie che promettono di intervenire sulle alterazioni geniche, correggendole o bloccandone l'effetto. Fra le molecole più interessanti gli oligonucleotidi antisenso (ASO), già approvati per il trattamento della SMA, una grave malattia infantile dovuta a delezioni del gene SMN, e che hanno determinato un vero cambiamento della storia clinica dei bambini colpiti.

Sono in corso sperimentazioni farmacologiche con ASO per il trattamento di pazienti portatori di due geni causali della SLA, SOD1 e C9orf72, e per il gene della malattia di Huntington. Nel prossimo futuro si attendono studi con ASO anche su alcune fra le più comuni forme di atassia spinocerebellare.

Sono in fase di sperimentazione clinica anche terapie geniche basate su vettori virali, che permetteranno di intervenire a livello genico con la sostituzione, l'attivazione o il blocco della trascrizione del gene alterato o il trasporto di geni che si pensa possano alleviare o arrestare specifiche patologie neurodegenerative.

Queste metodologie sfruttano la capacità dei virus di entrare nel nucleo cellulare e di integrare il loro DNA in quello umano. Questo approccio terapeutico è già in fase di avanzata sperimentazione nella SMA, è in fase II nella malattia di Alzheimer ed è in fase I nella malattia di Parkinson e nella SLA.