

Dall'Italia una terapia genica per tenere a bada il colesterolo

Virus resi inoffensivi diventano navette per tenere a bada il colesterolo nei casi in cui i livelli elevati sono ereditari: è una nuova strada che nei test preclinici dimostra di migliorare il metabolismo del colesterolo e ridurre l'aterosclerosi. Descritta sulla rivista *Molecular Therapy*, è stata messa a punto in Italia, al Ceinge Biotechnologie Avanzate F. Salvatore di Napoli.

Nel mirino della nuovaterapia genicac'è l'ipercolesterolemia familiare, una malattia ereditaria nella quale un'alterazione genetica provoca livelli estremamente elevati dicolesterolo Ldl, il cosiddetto 'colesterolo cattivo' e uno dei principali fattori di rischio cardiovascolare all'origine dell'aterosclerosi. Nella maggior parte dei casi, la malattia si deve amutazioni delgene che codifica per ilrecettore delle Ldl: quando il gene non funziona, il recettore non riesce a catturare lelipoproteine a bassa densità(Ldl)che in condizioni normali trasportano il colesterolo dal fegato ai tessuti. Di conseguenza queste lipoproteinerestano nel sangue.

Nei test preclinici, condotti su topi con un deficit del recettore delle Ldl, "una singola somministrazione intramuscolare della terapia ha determinato un'espressione stabile e prolungata della proteina terapeutica e una riduzione significativa delle lesioni aterosclerotiche a livello dell'aorta", rileva il Ceinge. "I nostri risultati suggeriscono che un approccio di terapia genica diretto al muscolo potrebbe rappresentare una strategia terapeutica a lungo termine e aprire nuove prospettive per lo sviluppo di trattamenti genici per le dislipidemie ereditarie", osserva Lucio Pastore, ricercatore senior dello studio, ordinario di Biochimica clinica e Biologia molecolare clinica dell'Università Federico II di Napoli e responsabile del laboratorio Gene Therapy del Ceinge.

"Consentendo al muscolo scheletrico di produrre una proteina terapeutica derivata dal gene Ldlr, abbiamo osservato un miglioramento duraturo dei livelli lipidici e una riduzione dell'aterosclerosi fino a tre mesi nei modelli preclinici", osserva la prima autrice dello studio Maria Vitale, ricercatrice del Ceinge e responsabile scientifico della startup Kimera, nata nello stesso centro.

<https://www.altoadige.it/scienza-e-tecnica/dall-italia-una-terapia-genica-per-tenere-a-bada-il-colesterolo-1.4321736>

[illegible]