

Dal Ceinge di Napoli una terapia genica contro il colesterolo ereditario: i risultati preclinici sono promettenti

Virus resi inoffensivi come navette molecolari per correggere il metabolismo lipidico: una sola iniezione intramuscolare ha ridotto le lesioni aterosclerotiche nei modelli animali

- Una navetta virale contro il colesterolo cattivo
- Il problema dell'ipercolesterolemia familiare
- Come funziona la terapia sviluppata a Napoli
- Risultati preclinici: una sola dose, effetti duraturi
- La ricerca italiana tra eccellenze e sfide
- Il percorso verso la clinica
- Domande frequenti

Una navetta virale contro il colesterolo cattivo

Virus svuotati del loro potenziale patogeno e trasformati in corrieri molecolari. È questa, in estrema sintesi, l'idea alla base della nuova terapia genica messa a punto dai ricercatori del Ceinge – Biotechnologie Avanzate Franco Salvatore di Napoli, centro di ricerca che da anni rappresenta un polo d'eccellenza nel panorama biomedico italiano. L'obiettivo: correggere alla radice il difetto metabolico che, in chi soffre di ipercolesterolemia familiare, rende il colesterolo un nemico pressoché invincibile.

I test preclinici condotti su modelli murini hanno dato risultati che gli stessi autori definiscono incoraggianti. Miglioramento sensibile del metabolismo del colesterolo, riduzione significativa delle lesioni aterosclerotiche e — dato forse più rilevante — effetti duraturi dopo una singola somministrazione intramuscolare. Non un farmaco da assumere ogni giorno per tutta la vita, dunque, ma potenzialmente un intervento una tantum.

Il problema dell'ipercolesterolemia familiare

Quando si parla di colesterolo alto, l'immaginario collettivo corre subito alla dieta, allo stile di vita sedentario, alle cattive abitudini. Ma esiste una fetta consistente di pazienti — si stima una persona su 250 nella forma eterozigote, una su 300.000 in quella omozigote — per cui il problema è scritto nel DNA. L'ipercolesterolemia familiare è una malattia genetica che compromette la capacità dell'organismo di smaltire il colesterolo LDL dal sangue.

Per questi pazienti le statine spesso non bastano. Nemmeno le terapie più recenti a base di anticorpi monoclonali anti-PCSK9 riescono sempre a portare i valori entro soglie di sicurezza, soprattutto nelle forme omozigoti. Il rischio cardiovascolare resta elevato fin dalla giovane età: infarti precoci, aterosclerosi accelerata, aspettativa di vita ridotta. Servono strategie radicalmente diverse.

Come funziona la terapia sviluppata a Napoli

L'approccio del gruppo napoletano si basa sull'impiego di vettori virali adeno-associati (AAV), virus resi completamente inoffensivi attraverso l'ingegneria genetica. Privati della capacità di replicarsi e di causare malattia, questi microrganismi conservano però un'abilità preziosa: sanno entrare nelle cellule umane e consegnare il proprio carico genetico con precisione.

Il carico, in questo caso, è una copia funzionale del gene responsabile della corretta gestione del colesterolo — tipicamente il gene che codifica per il recettore delle LDL, quello difettoso nei pazienti con ipercolesterolemia familiare. Una volta raggiunto il bersaglio, il gene terapeutico si integra nel macchinario cellulare e ripristina la produzione della proteina mancante o malfunzionante.

La scelta della via intramuscolare rappresenta un elemento di particolare interesse. Rispetto alla somministrazione endovenosa, un'iniezione nel muscolo è più semplice, meno invasiva e potenzialmente eseguibile in ambulatorio. Se i dati preclinici saranno confermati negli studi sull'uomo, questo dettaglio potrebbe fare la differenza in termini di accessibilità e scalabilità della terapia.

Risultati preclinici: una sola dose, effetti duraturi

Stando a quanto emerge dai dati presentati dal Ceinge, nei topi trattati con la terapia genica si è osservato un miglioramento marcato del metabolismo lipidico: i livelli di colesterolo LDL nel sangue sono calati in modo significativo rispetto ai controlli non trattati.

Ma il dato più eloquente riguarda le placche aterosclerotiche. Le lesioni vascolari — vero indicatore del danno a lungo termine prodotto dal colesterolo — si sono ridotte in maniera sostanziale. Non un semplice aggiustamento dei numeri in un esame del sangue, insomma, ma un impatto concreto sulla patologia vascolare che rappresenta la principale causa di morte legata all'ipercolesterolemia.

Altro elemento cruciale: la durata dell'effetto. Una singola somministrazione ha prodotto risultati che si sono mantenuti nel tempo durante il periodo di osservazione. Per una malattia cronica come l'ipercolesterolemia familiare, la prospettiva di non dover ricorrere a terapie quotidiane o a iniezioni periodiche di anticorpi monoclonali — con costi spesso proibitivi — cambierebbe radicalmente il paradigma di cura.

La ricerca italiana tra eccellenze e sfide

Il lavoro del Ceinge si inserisce in un filone di ricerca scientifica italiana che, nonostante le croniche difficoltà di finanziamento, continua a produrre risultati di rilievo internazionale. Napoli, in particolare, conferma una vocazione biomedica che affonda le radici nella tradizione della sua scuola medica e che oggi trova nel centro di via Gaetano Salvatore un hub tecnologico di primo piano.

Non è un caso isolato. La comunità scientifica italiana sta vivendo una stagione di fermento su più fronti: basti pensare ai progressi nella ricerca sull'energia da fusione con l'inaugurazione del supercomputer

Cresco8 o al recente appello dell'Accademia dei Lincei per una campagna di sensibilizzazione sui vaccini, segno di un ecosistema che — tra mille contraddizioni — resta vitale.

La questione, semmai, è un'altra: riuscire a trattenere competenze e a garantire continuità di risorse. La terapia genica è un settore ad altissima intensità di investimento. Portare un candidato dalla fase preclinica alla sperimentazione clinica richiede capitali ingenti, infrastrutture regolatorie solide e una capacità produttiva che in Italia fatica ancora a raggiungere la massa critica.

Il percorso verso la clinica

È bene ricordarlo: siamo ancora nella fase preclinica. Il passaggio dai topi all'uomo è lungo, costoso e tutt'altro che scontato. Serviranno studi di tossicologia, la messa a punto di protocolli di produzione su larga scala secondo gli standard GMP (Good Manufacturing Practice), e poi le tre fasi della sperimentazione clinica prima di poter anche solo ipotizzare un'approvazione regolatoria da parte dell'EMA o dell'AIFA.

Tuttavia, il panorama internazionale della terapia genica offre precedenti incoraggianti. Farmaci come Glybera, Luxturna e Zolgensma hanno dimostrato che il principio funziona e che le agenzie regolatorie sono pronte a valutare — e approvare — trattamenti di questo tipo. Il colesterolo ereditario potrebbe essere il prossimo campo di battaglia.

Per i circa 200.000 italiani che convivono con l'ipercolesterolemia familiare nella sua forma eterozigote, e per i pochi ma gravissimi casi omozigoti, la notizia che arriva dal Ceinge è un segnale. Non ancora una soluzione, ma la conferma che la ricerca sta cercando la strada giusta. E che, almeno stavolta, quella strada passa per Napoli.

Pubblicato il: 19 marzo 2026 alle ore 15:04

Domande frequenti

Cos'è l'ipercolesterolemia familiare e perché è difficile da trattare?

L'ipercolesterolemia familiare è una malattia genetica che ostacola la capacità dell'organismo di eliminare il colesterolo LDL dal sangue. Le terapie convenzionali, come statine e anticorpi monoclonali, spesso non sono sufficienti, soprattutto nei casi più gravi.

In cosa consiste la nuova terapia genica sviluppata dal Ceinge di Napoli?

La terapia utilizza vettori virali adeno-associati (AAV), virus resi innocui che trasportano una copia funzionante del gene difettoso nei pazienti. Questo approccio mira a correggere il difetto genetico alla radice, ripristinando la produzione della proteina necessaria per gestire il colesterolo.

Quali risultati sono stati ottenuti nei test preclinici su modelli animali?

I test preclinici sui topi hanno mostrato una significativa riduzione del colesterolo LDL e delle lesioni aterosclerotiche. Inoltre, una sola somministrazione ha garantito effetti duraturi nel tempo.

Quali sono i vantaggi della somministrazione intramuscolare per questa terapia?

La somministrazione intramuscolare è più semplice, meno invasiva rispetto alla via endovenosa e può essere effettuata in ambulatorio. Ciò potrebbe aumentare l'accessibilità e la scalabilità della terapia in futuro.

Quali sono i prossimi passi per portare questa terapia ai pazienti?

La terapia è attualmente in fase preclinica; serviranno studi di tossicologia, produzione secondo standard GMP e le tre fasi della sperimentazione clinica. Solo dopo questi passaggi si potrà valutare l'approvazione regolatoria e la reale disponibilità per i pazienti.

Qual è il ruolo della ricerca italiana nel campo della terapia genica?

L'Italia, nonostante le difficoltà di finanziamento, si conferma all'avanguardia nella ricerca biomedica, con eccellenze come il Ceinge di Napoli. Tuttavia, sono necessari maggiori investimenti e infrastrutture per garantire continuità e competitività a livello internazionale.

<https://edunews24.it/ricerca/dal-ceinge-di-napoli-una-terapia-genica-contro-il-colesterolo-ereditario-i-risultati-preclinici-sono-promettenti>

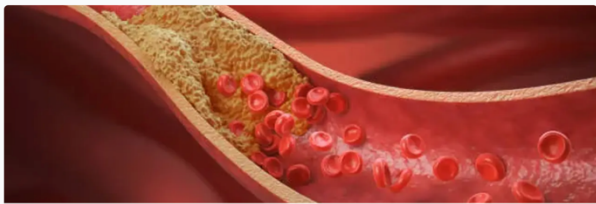
VEN 20

Venerdì
20 marzo 2026

EDU NEWS 24

SCUOLA UNIVERSITÀ RICERCA MONDO FORMAZIONE EDITORIALI CULTURA LAVORO TECNOLOGIA SELEZIONE PERSONALE INTER

Home > Ricerca > Dal Ceinge di Napoli una terapia genica contro il ...



Ricerca 19/03/2026

Dal Ceinge di Napoli una terapia genica contro il colesterolo ereditario: i risultati preclinici sono promettenti

Ascolta Disponibile in formato audio

Virus resi inoffensivi come navette molecolari per correggere il metabolismo lipidico: una sola iniezione intramuscolare ha ridotto le lesioni aterosclerotiche nei modelli animali

- Una navetta virale contro il colesterolo cattivo
- Il problema dell'ipercolesterolemia familiare
- Come funziona la terapia sviluppata a Napoli
- Risultati preclinici: una sola dose, effetti duraturi
- La ricerca italiana tra eccellenze e sfide
- Il percorso verso la clinica
- Domande frequenti

Una navetta virale contro il colesterolo cattivo

Virus svuotati del loro potenziale patogeno e trasformati in corrieri molecolari. È questa, in estrema sintesi, l'idea alla base della **nuova terapia genica** messa a punto dai ricercatori del **Ceinge - Biotecnologie Avanzate Franco Salvatore di Napoli**, centro di ricerca che da anni rappresenta un polo d'eccellenza nel panorama biomedico italiano. L'obiettivo: correggere alla radice il difetto metabolico che, in chi soffre di **ipercolesterolemia familiare**, rende il colesterolo un nemico pressoché invincibile.

I test preclinici condotti su modelli murini hanno dato risultati che gli stessi autori definiscono incoraggianti. Miglioramento sensibile del metabolismo del colesterolo, riduzione significativa delle **lesioni aterosclerotiche** e — dato forse più rilevante — effetti duraturi dopo una singola somministrazione intramuscolare. Non un farmaco da assumere ogni giorno per tutta la vita, dunque, ma potenzialmente un intervento una tantum.

Il problema dell'ipercolesterolemia familiare

Quando si parla di colesterolo alto, l'immaginario collettivo corre subito alla dieta, allo stile di vita sedentario, alle cattive abitudini. Ma esiste una fetta consistente di pazienti — si stima una persona su 250 nella forma eterozigote, una su 300.000 in quella omozigote — per cui il problema è scritto nel DNA. L'**ipercolesterolemia familiare** è una malattia genetica che compromette la capacità dell'organismo di smaltire il colesterolo LDL dal sangue.

Per questi pazienti le statine spesso non bastano. Nemmeno le terapie più recenti a base di **anticorpi monoclonali anti-PCSK9** riescono sempre a portare i valori entro soglie di sicurezza, soprattutto nelle forme omozigote. Il rischio cardiovascolare resta elevato fin dalla giovane età: infarti precoci, aterosclerosi accelerate, aspettativa di vita ridotta. Servono strategie radicalmente diverse.

Come funziona la terapia sviluppata a Napoli

L'approccio del gruppo napoletano si basa sull'impiego di **vettori virali adeno-associati (AAV)**, virus resi completamente inoffensivi attraverso l'ingegneria genetica. Privati della capacità di replicarsi e di causare malattie, questi microrganismi conservano però un'abilità preziosa: sanno entrare nelle cellule umane e consegnare il proprio carico genetico con precisione.

Il carico. In questo caso, è una **copia funzionale del gene** responsabile della corretta gestione del colesterolo — tipicamente il gene che codifica per il recettore delle LDL, quello difettoso nei pazienti con ipercolesterolemia familiare. Una volta raggiunto il bersaglio, il gene terapeutico si integra nel macchinario cellulare e ripristina la produzione della proteina mancante o malfunzionante.

La scelta della **via intramuscolare** rappresenta un elemento di particolare interesse. Rispetto alla somministrazione endovenosa, un'iniezione nel muscolo è più semplice, meno invasiva e potenzialmente eseguibile in ambulatorio. Se i dati preclinici saranno confermati negli studi sull'uomo, questo dettaglio potrebbe fare la differenza in termini di accessibilità e scalabilità della terapia.