

Malattia di Huntington: come potrebbero aiutare le cellule staminali?

Cosa sappiamo?

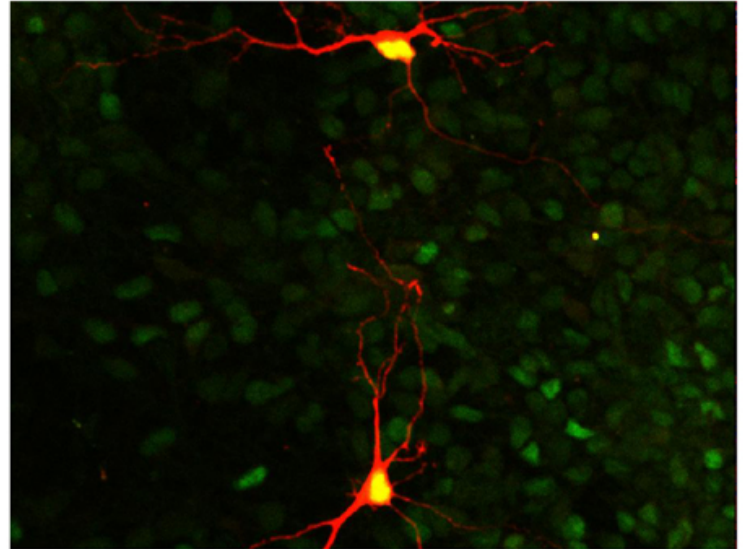
La malattia di Huntington (MH) è una malattia genetica ereditaria che danneggia i neuroni spinosi medi (MSN) del cervello, causando cambiamenti a livello emozionale, declino mentale e difficoltà di movimento.

I sintomi spesso appaiono nei pazienti tra i 35-50 anni ma possono comparire anche più precocemente.

La MH è causata da una sequenza di tre lettere del DNA, 'CAG', che è ripetuta per più di 40 volte nel gene dell'Huntingtina; quando le ripetizioni sono più di 35, c'è un elevato rischio di sviluppare la malattia.

Al momento non esistono cure per la malattia di Huntington.

Le cellule staminali rappresentano un importante strumento per studiare diversi aspetti della malattia, da come la MH comporta la morte dei MSN alla sperimentazione di nuovi trattamenti.



Neuroni spinosi medi umani coltivati in laboratorio a partire da cellule staminali embrionali.

Immagine: Charles Arber, University College London

Che cosa stanno studiando i ricercatori?

Il gene dell'huntingtina produce una proteina importante per i neuroni, ma gli scienziati stanno ancora provando a capire che cosa questa proteina faccia nelle cellule e per quale motivo un eccessivo numero di ripetizioni della sequenza CAG causi la morte dei MSN.

I ricercatori utilizzano MSN generati a partire da cellule staminali pluripotenti indotte (iPS) come modello della malattia di Huntington e per osservare come la malattia proceda. Le cellule iPS sono utilizzate anche per testare nuovi farmaci, terapie geniche e altri trattamenti in maniera molto più rapida di quanto avvenisse prima che le cellule iPS fossero scoperte.

Diversi studi stanno esaminando come le cellule staminali neurali potrebbero essere trapiantate nel cervello e generare nuovi MSN e altre cellule necessarie nel cervello.

Quali sono le sfide?

Al momento non esistono trattamenti con cellule staminali approvati per la cura della malattia di Huntington. I trapianti di cellule staminali neurali sono stati oggetto di diverse sperimentazioni cliniche per il trattamento dei pazienti affetti da MH, ma questi trattamenti devono ancora superare dei test rigorosi che valutino la loro sicurezza ed efficacia.

Una fonte di cellule affidabile ed eticamente valida deve ancora essere sviluppata. Le cellule iPS e le cellule staminali embrionali potrebbero essere utilizzate per generare grandi quantità di cellule staminali neurali, ma queste cellule devono essere omogenee e sicure. Infatti, se non sono studiate attentamente, le cellule staminali pluripotenti possono causare l'insorgenza di tumori o altre complicazioni che mettono a rischio la vita del paziente.