EuroStemCell

Ultimo aggiornamento: 26.04.2018

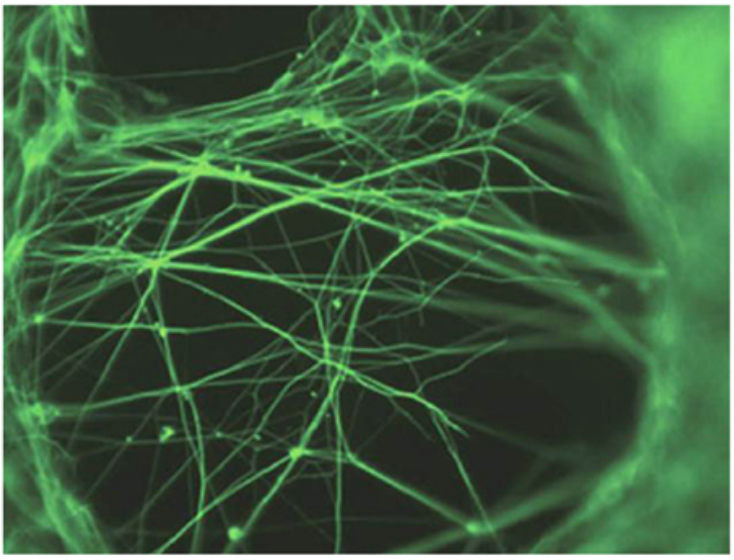
La malattia di Parkinson: come possono aiutare le cellule staminali?

Cosa sappiamo?

Tremori, rigidità muscolare e altri sintomi della malattia di Parkinson (PD) sono causati principalmente dalla morte dei neuroni che producono la dopamina nel cervello. Tutti i neuroni che producono dopamina nel cervello sono indiscriminatamente affetti dalla malattia, ma quelli che compongono “substantia nigra” sono particolarmente depleti.

Le persone affette da PD spesso sviluppano degli ammassi anormali di proteine nel cervello, detti corpi di Lewy. Questi accumuli sono composti da una proteina detta alfa-sinucleina.

La Levodopa (L-DOPA) è il farmaco principale usato per trattare la malattia di Parkinson. Una volta raggiunto il cervello la Levodopa viene convertita in dopamina, così compensando per la perdita dei neuroni che la producono.



Cellule nervose cresciute in laboratorio. Un marcatore verde è stato usato per tracciare qualsiasi tipo di neurone nel campione.

Immagine: Tilo Kunath, University of Edinburgh.

A che punto è la ricerca?

Circa 5% delle persone affette da PD sono portatrici di mutazioni genetiche ereditarie associate alla malattia. I ricercatori stanno portando avanti studi clinici, studi in modelli animali e modelli cellulari volti a capire cosa causi la malattia di parkinson nel rimanente 95% dei pazienti.

Trapiantare giovani cellule del cervello ottenute da feti umani in individui affetti da Parkinson ha mostrato dei risultati promettenti in test clinici precedenti. Attualmente, uno studio portato avanti da TRANSEURO sta riesaminando questo metodo di trattamento con lo scopo di minimizzare gli effetti collaterali e misurarne l’efficacia.

Oggigiorno gli scienziati sono in grado di generare neuroni che producono dopamina a partire sia da cellule staminali embrionali (ESCs) che da cellule staminali pluripotenti indotte (iPSCs). I neuroni ottenuti da ESCs ed IPSCs maturano in neuroni che producono la dopamina, sopravvivono e sono funzionali quando trapiantati in topi, ratti e scimmie.

Quali sono le sfide?

L’alfa-sinucleina e molte altre proteine codificate da geni associati alla malattia di Parkinson sono ancora poco \caratterizzate. Queste forme genetiche di PD affliggono solo una piccola percentuale di pazienti. Per questo motivo, è molto difficile capire le cause precise della malattia di Parkinson.

Nonostante i farmaci a disposizione per il trattamento della malattia di Parkinson siano molto utili, questi perdono di efficacia dopo anni di terapia e con il progredire della malattia. I trattamenti a base di cellule staminali potenzialmente offrono la possibilità di rimpiazzare i neuroni persi a causa della malattia. I trattamenti a base di ESCs e iPSCs umane non sono ancora stati approvati per la terapia della malattia di Parkinson nell’uomo, tuttavia i primi trial clinici sono attesi per il 2018. Studi in modelli animali di PD hanno dimostrato che i neuroni che producono dopamina generati a partire da ESCs ed IPSCs sono sicuri, efficaci e abbastanza simili ai neuroni originali della substantia nigra. Tuttavia, la loro sicurezza ed il loro effetto benefico in pazienti affetti da PD rimangono rimangono da dimostrare prima che essi possano essere adoperati su larga scala.

Per maggiori informazioni, visita: **www.eurostemcell.org/it/parkinson**