

## La terapia genica per la retinite pigmentosa



### La terapia genica può inibire la cecità causata dalla retinite pigmentosa

Intervista al **professor Robert E MacLaren** del laboratorio di Oftalmologia Nuffield Dipartimento di Neuroscienze Cliniche, Università di Oxford - Oxford Centre Ricerca Biomedica, Università di Oxford, Oxford, Regno Unito Moorfields Eye Hospital e UCL Centro di ricerca biomedica per NIHR Oftalmologia Londra, UK.MedicalResearch .com

#### Ricerca medica: Qual'è stato l'obiettivo di questo studio? Quali sono i risultati più evidenti?

Prof. MacLaren: "Lo studio dimostra che la [terapia genica](#) può essere utilizzata per rilasciare una proteina nell'occhio in modo da poter arrestare lo sviluppo della retinite pigmentosa, una malattia che porta alla cecità in conseguenza della degenerazione della retina. Lo studio è stato condotto su topi che avevano un difetto genetico simile a quello trovato negli esseri umani con questo tipo di malattia. I topi avevano anche fluorescenze "abbagliamenti" verde chiaro nelle celle di rilevamento note come coni, che abbiamo potuto vedere e contare nell'occhio - come si contano le stelle nel cielo notturno. Contando i coni verdi fluorescenti siamo stati in grado di capire l'esatta dose di terapia genica necessaria per mantenere in vita queste cellule a tempo indeterminato. Lo studio è stato finanziato da Fight for Sight, un ente di beneficenza del Regno Unito, che finanzia la ricerca per le cure delle malattie degli occhi."

#### Ricerca medica: che cosa possono aspettarsi sia i medici che i pazienti dai vostri risultati?

Prof. MacLaren: "La terapia genica ha un enorme potenziale nel trattamento della [retinite pigmentosa](#), stiamo ancora effettuando studi clinici e c'è molto da fare prima che diventi un trattamento con un protocollo approvato."

#### Ricerca medica: come risultato di questo studio che indicazioni si possono dare per la ricerca futura ?

Prof. MacLaren: "Abbiamo bisogno di saperne di più su come la proteina indotta va ad agire come terapia genica. La proteina è nota come fattore neurotrofico ciliare (CNTF) ed è già stato studiato negli studi clinici, ma sono stati osservati anche alcuni effetti tossici . Dobbiamo verificare se anche a dosaggi inferiori ci può essere lo stesso stabilità utilizzando la terapia genica, oppure la via della somministrazione può portare a un punto critico per il successo con la retinite pigmentosa. **Ora abbiamo dati sufficienti per iniziare a progettare una sperimentazione clinica.**

articolo originale [clicca qui](#)