Nuove potenzialita' della terapia genetica: il gene CFTR aerosolico nella fibrosi cistica.

Data 30 novembre 1999
Categoria scienze_varie

Il CFTR e' un gene coinvolto nella sintesi di una proteina che regola, attraverso una catena di reazioni, l' AMP ciclico e quindi la conduttanza trans-membrana cellulare al cloro. Questa funzione risulta alterata nei pazienti affetti da fibrosi cistica. In alcuni studi sperimentali il trasferimento alla mucosa nasale, tramite aerosol, di aggregati lipidici contenenti il DNA del gene normale ha consentito un certo grado di normalizzazione della funzione epiteliale di questi pazienti. La somministrazione di questo preparato a 8 malati di fibrosi cistica e' stata effettuata con tecniche che consentivano una inalazione profonda, con l' obiettivo di ottenere un miglioramento dello scambio ionico cellulare anche a livello polmonare. In tutti i pazienti trattati, diversamente da quanto riscontrato nel gruppo placebo, si e' assistito ad una significativa correzione della anomalia dello scambio elettrolitico di membrana, tipico della fibrosi cistica. Con questa procedura si ottiene un miglioramento della funzione cellulare alveolare nei pazienti affetti da fibrosi cistica.
(Lancet 1999;353;947-54)

© 2004 - 2026 Pillole - Registrazione T. di Roma n. 2/06 | stampato il 12/11/2026 alle ore 16:37 | Pagina 1 di 1