

Martedì 14 NOVEMBRE 2017

Ipercolesterolemia. Con la genetica si potrebbe “spegnere” il gene correlato al colesterolo

In un esperimento su animali da laboratorio condotto dal Massachusetts Institute of Technology, una tecnica di editing genetico ha mostrato di essere efficace nello “spegnere” un gene delle cellule epatiche, coinvolto nella regolazione del colesterolo. Un primo passo verso un orizzonte di terapie geniche per l'ipercolesterolemia

(Reuters Health) – La tecnica di editing genetico CRISPR-Cas9 è stata applicata con successo per ‘spegnere’ un gene chiave correlato con il colesterolo, nelle cellule epatiche. L'esperimento, condotto su animali da laboratorio, potrebbe portare all'individuazione di nuovi metodi per la correzione genica e il trattamento di malattie dovute a ipercolesterolemia. A eseguirlo è stato un gruppo di ricercatori guidati da **Daniel Anderson**, professore di ingegneria chimica al Massachusetts Institute of Technology, che ha pubblicato i risultati su Nature Biotechnology.

La premessa

Secondo Anderson e colleghi, la tecnica di editing avrebbe permesso loro di modificare in modo permanente i geni come PCSK9, che regola il colesterolo. Per farlo, gli scienziati hanno cercato un modo efficiente e sicuro per trasportare le componenti necessarie all'editing, ovvero l'enzima che esegue il taglio del DNA, Cas9, e il tratto di RNA che guida l'enzima di taglio sul punto corretto del genoma, a livello delle cellule del fegato. Normalmente, per il trasporto di queste componenti vengono usati virus; un approccio però limitato dal fatto che spesso il sistema immunitario sviluppa anticorpi contro di loro. Per superare questo ostacolo, Anderson e colleghi hanno utilizzato particelle di grasso di dimensioni di nanometri. Poi hanno iniettato questo materiale negli animali da laboratorio, dove ha raggiunto le cellule del fegato.

Le evidenze

Il sistema è risultato molto efficace, giacché ha eliminato il gene in più dell' 80% delle cellule epatiche. E negli animali trattati ci sarebbe stata una riduzione del 35% del colesterolo totale, secondo quanto riferito dai ricercatori. Il team starebbe ora lavorando per identificare altre malattie epatiche in cui questo approccio potrebbe essere vantaggioso, cercando di raffinare la tecnica messa a punto per poterla utilizzare in vivo.

Fonte: Nature Biotechnology

Julie Steenhuysen

(Versione italiana Quotidiano Sanità/Popular Science)