



Settembre 2013

L'Associazione Amici del "Centro Dino Ferrari" intende proseguire il finanziamento del progetto di ricerca presentato negli scorsi anni: utilizzo di cellule staminali per il trattamento clinico di pazienti affetti da Distrofia Muscolare. La terapia cellulare è ad oggi uno dei più promettenti approcci per correggere difetti delle malattie genetiche dal momento che le cellule possono partecipare attivamente alla rigenerazione tessutale; in tal senso la recente identificazione di differenti tipologie di cellule staminali multipotenti, alcune delle quali particolarmente adeguate per essere utilizzate in protocolli di terapia cellulare, ha creato nuove interessanti prospettive nel trattamento di malattie genetiche che ancora oggi non hanno una terapia efficace e risolutiva, tra queste la distrofia muscolare di Duchenne (DMD) è una delle più comuni e aggressive. Nei bambini DMD i primi segni di debolezza muscolare insorgono intorno ai 3-5 anni di età a carico di alcuni gruppi di muscoli. Il progressivo deficit di forza muscolare porta alla perdita della capacità di muoversi autonomamente fino a quando, all'età di 14 anni, il 97% dei ragazzi affetti da questa malattia diventa incapace di camminare e ricorre all'uso della sedia a rotelle. La maggior parte di essi muore entro la tarda adolescenza per complicanze respiratorie e/o cardiache. I numerosi progressi scientifici hanno portato alla luce una varietà di nuovi possibili approcci quali la terapia genica e cellulare con diversi tipi di cellule staminali da poco identificate. Una nuova tecnologia, l'exon skipping, permette di saltare uno o più esoni in modo da dare origine a una proteina distrofina più corta ma ancora funzionante. In questo progetto ci si propone di combinare il razionale dell'approccio di exon skipping (terapia genica), con la terapia cellulare che utilizza le cellule staminali con proprietà miogeniche.

La combinazione di queste differenti strategie potrebbe accrescere le possibilità di successo delle singole terapie ed incrementare il numero dei pazienti trattabili.

**Contribuisci con un SMS del valore di 2 euro dal 15 Set al 05 Ott.**

AL NUMERO

**45507**

Associazione  
Amici del  
Centro  
Dino Ferrari