

 Contenuto archiviato il 2023-03-20

Un lavoro pionieristico per migliorare la terapia genetica

Per molte malattie disabilitanti o letali, ci sono prove pre-cliniche o cliniche dei potenziali benefici terapeutici della terapia genetica. Sfortunatamente, le limitazioni delle attuali tecnologie di trasferimento genico hanno impedito la buona riuscita delle sperimentazioni ...



Per molte malattie disabilitanti o letali, ci sono prove pre-cliniche o cliniche dei potenziali benefici terapeutici della terapia genetica. Sfortunatamente, le limitazioni delle attuali tecnologie di trasferimento genico hanno impedito la buona riuscita delle sperimentazioni e in alcuni casi hanno persino portato a gravi effetti collaterali durante le

sperimentazioni.

Il progetto finanziato dall'UE PERSIST ("Persisting transgenesis") si è preoccupato dello sviluppo di nuovi strumenti e tecnologie di terapia genetica per applicazioni cliniche.

I ricercatori del progetto, coordinati dall'Università Vita-Salute San Raffaele di Milano, hanno studiato il targeting altamente innovativo del gene e le tecnologie di revisione ed erogazione, sfruttando le recenti scoperte sul controllo dell'espressione genetica.

In particolare, hanno lavorato per risolvere il problema relativo al guidare in modo preciso il destino e l'espressione delle informazioni genetiche nella terapia genetica, con applicazioni per gravi malattie come le immunodeficienze ereditarie, i disturbi di accumulo e l'emofilia.

Queste malattie rappresentano modelli fondamentali per nuove terapie da studiare mediante la modificazione genetica di diversi tipi di cellula. I tipi di cellula in questione

comprendono i linfociti, gli epatociti e diversi tipi di cellule staminali e tutti questi sono stati presi come obiettivo da PERSIST.

Il progetto ha avuto successo a diversi livelli. Innanzitutto, i partner hanno sviluppato nuove strategie per l'espressione genetica a lungo termine abbassando allo stesso tempo il rischio di risposte immunitarie indotte, tossicità transgene e genotossicità.

PERSIST in questo modo supera l'incertezza legata agli effetti collaterali dose-limitanti di un tipo di terapia genetica precedentemente non presa in considerazione. Questo lavoro si può usare adesso per la definizione di protocolli di cura più sicuri ed efficaci per le malattie umane.

I risultati del progetto PERSIST contribuiranno a migliorare le terapie per malattie specifiche studiate dai ricercatori. La ricerca si potrebbe applicare anche a diverse altre malattie ereditarie e prepara il terreno per le applicazioni in malattie acquisite come il cancro e le malattie infettive.

Grazie alla natura collaborativa del progetto, sono state create affiliazioni di ricerca forti e durature in tutta Europa e questo avrà probabilmente come risultato la scoperta più rapida e lo sviluppo di altre nuove importanti tecniche terapeutiche.

PERSIST ha ricevuto 11,2 milioni di euro in finanziamenti dell'UE e ha riunito team di ricerca di alto livello di otto paesi dell'UE e Svizzera. I ricercatori hanno concluso il loro lavoro a giugno 2013. Per maggiori informazioni, visitare:

PERSIST

<http://www.persist-project.eu/> 

Scheda informativa del progetto

Università Vita-Salute San Raffaele

<http://www.unisr.it/view.asp?id=> 

Paesi

Belgio, Svizzera, Germania, Spagna, Francia, Italia, Paesi Bassi, Svezia, Regno Unito

Progetti correlati



ARCHIVED

PERSIST

Persisting Transgenesis

16 Luglio 2019

PROGETTO

Articoli correlati



NOTIZIE

PROGRESSI SCIENTIFICI

Un gene difettoso causa una forma appena scoperta di immunodeficienza umana

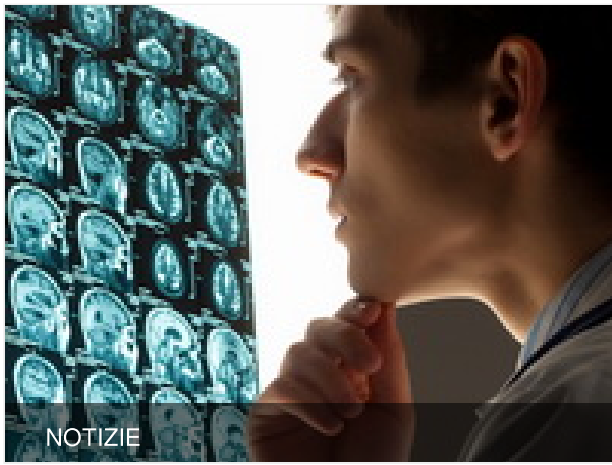
4 Novembre 2016



NOTIZIE

Trovare e curare la causa della cecità ereditaria

19 Giugno 2013



La terapia genica per curare una complessa malattia del cervello

12 Giugno 2013

Ultimo aggiornamento: 23 Agosto 2013

Permalink: <https://cordis.europa.eu/article/id/36000-groundbreaking-work-to-improve-gene-therapy/it>

European Union, 2025