

Questo sito utilizza cookie tecnici e di profilazione propri e di terze parti per le sue funzionalità e per inviarti pubblicità e servizi in linea con le tue preferenze. Se vuoi saperne di più o negare il consenso a tutti o ad alcuni cookie [clicca qui](#). Chiudendo questo banner, scorrendo questa pagina o cliccando qualunque suo elemento acconsenti all'uso dei cookie.

[Accetto](#)

CORRIERE DELLA SERA / MALATTIE RARE



## Progeria, speranze per rallentare l'invecchiamento precoce nei bambini «nati vecchi»

Le molecole antisenso agiscono spegnendo una serie di allarmi molecolari nei telomeri allungando l'aspettaiva di vita di chi è malato

di Cristina Marrone



La [progeria](#) è una malattia molto rara che colpisce uno su 18 milioni di bambini. Si traduce in un invecchiamento precoce e morte nell'adolescenza a causa di complicanze di malattie cardiovascolari. In Italia conosciamo la malattia grazie all'energia di [Sammy Basso](#), che è diventato un simbolo di questa rara patologia. [Sammy aveva co-firmato uno studio pubblicato su Nature](#) sulla sua malattia in cui era stato utilizzata la tecnica CRISPR-Cas-9, il metodo di gene editing per modificare il Dna. Ora, un nuovo studio appena pubblicato su Nature Communications getta le basi per intervenire in generale sulle patologie dell'invecchiamento, tra cui il cancro, grazie allo «spegnimento» degli allarmi molecolari ai telomeri, «sentinelle» che hanno un ruolo nella durata delle cellule. L'associazione tra telomeri e invecchiamento è oggetto di studio da anni. Si sa che l'accorciamento dei telomeri, gli involucri protettivi all'estremità dei cromosomi, accelera il declino dell'organismo ed è proprio su questo punto che si concentrano molte ricerche.

### Campioni di cellule umane

Questo ultimo studio è stato condotto su campioni di cellule prelevate da



Salute

Le [Newsletter di Salute](#) del Corriere, ogni lunedì un nuovo appuntamento con l'informazione

Riceverai direttamente via mail la selezione delle notizie più importanti scelte dalla redazione di Salute.

ISCRIVITI

I PIÙ VISTI

Corriere della Sera

**Mi piace** Piace a 2,6 mln persone. Iscriviti per vedere cosa piace ai tuoi amici.

bambini affetti dalla malattia genetica e ha messo in luce alcune anomalie nella funzione dei telomeri alla estremità dei cromosomi e un accumulo di Rna non codificante. I ricercatori, grazie a gli oligonucleotidi antisense, una categoria di farmaci capaci di disattivare i geni dannosi, sono stati in grado di ridurre il livello di Rna non codificante ottenendo la normalizzazione del processo di divisione cellulare che di fatto potrebbe allungare la vita.

### La vita dei topi allungata

La ricerca è stata condotta da un team di ricercatori dell'Ifom (Istituto Firc di oncologia molecolare) di Milano, del Cnr-Igm (Istituto di genetica molecolare) di Pavia e del Karolinska Institute in Svezia con il supporto di Fondazione Telethon e dell'European Council of Research (Erc) e dal costante sostegno di Fondazione Airc per la ricerca contro il cancro. «Abbiamo testato le nostre molecole antisense in cellule umane derivate dalla pelle di pazienti - spiega Francesca Rossiello dell'Ifom, coautrice dello studio - e nella pelle di un modello murino di Hutchinson-Gilford Progeria Syndrome, allungando la vita massima di questi topi di quasi il 50%».

### Il precedente

Una ricerca precedentemente condotta dallo stesso gruppo diretto da Fabrizio d'Adda di Fagagna, responsabile del programma Ifom «Risposta al danno al Dna e senescenza cellulare» e ricercatore dell'Istituto di genetica molecolare del Cnr, e descritta sempre su Nature Communications nel 2017, aveva rivelato che i telomeri danneggiati inducono la formazione di due specifiche classi di Rna non codificanti (dilncRna e DdRna), che attivano l'allarme molecolare che causa la senescenza della cellula. Grazie allo sviluppo di molecole antisense complementari a questi Rna, gli studiosi sono riusciti a indurre lo spegnimento di questi allarmi in maniera mirata. «Questi risultati - racconta d'Adda di Fagagna - ci hanno incoraggiato a testare questo approccio sulla progeria o sindrome di Hutchinson-Gilford, una rarissima malattia genetica non ereditaria che causa invecchiamento precoce già dai primi mesi di vita e patologie tipiche dell'invecchiamento, come fragilità muscolo-scheletrica e malattie coronariche, riducendo l'aspettativa di vita a circa vent'anni. Una patologia importante su cui siamo felici di poter dare un contributo conoscitivo, e anche un modello di malattia per aiutarci a capire più a fondo i processi di invecchiamento dell'organismo umano al fine di individuare delle strategie terapeutiche per controllarli in condizioni patologiche tipiche dell'invecchiamento stesso.

### Già testati una dozzina di farmaci

«E' stata una soddisfazione - commenta Julio Aguado, primo autore della pubblicazione - a distanza di soli 2 anni dalla nostra scoperta di questi Rna non codificanti, riuscire ad applicare con successo a una patologia umana il nuovo approccio per la loro inibizione». Ad oggi più di una dozzina di farmaci sono stati testati per la progeria, ma non hanno dato risultati soddisfacenti una volta arrivati in clinica. «Abbiamo osservato effetti positivi di alcuni trattamenti nei modelli murini preclinici, ma gli effetti sui pazienti non sono soddisfacenti. Occorre ripensare e identificare nuove strategie per trattare questa patologia», afferma Maria Eriksson, ricercatrice del Karolinska Institute, coautrice del lavoro e prima scopritrice, 16 anni fa, della mutazione genetica responsabile di questa condizione.

### Altre malattie

«Questa ricerca, oltre a segnare un avanzamento conoscitivo per la progeria - conclude d'Adda di Fagagna - apre la possibilità di testare le molecole antisenso per la cura di tante altre patologie umane legate all'invecchiamento e associate al danno ai telomeri, come i tumori, la cirrosi epatica, la fibrosi polmonare, l'aterosclerosi, il diabete, la cataratta, l'osteoporosi e l'artrite. Siamo convinti del potenziale terapeutico di questo approccio e siamo determinati a portarlo sempre più vicino ai pazienti, anche nel contesto oncologico».

18 novembre 2019 (modifica il 18 novembre 2019 | 18:39)  
© RIPRODUZIONE RISERVATA

**TI POTREBBERO INTERESSARE**

Raccomandato da **Outbrain**



**Le icone dei mitici anni '80: ecco come sono quasi 40 anni dopo**  
[\(ALFEMMINILE\)](#)



**Sorpresa! Il Conto Smart di BNL ha un regalo per te. Scoprilo.**  
[\(X.BNL.IT\)](#)



**Il costo delle auto ibride potrebbe sorprenderti**  
[\(CAR DEALS | SPONSORED LISTINGS\)](#)



**Volkswagen Multivan 6.1 finanziamento TAN% fisso**  
[\(VW-VEICOLICOMMERCIALI.IT\)](#)



**Scopri Nuova SEAT Tarraco. Il family SUV.**  
[\(SEAT\)](#)



**Passa dall'architettura al design con Marazzi**  
[\(MARAZZI\)](#)



**Tre pensionati poveri in fuga all'estero in un luogo esotico**



**Disastro Ferrari in Brasile. Chi ha sbagliato tra Vettel e Leclerc?**



**Patty Pravo: «La droga da Schifano e i miei 6 mariti: sono stata anche trigama»**

**ANNUNCI PREMIUM PUBLISHER NETWORK**



**Scopri Conto Mediolanum**  
Puoi avere un Buono Regalo da 150€ e altro...Aprilo ora!  
[Messaggio pubblicitario](#)



**TIM SUPER FIBRA**  
30€/mese tutto incluso. Cosa aspetti? Passa a TIM.  
[Attiva l'offerta!](#)



**Promo online Vodafone**  
Ricevi un buono spesa da 100€, passa a Fibr! Solo online  
[Attiva subito!](#)

[ALTRE NOTIZIE SU CORRIERE.IT](#)

[I PIÙ LETTI](#)