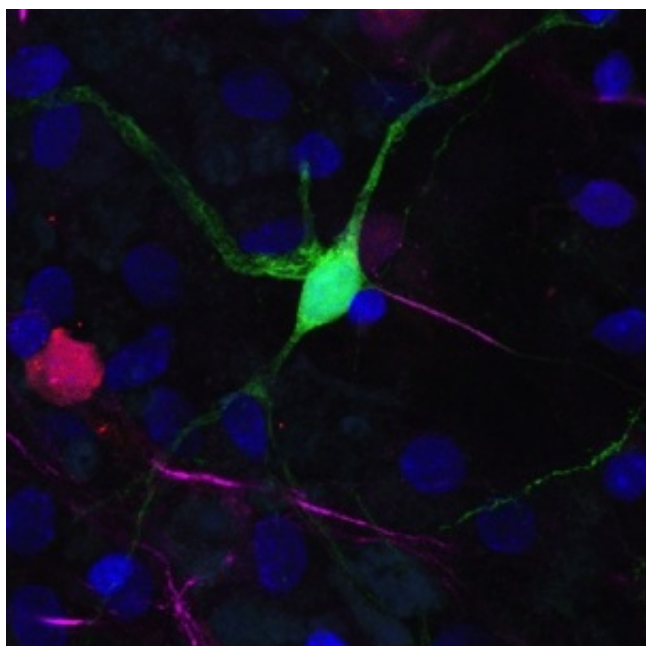


Gaslini



*Un team di ricercatori di Istituto Italiano di Tecnologia-IIT, Università di Genova e Istituto Giannina Gaslini ha trasformato cellule ottenute dalla cute di pazienti affetti da una patologia genetica neurologica in neuroni dotati del corredo genico individuale di ciascun paziente. Lo studio, pubblicato sulla rivista internazionale *Brain*, apre la possibilità di programmare terapie farmacologiche personalizzate*



Genova, 29 marzo 2018 - Il gruppo di ricerca costituito dal Center for Synaptic Neuroscience and Technology dell'IIT-Istituto Italiano di Tecnologia, il Dipartimento di Medicina Sperimentale dell'Università di Genova, e il Laboratorio di Neurogenetica e Neuroscienze dell'Istituto Giannina Gaslini ha eseguito uno studio multidisciplinare che riproduce in laboratorio i meccanismi di una patologia genetica neurologica partendo da cellule cutanee di pazienti.

In particolare lo studio, pubblicato sulla rivista scientifica *Brain*, dimostra che mutazioni di un particolare gene, il gene PRRT2, causano l'inattivazione della proteina corrispondente, da cui deriva la maggior eccitabilità dei neuroni, responsabile di manifestazioni come epilessia, discinesie o emicrania presentate dai pazienti.



Dott. Fabio Benfenati

Questi risultati sono stati raggiunti grazie alle tecniche di riprogrammazione cellulare attraverso cui il team genovese ha trasformato cellule ottenute dalla cute di pazienti affetti da questa patologia in neuroni dotati del corredo genico individuale di ciascun paziente.

Riprogrammare le cellule in laboratorio significa spegnere geni specifici che conferiscono alle cellule una determinata funzione nell'organismo, ad esempio cellule della cute, riportandole in uno stadio di cellule staminali dal quale, mediante l'accensione di altri geni, possono assumere una nuova identità, ad esempio quella di una cellule nervose.



Dott.ssa Anna Corradi

“Tramite queste metodologie è stato possibile studiare in laboratorio i neuroni dei pazienti affetti da patologie neurologiche, osservarli al microscopio, registrarne le attività elettriche e comprendere i meccanismi che portano alla patologia senza operare direttamente sul paziente” spiega Fabio Benfenati coordinatore del lavoro e direttore del Centro IIT.

“Queste tecniche - aggiunge Anna Corradi dell'Università di Genova - sono importanti perché permettono di ottenere e caratterizzare in laboratorio diversi tipi di cellule, come quelle neuronali, normalmente non accessibili se non eccezionalmente mediante l'uso di tecniche altamente invasive per il paziente”.



Dott. Federico Zara

Inoltre la riprogrammazione cellulare favorisce l'individuazione di strategie terapeutiche sempre più precise e personalizzate per la cura di patologie anche complesse come quelle genetiche e a carico di cellule relativamente inaccessibili come quelle del sistema nervoso centrale.

“L'affascinante sfida di formulare nuovi farmaci basati sull'unicità di ciascun paziente è ormai alla nostra portata”, conclude Federico Zara responsabile U.O.S.D. Laboratorio di Neurogenetica e Neuroscienze dell'Istituto Gaslini.