Città della Scienza, Corporea

Napoli, Sabato 24/2 , ore 11 e ore 12:15

Ridare vita alla vita attraverso il DNA: l'adrenoleucodistrofia la rosa della speranza

Nel film l'olio di Lorenzo, del 1992, viene descritta la storia di un bimbo di 5 anni cui viene diagnosticata una rarissima malattia ereditaria, legata al cromosoma X, l'adrenoleucodistrofia (ALD). E' una malattia metabolica, da accumulo, che colpisce principalmente il sistema nervoso (con distruzione progressiva della mielina, la sostanza che riveste le cellule nervose) e le ghiandole surrenali (con conseguente carenza di alcuni ormoni). Una dieta appropriata, e supplementata da alimenti destinati a fini medici speciali, può aiutare a contrastare gli effetti di questa mutazione del DNA e proteggere la salute di questi pazienti, spesso giovanissimi. Inoltre, nuove speranze vengono dalla "cura" del gene. La sostituzione del gene difettoso con un gene funzionale è l'obiettivo della terapia, per trattare la forma cerebrale di Adrenoleucodistrofia (ALD). In futuro, la terapia genica potrebbe anche essere proposta in una seconda fase agli uomini adulti con la forma cerebrale progressiva.

A cura di Marina Melone, Direttore del Centro Interuniversitario di Ricerca in Neuroscienze e Referente Malattie Rare, Università della Campania Luigi Vanvitelli e Valentina Fasano, Presidente dell'Associazione Italiana Adrenoleucodistrofia Onlus