

Una terapia genica restituisce la vista ai topi

Con l'introduzione di una particolare proteina nei coni difettosi si è riusciti a ripristinare negli animali affetti da retinite pigmentosa la cascata trasduttiva necessaria alla visione

La terapia genica può offrire una via di recupero della vista in topi colpiti da retinite pigmentosa: è quanto annunciato in un [articolo pubblicato sulla rivista *Science*](#) da un'ampia collaborazione di ricerca che ha coinvolto, tra gli altri, il Friedrich Miescher Institute (FMI) di Basilea, in Svizzera, e i centri francesi INSERM e Institut de la Vision.

La retinite pigmentosa è una forma di degenerazione ereditaria della retina che colpisce coni e bastoncelli, i due tipi di cellule sensibili presenti nella zona centrale della retina che convertono la radiazione luminosa in impulsi nervosi.

La malattia porta inizialmente alla degenerazione dei bastoncelli, che sono responsabili della visione notturna. Via via che progredisce, coinvolge anche i coni, responsabili della visione diurna. Mentre però i bastoncelli vengono distrutti, i coni sopravvivono nell'organismo per lunghi periodi, anche quando ormai è sopraggiunta la cecità. Questa circostanza ha portato i ricercatori del Friedrich Miescher Institute (FMI) e dell'Institut de la Vision a sviluppare una terapia genica per ristabilire la funzione visiva dei coni "dormienti" ma ancora presenti.

Allo stadio a cui sono intervenuti gli studiosi, sebbene i coni difettosi non possiedano più la capacità di reagire alla stimolazione luminosa, mantengono comunque alcune proprietà elettriche e le loro connessioni coi neuroni della retina interna che normalmente trasmettono l'informazione visiva al cervello. Precedenti studi avevano dimostrato come i canali ionici sensibili alla luce fossero in grado di modulare l'attività elettrica di vari neuroni in cui erano stati introdotti.

Gli studiosi hanno così proceduto introducendo una proteina, attraverso un vettore utilizzato nella terapia genica, in grado di accoppiare la stimolazione luminosa al trasporto ionico, reintroducendo così la cascata trasduttiva necessaria alla visione e ricreando un sistema fotoelettrico biologico funzionante.

I risultati paiono molto promettenti, soprattutto alla luce delle conferme ottenute da Serge Picaud e colleghi dell'Institut de la Vision utilizzando retine umane in coltura e vettori terapeutici compatibili con le cellule umane.

(Le Scienze, Luglio 2010)