

# Pinzette molecolari contro una rara malattia genetica infantile

Bloccano la neurodegenerazione e potenziano la terapia, i test sui topi (ANSA)

Vere e proprie pinzette molecolari, disegnate ad hoc per arrestare l'accumulo di sostanze tossiche nel cervello dei bambini e prevenire i danni tipici di una rara e gravissima malattia genetica, la sindrome di Sanfilippo: sono state messe a punto da un gruppo di ricerca internazionale guidato dal Ceinge di Napoli, con la collaborazione di Università Federico II di Napoli e Istituto Telethon di Genetica e Medicina di Pozzuoli.

Sperimentato nei topi, questo trattamento non solo ha protetto il cervello dalla neurodegenerazione, ma si è dimostrato in grado di potenziare gli effetti della terapia genica. Lo studio, pubblicato sulla rivista *Molecular Therapy*, potrebbe aprire nuove prospettive per la cura di questa patologia e anche di tante altre malattie neurodegenerative, come l'Alzheimer.

La sindrome di Sanfilippo è una rara malattia metabolica dovuta alla mancanza di un enzima responsabile dello smaltimento di una sostanza di scarto, che si accumula in particolare nel cervello. Già intorno ai 3 anni, i bambini colpiti perdono tutte le capacità acquisite e vanno incontro a convulsioni e disturbi del movimento, con un'aspettativa di vita che raramente supera i 20 anni.

"La chiave sta nelle 'pinzette molecolari', piccole molecole che inibiscono l'accumulo dell'amiloide, un'altra sostanza tossica", dice Fraldi. "Accumuli di questa proteina sono presenti in numerose malattie neurodegenerative, come l'Alzheimer: bloccandoli è come se mettessimo un freno alla neurodegenerazione, limitando un effetto tossico a valle del difetto genetico.

<https://headtopics.com/it/pinzette-molecolari-contro-una-rara-malattia-genetica-61156299>

The screenshot shows a news article on the Head Topics website. The article title is "Pinzette molecolari contro una rara malattia genetica infantile". It includes a date of 31/10/2024 12:23:00 and is attributed to Agenzia\_Ansa. The article features two rows of images: the top row shows green fluorescence microscopy images of brain tissue, and the bottom row shows histological sections of brain tissue. The article text, partially visible, discusses the use of molecular tweezers to block neurodegeneration and enhance gene therapy in mice, citing a study published in *Molecular Therapy*.