Un innovativo approccio terapeutico sperimentale alla distrofia muscolare di Duchenne, che apre nuovi orizzonti nel trattamento di tale patologia ad esito letale, è stato messo a punto da due gruppi di ricerca dell'Università degli Studi di Perugia:il primo coordinato dai professori Guglielmo Sorci e Rosario Donato (Dipartimento di Medicina Sperimentale), il secondo dai professori Riccardo Calafiore (Dipartimento di Medicina) e Giovanni Luca (Dipartimento di Medicina Sperimentale). Lo studio è pubblicato nell'importante rivista scientifica internazionale 'Biomaterial'.

La ricerca, eseguita su un modello sperimentale di topo distrofico, ha visto coinvolta in prima linea la giovane ricercatrice, la dottoressa Sara Chiappalupi, collaboratrice del prof. Sorci e titolare di un assegno di ricerca della Regione Umbria.

Lo studio, finanziato anche da AFM-Téléthon (Francia), vede coinvolti l'IRCCS Fondazione Santa Lucia e l'Università La Sapienza di Roma, e i dipartimenti di Medicina Veterinaria e di Scienze Farmaceutiche dell'Università degli Studi di Perugia.

La distrofia muscolare di Duchenne (DMD) è una malattia genetica muscolare degenerativa dovuta all'assenza di una proteina, la distrofina, senza la quale le fibre muscolari vanno incontro a infiammazione cronica con progressiva degenerazione muscolare. Purtroppo l'attuale terapia farmacologica con cortisonici, unica possibile risorsa terapeutica oggi disponibile, ha un'efficacia limitata e la malattia ha un'evoluzione fatale.

Nello studio sperimentale appena pubblicato dal gruppo perugino sono state sfruttate le proprietà immunomodulatorie, antiinfiammatorie e trofiche di una particolare cellula del testicolo, la cellula di Sertoli, che normalmente svolge, nella sua sede fisiologica, funzioni nutritizie e protettive sulla spermatogenesi. Le cellule di Sertoli, ottenute da una colonia di suini allevati in condizioni di assoluta assenza di agenti infettivi, sono state immobilizzate all'interno di microscopiche capsule di alginato di sodio altamente biocompatibile e già approvato per uso umano. Le cellule microincapsulate sono state poi iniettate nel cavo peritoneale di topi affetti da distrofia muscolare. Il risultato è stato un recupero morfologico e funzionale dei muscoli dei topi così trattati, che nei test di corsa hanno mostrato un comportamento simile ai topi normali.

"Le microcapsule contenenti cellule di Sertoli – rilevano i ricercatori perugini - agiscono come una microfabbrica biologica che dalla cavità peritoneale rilascia fattori i quali, per via sistemica, possono raggiungere ogni singolo muscolo, senza la necessità di iniezioni locali e senza richiedere immunosoppressione farmacologica. Due grandi vantaggi che rendono il protocollo terapeutico particolarmente interessante."

I ricercatori hanno inoltre dimostrato che l'effetto delle cellule di Sertoli sui muscoli distrofici, in parte dovuto alle loro intrinseche proprietà trofiche ed immunomodulatorie, è da ricondursi ad un fattore 'secreto' dalle stesse cellule e in grado di indurre a livello muscolare l'espressione di una proteina, l'utrofina, molto simile alla distrofina e quindi capace di sostituirne le funzioni, contribuendo così al ripristino dell'omeostasi e della normale performance muscolari.

I risultati di questa ricerca aprono a nuovi ed importanti scenari nella terapia della forma umana di distrofia muscolare di Duchenne, una malattia grave e altrimenti incurabile.