

NOTA STAMPA

Bosisio Parini, 17 novembre 2008

UN PONTE GENETICO PER LA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE

Verrà testata su bambini affetti da Distrofia Muscolare di Duchenne la tecnica dell'exon-skipping, la nuova frontiera della ricerca per questa patologia. Dal 29 novembre all'8 dicembre a Villa Litta una mostra d'arte contemporanea finanzia la sperimentazione.

Il Fondo per la Ricerca sulla Distrofia Muscolare di Duchenne, affiliato all'Associazione La Nostra Famiglia di Bosisio Parini, ha avviato una campagna di raccolta fondi a supporto della seconda fase del Progetto Uomo, volto a determinare l'efficacia e la "safety" del trapianto di cellule staminali autologhe, cioè provenienti dallo stesso soggetto.

Nella prima fase ad otto bambini era stato prelevato un pezzetto del muscolo tibiale anteriore per recuperare le cellule staminali. In laboratorio queste erano state purificate, selezionate e moltiplicate e quindi reintrodotte con successo in un muscolo della mano dei pazienti stessi.

Ora si sta preparando la fase successiva, il "Progetto Uomo 2". Gli studi sono concentrati nel cercare di far leggere il messaggio contenuto nel DNA interrotto in modo continuo, facendo saltare il blocco di lettura legato all'errore genetico.

Questo tipo di terapia genica, denominata exon-skipping, permette di entrare nel nucleo delle cellule staminali e "correggere" l'errore genetico contenuto nel DNA della cellula stessa, per poi introdurre le cellule "corrette" all'interno dell'organismo. Questa tecnica verrà applicata alle cellule staminali che non saranno più prelevate dal muscolo ma direttamente dal sangue diventando, così, una risorsa quasi inesauribile.

Questo progetto, sviluppato dai ricercatori del **Policlinico di Milano**, dell'**Università di Milano**, del **Centro Studi Dino Ferrari** e dell'**IRCCS "E. Medea" - Associazione La Nostra Famiglia** e diretto dal **Prof. Nereo Bresolin**, è per ora l'unica sperimentazione in Italia che prevede l'utilizzo di cellule staminali nella Distrofia Muscolare di Duchenne.

I lavori sono ora in una fase cruciale e i finanziamenti in questo momento permetterebbero di aggiungere al mosaico una casellina indispensabile per trovare una soluzione a questa malattia.

Per questo motivo il **Fondo DMD** e **La Nostra Famiglia** organizzano, **dal 29 novembre all'8 dicembre**, "**Milledicuori: le forme e i colori della ricerca**", una mostra d'arte contemporanea presso **Villa Litta Borromeo di Lainate**. All'iniziativa hanno aderito 69 pittori di fama nazionale e internazionale; all'interno della manifestazione, nella giornata inaugurale è previsto un concerto di musica da camera, il 7 dicembre un concerto Gospel-Spirituals mentre nella giornata conclusiva, l'8 dicembre alle ore 17.00, ci sarà la battitura d'asta delle opere esposte.

L'intero ricavato della vendita delle opere donate dagli artisti al Fondo DMD verrà devoluto per la ricerca contro la Distrofia Muscolare di Duchenne.

Per ulteriori informazioni

Cristina Trombetti

Ufficio Stampa Associazione La Nostra Famiglia - IRCCS "Eugenio Medea"

Tel/fax 031 877 384 / 339 2160292

E-mail: ufficio.stampa@bp.lnf.it