

Novità dalla ricerca sulla Malattia di Huntington In un linguaggio semplice. Scritto da ricercatori. Per la comunità mondiale MH.

## Il trapianto di midollo osseo nella malattia di Huntington



Il trapianto di midollo protegge i topi da alcuni sintomi, suggerendo il sistema immunitario come importante bersaglio

Di Dr Tony Hannan su 17 Maggio 2012

A cura di Dr Jeff Carroll; Tradotto da Panel Traduttori Volontari di AICH-Roma ONLUS  
Articolo pubblicato per la prima volta 04 Gennaio 2012

---

*Ci sono delle connessioni tra il sistema immunitario e la progressione della malattia di Huntington? Nuove evidenze suggeriscono che i cambiamenti correttivi nel sistema immunitario potrebbero avere un impatto significativo su alcuni aspetti del cervello legati alla MH.*

## La malattia di Huntington come una malattia del cervello

Quando i cervelli di persone morte a causa della MH sono stati studiati per la prima volta, la scoperta più impressionante è stata che in una parte del cervello chiamata striato molte delle cellule erano morte durante il processo degenerativo. In effetti, c'erano praticamente dei buchi nel cervello nel punto dove si trova lo striato.

Come in molte altre aree delle scienze e della ricerca medica, le prime scoperte hanno influenzato i ricercatori che si sono avvicinati che sono stati incoraggiati prima "a cercare sotto il lampione" invece che negli angoli bui o anfratti mai prima esplorati. Molta ricerca sulla MH è stata focalizzata su quello che non andava nello striato, ma è questa tutta la storia?

Come abbiamo cominciato a guardarci intorno più estesamente, è diventato molto chiaro che la MH non è solo una malattia dello striato o dei 'gangli della base' ma può riguardare altre parti del cervello come la corteccia cerebrale (che può essere particolarmente importante per i sintomi cognitivi e comportamentali).

Tuttavia, negli ultimi anni è diventato evidente che la patologia non è solo confinata al cervello- si può manifestare anche in altri organi e sistemi del corpo.



Il midollo osseo è il materiale cellulare che si trova al centro delle ossa ed è cruciale per il funzionamento del sistema immunitario.

## Il sistema immunitario nella MH

Tutte quante le cellule nel nostro corpo contengono il gene MH e, nelle persone con un gene MH espanso, anche la proteina huntingtina anomala si trova in ogni cellula.

L'ultima rivelazione in questo viaggio nella scoperta è stato appena pubblicato da Wanda Kwan, Paul Muchowski and colleghi sul Journal of Neuroscience.

Muchowski e i suoi colleghi stavano esaminando la recente scoperta della disfunzionalità del sistema immunitario nella MH. Il sistema immunitario è cruciale per proteggere il corpo umano dai germi.

Nel passato gli scienziati hanno considerato il cervello come ' immuno-privilegiato ' intendendo che il cervello era separato dal resto del sistema immunitario del corpo. Tuttavia scoperte recenti suggeriscono che il sistema nervoso centrale (con il cervello a coronamento) e il sistema immunitario hanno tra loro una relazione complessa. Infatti, la comunicazione cervello-sistema immunitario procede in entrambi i versi -il sistema immunitario può produrre modifiche nel cervello e i cambiamenti nel cervello si possono riflettere sul sistema immunitario.

Uno studio precedente, che ha coinvolto Maria Bjorkqvist e Sarah Tabrizi che sono anche co-autori di questo nuovo articolo, su campioni di sangue di persone portatrici della mutazione MH e di familiari sintomatici si è focalizzato sulle molecole che regolano lo stato del sistema immunitario. Questo studio ha dimostrato che ci sono delle molecole specifiche che mostrano dei cambiamenti precoci nelle persone affette dalla MH rispetto ai volontari senza mutazione MH.

Come praticamente tutti i cambiamenti che sono stati trovati nei pazienti MH, queste molecole del sistema immunitario sono state trovate modificate anche nel sangue di topi MH. Quindi il ruolo del sistema immunitario nella MH può essere sperimentalmente testato usando dei modelli murini di MH.

I lettori di HDBuzz si possono ricordare di una altro studio del gruppo di Muchowski che dimostrò che un farmaco noto come JM6 modificava i sintomi nei topi MH sebbene non fosse affatto trasportato all'interno del cervello. Probabilmente il JM6 funzionava, in parte, attraverso il sistema immunitario.

## **Trapianto del midollo osseo**

Ora è chiaro che la moderazione del sistema immunitario può avere effetto sul cervello di topi MH. Muchowski e i suoi colleghi hanno eseguito un esperimento interessante. Hanno eseguito un trapianto di midollo osseo nei topi MH sostituendo il midollo dei topi MH con quello prelevato da topi sani(' wildtype').

Il midollo osseo è fondamentale per generare nuove cellule per il sistema immunitario e quindi questo tipo di trapianto potrebbe testare il ruolo del sistema immunitario nella MH. Trapianti di midollo osseo sono regolarmente effettuati su pazienti il cui midollo è stato danneggiato ad esempio da una chemioterapia.

## **Ha funzionato?**

Le scoperte sono state molto interessanti. I topi MH a cui è stato trapiantato il midollo di topi sani di controllo hanno mostrato leggeri, ma significativi, miglioramenti nei movimenti che

solitamente i topi MH presentano.

L'evidenza che il trapianto di midollo osseo sano nei topi MH aveva direttamente influenzato il cervello degli animali è stata ottenuta dall'analisi delle "sinapsi", i miliardi di miliardi di connessioni che si sa che esistono tra i miliardi di 'neuroni' nel cervello. Quando le cellule del cervello sono malate o morenti cominciano a perdere sinapsi causando così grossi problemi di comunicazione nel cervello.

Il trapianto di midollo osseo ha aumentato il numero di sinapsi nel cervello suggerendo che questo cambiamento nel sistema immunitario ha un diretto impatto sul cervello. Questo è estremamente promettente perché conferma che possiamo fornire dei trattamenti che possono avere un diretto impatto nel cervello.

In conclusione, alcune delle sopramenzionate molecole del sistema immunitario che sono modificate in pazienti e modelli murini MH sono state riportate ai livelli normali in seguito al trapianto di midollo osseo. Questo suggerisce che il sistema immunitario è stato, in una certa misura, riportato ai livelli normali.

Come gli autori affermano, gli effetti del trapianto di midollo osseo sano non portano ad una risoluzione completa dei sintomi ma piuttosto a degli effetti 'modificatori di malattia'. Questo non è sorprendente perché i cervelli dei topi MH continuavano a esprimere la mutazione genetica ed erano quindi esposti agli effetti tossici della proteina huntingtina.

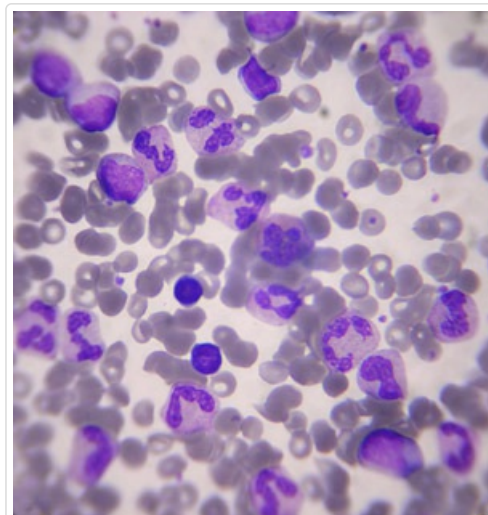
Tuttavia, questo importante articolo fornisce ulteriori evidenze che il sistema immunitario è alterato nella MH e correggere disfunzioni immunitarie potrebbe avere effetti benefici per i pazienti.

Ciò suggerisce nuove possibilità per ulteriore ricerca nei processi della malattia e mira anche a una potenziale approccio con sperimentazioni cliniche. Può darsi avremo bisogno di guardare sia al cervello che al corpo, incluso il sistema immunitario, per sviluppare approcci efficaci per prevenire e curare la MH.

Tradotto da:

Stefano Paoloni

Membro del Panel Traduttori Volontari di AICH-Roma ONLUS



I globuli bianchi del sangue sono incaricati di difendere il corpo contro i germi invasori.

---

*Il Dr Ed Wild lavora a stretto contatto con Sarah Tabrizi e Maria Björkqvist, citate nell'articolo. Il Dr Wild non ha avuto alcun ruolo nello scrivere o rivedere questo articolo. Per ottenere più della informazione riguarda la nostra norma di divulgazione, leggi il nostro FAQ...*

---

## Glossario

**Proteina huntingtina** Proteina prodotta dal gene della MH.

**JM6** Farmaco sperimentale che viene convertito dal corpo in Ro-61, che inibisce l'enzima KMO

---

© HDBuzz 2011-2018. Il contenuto di HDBuzz è condivisibile sotto Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz non è una fonte di consigli medici. Ulteriori informazioni disponibili a [hdbuzz.net](http://hdbuzz.net)

Creato al 20 Gennaio 2018 — Scaricato da <https://it.hdbuzz.net/067>