Teràpia gènica

En alguns pacients d'ALD per als quals no s'ha trobat cap donant de cèl·lules mare compatible, s'ha intentat el tractament mitjançant teràpia gènica. El procés consisteix a extreure cèl·lules mare hematopoètiques del mateix pacient i inserir-hi una còpia del gen funcional mitjançant un vector víric inactivat. Tot seguit, es torna a introduir les cèl·lules mare amb el gen inserit al cos del pacient per reemplaçar la medul·la òssia per la modificada (autotrasplantament). També s'intenta injectar directament els vectors vírics amb el gen funcional al cervell del pacient.

En els estudis preliminars, fets amb molt pocs pacients per motius de seguretat, es va aconseguir aturar la desmielinització en dos nois. Actualment s'ha ampliat la quantitat de pacients que han rebut aquest tractament i es vigila com evolucionen. Uns altres vectors vírics, *lentivirus*, amb els quals s'han obtingut més bons resultats, són virus inactivats de la immunodeficiència humana (VIH).

