

# LYSO JOURNAL

*Gaucher*

La rassegna selezionata  
per te

## Lysosomal dysfunction in neurodegeneration: emerging concepts and methods

Udayar V, Chen Y, Sidransky E et al.  
Lysosomal dysfunction in neurodegeneration: emerging  
concepts and methods. Trends Neurosci. 2022 Mar;45(3):184-199.

sanofi

## ABSTRACT

La conoscenza dei lisosomi ha fatto molta strada dall'iniziale scoperta del loro ruolo nella degradazione dei rifiuti cellulari. Il lisosoma è ora riconosciuto come un organello altamente dinamico posizionato al crocevia tra segnalazione cellulare, trascrizione e metabolismo. A sottolineare la sua importanza è l'osservazione che, oltre a **malattie da accumulo lisosomiale**, i geni che regolano la funzione lisosomiale sono anche implicati in comuni malattie neurodegenerative come la **malattia di Alzheimer (AD)**, la **malattia di Parkinson (PD)** e la **sclerosi laterale amiotrofica (ALS)**. Sviluppare **terapie per questi disordini** è particolarmente sfidante, soprattutto a causa delle lacune esistenti nella conoscenza dei processi molecolari e cellulari che ne sono alla base. In questa *review*, si discute dei **progressi tecnologici** che hanno spinto ad una più **profonda conoscenza del lisosoma nella neurodegenerazione**, dall'elucidazione delle funzioni delle varianti di rischio di malattia lisosomiale a livello degli organelli, delle cellule e dei tessuti, allo sviluppo di modelli biologici malattia-specifici che ricapitolano le manifestazioni patologiche. Infine, si identificano le **domande cruciali da affrontare per colmare con successo il divario con la pratica clinica**.

[Per maggiori informazioni chiedi a MedInfo](#)