

Chi ha paura di Crispr? Corregge gene che provoca talassemia, ma non solo (Veronica Latini)

Date : 10 luglio 2017



No, non è un feroce serial killer e neanche un politico anticonformista. Si tratta dell'**ultima frontiera dell'ingegneria genetica** nota come '*Genome editing*'. Attraverso questa metodica, copiata dal sistema immunitario batterico, è possibile **correggere le sequenze di Dna senza inserire Dna estraneo**, in modo preciso e quindi potenzialmente **curare un gran numero di patologie** o modificare a piacimento il Dna a partire già dagli embrioni o addirittura dalle cellule germinali.

Dal 2012, cioè da quando il sistema è stato sviluppato e reso personalizzabile da *Jennifer Doudna e Emmanuelle Charpentier*, è stato infatti possibile **sperimentare modifiche specifiche in organismi molto più complessi dei batteri**, come animali e piante, ne è un esempio il *mais 'waxy'* che offre una migliore resa e un contenuto elevato di amilopectina (*utilizzata nell'industria con vari scopi*). *Waxy* verrà introdotto sul mercato nel 2020. L'applicazione della metodica **promette ottimi risultati anche nella cura definitiva di patologie monogeniche come la Talassemia**. Questo particolare tipo di anemia, a trasmissione genetica, è **molto frequente in Sardegna**. L'isola conta infatti un alto numero di **portatori sani e persone affette dalla forma più grave** che necessita di trasfusioni frequenti. Sino ad oggi l'unica soluzione definitiva alla patologia è rappresentato dal *trapianto di cellule staminali ematopoietiche*.

Nel 2014 però è stata messa a punto una tecnica di **correzione, mediante Crispr, del gene che provoca la talassemia** da parte di alcuni ricercatori dell'*Università della California*. La tecnica ha dato **risultati positivi** e ha aperto la strada ad **ulteriori ricerche** attualmente in corso anche in **Sardegna**. L'*Università di Cagliari* in collaborazione con il *Cnr* e sotto la guida del professor **Paolo Moi** sta lavorando sulle modifiche alla *mutazione Beta 0-39 tipicamente sarda*. Al lavoro partecipano direttamente la ricercatrice **Giuseppina Marini** e dall'America **Maura Mingoia**. Ormai le pubblicazioni scientifiche sull'argomento sono migliaia, basta consultare il *portale biomedico Pubmed*.

La metodica apporta numerosi **vantaggi rispetto alla precedente terapia genica** studiata e sperimentata

per correggere geni patologici. **Crispr** è applicabile a più ambiti, controlla in modo più accurato l'espressione dei geni, attiva il funzionamento di geni non attivi e corregge quelli mal funzionanti. E' possibile agire su vari punti del *Dna* contemporaneamente anche se ancora oggi alcune cellule sono più difficili da raggiungere come quelle dei muscoli e del cervello mentre altre, come quelle del sangue, possono essere modificate più facilmente. Ma con il progresso di tali metodologie arriva anche il problema etico. Infatti **Crispr** permette, con relativa facilità, **potenziali modifiche al Dna umano anche non legate**

alla cura delle malattie. Si discute della possibilità di modificare il sistema immunitario umano per rendere il sistema di difesa più efficace. Si discute anche della possibilità di modificare il sistema di difesa per rendere il sistema di difesa più efficace. Si discute anche della possibilità di modificare il sistema di difesa per rendere il sistema di difesa più efficace.

Veronica Latini

(admaioramedia.it)