

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 di una malattia. Si discute della possibilità di modificare il sistema immunitario per combattere il cancro o di creare cellule che producano farmaci. Si discute anche della possibilità di modificare il sistema immunitario per combattere il cancro o di creare cellule che producano farmaci. Si discute anche della possibilità di modificare il sistema immunitario per combattere il cancro o di creare cellule che producano farmaci.

Veronica Latini

(admaioramedia.it)