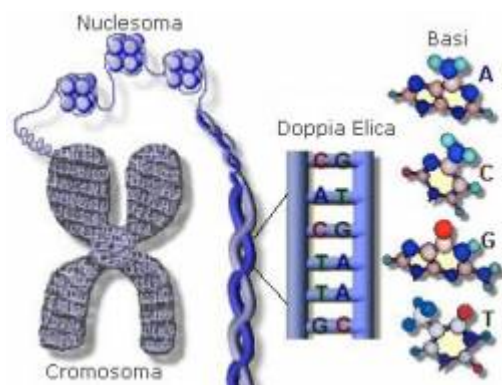


# Terapia genica

Per terapia genica (a cui ci si riferisce comunemente anche con il termine inglese di Gene Therapy) si intende l'inserzione di materiale genetico (DNA) all'interno delle cellule al fine di poter curare o prevenire delle patologie.

Nel caso delle malattie genetiche, in cui un gene è difettoso o assente, la terapia genica consiste essenzialmente nel trasferire la versione funzionante del gene nell'organismo del paziente, in modo da rimediare al difetto. Questa procedura di inserzione è nota come transfezione. In altre patologie si può invece voler uccidere in modo mirato le cellule patologiche. Solitamente questo approccio è molto diffuso nella terapia genica contro il cancro. Alcuni geni possono essere infatti trasferiti nelle cellule tumorali in modo da causare la morte delle cellule che li ricevono. Un'altra strategia ancora prevede il trasferimento di geni all'interno di cellule malate allo scopo di bloccare il meccanismo alterato, causa della malattia.



Struttura del DNA

Anche se tutti i protocolli di terapia genica si basano essenzialmente sugli stessi principi ed utilizzano metodiche simili, ogni malattia richiede, oltre che l'isolamento del gene o dei geni specifici, spesso anche la messa a punto di una metodica differente. Molto spesso è il bersaglio ad essere differente: ad esempio, i tentativi di terapia genica per curare la fibrosi cistica hanno come principale bersaglio le cellule delle vie aeree, mentre quelli per le immunodeficienze mirano a trasferire il gene nelle cellule del sangue.

Esistono due metodiche diverse di terapia genica: una **in vivo**, l'altra **ex-vivo**. Le procedure di terapia genica in vivo mirano a trasferire il DNA direttamente nelle cellule o nei tessuti del paziente. Nelle procedure ex-vivo, invece, il DNA viene dapprima trasferito in cellule isolate dall'organismo e cresciute in laboratorio. Le cellule così modificate possono essere reintrodotte nel paziente. Questa procedura indiretta, anche se più lunga, offre il vantaggio di una migliore efficienza di trasferimento e la possibilità di selezionare e amplificare le cellule modificate prima della reintroduzione.

Sono numerosi i problemi irrisolti della terapia genica con i quali si trovano a combattere gli scienziati.

## La sicurezza della procedura

Questo è un problema particolarmente evidente per i vettori virali. Alcuni di questi derivano infatti da virus pericolosi, come l'HIV. E' quindi necessario che prima dell'utilizzo questi vettori siano privati della virulenza originaria del virus e mantengano invece inalterata la capacità di infettare le cellule

bersaglio.

## **L'efficienza di trasferimento**

Negli studi sulla terapia genica, la maggior parte degli sforzi si concentra oggi sulla ricerca di vettori in grado di trasferire il DNA in modo efficiente e di inserirlo stabilmente nelle cellule.

## **La selettività del bersaglio**

In questi ultimi anni sono stati messi a punto una varietà di vettori, alcuni dei quali in grado di fare esprimere il gene estraneo in uno specifico tipo cellulare (come i globuli bianchi, le cellule del muscolo, delle vie respiratorie ecc...).

## **La durata dell'espressione del gene trasferito**

La terapia genica risulta praticamente inutile se l'espressione del gene estraneo non viene mantenuta per un tempo sufficiente. Le ricerche mirano a sviluppare sistemi che permettono un'espressione duratura, in modo da sottoporre il paziente ad un unico trattamento, o al limite a trattamenti ripetuti a distanza di qualche anno.

## **La reazione immunitaria**

Come ogni altra sostanza estranea, il prodotto del gene nuovo, il gene stesso e soprattutto il vettore possono scatenare una risposta immunitaria da parte dell'organismo ospite. Questa può portare all'eliminazione delle cellule modificate geneticamente, o all'inattivazione della proteina prodotta dal nuovo gene, annullando quindi tutti gli effetti della terapia. Nello sviluppo delle nuove strategie di terapia genica si cerca di evitare per quanto possibile che il vettore o il gene estraneo producano una reazione immunitaria.

## **La terapia genica è una scienza giovane**

La terapia genica nasce nei primi anni 90', come nuovo approccio al trattamento di patologie ereditarie. Il primo tentativo fu effettuato negli Stati Uniti da Michael Blaese nel 1990 su una bambina affetta da SCID, una grave immunodeficienza ereditaria. Da allora, nonostante gli indubbi progressi raggiunti, sono ancora pochissimi i tentativi di terapia genica per i quali si possa parlare di un successo dal punto di vista clinico. Il successo della terapia genica rimane una prospettiva per il prossimo futuro. Ad oggi, le numerose ricerche condotte in tutto il mondo hanno soprattutto lo scopo di migliorare le conoscenze biologiche di base e le metodiche di terapia genica perché possa finalmente diventare uno strumento efficace nelle mani dei medici. Nel 1989 è stata approvata la prima sperimentazione sull'uomo di un protocollo di terapia genica. Da allora, di più di mille protocolli sono stati approvati in tutto il mondo; di questi alcuni si sono conclusi, altri sono in corso.

terapia, genica, genetica, dna

From:

<https://pkuinfo.it/> - **PKUInfo**

Permanent link:

[https://pkuinfo.it/terapia\\_genica](https://pkuinfo.it/terapia_genica)

Last update: **2014/05/22 11:12**

