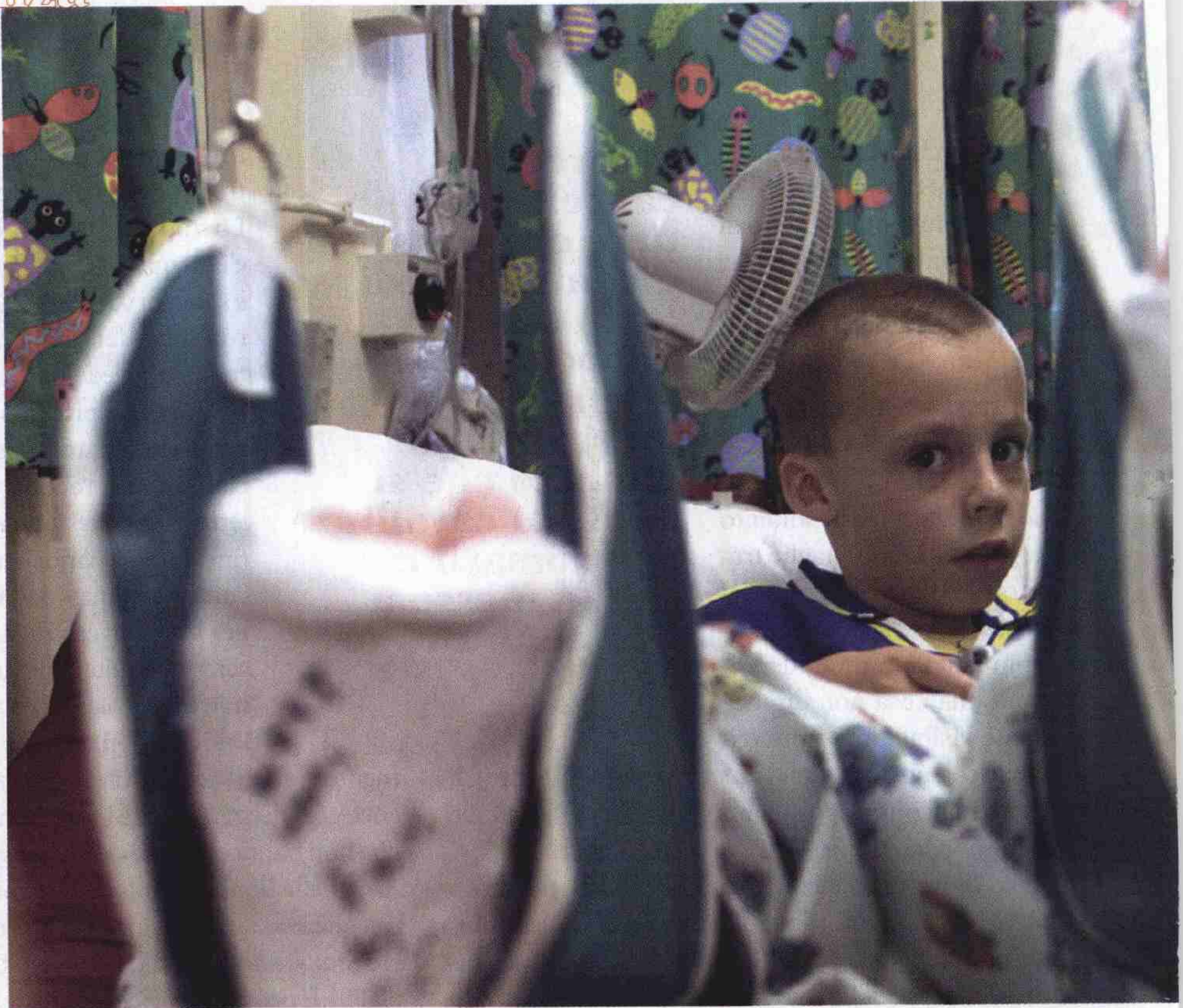


cultura & scienza

LA SCOPERTA

Una malattia terribile, che non lascia scampo: la **fibrosi** cistica. Ma in futuro potrebbe essere sconfitta grazie alla ricerca sulle staminali embrionali. Ecco le tecniche messe a punto all'Università di Tor Vergata. Usando il Dna come "farmaco". Senza più i rischi legati ai trapianti di organo



Ci vuole un colpo d'elica

di Federica Sangiuolo*

La terapia genica somatica è una tecnica che mira alla correzione di un difetto genetico attraverso il trasferimento di materiale genetico all'interno delle cellule. Utilizzando vettori specifici si fornisce alle cellule l'esatta informazione genica, ristabilendo in questo modo il corretto funzionamento della proteina nelle cellule mutate.

Il principio, quindi, è quello di usare il Dna come "farmaco" con lo scopo di produrre una proteina che sostituisca quella mancante o difettosa.

Fino ad oggi sono stati fatti numerosi tentativi *in vitro* e *in vivo* per raggiungere questo obiettivo impiegando diverse strategie e diversi vettori, di natura virale e non.

50 La difficoltà maggiore che abbiamo incontrato nell'applica-

zione *in vivo* dei protocolli di terapia genica oggi disponibili sta nel raggiungere il "target" cellulare idoneo, in modo da ottenere un effetto terapeutico consistente. Le cellule da "correggere" sono diverse a seconda della patologia. Nel caso della **fibrosi** cistica, per esempio, i tentativi di terapia genica hanno come principale bersaglio le cellule delle vie aeree, mentre quelli per le immunodeficienze mirano a trasferire il gene nelle cellule del sangue.

Questi problemi sperimentali possono oggi essere risolti grazie alle recenti scoperte ottenute dallo studio delle cellule staminali. Queste cellule possono essere geneticamente modificate e ricontrollate prima del trapianto diventando in questo modo "target" ideali per l'applicazione di protocolli innovativi di terapia genica. Le cellule staminali possono crescere *in vitro* in maniera indefinita rimanendo indifferenziate e nello stesso tempo mantenendo la capacità di dar luogo a diversi tipi di cellule specializzate con specifiche funzioni nell'organismo. Un singolo trasferimento di gene in

