

Una terapia genica per la talassemia beta

La chiave per la riuscita della nuova tecnica nel correggere il gene per la beta-emoglobina è un vettore virale denominato GLOBE. Grazie a esso, le cellule possono essere modificate geneticamente per ripristinare la produzione di emoglobina prima di essere reinfuse nel paziente

Una nuova tecnica di trasferimento genico ha dimostrato soddisfacenti risultati terapeutici nel trattamento della talassemia beta nei trial preclinici condotti da Giuliana Ferrari e colleghi presso l'Istituto San Raffaele Telethon di Milano. In particolare, essa ha dimostrato di poter correggere il difetto genetico alla base della malattia.

La beta-talassemia consiste nell'impossibilità da parte dell'organismo di produrre in quantità sufficiente della componente dell'emoglobina nota come beta-globina. Tale deficit porta a una condizione di anemia in grado di danneggiare alcuni organi.

"Gli attuali trattamenti sono limitati alle regolari trasfusioni di sangue, che durano tutta la vita del paziente, alla terapia chelante per prevenire un sovraccarico di ferro che potrebbe essere fatale. Un'alternativa è il trapianto di midollo osseo, che però è limitato al 25 per cento dei pazienti", ha spiegato la Ferrari, che firma in proposito un articolo pubblicato sulla rivista *EMBO Molecular Medicine*. "La nostra ricerca si perciò focalizzata sulla terapia genica: trapiantando cellule staminali geneticamente corrette possiamo ripristinare la produzione di emoglobina e curare il disturbo."

Le patologie del sangue sono un buon bersaglio per la terapia genica dal momento che è possibile coltivare cellule staminali a partire dal midollo osseo del soggetto. La chiave per la riuscita della nuova tecnica nel correggere il gene per la beta-emoglobina è un vettore virale denominato GLOBE. Grazie a esso, le cellule possono essere modificate geneticamente per ripristinare la produzione di emoglobina prima di essere reinfuse nel paziente.

(Redazione Le Scienze, Luglio 2010)