

## **Terapia Genica**

Fulvio Mavilio

Dipartimento di Scienze Biomediche,  
Universita' di Modena e Reggio Emilia,

Il trapianto di cellule staminali geneticamente modificate costituisce un nuovo approccio terapeutico applicabile alla cura di numerose malattie genetiche (immunodeficienze, talassemia, difetti di adesione dell'epidermide) e acquisite (AIDS). La modificazione genetica delle cellule staminali provenienti da vari tessuti (midollo osseo, cute, muscolo) viene realizzata attraverso l'utilizzo di vettori virali, virus modificati i cui geni vengono sostituiti da quelli terapeutici. Con questa tecnologia sono stati curati con successo oltre venti pazienti affetti da tre diverse forme di immunodeficienza grave combinata, una malattia fatale nei primi anni di vita. Dopo i primi successi, sono emersi tuttavia anche i limiti della tecnologia, il piu' grave dei quali e' la possibilita' di generare tumori nelle cellule del sangue a causa di attivazione fortuita di oncogeni da parte del vettore terapeutico. Lo scopo delle ricerche in corso e' quindi il miglioramento dei sistemi di trasferimento genico, attraverso l'utilizzo di vettori di nuova generazione dotati di profili di efficacia e di sicurezza superiore a quelli attualmente utilizzati. Le nuove tecnologie saranno probabilmente disponibili per l'utilizzo clinico nell'arco dei prossimi tre anni. Va tuttavia sottolineato che, pur con i limiti attuali, la terapia genica e', nelle applicazioni attuali, una terapia salvavita, che offre in ogni caso uno standard di sicurezza e un rapporto rischio-beneficio per il paziente di gran lunga superiori alle alternative terapeutiche esistenti.