

19 gennaio 2002 20:15

 **USA: Usa. Fibrosi Cistica. Nuove speranze dalla terapia genica?**

Tra le malattie genetiche ad esito fatale, la fibrosi cistica e' la piu' comune in Europa e negli Stati Uniti. La maggior parte dei pazienti affetti da questa malattia non raggiunge l'eta' adulta, ma muore durante l'adolescenza in seguito a infezioni polmonari croniche o ai danni tissutali dovuti all'incapacita' delle cellule di mantenere l'equilibrio salino. Poiche' la malattia e' causata dalla mutazione di un singolo gene, si e' tentato piu' volte di mettere a punto un sistema per immettere nelle cellule il gene corretto. Purtroppo, i tentativi condotti fino ad ora hanno dato risultati deludenti. Uno studio recente, pubblicato nel numero di gennaio della rivista *Nature Biotechnology*, sembrerebbe riaccendere qualche speranza. In questo studio, condotto presso l'universita' dell'Iowa, si e' tentato un approccio diverso dal passato. Invece di cercare di introdurre un gene corretto nelle cellule, i ricercatori hanno usato una nuova tecnica, chiamata *SmaRT*, che consiste nell'introduzione nella cellula non di una copia intera del gene mutato, ma di una piccola sequenza corrispondente alla mutazione. Dopo aver introdotto il minigene in cellule polmonari umane, precedentemente trapiantate in alcuni topini, i ricercatori hanno osservato che una parte delle cellule cominciava a produrre la proteina normale.