

21 luglio 2005 19:36

■ ITALIA: Italia. Corrette in provetta cellule portatrici di atrofia muscolare spinale

Un gruppo di ricercatori dell'Universita' di Roma Tor Vergata, grazie ad un nuovo metodo di terapia genica che non utilizza virus ma solo particelle 'terapeutiche' di Dna, e' riuscito per la prima volta a correggere in provetta il difetto di cellule umane portatrici di atrofia muscolare spinale (Sma).

Lo studio che appare sul numero di luglio della rivista *Human Gene Therapy* per la sua innovativita' potrebbe aprire la strada ad una terapia genica della malattia in utero cioe' nel grembo materno.

Lo studio, coordinato da genetista **Giuseppe Novelli** (primo ricercatore Federica Sangiuolo) e' stato condotto grazie al finanziamento di due associazioni dei malati e ha utilizzato alcune cellule fetali chiamate trofoblasto affette da Sma prelevate alla dodicesima settimana di gravidanza.

"Le cellule sono state trattate con un frammento di Dna terapeutico iniettato nel nucleo di ciascuna cellula malata che e' riuscito a correggere il difetto genetico. Il risultato dell'esperimento e' che c'e' stato un aumento di produzione della proteina determinante per lo sviluppo della malattia, e questo incremento si e' mantenuto stabile nel tempo".

La malattia (affligge un neonato su 10.000), ha spiegato il genetista, provoca la degenerazione dei motoneuroni e si sviluppa durante la vita embrionale, per cui alla nascita i bambini non muovono gli arti; per ora non esiste una cura.

"La particolarita' del metodo di terapia genica -ha sottolineato Novelli- e' che non si usano virus come navette per correggere il patrimonio genetico delle cellule malate ma solo particolari frammenti di Dna che una volta inoculati direttamente nel nucleo tramite microiniezioni sono in grado di far produrre le molecole giuste e non piu' quelle difettose che determinano la malattia.

Il metodo della microiniezione nucleare del Dna terapeutico e' stato messo a punto dall'americano **Dieter Gruenert** dell'universita' di San Francisco ed e' la prima volta che con questa tecnica si e' ottenuta una prova funzionale: il gene riparato ha ripreso a funzionare e produrre la proteina mancante. Inoltre le cellule umane sulle quali e' stato condotto l'esperimento (i trofoblasti) hanno mostrato caratteristiche di staminalita' e questo apre nuove speranze; si tratta di cellule che si possono ottenere dai feti fin dalla decima settimana di gravidanza. "Si apre cosi' -conclude Novelli- la possibilita' di fare terapia genica in utero, utilizzando cellule fetali prelevate direttamente dal feto malato, correggendole e reinserendole, senza problemi di rigetto".