

## EDITING GENETICO CONTRO LA DISTROFIA MUSCOLARE

**Le tecniche più innovative dell'ingegneria genetica** offrono nuove speranze di cura per la **distrofia muscolare di Duchenne**, anche se i ricercatori avvertono che la strada verso gli esperimenti clinici sull'uomo è ancora lunga. Sulla rivista scientifica "Science", a fine 2015, sono stati pubblicati gli studi di tre diversi gruppi di ricerca che hanno ottenuto interessanti risultati nei topi affetti dalla grave malattia neurodegenerativa.

Gli scienziati hanno utilizzato la **nuova tecnica di editing genetico** Crispr/Cas9, che la stessa "Science" aveva inserito tra le conquiste scientifiche più significative del 2015. Si tratta infatti di un'innovativa tecnica che **permette di "riscrivere" parti di Dna difettoso** grazie a enzimi artificiali che ne tagliano specifiche sequenze.

Se le sue possibili applicazioni sulle cellule germinali e sugli embrioni ha aperto una discussione molto ampia (oggetto di un congresso scientifico a Washington nello scorso dicembre), **le sue potenzialità nella correzione delle cellule degli individui adulti sono allo studio in moltissimi laboratori**. Su "Science" sono pubblicati i lavori sui topi di Chengzu Long e altri nel gruppo di Eric Olson a Dallas (University of Texas Southwestern Medical Center), di Charles Gersbach a Durham (Duke University nel Nord Carolina) e Amy Wagers a Cambridge (Università di Harvard nel Massachusetts).

I tre gruppi, in modo indipendente, hanno condotto studi simili, **veicolando tramite un virus innocuo gli strumenti per la correzione del gene che non produce la distrofina**, la sostanza che manca nei soggetti malati. Le prestazioni muscolari dei topi trattati sono risultate significativamente migliori dopo la cura, pur non raggiungendo quelle degli individui sani. I prossimi esperimenti riguarderanno altri animali (il cane è tipicamente un altro modello utile per la distrofia muscolare), prima di puntare agli esperimenti clinici.

Enrico Negrotti

Avvenire.it, 2 gennaio 2016

(<http://www.avvenire.it/Vita/Pagine/editing-genetico-distrofia-muscolare.aspx>)