

# prestio cure geni che su misura



ATTUALITÀ ▶ TUMORI

**I**l futuro della scienza e della medicina? È tutto nel Dna. Così emerge dalla conferenza mondiale dal titolo omonimo "Il futuro della scienza", che si è appena svolta a Venezia. Nel convegno, decine di esperti di tutto il mondo, premi Nobel e ricercatori hanno sottolineato che la chiave di volta della ricerca sarà proprio nel patrimonio genetico, soprattutto sul fronte della battaglia contro il cancro.

## IL GENETISTA

«Il futuro della medicina è nella cura basata sull'impiego dei geni»

Abbiamo chiesto al dottor Andrea Ballabio, direttore del Tigem (istituto Telethon di genetica e medicina), uno dei massimi esperti del settore, di spiegarci meglio in che cosa consista la terapia genica.

Che cosa si intende quando si parla di terapia genica?

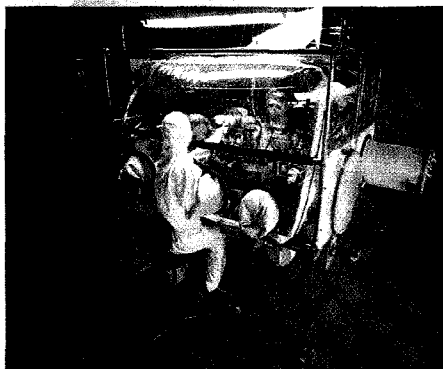
La terapia genica è quella che si basa sull'utilizzo dei geni, ovviamente sani, come metodo di cura, quasi come se fossero un farmaco. In pratica, si inserisce un gene sano in una cellula malata, che ha un problema, per farla funzionare meglio. Il motivo? Si è visto che all'origine di molti disturbi c'è proprio un'anomalia genetica.

Come si "inseriscono" i geni sani?

Oggi la ricerca si occupa proprio di questo: trovare un metodo efficace per inserire un gene nell'organismo, evitando che il gene stesso muti e dia origine a problemi o che il sistema immunitario sviluppi una reazione negativa a questa novità. Attualmente, la strada più efficace è quella dei vettori, che possiamo immaginare come piccole navicelle che trasportano il gene e lo fanno entrare nelle nostre cellule. I vettori più usati sono i virus, che vengono resi innocui per poter poi sfruttare la loro capacità di entrare nelle cellule, portando così all'interno il gene-cura.

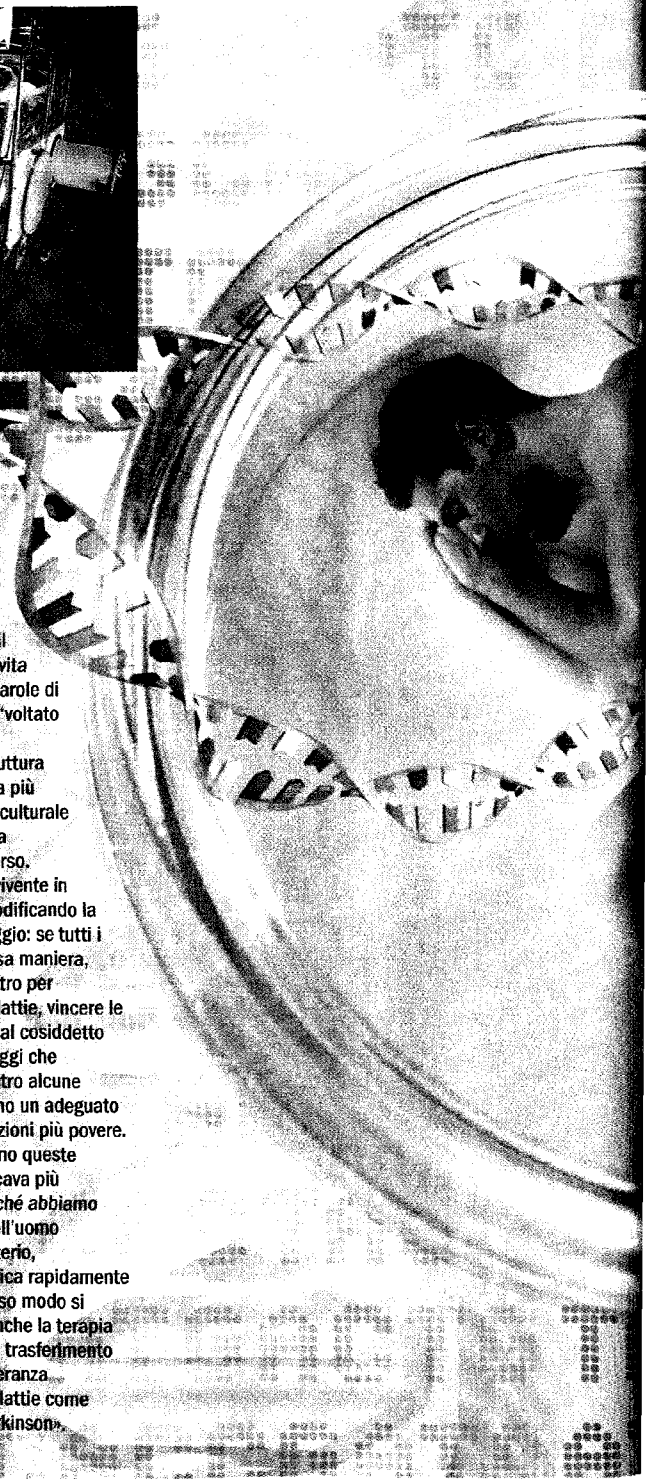
È questo il futuro della medicina?

Sì, ora grazie a questa tecnica, possiamo combattere diverse malattie. Per esempio, al Tigem ci occupiamo di quelle che interessano la salute degli occhi, come la degenerazione della retina. Ma la nostra missione è trovare una cura per tutte le malattie genetiche. Fra 5 anni, per esempio, potremmo iniziare a sperimentare sull'uomo la cura che abbiamo scoperto per l'Alzheimer.



## UNA RIVOLUZIONE CONTRO LE MALATTIE

La scoperta della struttura del Dna sta diventando veramente il lasciapassare per migliorare la vita umana, come testimoniano le parole di Umberto Veronesi: «Il 1999 ha "voltato pagina" nel libro della scienza: abbiamo mappato il Dna, la struttura della vita. Questo ha prodotto la più grande rivoluzione scientifica e culturale degli ultimi secoli, cambiando la concezione dell'uomo nell'universo. Infatti, l'uomo è l'unico essere vivente in grado di intervenire sul Dna, modificando la struttura della vita a suo vantaggio: se tutti i nostri geni sono fatti nella stessa maniera, possiamo trasferirne uno nell'altro per migliorare la vita, guarire le malattie, vincere le carestie e la fame. Oggi, grazie al cosiddetto Dna combinato, otteniamo ortaggi che aumentano le nostre difese contro alcune malattie, o cereali che forniscono un adeguato apporto di vitamine alle popolazioni più povere. Anche nella medicina si utilizzano queste conoscenze. L'insulina non si ricava più dal pancreas degli animali, perché abbiamo scoperto il gene dell'insulina dell'uomo e l'abbiamo trasferito in un batterio, l'Escherichia coli, che si moltiplica rapidamente in miliardi di copie. E nello stesso modo si producono farmaci e vaccini. Anche la terapia genica, che si basa appunto sul trasferimento di materiale genetico, è una speranza per la sconfitta della grandi malattie come tumore, infarto, Alzheimer e Parkinson».



## DNA E PREVENZIONE

Una volta individuate le variazioni genetiche che sono all'origine del tumore e i marcatori diagnostici, ovvero quegli specifici geni che permettono di definire in maniera precisa la malattia, si passa allo studio delle differenze molecolari tra individui. Combinando insieme questi dati, si può creare il cosiddetto "profilo di rischio" della persona, fondamentale per individuare le probabilità che questa ha di ammalarsi di un determinato tipo di tumore. A questo punto, la persona può essere sottoposta periodicamente a controlli mirati per scoprire per tempo qualsiasi alterazione.



## L'ESPERTO

«Una cura personalizzata contro i tumori: i farmaci molecolari»

Tumore e terapia genica: su questo binomio sta scommettendo la ricerca, che punta sulla genomica per scongiurare la malattia del secolo. Ne parliamo con il professor Pier Paolo Di Fiore, direttore del programma di ricerca "Determinanti genetici della trasformazione neoplastica e della progressione tumorale" all'Ifo (Istituto Firc di Oncologia molecolare) di Milano.

Perché i progressi sul fronte della ricerca genica sono così importanti quando si parla di cure contro il tumore?

Perché alla base di un tumore si trova sempre l'alterazione di un gene. Se noi capiamo che tipo di mutazione si è verificata possiamo intervenire con una cura appropriata. Mi spiego meglio: fino a oggi quando si ricorre alla chemioterapia per curare la malattia si uccidono tutte le cellule, anche quelle sane. In questo modo, però, si va incontro a pesanti effetti collaterali, perché la cura è molto tossica e, appunto, va a interessare tutte le cellule. Invece, se riusciamo a individuare il gene che causa il tumore possiamo eliminare solo quello. In pratica è quello che fanno i nuovi farmaci molecolari, che agiscono in modo selettivo.

I farmaci molecolari sono già realtà?

Sì. Si usano già quelli per la leucemia mieloide cronica, per il tumore ai polmoni, per quello al seno e per alcuni linfomi. Insomma, per il momento abbiamo una ventina di medicinali di questo tipo e il successo ottenuto è incoraggiante, perché si sono dimostrati molto efficaci.

Quali sono i prossimi passi della ricerca?

Ci concentriamo sulla stratificazione dei malati, ovvero sull'individuazione di categorie di appartenenza dovute al tipo di tumore e al grado di evoluzione della malattia stessa. Alcuni tumori, come, per esempio, quello al seno sono legati a più alterazioni genetiche. Di conseguenza, per ottenere una cura mirata, si vanno a cercare i marcatori diagnostici, ovvero quelle molecole che caratterizzano al meglio (in modo più specifico) la malattia. Una volta che si è individuato uno specifico marcatore, si pensa a una cura mirata per quel tipo di malattia e di persona. Per quanto riguarda il tumore alla mammella abbiamo già creato un test per vedere se in un malato ci sono determinati marcatori. Così si può indicare la cura più idonea, quella più precisa, insomma.

Servizio di Flora Casalinuovo.