

L'editing del Dna evolve e non è più solo per le malattie genetiche

Vertice a Londra. Scienziati da tutto il mondo, dopo lo scandalo del 2018, discutono sui progressi della tecnologia Crispr, tra accessibilità e normative

Francesca Cerati



Cure. Gli esperti si aspettano un'ondata di terapie di editing genetico nei prossimi 5 anni ADOBESTOCK

Centinaia di scienziati di tutto il mondo sono riuniti al Francis Crick Institute di Londra per il vertice internazionale sull'editing genetico, la tecnologia che consente di modificare sezioni specifiche di Dna, insignita del premio Nobel per la Chimica nel 2020. Per tre giorni, genetisti, ricercatori di sanità pubblica, bioeticisti e filosofi discuteranno degli sviluppi in un campo che promette di avere notevoli conseguenze per la medicina. Gli esperti si aspettano infatti che un'ondata di terapie di editing genetico raggiunga le cliniche nei prossimi cinque anni, trasformando il trattamento delle malattie del sangue, del cuore, degli occhi, dei muscoli e potenzialmente anche delle patologie neurodegenerative. Un futuro allettante, su cui però aleggiano ombre: dall'accessibilità - e quindi i costi - alla tecno-eugenetica (quante saranno le cliniche private per la fertilità disposte ad abbracciare la tecnologia e offrire servizi di modifica genetica di potenziamento?). Non va dimenticato che l'ultima volta che si è tenuto il vertice, nel 2018, il ricercatore cinese He Jiankui ha infiammato la comunità scientifica dichiarando pubblicamente di aver creato i primi bambini al mondo geneticamente modificati, "abilità" che gli è costata tre anni di prigione per avere infranto le leggi cinesi sugli esperimenti medici. È quindi evidente che tanto la comunità scientifica quanto i governi devono affrontare questo tipo di discussioni adesso dal momento che l'editing genetico sta avanzando molto rapidamente.

Tuttavia, questi dibattiti non dovrebbero oscurare l'aspetto più ovvio di questa innovazione, che è quello di riuscire a curare una serie di disturbi potenzialmente letali come la fibrosi cistica, l'anemia falciforme, la distrofia muscolare, vari tipi di cancro, il diabete, alcune forme di cecità ereditaria e altre condizioni debilitanti. E i progressi nell'editing genetico, e in particolare nella tecnologia Crispr (le forbici molecolari), potrebbero presto trasformare quella che oggi è una speranza in una realtà. Infatti, se all'inizio, Crispr veniva usato semplicemente per tagliare il Dna, oggi viene testato per modificare il codice genetico anche attraverso l'inserimento di pezzi di genoma completamente nuovi. Ciò significa che Crispr ha le potenzialità di poter trattare molte più condizioni, non solo quelle genetiche. Già qualche mese fa -luglio 2022 - Verve Therapeutics ha per esempio lanciato una sperimentazione di una terapia basata su Crispr che altera il codice genetico per abbassare per sempre i livelli di colesterolo. Il trattamento funziona disattivando in modo permanente un gene che codifica per una proteina chiamata PCSK9, che sembra svolgere un ruolo nel mantenimento dei livelli di colesterolo nel sangue.

Quindi, a dieci anni da quando la prima generazione di Crispr è stata utilizzata per la prima volta, siamo già al Crispr 2.0 o editing di base: invece di tagliare il Dna, quest'ultima versione può convertire una delle quattro basi genetiche (note con le lettere A, T, C e G) in un'altra. «Crispr non si limita più ad agire come delle forbici, ma anche come una matita e una gomma - dice Kiran Musunuru, cardiologo dell'Università della Pennsylvania a Filadelfia, cofondatore e consulente scientifico di Verve -. In futuro, potremmo essere in grado di utilizzare lo stesso approccio per proteggere le persone anche dall'ipertensione e dal diabete». Sulla carta, l'editing di base dovrebbe essere più sicuro poiché il Dna non viene tagliato. Lo stesso approccio sperimentale lo sta utilizzando anche Beam Therapeutics per creare potenziali trattamenti per l'anemia falciforme e altri disturbi. E poi c'è il prime editing, o Crispr 3.0. Questa tecnica consente agli scienziati di sostituire frammenti di Dna o inserire geni completamente nuovi nel genoma di una persona. È in circolazione solo da pochi anni ed è ancora in fase di esplorazione negli animali da laboratorio. Ma anche in questo caso il suo potenziale è enorme. Tutte insieme, queste nuove forme di Crispr potrebbero ampliare notevolmente la portata dei trattamenti di modifica genetica, rendendoli potenzialmente disponibili per molte più persone e per una gamma molto più ampia di disturbi.

L'editing genetico è dunque pronto a diventare una terapia di massa? Il prezzo, così come la sicurezza, determinerà se diventerà mainstream. E poichè il tema solleva profonde questioni mediche ed etiche, il vertice è un'occasione per affrontarle, anche perchè i regolatori negli Stati Uniti e in Europa sono in procinto di approvare la prima terapia di editing genetico basato su Crispr per l'anemia falciforme e la beta talassemia già entro l'anno.

© RIPRODUZIONE RISERVATA