



Scienziati americani hanno reso noto di avere provato per la prima volta a modificare i geni di una persona direttamente all'interno del suo corpo per cambiarne il Dna in modo permanente con l'obiettivo di curare una malattia. L'esperimento è stato realizzato lunedì ad Oakland (California) su Brian Madeux, un 44/enne affetto da una rara malattia metabolica. Si saprà solo fra 3 mesi se il trattamento è riuscito o meno. La tecnica verrà testata per anche altre malattie, inclusa l'emofilia.

La tecnica usata in California è diversa dalla Crispr, il cosiddetto "taglia e incolla" del Dna introdotto di recente. Su Madeux è stato sperimentato un sistema chiamato "nucleasi delle dita di zinco", forbici molecolari che cercano e tagliano uno specifico pezzo di Dna.

Le istruzioni per intervenire sul Dna sono poste in un virus che viene alterato per non causare infezioni e per portare le informazioni dentro le cellule. Miliardi di copie di questo vengono iniettate in vena. Il virus viaggia fino al fegato, dove le cellule usano le istruzioni per costruire le "dita di zinco" e preparare il gene correttivo. Le dita tagliano il Dna, permettendo al nuovo gene di inserirsi. Questo poi fa sì che la cellula produca l'enzima che manca al paziente.

Solo l'1% delle cellule del fegato devono essere corrette per trattare con successo la malattia, ha detto il capo dell'equipe che cura Madeux, il dottor Paul Harnatz dell'ospedale di Oakland. "Voglio assumermi questo rischio - ha detto il paziente, che viene da Phoenix in Arizona - Spero che aiuterà me e altre persone". La sindrome di Hunter colpisce meno di 10.000 persone al mondo. La maggior parte dei malati muoiono giovani. Chi ne soffre manca di un gene che produce un enzima che scinde alcuni carboidrati. I malati vanno incontro a frequenti raffreddori e otiti, paresi facciali, perdita di udito, problemi cardiaci, respiratori e dell'apparato digerente, patologie alla pelle e agli occhi, problemi alle ossa e alle articolazioni, disturbi al cervello.

Finora è stato modificato in laboratorio il Dna di singole cellule, che sono poi state iniettate nei pazienti. Ma queste tecniche possono essere usate solo per poche malattie, a volte sono di breve durata o non permettono di inserire il gene nel punto voluto. Se questa nuova tecnica funziona, sarà come mandare dentro il corpo un micro-chirurgo che inserisca il gene esattamente dove deve andare.