

Con il metodo Crispr-Cas9 il «taglia e cuci» è diventato preciso

La vera rivoluzione della terapia genica ha un nome impronunciabile, Crispr-Cas9: un bisturi molecolare che riconosce specifiche sequenze di Dna (le *Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats*, da cui l'acronimo) e può fare un «taglia e cuci» di precisione. «Finora ci limitavamo ad aggiungere una copia corretta di un gene sbagliato, con questo metodo possiamo invece modificare direttamente i geni con un'accuratezza senza precedenti — dice Alberto Auricchio del Tiget —. Le prime sperimentazioni sull'uomo stanno partendo».

In Cina la tecnica è già stata

usata per «togliere il freno» ai linfociti di un uomo con tumore al polmone, per consentire al sistema immunitario di aggredire meglio il cancro; altri pazienti sono pronti per essere inseriti in studi clinici che dovrebbero partire nel 2017 anche negli Usa. «L'editing del Dna era già possibile con altri metodi, ma nessuno efficace come Crispr-Cas9 — osserva

A che cosa servirà

Si sta progettando di utilizzare questa tecnica per inattivare i geni

Luigi Naldini del Tiget —. La prospettiva più vicina è il suo uso per inattivare geni, cosa che finora non riuscivamo a fare; sarà più complesso usarlo per «riscrivere» il Dna modificando eventuali mutazioni, ma gli studi in corso sono moltissimi». E gli obiettivi altrettanti: uno studio comparso su *Nature Genetics* ha individuato tre geni che possono essere tagliati da Crispr e rendono le cellule resistenti al virus Hiv senza pregiudicarne altre funzioni; altri ricercatori puntano a inattivare i virus, come quelli dell'epatite, direttamente con il bisturi molecolare.

E.M.