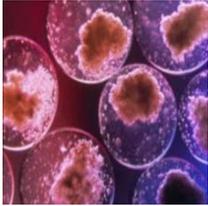


19 novembre 2010 11:52

**FRANCIA: Staminali. Terapia genica contro la beta-talassemia. Per ora risultati modesti**

Un'équipe francese ha realizzato una prova di terapia genica per curare un paziente affetto da beta-talassemia. Questa malattia ereditaria e' legata alla mutazione di un gene che codifica per il canale beta dell'emoglobina. La cura ha avuto inizio nel 2007 con il prelievo di cellule staminali del midollo osseo dello stesso paziente. Queste cellule sono poi state trattate da un vettore virale di tipo lentivirus, nel quale e' stato inserito un gene funzionale del canale beta dell'emoglobina. Queste cellule staminali modificate sono in seguito state iniettate nel paziente.

Tre anni dopo il paziente presenta piu' del 10% di cellule staminali del midollo osseo che contengono il gene funzionale. Nel contempo il vettore virale si e' ugualmente inserito in un gene, HMGA2, implicato nella regolazione della proliferazione e della differenziazione cellulare. Questo gene puo' essere ugualmente responsabile di un cancro se la proteina HMGA2 e' presente in quantita' anomalmente alte. Allo stato il paziente in cura presenta una sovra-produzione di questa proteina.

Per il momento i risultati terapeutici sono quindi modesti per il rischio di leucemia che, malgrado la stabilita' delle cellule *staminali trasformate ancora in coltura, non puo' ancora essere totalmente scongiurato.*

*Fonti. Nature 467 (318-322).*