

# Terapia genica

La terapia genica è un metodo per ripristinare la funzionalità in cellule dove i geni mancano o non funzionano perfettamente. I geni contengono tutte le informazioni per costruire e mantenere le cellule e sono codificati dall'acido desossiribonucleico (DNA). Il nucleo di ogni cellula contiene ventitré paia di cromosomi, nei quali si trovano migliaia di geni. Certe malattie sono causate da piccoli cambiamenti nel DNA dei nostri geni, noti come variazioni genetiche. Tali variazioni si verificano quando le informazioni codificate dai nostri geni sono copiate in modo errato e ciò può portare alla produzioni di proteine difettose che causano malattie. La terapia genica viene utilizzata per correggere il problema all'origine. Questo significa che i tessuti e gli organi malati possono quindi tornare a funzionare adeguatamente.

La terapia genica è una tecnica altamente sperimentale che ha mostrato risultati promettenti in alcuni studi clinici su esseri umani nel caso di malattie come le immunodeficienze (in cui il sistema immunitario non funziona in maniera appropriata), la distrofia muscolare (perdita progressiva di muscoli scheletrici) e l'anemia (diminuzione del numero o della funzionalità dei globuli rossi). A partire dal 1990 in tutto il mondo si sono tenuti più di 1.700 studi clinici.

L'approccio tramite terapia genetica è utile per le malattie in cui è interessato un singolo gene, sia da una variante singola sia da variazioni multiple nello stesso gene. In malattie che coinvolgono più di un gene, tale approccio è molto più complicato ed è improbabile che funzioni.

## Risorse aggiuntive

- Società europea di terapia genica e cellulare. (29 ottobre 2011). *Introduzione alla terapia genica.*

Scaricato il 17 giugno 2015 da  
<https://web.archive.org/web/20170130082943/http://www.esgct.eu/useful-information/introduction-to-gene-therapy.aspx>

## Riferimenti bibliografici

1. U.S. National Library of Medicine. (2015). *Genetics Home Reference*. Retrieved June 17, 2015, from <http://ghr.nlm.nih.gov/>

A2-1.06.6V1.1