

LUIGI NALDINI

Università Vita-Salute S. Raffaele di Milano

**La terapia genica,
una medicina di precisione per il terzo millennio: promesse e sfide**

Gli ultimi anni hanno segnato un punto di svolta epocale per la terapia genica e cellulare: dopo tanti anni di ricerca, di battute di arresto e di sforzi collettivi, finalmente sono arrivati sul mercato i primi farmaci, disponibili per i pazienti, e la lista dei nuovi medicinali avanzati in corso di registrazione si sta allungando rapidamente. Le malattie genetiche rare hanno fatto da apripista, come terreno d'elezione per mettere a punto e valutare un approccio terapeutico che può apparire semplice e intuitivo nella sostanza, ma che nella realtà ha richiesto anni e anni di studi per arrivare a un grado soddisfacente di efficienza e sicurezza. Nel tempo la tecnica è stata perfezionata e adattata a vari tipi di malattie, genetiche ma non solo, come dimostrano le prime applicazioni nel campo dei tumori giunte a loro volta sul mercato. Risultati importanti che non sono altro che un nuovo trampolino di lancio, in termini non solo di applicazioni terapeutiche ma anche di conoscenza. Accanto alle terapie già disponibili si affacciano infatti all'orizzonte quelle future, basate su quella naturale evoluzione della terapia genica che è l'editing genetico: le nuove tecnologie basate su CRISPR permettono di intervenire sul genoma in maniera sempre più personalizzata e precisa, arrivando a "riscrivere" la sequenza di un gene come desiderato e proprio per questo aprono scenari finora impensabili che impongono la necessità di una riflessione di natura etica che coinvolga fin dall'inizio non solo la comunità scientifica ma la cittadinanza intera.