

# Quello che c'è da sapere sul Genoma manipolato

**S**e ne parla sempre di più, ma molti aspetti della tecnica Crispr-Cas9 restano oscuri ai più: ecco un breve glossario per orientarsi.

## Che cos'è l'editing del Genoma?

Il patrimonio genetico di ogni individuo, il Genoma, è costituito da sequenze di molecole, dette nucleotidi o basi: sono le lettere di un codice che forma il Dna. Per editing del genoma si intende la possibilità di modificare con precisione piccole parti della sequenza di basi: vengono utilizzate «forbici molecolari» per introdurre tagli nella sequenza del Dna e inserire, eliminare o sostituire porzioni di questa.

## Come funziona Crispr-Cas9?

La tecnologia sfrutta i meccanismi con cui i batteri si difendono dall'infezione dei virus. Si basa sull'uso della nucleasi Cas9, a cui viene associata una breve sequenza di Rna capace di appaiarsi in modo specifico alla porzione di Dna che si vuole tagliare. La sequenza di Rna, chiamata «guida» o sgRNA, viene scelta in modo da guidare l'enzima nel punto dove effettuare l'editing genomico.

## Che cosa distingue Crispr-Cas9 rispetto ad altre tecnologie già note?

Il sistema è facile da applicare perché richiede solo di identificare la sequenza dove tagliare e di fornire la guida di Rna all'enzima Cas9. Quindi, la sola variabile è un piccolo frammento di Rna.

## Quali sono le limitazioni?

Il problema maggiore è la possibilità che Cas9 riconosca sequenze diverse da quella bersaglio, introducendo cambiamenti non voluti. La questione può essere ridotta identificando degli Rna-guida selettivi o sfruttando varianti di Cas9 alternative, come quella messa a punto dal team del «Cibio» di Trento.

## Quali sono i benefici per lo studio e la cura delle malattie?

La tecnologia è molto utile sia per lo studio sia per la cura delle malattie: permettendo di creare sistemi cellulari in grado di «mimare» alcune patologie, consente di identificare con più accuratezza nuove terapie. In particolare, nei confronti di malattie causate da un'alterazione del Dna, Crispr-Cas9 rappresenta la via migliore per effettuare una terapia genica, «curando» in modo preciso la sequenza di Dna «malata».

## Quali sono gli utilizzi in altri ambiti?

Crispr-Cas9 può agire sul miglioramento genetico vegetale, inducendo mutazioni nel Dna senza ricorrere all'incrocio: ciò significa permettere miglioramenti genetici che consentono di preservare le varietà esistenti, aspetto importante per un'agricoltura, come quella italiana, forte di un ricco patrimonio. Nel caso degli animali si accorciano i tempi della selezione di nuove razze e del miglioramento di quelle esistenti. La tecnica, infine, può neutralizzare insetti responsabili della trasmissione di malattie (come la malaria) o eliminare parassiti.

## Ci sono dei pericoli?

Le applicazioni agli esseri umani e alle cellule destinate alla riproduzione impongono importanti interrogativi etici. Anche la scelta delle malattie su cui agire è di primaria importanza: se è lecito pensare alla cura di malattie altrimenti inguaribili, come comportarsi nei confronti di sindromi croniche come l'obesità? Dove tracciare una linea di confine? Non bisogna aver paura di Crispr-Cas9, ma conoscerla per regolamentarla è un imperativo per la nostra società.

## A cura del gruppo di lavoro Fisv «Nuove tecnologie e scienze della vita»

© BY NC ND ALCUNI DIRITTI RISERVATI

