

Ci sono 250
botole di
accesso da
1 tonnellata

le», dice Klinger. Obiettivo: misurare per quanto tempo il campo magnetico riesce a confinare il plasma, e quanto calore si disperderà all'esterno. Dopo una valanga di misure, la macchina sarà spenta, riaperta, potenziata. L'obiettivo è, nel 2020, arrivare a mezz'ora di funzionamento in "stato stazionario", in cui la reazione di fusione si autoalimenta: come nel Sole.

PICCOLO E BELLO. «Non credevo che saremmo arrivati a questo punto prima di Iter», dice Klinger. «Ma quel progetto paga il prezzo di essere una grande collaborazione internazionale». W7-X è un progetto nazionale, con meno persone, dove si possono prendere decisioni e risolvere i problemi in fretta. «Iter però non è un nostro concorrente. Sappiamo ancora troppo poco di come deve funzionare un reattore a fusione, alla fine dovremo prendere il meglio di entrambi gli esperimenti».

E magari contribuiranno anche altri, come Tri Alpha Energy, azienda Usa che quest'anno ha annunciato di aver mantenuto per circa 5 millisecondi un plasma stabile a 10 milioni di gradi, in un reattore di concezione ancora diversa. Klinger prevede che le prime centrali a fusione si accenderanno tra il 2040 e il 2050. «Difficilmente la tecnologia sarà matura prima, e lo diventerà se i governi si convinceranno a fare gli investimenti necessari: quando i combustibili fossili diventeranno più scarsi e costosi, e il problema del cambiamento climatico sarà sotto gli occhi di tutti». Klinger, il suo gruppo e tanti altri nel mondo lavorano perché la fusione si faccia trovare pronta. **F**

Nicola Nosengo

Così possiamo riparare i geni

Viaggio nei laboratori dove
si studia il "taglia e cuci"
del Dna. Per curare tumori,
Aids e altre malattie.



**ACCADRÀ
NEL 2016**

1. ECCO GLI ORGANOIDI

Scocca l'ora degli organi prodotti in laboratorio (da staminali): per testare i farmaci e, in futuro, per trapianti.

2. GUIDA AI NON VEDENTI

Si testa Abbi, un braccialetto-guida per bimbi non vedenti, per la prima volta in attività come danza, cucina...

3. STAMINALI CONTRO LA SLA

Nuova fase nella sperimentazione dell'uso di cellule staminali contro la Sla: si vedrà quanto sono efficaci.

4. MANO ARTIFICIALE

Soft Hand, progetto italiano di mano robotica per uso industriale, inizia i test per l'impiego come protesi.

5. I MEDICI E LO STRESS

In 2 ospedali di Boston inizia l'analisi (attraverso dispositivi indossabili) dei livelli di stress in medici e infermieri.

**TERAPIE
INNOVATIVE.**
Al lavoro in una
società italiana
di biotecnologie,
la MolMed.



Costruire bombe intelligenti antitumore, capaci di trovare e distruggere le cellule malate nel nostro corpo. Curare l'Aids, rendendo invisibile al virus il nostro organismo. Riparare mutazioni che condannano chi le porta a soffrire per tutta la vita, come nell'anemia falciforme. Sembrano miracoli ma stanno diventando possibili grazie a un nuovo metodo di cura, che permette di correggere o disattivare dentro le nostre cellule parti del Dna, il codice che contiene le istruzioni per far funzionare il corpo. Per riuscirci, si usa una sorta di "mini-forbici" molecolari. E non è un'impresa facile perché, prima di adoperarle, si sono dovuti progettare, costruire e imparare a usare questi nuovi strumenti microscopici, non bisturi da chirurgo ma composizioni di sostanze organiche. Armi di precisione capaci di raggiungere da sole il loro bersaglio e di tagliare le parti di Dna che gli scienziati hanno deciso di "spegnere".

IN ITALIA. È la tecnica del momento: si chiama "editing del genoma" e c'è un gruppo di ricercatori a Milano che in questo campo è all'avanguardia. Sperimentano in Italia metodi analoghi a quelli che lo scorso novembre, a Londra, hanno salvato Layla, la bambina di un anno e mezzo guarita da una grave leucemia. Il gruppo lavora all'Istituto San Raffaele Telethon per la terapia genica (Tiget), sotto la guida di Luigi Naldini, direttore del Tiget e della divisione di Medicina Rigenerativa e Cellule Staminali del San Raffaele. Le loro ultime ricerche partono da un cambio di prospettiva radicale nei delicatissimi interventi sul nostro Dna. Finora, con la terapia genica tradizionale, si potevano solo inserire nelle cellule versioni funzionanti dei geni difettosi che sono responsabili delle malattie. Con l'"editing del genoma", come si chiama la nuova tecnica, quei geni possono anche essere disattivati o corretti. Un formidabile passo avanti. Nel caso di Layla, per esempio, gli inglesi sono riusciti a modificare globuli bianchi – presi da un donatore e iniettati nella bimba – spegnendo un gene, in modo che attaccassero le cellule malate della piccola ma risparmiassero quelle sane. Naldini in questo campo è uno dei protagonisti, con una ►

La leucemia stava uccidendo la piccola Layla. Per salvarla, sono state usate “armi intelligenti” molto particolari

grande storia nella terapia genica tradizionale. È stato lui che, una ventina di anni fa, ha avuto la temeraria idea di usare il virus dell'Aids per trasportare il gene-sostituto dentro le cellule. «L'Hiv sembrava perfetto, perché già inserisce i suoi geni tra quelli dell'ospite. Allora faceva paura. Ma si trattava solo di “domarlo” per renderlo innocuo», racconta lo scienziato. Nel 2013 Naldini e colleghi hanno annunciato di essere riusciti a curare così alcuni bambini affetti da due terribili e rare malattie. Ma ora la sfida è la correzione precisa del genoma. Perché la terapia genica tradizionale, dice, «ha dei limiti, a partire dal fatto che con le tecniche attuali non si controlla in modo preciso dove finisce il gene terapeutico. E comunque si è sempre alla ricerca di qualcosa di meglio, di più efficace e preciso. Il bello, ora, è che possiamo decidere a tavolino il punto su cui intervenire». Usando, appunto, le forbici molecolari, così precise perché costituite da 2 parti: un “cervello” che riconosce la sequenza bersaglio del genoma, e una “lama” che la taglia. Con questi strumenti già nel 2012 il gruppo di Naldini e quello di Chiara Bonini, sempre al San Raffaele, erano riusciti a modificare linfociti T (un tipo di

globuli bianchi, gli stessi usati per Layla), sempre per poterli usare nelle strategie di lotta al cancro che “sfruttano” il nostro sistema di difesa per aggredire i tumori.

INVISIBILI. Globuli bianchi modificati sono stati appunto iniettati a Layla, sostituendo quelli della bambina: in quel caso era stata chiesta un'autorizzazione speciale. Ma ora i ricercatori di Londra hanno annunciato per inizio 2016 l'avvio di test su altri pazienti. Ed «è molto probabile che a breve partiranno sperimentazioni di questo tipo in varie parti del mondo, Milano compresa», prevede Naldini. Esperimenti che potrebbero rivoluzionare la cura dei tumori. Quanto siano affilate le nuove forbici biologiche lo dimostra il modo in cui le stanno usando negli Usa. Lì si è già conclusa una prima sperimentazione di “editing” su una settantina di malati di Aids. Alla Sangamo BioSciences, hanno eliminato una specifica molecola sulla superficie delle cellule umane, quella che il virus Hiv usa per agganciarsi e infettarle. I ricercatori hanno pensato di spegnere il gene con le istruzioni per costruirla. I risultati? Promettenti: alcuni pazienti hanno sospeso i farmaci contro l'Aids. E nel 2016

l'azienda è pronta a partire con nuovi test clinici, anche su altre malattie.

La “rottura” del Dna, dunque, funziona già molto bene. «Ma un obiettivo ancora più ambizioso è correggere le mutazioni del gene», dice Naldini. Se immaginiamo il Dna come una sequenza di lettere, non si tratta solo di eliminarne un pezzo, ma di “riscrivere” la frase sbagliata in modo corretto. Gli scienziati milanesi stanno sperimentando questo metodo sulle cellule staminali del sangue: l'obiettivo è correggere gli errori di un gene responsabile di una rara e grave malattia (la Scid-X1) che rende le persone vulnerabili alle infezioni. «Abbiamo dimostrato che la strategia funziona in cellule e animali, ora stiamo lavorando per ottimizzare la tecnica e arrivare ai test sull'uomo. Se tutto andrà bene, dovremmo farcela in un paio d'anni. Potrebbe essere la prima sperimentazione umana di editing “correttivo” del genoma».

RIPARAZIONE. Potrebbe, perché la competizione è agguerrita. Oltre a Sangamo BioSciences, altri gruppi sono al lavoro. Come la Editas Medicine, che ha annunciato per il 2017 di voler fare la prima “riparazione” di questo tipo sull'uomo, per curare una forma di cecità genetica. Oltretutto, mettere le mani sul Dna è da poco diventato ancora più facile, perché è arrivata una nuova generazione di forbici molecolari: sempre fatte di una combinazione di molecole, ma più semplici da costruire e meno costose. «Si chiamano Crispr/Cas9 e sono alla portata praticamente di tutti i laboratori», dice Naldini. In Cina, c'è chi ha usato i nuovi strumenti anche in test su embrioni umani non vitali (cioè che non si sarebbero potuti sviluppare), ma la notizia ha suscitato polemiche. «Perché si evoca lo spettro dell'eugenetica e perché potrebbero esserci conseguenze inattese e pericolose per l'individuo o i suoi discendenti», dice Naldini, pur sottolineando che chi lavora sugli embrioni lo fa oggi solo per ricerca e con regole ferree. Del resto, lui stesso è stato chiamato a far parte di un comitato americano che dovrà analizzare vari aspetti della nuova tecnica. Con un obiettivo: dare indicazioni su come maneggiare questi strumenti, tanto microscopici quanto acuminati. **F**

Valentina Murelli

IL COPIA E INCOLLA NELLE CELLULE

