

► Teràpia gènica

 Les cèl·lules mare són la clau del tractament que va curar el nen malalt. D'altra banda, altres investigadors estan intentant desenvolupar noves tècniques per obtenir cèl·lules mare hematopoètiques sanes sense necessitat de tenir un germà... i completament compatibles, perquè serien del mateix malalt.

Les cèl·lules mare hematopoètiques de les persones amb beta-talassèmia major tenen un defecte genètic, una mutació, que els impedeix elaborar prou hemoglobina. Per tractar casos com aquest s'està desenvolupant la tecnologia de la teràpia gènica.

La **teràpia gènica** és una tècnica experimental que utilitza gens per tractar o prevenir una malaltia. La forma més comuna inclou la inserció d'un al·lel sa per substituir-ne un de defectuós. En el cas de la beta-talassèmia, una de les estratègies que s'està assajant és la següent:

- Extreure cèl·lules mare hematopoètiques de la persona malalta.
- Inactivar un virus, eliminant el seu material genètic, per utilitzar-lo com a *vector*. Inserir dins el virus una còpia de l'al·lel funcional β .
- Afegir el virus al cultiu de cèl·lules mare hematopoètiques. El virus introduirà dins les cèl·lules el DNA que conté, o sigui, l'al·lel β . Algunes de les cèl·lules integraran aquest DNA en un dels seus cromosomes.
- Tria les cèl·lules que hagin integrat l'al·lel β i injectar-les novament al pacient del qual les havíem extret.
- Si el tractament té èxit, les cèl·lules injectades s'establiran a la medul·la òssia i començaran a produir eritròcits amb hemoglobina normal.

