



Presidenza del Consiglio dei Ministri

COMITATO NAZIONALE PER LA BIOETICA

TERAPIA GENICA

(15 febbraio 1991)

abstract

Il parere sulla terapia genica è composto da due relazioni distinte, ma strettamente coordinate fra loro, dal titolo *Terapia genica. Relazione tecnico-scientifica e Caratteristiche della terapia genica nelle malattie da immunodeficienza da deficit di adenosin-deaminasi (ADA)*. Contestualmente, il CNB ha ritenuto opportuno approvare un terzo documento, dal titolo *Conclusioni generali e pareri del Comitato sulla terapia genica*, che ha lo scopo, sulla base delle nozioni scientifiche analiticamente esposte nei documenti già menzionati, di formulare considerazioni riassuntive e linee operative in un linguaggio più facilmente comprensibile all'opinione pubblica.

La terapia genica viene definita come l'introduzione di un gene in organismi o cellule umane, al fine di prevenire e/o curare una condizione patologica. Questa terapia può mirare a correggere difetti genetici in cellule della linea germinale con effetto sulla discendenza (terapia genica germinale), oppure può eliminare o ridurre effetti molecolari a livello di cellule somatiche, con effetti limitati all'individuo che vi si sottopone (terapia genica somatica).

La terapia genica germinale presenta notevoli difficoltà tecnico-scientifiche ed è giustificabile, a parere del CNB, dal punto di vista etico-giuridico solo se presenta caratteri terapeutici sulla base del principio della intangibilità del patrimonio genetico della persona. Occorre tuttavia valutare attentamente i rischi di queste pratiche, perché tutti gli interventi correttivi eseguiti sulla linea germinale con materiale genetico estraneo, della stessa specie o di specie diverse, portano ad una modificazione della struttura e della organizzazione propria del genoma del soggetto, con conseguenze imprevedibili nello sviluppo della persona e della sua discendenza.

La praticabilità della terapia genica somatica è invece meno problematica, in quanto non si discosta da altre forme di intervento terapeutico e deve sottostare soltanto ai criteri generali di ogni prestazione medica, per cui dovrà essere fondata su presupposti scientifici accertati, su indicazioni precise e sull'assenza di controindicazioni; potrà essere effettuata in assenza di terapie alternative sicuramente più efficaci e solo dopo aver acquisito il consenso informato del paziente. Qualora la terapia abbia carattere sperimentale, la valutazione dei rischi per il paziente dovrà essere condotta con assoluto rigore.