

ATTUALI POSSIBILITÀ DI INTERVENTO GENETICO

CURRENT POSSIBILITIES OF GENETIC INTERVENTION

MONS. J. SUAUDEAU

Officer for Studies, Pontifical Academy for Life, Vatican City

Dopo aver illustrato gli strumenti della terapia genica, l'autore esamina la terapia genica cellulare somatica e la terapia genica cellulare germinale, precisando che gli interventi di miglioramento non fanno parte *stricto sensu* della terapia genica.

Si esaminano i risultati clinici della terapia genica somatica, prendendo in considerazione varie patologie come la granulomatosi settica cronica (*chronic granulomatous disease*), il deficit in adenosina deaminasi, il deficit immunitario legato al cromosoma X (*X linked Severe Combined Immunodeficiency*), l'emofilia B, la distrofia muscolare di Duchenne e varie altre. Nella seconda parte, l'autore prende in esame le complicazioni della terapia genica, illustrandole attraverso alcuni casi famosi (la morte di Jesse Gelsinger nel 1999, le leucemie scoperte nei malati trattati all'Hopital Necker di Parigi). Successivamente si propone una valutazione etica della terapia genica somatica considerando il problema del rispetto dell'autonomia del paziente, il problema del rischio accettabile e quello del rischio di eugenismo. Infine si approfondisce la problematica della terapia genica in utero (attraverso l'esame delle argomentazioni a favore e di quelle contrarie) e quella della terapia genica germinale.

After giving an illustration of the instruments of genetic therapy, the author examines somatic cellular genetic therapy and germ-line cellular genetic therapy, specifying that interventions aimed at enhancement do not form part, *stricto sensu*, of genetic therapy.

The clinical results of somatic genetic therapy are examined, taking into consideration various pathologies, such as chronic granulomatous disease, adenosine deaminosis deficit, X-linked combined immuno-deficiency, haemophilia B, Duchenne's muscular dystrophy, and various others. In the second part, the author examines complications of genetic therapy, giving an illustration of these from famous cases (the death of Jesse Gelsinger in 1999, cases of leukaemia discovered in persons treated at the Necker Hospital in Paris). Then, he offers an ethical evaluation of somatic genetic therapy, with reference to the problem of respect for patient autonomy, the problem of acceptable risk, and the risk of eugenics. Finally, he develops the issue of genetic therapy in utero (examining arguments in favour and against) and that of germ-line genetic therapy.