

Técnica de edición de genes adaptada podría tratar enfermedades incurables

El Ciudadano · 11 de diciembre de 2017

El nuevo método adaptado de CRISPR, que aumenta la actividad de los genes, un día podría utilizarse para superar enfermedades como la diabetes y la distrofia muscular.





En el futuro podrían tratarse con éxito enfermedades incurables como la diabetes y la distrofia muscular, utilizando una nueva forma de ingeniería genética diseñada para aumentar la actividad de los genes, como afirma un grupo de científicos.

La técnica es una versión adaptada de la herramienta de edición de genes llamada CRISPR. Mientras que la versión original corta el ADN en lugares precisos para eliminar genes defectuosos o reescribir errores en el código, lo que hace el método modificado es seleccionar ciertos genes y «subirles el volumen».

Esto podría ayudar a superar el problema de que los llamados ‘efectos fuera del objetivo’, que ocurre cuando se modifican genes por error. Esta es una importante barrera de seguridad para usar Crispr en el contexto clínico.

«Cortar el ADN abre la puerta a la introducción de nuevas mutaciones», dijo Juan Carlos Izpisua Belmonte, quien dirigió el último trabajo en el Instituto Salk en La Jolla, California. «Eso es algo que se mantendrá con Crispr o con cualquier otra herramienta desarrollada para cortar el ADN. Es un cuello de botella importante en el campo de la genética, la posibilidad de que la célula, después de cortar el ADN, pueda introducir errores dañinos », explicó.

Crispr ha cambiado las reglas del juego en la investigación biomédica debido a la facilidad y precisión que ofrece en la edición del código genético. Crispr es una molécula guía, hecha de ARN, que permite apuntar a un sitio específico en el genoma. Normalmente se usa junto con una enzima bacteriana llamada Cas9, que actúa como tijera molecular, cortando el ADN en un punto exacto y elegido.

En la nueva versión todavía se utiliza una guía de estilo Crispr, pero en lugar de cortar el genoma en el sitio de interés, la enzima Cas9 se adhiere a él. El nuevo método también incluye un tercer elemento: una molécula que se aloja en Cas9 y que activa el gen al que está adherido.

El nuevo documento, publicado en la [revista Cell](#), demuestra cómo esta estrategia podría aplicarse a una variedad de enfermedades devastadoras.

En un estudio con ratones con un tipo de distrofia muscular, el equipo demostró que con este método se podía recuperar el crecimiento y la fuerza muscular de los animales. La enfermedad es causada por una mutación en el gen que produce la distrofina, una proteína que se encuentra en las fibras musculares. En lugar de tratar de reemplazar este gen con una versión saludable, el equipo impulsó la actividad de un segundo gen que produce una proteína llamada utrofina, que es muy similar a la distrofina y puede compensar su ausencia.

«No estamos arreglando el gen, la mutación todavía está allí», dijo Izipisua. «En cambio, los ratones recuperan la expresión de otros genes en la misma vía. Eso es suficiente para recuperar la función muscular de estos ratones».

El trabajo se considera una gran hazaña técnica, pero requerirá un gran refinamiento y pruebas de seguridad antes de poder aplicarla en estudios con pacientes humanos.

Izipisua dijo que en el futuro la técnica puede incluso tener el potencial de revertir los estragos de la vejez, aunque esta aplicación no está en el horizonte inmediato. «Nuestro objetivo será volver a activar los genes silenciados por el envejecimiento o utilizar el sistema para reponer las reservas de células madre adultas, que promueven la regeneración pero por lo general se agotan con la edad», dijo.

El Ciudadano, vía [The Guardian](#)

Fuente: [El Ciudadano](#)