

Un nuevo «procesador» de ADN corrige enfermedades humanas

La técnica de edición genómica, llamada «editor prime», y desarrollado por científicos del Instituto Broad en Cambridge podría corregir alrededor del 89% de las variantes genéticas humanas asociadas con enfermedades



El profesor David Liu, del Broad Institute, y su equipo dieron con esta nueva técnica que permite mutaciones puntuales específicas, inserciones y eliminaciones precisas, sin que haya roturas de ADN de doble cadena

Una nueva y versátil tecnología de edición, denominada «editor prime», podría terminar con los principales problemas que planteaba la técnica del **CRISPR-9**, las denominadas tijeras moleculares o «corta pega» genético, y, en principio, se convertiría en el método más adecuado para corregir alrededor del 89% de las variantes genéticas humanas asociadas con enfermedades.

La tecnología, tal y como se describe en un artículo publicado el pasado sábado en la revista «Nature», es como un procesador de texto genético capaz de reescribir con precisión el código genético.

En la investigación que se publica en «Nature», realizada en el Instituto Broad de Cambridge del MIT y la Universidad de Harvard (EE.UU.), se ha el método utilizado para corregir mutaciones de algunas enfermedades humanas en el laboratorio. Sus creadores señalan que es «muy versátil y precisa», pero como reconoció el autor principal, **David Liu, la «edición prime» «es el comienzo, más que el final de una aspiración de un largo camino de la investigación en el campo molecular con el fin de poder hacer cualquier cambio de ADN en cualquier posición de una célula u organismo vivo, incluidos pacientes potencialmente humanos con enfermedades genéticas».**

A pesar de los avances que se han producido en las técnicas de edición del genoma, la mayoría de las aproximadamente 75.000 variantes genéticas humanas que [causan enfermedades](#) conocidas no se pueden corregir de una manera eficiente.

Las llamadas **tijeras moleculares o CRISPR** permiten actualmente modificar el ADN a través de la edición de genes y a ha transformado la investigación, tanto desde el punto de vista médico para curar enfermedades como planteando importantes dilemas éticos, especialmente después de que un científico en China ‘fabricara’ bebés que fueron editados genéticamente para protegerse frente al virus que causa el sida, el VIH CRISPR, una herramienta de edición del genoma extraordinariamente poderosa inventada en 2012, a veces es un poco «ineficaz». Escanea el ADN en busca del lugar correcto y, posteriormente, como un par de tijeras microscópicas, lo corta en dos. Esto permite

editar el ADN, pero, sin embargo, las ediciones no siempre son perfectas y los cortes pueden producirse en el lugar equivocado. Ambas cuestiones son un problema para su uso en el campo médico.

El nuevo CRISPR, explican sus autores, podría permitir insertar o eliminar secuencias específicas en objetivos del genoma con menos daño colateral.

Liu compara su «editor» con un procesador de texto, pero que en este caso se buscan secuencias para reemplazarlas con precisión. Es decir, como un «corta y pega» que hacemos en el ordenador en muchas ocasiones, solo que corta y pega ADN.

Para obtener este «procesador», los autores combinaron la enzima Cas9 con una segunda enzima llamada transcriptasa inversa. La máquina molecular resultante, cuando se combina con un ARN guía diseñado, puede buscar una localización de ADN específico y reemplazarla. Los investigadores realizaron más de 175 ediciones en células humanas, incluida la corrección de las causas genéticas primarias de la enfermedad de células falciformes y la enfermedad de Tay Sachs- una afección nerviosa rara y mortal, a menudo es causada por la adición de cuatro letras de código adicionales-, y los resultados mostraron que su técnica más eficiente.

Liu calcula que la «edición prime» tiene el potencial de solucionar el 89% de las variantes genéticas humanas asociadas con enfermedades. El otro 11% incluye a las personas que tienen demasiadas copias de un gen (una instrucción genética) o cuando falta el gen completo.

¿Y para cuándo podría estar la técnica disponible? Al igual que con todas las otras tecnologías de edición de genes, habrá que obtener una tecnología molecular que sea capaz de realizar estas ediciones en las partes correctas del cuerpo humano y garantizar su seguridad.

En principio, las primeras aplicaciones se podrían realizar en enfermedades donde las células se pueden extraer del cuerpo, editar, verificar para garantizar su seguridad y volver a colocarlas, como algunos trastornos sanguíneos como la anemia falciforme o la talasemias, donde la médula ósea se puede extraer y volver a colocar.

De momento, Liu ha constituido una empresa en torno a la nueva tecnología, Prime Medicine, aunque reconoce que todavía queda un largo camino porque nadie ha demostrado que pueda funcionar en un modelo animal.

RAFA IBARRA

ABC. MADRID 22/10/2019

https://www.abc.es/sociedad/abci-cientificos-estadounidenses-desarrollan-nueva-tecnica-para-modificar-humano-y-evitar-enfermedades-201910211710_noticia.html

NOTICIAS RELACIONADAS

-
- [Llega la inmunoterapia más potente](#)
 -
 - [Un nuevo tipo de células CAR-T evitará el fracaso de la terapia en algunos linfomas](#)