

CRISPR-Cas9, la herramienta que restaura parcialmente la visión de animales ciegos

Un trabajo en Nature demuestra la eficacia de CRISPR-Cas9 para restaurar parcialmente la visión en roedores con ceguera. Aunque no es una cura total, el estudio abre la puerta a nuevas terapias.

Investigadores del Instituto Salk de California han logrado mejorar la herramienta CRISPR-Cas9 para restaurar parcialmente la visión de animales ciegos. Su trabajo, publicado en la revista Nature, muestra por primera vez cómo este "cortapega genético" puede editar el genoma de células que no se dividen, lo que abre la puerta a futuros tratamientos en enfermedades relacionadas con el sistema nervioso, el corazón o la retina.

Han logrado editar el genoma de células que no se dividen, como las neuronas o las células del corazón y la retina.

"Estamos muy emocionados con la tecnología que hemos desarrollado porque era algo que no se había conseguido antes", explica el español Juan Carlos Izpisua Belmonte, líder de la investigación. "Por primera vez hemos sido capaces de entrar en células que no se dividen y modificar su ADN a voluntad. Las posibles aplicaciones del hallazgo son enormes", afirma el científico. Razón no le falta. Células post-mitóticas no proliferativas como las neuronas, las células del corazón o de la retina son difíciles de tratar porque no se renuevan. La posibilidad de utilizar CRISPR-Cas9 para editar su genoma y corregir posibles errores genéticos podría marcar un punto de inflexión.

No es una cura total

Hasta la fecha era muy difícil modificar el ADN de aquellas células que no se dividían. La tecnología del Instituto Salk, basada en la herramienta de CRISPR-Cas9, multiplica por diez la eficacia obtenida anteriormente. Su estudio logra insertar un nuevo gen en una localización precisa del ADN de células adultas que ya no se renuevan, como las del ojo, el cerebro, el páncreas o el corazón, ofreciendo nuevas posibilidades de tratamiento en estos tipos celulares.

El "cortapega genético" permite modificar el ADN de células dañadas para restaurar parcialmente la visión en animales ciegos.

Aunque el trabajo se ha realizado en modelos animales, el avance "es asombroso", según explica Enrique J. de la Rosa, del Laboratorio de Desarrollo, Diferenciación y Degeneración del Centro de Investigaciones Biológicas (CIB-CSIC).

El motivo por el que los científicos han realizado los experimentos para tratar la retinosis pigmentaria en roedores es sencilla. "Es mucho más fácil investigar qué ocurre en la retina porque es más

accesible que probarlo en ciertas zonas del cerebro", comenta.

El equipo liderado por Izpisúa probó el sistema modificado de CRISPR-Cas9, al que han denominado HITI (homology-independent targeted integration), primero en el cerebro de ratones y luego en ratas que habían perdido la visión. Después de tratar la mutación en el gen *MertK*, vieron que el "cortapega genético" era capaz de "cicatrizarse" las células de la retina. "No es una cura, porque no logran llegar a todas las células. Pero si logramos restaurar parcialmente la visión es un paso muy importante. Curar enfermedades de origen genético va a ser muy difícil, salvo que se pueda técnica y legalmente hacerlo en embriones", admite de la Rosa.

El problema de este tipo de terapia génica es que, al no ser capaces de curar todas las células o fotorreceptores, se produce un proceso inflamatorio que podría terminar por agravar la situación de los pacientes años después. Es decir, a pesar de los buenos resultados obtenidos por el grupo de Izpisúa, las investigaciones con CRISPR-Cas9 deberán continuar en otros modelos animales como los perros para demostrar si es segura o eficaz. En caso afirmativo, podrían comenzar los ensayos clínicos en seres humanos. "Quizás en ese caso se pueda probar este método en combinación con terapia antiinflamatoria y neuroprotectora", afirma el científico del CIB-CSIC.

La terapia debe ser probada ahora en otros modelos animales. Si es segura y eficaz, será estudiada luego en humanos.

"Fuimos capaces de restaurar parcialmente la visión en ratas ciegas", destaca Reyna Hernández-Benítez, otra de las investigadoras participantes en el estudio. "Este éxito preliminar sugiere que la tecnología es muy prometedora", añade. Enrique J. de la Rosa coincide en esa opinión, pero se muestra cauteloso. "El resultado es totalmente creíble, aunque echo en falta que no siguieran más tiempo investigando. Si realmente funcionase en modelos animales y en seres humanos, sería un avance importantísimo", resalta. Podría, por ejemplo, ser estudiada como tratamiento de enfermedades que afecten al sistema nervioso central o en trastornos como la distrofia muscular, donde los primeros resultados son positivos.

El problema es que este tipo de terapias, en caso de demostrar seguridad y eficacia, podrían superar el millón de euros por cada paciente. Su costoso desarrollo, aun a pesar de estar todavía en pañales, podría frenar su aplicación clínica. Al menos de momento estos científicos han dado el primer paso, mejorando además la herramienta CRISPR-Cas9 que ya era completamente revolucionaria. El "cortapega genético", que recientemente ha sido probado por primera vez en seres humanos en China, tiene ante sí un futuro prometedor. El tiempo dirá si la edición genómica cumple todas las expectativas.

La noticia "El "cortapega genético" restaura parcialmente la visión en animales ciegos" fue publicada originalmente en Hipertextual.

Datos de contacto:

Nota de prensa publicada en:

Categorías: [E-Commerce](#) [Medicina alternativa](#) [Otras ciencias](#)

NotasdePrensa

<https://www.notasdeprensa.es>