

BIOMEDICINA Manipular genes y células

Pasos de gigante en la terapia génica

- Dos estudios muestran la eficacia de la terapia génica
- Pacientes con leucemia se recuperaron tras este tratamiento
- En modelos animales, también es eficaz en el infarto de miocardio
- Son miles los ensayos aprobados con este tipo de terapia

ÁNGELES LÓPEZ > Madrid

Actualizado: 20/02/2014 05:01 horas

Cuando el corazón falla o la médula deja de funcionar adecuadamente, el cuerpo humano tiene serias dificultades para cumplir con sus tareas del día a día. No hay, en la actualidad, ningún tratamiento que recupere la zona destrozada por un infarto. Un daño menos localizado y más extenso es el que sufren los pacientes con ciertos tipos de leucemias porque la enfermedad transforma sus células sanguíneas y las va dejando inoperativas frente a las infecciones. Aunque sí hay terapias que combaten muchos tipos de cáncer en la sangre, no todos los pacientes responden bien y la enfermedad puede ser devastadora. Para ellos, enfermos cardíacos y oncológicos, la terapia génica es la gran esperanza.

No son los únicos. Después de un inicio desolador, una muerte en 1999 y [graves efectos secundarios](#) que llevaron en 2003 a suspender temporalmente estos ensayos, la investigación en terapia génica y las mejoras logradas han demostrado año tras año que es una opción cada vez más válida para muchos tipos de enfermedades. Estudios en pacientes con Parkinson, ciertos tipos de ceguera, VIH, melanoma, hemofilia y enfermedades raras, entre otras, así lo constatan. Las últimas pruebas de que este tratamiento es algo más que una promesa aparecen publicadas hoy en la revista [Science Translational Medicine](#) en dos estudios, uno que muestra el éxito de este tratamiento contra la leucemia en adultos y otro en el que se constata, en este caso en animales, que puede ser una opción válida para restaurar el corazón tras un infarto.

A grandes rasgos, este tipo de terapia consiste en la inserción de un gen, a través de un virus modificado o vector, en un órgano dentro del cuerpo o en células en un laboratorio para corregir un defecto genético o activar proteínas que reparen los mecanismos biológicos que están detrás de una enfermedad. "Según el tipo de vehículo [del virus empleado] el gen puede permanecer activo en el tejido en el que se inyecta durante un periodo de tiempo corto (días o semanas) o largo (muchos años). Se distinguen pues vectores de corta y de larga expresión. Por otra parte, **hay otros cuyo material genético se integra en el genoma de la célula y, por tanto, se transmite a las células hijas** cuando tiene lugar la división celular, mientras que otros vectores no son integrativos", explica Jesús Prieto, especialista de la Clínica Universitaria y del Centro de Investigación Médica Aplicada (CIMA).

Uno de los trabajos que se publican ahora consiste en la **unión de**

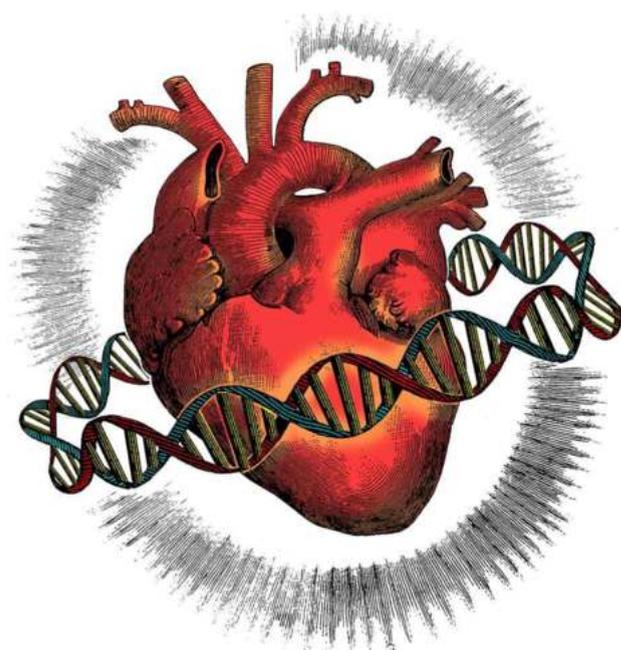


Ilustración de Raúl Arias.

a⁺ a⁻

Comunidad

112

127

g+ 3

k + + + +

Además

- Retos y esperanzas en la medicina del futuro

Tags

Salud
Biociencia

Noticias Relacionadas

[Una vacuna sin frío, una esperanza contra la meningitis en África](#)

[IRB: multidisciplinar y sin fronteras](#)

[Alquilar por horas la luz de alba](#)

[Descubren la clave que está detrás del envejecimiento muscular](#)

[No ver para oír mejor](#)

[Estresar células adultas para lograr embriones](#)

De tiendas

Zapatillas relax gel
Slippers

14.9€

RELAX GEL SLIPPERS



Set Pala de Padel Wilson
Wave II

Más leídas

- [Cada hora sentado cuenta](#)
- [¿Podemos sustituir el ejercicio físico por sexo?](#)
- [Pasos de gigante en la terapia génica](#)

terapia génica con terapia celular para tratar la leucemia linfoblástica aguda. Este cáncer de la sangre, que en niños suele tener unas tasas de curación altas, en adultos genera con frecuencia recaídas y su pronóstico es malo, con un tiempo medio de supervivencia inferior a seis meses.

En este caso, los investigadores, dirigidos por Michel Sadelain y Renier Brentjens, del Memorial Sloan-Kettering Cancer Center de Nueva York (EEUU), extrajeron células del sistema defensivo (linfocitos T) de 16 pacientes y las manipularon en el laboratorio donde les insertaron, mediante un vector retroviral gamma, un gen que les enseña a atacar una proteína (CD19) presente en las células B, donde se esconde el cáncer. Al inyectar de nuevo estas células entrenadas en los pacientes, fueron capaces de identificar las células del cáncer y eliminarlas. Eso ocurrió en 14 de los 16 pacientes (una eficacia del 88%). "Nuestros resultados demuestran que 14 pacientes han logrado una completa remisión, lo que les podría permitir recibir un tratamiento complementario consistente en un trasplante de médula ósea [necesario para reponer las células del sistema defensivo]. Estos resultados son espectaculares y mucho mejor de lo que estos pacientes podrían esperar", afirman a EL MUNDO Sadelain y Brentjens.

Estos investigadores, que fueron los primeros en demostrar el éxito de esta terapia en ratones hace más de una década, iniciaron la vía para que otros grupos empezaran a intentar replicar sus datos, primero en animales y luego en humanos. "Ahora hay aprobados cerca de 40 ensayos dirigidos contra las CD19, muchos de ellos aún no se han iniciado pero demuestran el entusiasmo por este enfoque. El [año pasado](#) aportamos los primeros resultados con cinco pacientes adultos y ahora publicamos esta serie con 16. Pero, ya hemos tratado a 60 personas con la terapia CAR [como así se denomina su técnica], así como a tres enfermos de beta-talasemia grave [un tipo de anemia]", explican.

Como dicen, no son los únicos. David Porter, director del Centro Abramson de Trasplantes de Médula y Sangre en la Universidad de Pennsylvania (EEUU), **ha tratado a 70 pacientes con el mismo tipo de leucemia**. "En nuestro caso, utilizamos vectores lentivirus para introducir las células anti CD19 y **hemos demostrado que esa modificación es segura**, las células pueden expandirse de forma espectacular en el cuerpo y persistir allí durante largos periodos de tiempo. Además, pronto estudiaremos esta terapia también en los linfomas no Hodgkins. El futuro es identificar nuevas dianas en otros tumores para tratarlos", asegura a este periódico.

Aunque el cáncer, sobre todo las leucemias y linfomas, acapara en torno al 60% de los **casi 2.000 ensayos clínicos con terapia génica y celular aprobados**, otras patologías como las cardíacas están entre los intereses de los científicos como diana para aplicar estos novedosos tratamientos. Un ejemplo es el segundo estudio que publica *Science Translational Medicine* y que ha sido realizado por investigadores del Instituto Cardiovascular del Mount Sinai en Nueva York y del Centro Nacional de Investigaciones Científicas (CNIC) en Madrid.

En este caso, los investigadores han utilizado exclusivamente terapia génica (la inyección de un gen mediante un adenovirus), para reparar tejido cardíaco dañado por un infarto en cerdos, animales cuyo corazón es similar al humano. Se ha buscado, con la inoculación de este gen, activar la mitosis o multiplicación celular en 10 sitios equidistantes alrededor del área infartada. Y a las siete semanas de la inserción genética, se ha comprobado su efectividad: un aumento del 18% de la fracción de eyección, un indicador de la función cardíaca.

"Las células afectadas por un infarto mueren. No hay tratamientos que reparen la cicatriz que queda tras un ataque cardíaco, lo que genera



59.9€

ACTISOX calcetines compresivos

19.9€



- 3 Pasos de gigante en la terapia génica
- 4 El peligro de abusar del omeprazol
- 5 El riesgo de confiar en suplementos alimenticios prometedores
- 6 Una vacuna sin frío, una esperanza contra la meningitis en África
- 7 La peligrosa moda de fumar porros de hortensias
- 8 Niños, la muerte más dolorosa
- 9 'La orientación sexual se determina en el útero'
- 10 Dormir mal también causa dolor



Servicios	
Guía TV	Sorteos y loterías
Estrenos	Cartelera
Tráfico	Callejero
Horóscopo	Hemeroteca
Diccionarios	Bolsa
Máster Periodismo	Traductor
Promociones	Libros
El tiempo	Calendario 2013
Pasatiempos	Citas
Seguros vehículos	Entradas
Cupones	Convertor de monedas



publicidad

Seguros de coche: Ahorra hasta 500€

Comparador
30 seguros coche
en 3 minutos

CALCULAR >>

Un servicio de: **EL MUNDO.es** En colaboración con: **acierto.com**

Destacados	
Los Oscar	Los Goya
Sochi 2014	Facebook compra Whatsapp

un mal funcionamiento del corazón y a veces la muerte del paciente. Con la terapia génica, **hemos demostrado que se puede conseguir la regeneración del miocardio en un modelo animal.** Es una luz para una posible terapia en humanos, un primer paso", señala Gabriela Guzmán, especialista del Servicio de Cardiología del Hospital La Paz, en Madrid, y colaboradora del CNIC.

Esta especialista afirma que todavía quedan muchos pasos para aplicar esta técnica en humanos. "Habrá que replicar estos resultados de nuevo en animales, ver si es segura y, después de muchos experimentos, iremos a pacientes".

Quien sí se lanzará este año a realizar un ensayo clínico en humanos es [Juan Bueren](#), jefe de la división de hematopoyesis y terapia génica del Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas (Ciemat) e investigador del CIBER de Enfermedades Raras. "La investigación está enmarcada dentro de un proyecto europeo que, a lo largo de cinco años, pretende reclutar a 10 pacientes candidatos a esta terapia", explica.

La razón de un número tan bajo de pacientes es la enfermedad a tratar: [anemia de Fanconi](#), un trastorno raro de la sangre. Para curarlo, se pretende extraer células de estos enfermos, que portan un gen defectuoso, y corregirlas en el laboratorio insertándoles una copia buena de ese gen con un lentivirus. Después se administrarán de nuevo a los enfermos. "Aunque Sanidad ya ha aprobado parte del protocolo, esperamos obtener la autorización total este verano", dice Bueren.

La anemia de Fanconi es una de las muchas enfermedades raras causadas por un gen defectuoso, que están siendo objeto de estudio en este campo. Para Ramón Alemany, presidente electo de la Sociedad Española de Terapia Génica y Celular, la razón de la dinamización de estos estudios ha sido los avances en el desarrollo de los vectores que transfieren los genes y el modo de usarlos. "Es un proceso de aprendizaje continuo que todavía prosigue después de 2.000 ensayos clínicos realizados desde 1990".

En esa mejora de las herramientas de transferencia génica está Jesús Prieto en el CIMA, quien hace un año inició un ensayo con virus adenoasociados para tratar la porfiria aguda intermitente, una enfermedad causada por la ausencia de una enzima en el hígado y que genera efectos devastadores en quienes la padecen. "Ahora estamos completando el seguimiento de los pacientes. Y además, estamos poniendo a punto la terapia génica de la enfermedad de Wilson, un trastorno causado por la deficiencia de una proteína".

"Es un futuro altamente prometedor", asegura Prieto, quien pide a los responsables políticos que fomenten las investigaciones en terapia génica, "un campo que ofrece a España una oportunidad única de innovar en el sector biofarmacéutico y de tratar múltiples y variadas enfermedades".

Fármacos 'vivos'

La primera terapia de este tipo se aprobó en Europa en 2012: Glybera, un adenovirus eficaz contra el déficit de la lipoproteína lipasa, un trastorno raro. China también ha autorizado otras dos: Oncorine y Gendicine, contra el cáncer de cabeza y cuello. El reto: un precio altísimo que supera los miles de euros.

¿Le ha resultado interesante?

 Sí No

0

Te recomendamos

