

PINO ALBEROLA

La tecnología CRISPR, cuyo desarrollo se debe en buena parte a los hallazgos del profesor de la Universidad de Alicante Francisco Mojica, promete revolucionar el campo de la medicina, con la posible cura de muchas enfermedades de origen genético que hasta el momento no han tenido tratamiento.

La aplicación práctica de esta tecnología de edición genética ha sido objeto este martes de una de las charlas impartidas por investigadores del Instituto de Neurociencias -centro mixto del CSIC y la Universidad Miguel Hernández- en el marco de la Semana del Cerebro.

La investigadora Beatriz del Blanco explica que de momento el CRISPR está mostrando un gran potencial para el tratamiento de las enfermedades de la sangre mediante el autotrasplante de células del propio paciente. «Se han hecho ensayos clínicos con dos pacientes que padecían anemia falciforme y beta talasemia, enfermedades hereditarias provocadas por la mutación en un gen y que provocan que quienes las padecen necesiten continuamente transfusiones de sangre».

Los investigadores extrajeron células madre hematopoyéticas de estos pacientes y las modificaron genéticamente con herramientas CRISPR y su posterior autotrasplante. «Después de un año, estos pacientes no han necesitado de nuevas transfusiones de sangre», señala Del Blanco.

Terapias virales

Al margen de estas enfermedades de la sangre, la tecnología CRISPR también está siendo empleada en ensayos para tratar a pacientes con cáncer de cuello de útero, esta vez a través de terapias virales. «Se trata de modificar un virus para que lleve hasta las células el material genético del CRISPR».

Esta misma tecnología ha servido también para tratar a pacientes con graves enfermedades hereditarias de la vista (amaurosis congénita de Leber) con muy buenos resultados hasta el momento. Los científicos inyectaron diferentes dosis de estos virus directamente en los ojos de los enfermos, y corrigiendo de este modo la mutación genética en las células de la retina. Estos primeros ensayos clínicos «han resultado exitosos mostrando una parcial recuperación de la visión».

Hasta que se desarrolló la tecnología CRISPR los investigadores llevaban muchos años buscando herramientas para editar el genoma. «Sin embargo, la ventaja es que ésta es una herramienta más precisa y versátil». El CRISPR son como unas tijeras que utilizan los investigadores para cortar y pegar

La tecnología CRISPR ya se abre paso en la cura de enfermedades hereditarias de la sangre

► La técnica de edición genética, cuyo desarrollo se debe en parte al investigador ilicitano Francisco Mojica en la Universidad de Alicante, también está siendo utilizada en el tratamiento de mujeres con cáncer de cérvix y personas con ceguera



JOSE NAVARRO

Estudiantes se acercan al día a día de los investigadores

► Decenas de estudiantes pasarán esta semana por las charlas y talleres organizados con motivo de la Semana del Cerebro. En el edificio Balmis del campus de Sant Joan, los estudiantes conocen, por ejemplo, los diferentes modelos de animales que utilizan los investigadores para entender mejor las enfermedades del cerebro. También tienen la oportunidad de ver y tocar cerebros donados por personas fallecidas con el objetivo de contribuir al entendimiento de este órgano.

trozos de material genético en cualquier célula. «Es como tener un GPS que te ayuda a detectar las partes del genoma que quieres editar y unas tijeras moleculares que te permiten cortar la mutación».

Limitaciones

Esta tecnología tiene sus limitaciones que investigadores de todo el mundo tratan de solventar. «A día de hoy no se pueden eliminar enfermedades hereditarias en embriones humanos porque el CRISPR puede cortar trozos del

genoma no deseados y provocar mutaciones que no son viables en clínica».

Sin embargo, apunta la investigadora del Instituto de Neurociencias a que en el último año grupos

de investigación han rediseñado un componente clave de esta herramienta de edición genética, llamada SuperFi-Cas9, para que sea miles de veces menos probable que se dirija al tramo de ADN

«Todavía no podemos eliminar enfermedades hereditarias en embriones humanos»

«El CRISPR es una herramienta precisa y versátil. Sencilla de usar en el laboratorio»

BEATRIZ DEL BLANCO
INVESTIGADORA DEL INSTITUTO DE NEUROCIENCIAS

Un «progreso inaudito» de la medicina

► Durante su investidura como doctor honoris causa en la Universidad de València, Mojica señaló que el CRISPR «no solo ha cambiado nuestra percepción del mundo microbiano. Además, ha revolucionado la biología en todos sus ámbitos y está impulsando el progreso de la medicina de forma inaudita».

equivocado, lo que la hace potencialmente mucho más segura. Este sería un punto de partida «para poder tener embriones en los que se eliminen mutaciones genéticas que dan lugar a graves enfermedades», añade Beatriz del Blanco.

En los laboratorios del Instituto de Neurociencias la tecnología CRISPR se utiliza de forma habitual, por ejemplo, para crear de manera sencilla ratones modificados genéticamente para experimentar.

Semana del Cerebro

El centro de investigación se encuentra estos días inmerso en la celebración de la Semana del Cerebro, organizada en colaboración con la DANA Alliance, una organización sin fines de lucro respaldada por la Fundación Charles A. Dana, una alianza de neurocientíficos dedicados a proporcionar información sobre los beneficios de la investigación básica del cerebro.

En total se impartirán 15 charlas divulgativas a estudiantes, además de talleres en los que se abordarán los «Modelos Animales en la Investigación», las «Ilusiones Sensoriales», la «Electrofisiología del cuerpo humano», la «Genética y Biología Molecular», «Histología y Documentación del Sistema Nervioso Central», y la «Anatomía del Cerebro Humano».

La inauguración oficial de la Semana del Cerebro y el inicio del ciclo Cerebro y Sociedad tuvo lugar este martes en el Salón de Actos del Instituto de Neurociencias, con la mesa redonda: «Comunicar la neurociencia en la era digital», en la que intervinieron Lydia Gil, documentalista especializada en información digital y redes sociales, y el influencer y científico Pablo Barrecheguren, autor de «Neurogamer: Cómo los videojuegos nos ayudan a comprender nuestro cerebro».