



Novedades en la investigación de la EH.

En lenguaje sencillo. Escrito por científicos.

Para toda la comunidad EH.

[Novedades](#) [Glosario](#) [Sobre](#)
[Sobre](#)

[Las personas](#) [Preguntas frecuentes](#) [Legal](#) [Financiación](#) [Compartir](#) [Estadística](#) [Temas](#) [Contacto](#)

[Siga](#)

[Siga](#)

[Twitter](#) [Facebook](#) [Fuentes RSS](#) [Correo electrónico](#)

[Buscar en HDBuzz](#)


Buscar en HDBuzz 

 [español](#)

[español](#) 

[čeština](#) [dansk](#) [Deutsch](#) [English](#) [español](#) [français](#) [italiano](#) [Nederlands](#) [norsk](#) [polski](#) [português](#) [svenska](#) [русский](#)  [中文](#) 

[Para más información ...](#)

 **¿Está buscando un logo?** Puede descargar nuestro logo y consulte [compartir la página](#) para informarse sobre cómo utilizarlo.

La terapia génica se une a las células madre con éxito en una enfermedad hepática

Nuevo tratamiento con terapia génica y células madre para una dolencia genética hepática ¿Podría utilizarse para la E



Por [Dr Michael Orth](#) 12 de febrero de 2012 Editado por [Dr Ed Wild](#) Traducido por [Asunción Martínez](#) Publicado originalmente el 26 de diciembre de 2011

La terapia génica puede corregir errores de ortografía en nuestro ADN, mientras que las [células madre](#) prometen trasplantes que no necesitan potentes fármacos inmunosupresores. Los científicos han combinado las dos técnicas para tratar una enfermedad hepática genética. Sin embargo, hay que superar varios retos antes de que se pueda aplicar en la enfermedad de Huntington.

Precisión de la terapia génica

La enfermedad de Huntington es una de las muchas enfermedades causadas por un error genético. Un error en la receta genética de la [proteína huntingtina](#) provoca la EH. Todas las células llevan este error en su configuración genética y, como consecuencia, producirán la proteína anormal.

Ahora los científicos pueden “editar” el ADN de las células, y reparar errores genéticos.

El sentido común sugiere la posibilidad de que entrar en las células y quitar de forma “quirúrgica” el trozo defectuoso. Pero si comparamos el gran tamaño de todo el [genoma](#) y con el pequeño tamaño de la mutación de la EH - 6 mil millones de letras en comparación con sólo unas pocas docenas de letras adicionales en la EH - no damos cuenta de que esto es buscar una aguja en un pajar.

En los últimos años, las técnicas para lograr hazañas de este tipo han avanzado mucho y ahora es posible realizar “cirugía genética” de precisión en un tubo de ensayo - pero sigue habiendo problemas, como son las complejas manipulaciones genéticas

necesarias para lograr el cambio que se desea, o tener suerte para poder eliminar la mutación correctamente, y el riesgo de que las 'herramientas' genéticas puedan producir daño.

Las [células madre](#)

Las [células madre](#) pueden dividirse en nuevas [células madre](#), y convertirse en células especializadas, incluyendo las neuronas.

Los seres humanos se desarrollan a partir de [células madre](#) embrionarias en el vientre de sus madres, estas [células madre](#) pueden formar cualquier tipo de tejido. Pero también siendo adultos tenemos [células madre](#) en todos nuestros órganos. Y nuestro conocimiento de las [células madre](#) ha mejorado drásticamente en los últimos años.

Ahora es posible, por ejemplo, tomar una muestra de piel o arrancar un pelo y, con un tratamiento especial, hacer que las [células madre](#) de la piel o del folículo del pelo se conviertan en diferentes tejidos. Estas células se llaman [células madre pluripotenciales](#) o células **IPS**.

Como se dijo en un reciente artículo de HDBuzz, se están utilizando [células madre](#) en este momento como una herramienta para el estudio de diferentes enfermedades incluyendo la EH, y en un futuro puede ser que sirvan como tratamiento también. De hecho, las [células madre](#) ya se están utilizando para tratar ciertas enfermedades sanguíneas. En teoría, las [células madre](#) podrían usarse para regenerar órganos completos o sólo algunos fragmentos de ellos.

De momento crear un nuevo cerebro o utilizar las [células madre](#) para reparar un cerebro está fuera de nuestro alcance. Otro problema de la EH, es que, dado que es un trastorno genético, las propias [células madre](#) del paciente no se pueden utilizar ya que también contienen el defecto genético.

La combinación de dos santos grial

Por primera vez, los científicos del Instituto Wellcome Trust Sanger y de la Universidad de Cambridge han combinado la tecnología de las [células madre](#) con la terapia génica de precisión. Sus resultados han sido publicados recientemente en la revista Nature.

Estaban trabajando en una enfermedad del hígado llamada deficiencia de la alfa-1-antitripsina o alfa-1.

La alfa 1 está causada por un error en solo un par de letras genéticas. Como resultado, una proteína producida en el hígado, y después normalmente se libera para proteger el cuerpo, se queda atrapada en el hígado, donde se produce cirrosis hepática. El alfa-1 es una de las enfermedades genéticas más frecuentes y afecta a aproximadamente una de cada 2000 personas. El único tratamiento disponible actualmente es el trasplante hepático - que es una gran operación y durante el resto de la vida tendrá que tomar medicamentos para prevenir el rechazo del órgano.

Los investigadores, dirigidos por el Dr. Ludovic Vallier, tomaron una célula de la piel de un paciente con alfa-1 y la convirtieron en una célula madre. A continuación, utilizaron un instrumento mucho más refinado de la genética molecular, como un bisturí para cortar la mutación, y reemplazarla con la letra genética correcta. Tras esto, las [células madre](#) fueron tratados para que se convirtieran en células hepáticas. Estas células actuaron a la perfección como células hepáticas, incluyendo la producción y la liberación de la proteína normal sana.

La combinación de la terapia génica con la de las células madre ofrece la posibilidad de tratar a los pacientes utilizando sus propias células 'reparadas', pero aún quedan muchos retos antes de que se pueda utilizar en la EH.

Imagen por: [Yirui Sun, Wellcome Images](#)

El siguiente paso consistió en inyectar estas células en ratones, en los que colonizaron el hígado y funcionaron normalmente durante muchas semanas.

Si pudiéramos convertir esto en un tratamiento para la alfa-1, sería mucho mejor que un trasplante, y puesto que se utilizarían las [células madre](#) del propio paciente no habría necesidad de tomar fármacos inmunosupresores para evitar el rechazo.

¿Qué significa esto para la enfermedad de Huntington?

Estos resultados son, evidentemente, más esperanzadores para las personas con enfermedades genéticas que afectan al hígado, pero también son una importante prueba de que combinando los avances en las [células madre](#) y en la terapia genética se pueden producir tratamientos para otras enfermedades genéticas.

Todavía tenemos que solucionar muchas dudas antes de que esto sea una opción terapéutica real para la enfermedad de Huntington.

Por ejemplo, una preocupación del uso de [células madre](#) en general es que su uso podría causar la formación de tumores.

En el caso de las personas con EH, la situación es aún más complicada porque el cerebro, a diferencia del hígado, está formado fundamentalmente por células que no pueden dividirse más. En el hígado, se está produciendo un proceso de auto-renovación continuo. Si introducimos las células del hígado sin la mutación genética, estas células pueden sumarse a ese proceso. En el cerebro, por lo que sabemos, no existe dicho proceso de auto-renovación del que nos podamos aprovechar.

Algunos estudios sobre la EH han tratado de utilizar las [células madre](#) embrionarias para 'reemplazar' las neuronas afectadas en la parte del cerebro que está más afectada por la EH, el cuerpo estriado. Los resultados han sido contradictorios, y ahora estamos empezando a entender la complejidad de la utilización de las [células madre](#) para reemplazar las neuronas perdidas y que

reconfiguren el cerebro.

Pero además de evitar la necesidad de administrar fármacos inmunosupresores, es interesante pensar que la implantación de las propias [células madre](#) de una persona podría ser mejor que recibir las [células madre](#) de otra persona.

Otro problema adicional importante en la EH es que la enfermedad está producida por los efectos perjudiciales de una proteína mutada, mientras que en la alfa-1 el problema fundamental es la falta de una proteína. Es bastante más complejo prevenir o revertir los efectos tóxicos que el añadir algo que falta.

El equipo de Vallier ha sido capaz de compaginar de manera eficaz dos técnicas de la ciencia de vanguardia - las [células madre](#) y la terapia génica de precisión. Pero hay un largo camino por delante para las personas con enfermedad hepática genética, y más aún para las personas con EH hasta que podamos concertar una cita con un cirujano en genética.

Los autores no tienen ningún conflicto de intereses que declarar [Más información sobre nuestra política de privacidad en las Preguntas frecuentes](#)



Más información

[Artículo publicado por el equipo de Vallier en la revista Nature \(para conseguir el artículo completo hay que suscribirse o pagarlo\)](#)
[Primicia de las células madre en HDBuzz](#) [Artículo publicado en HDBuzz sobre "la edición del genoma", la tecnología detrás de la mitad de la terapia génica de esta nueva investigación](#)

Temas

[terapia génica células madre](#)

[Más ...](#)

Artículos relacionados

[Nuevas funciones de la huntingtina: eliminando la proteína sana para entender su función](#)

24 de octubre de 2017

[¿Dándole el dedo a la enfermedad de Huntington? Dos equipos han conseguido buenos resultados con fármacos zinc-finger en células y ratones](#)

06 de mayo de 2013

[Emocionantes avances de las células madre 'inducidas'](#)

13 de noviembre de 2012

[Anterior](#)[Siguiente](#)

- Glosario
- **proteína huntingtina** Proteína producida por el gen de la EH
- **células madre** células que se pueden convertir en diferentes tipos de células
- **genoma** el nombre que se le da a todos los genes que tienen todas las instrucciones para formar una persona u otro organismo
- [Puede encontrar más definiciones en el glosario](#)

Novedades en la investigación de la EH.

En lenguaje sencillo. Escrito por científicos.

Para toda la comunidad EH.

HDBuzz

[Novedades](#)

[Destacados con anterioridad](#)

[Sobre](#)

[Colaboradores financieros de HDBuzz](#)

[Páginas que han incorporado el contenido de HDBuzz](#)

[**new_to_research**](#)

Las personas

[Conoce al equipo](#)

[Ayúdanos a traducir](#)

Siga HDBuzz

Suscríbase a nuestro resumen mensual por correo electrónico escribiendo su e-mail a continuación o elija otra opción en nuestra [lista de correo](#)



© HDBuzz 2011-2019. El contenido de HDBuzz se puede compartir gratuitamente, bajo una [Licencia Creative Commons](#).

HDBuzz no proporciona consejo médico. Por favor, consulte nuestros [Condiciones de uso](#) para más información.

© HDBuzz 2011-2019. El contenido de HDBuzz se puede compartir gratuitamente, bajo una Licencia Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported.

HDBuzz no proporciona consejo médico. Para más información visite hdbuzz.net

Generado el 13 de abril de 2019 — Descargado desde <https://es.hdbuzz.net/065>

Algunas partes de esta página todavía no han sido traducidas. Se muestran a continuación en el idioma original. Estamos trabajando para traducirlo todo lo antes posible.