



Se recomienda precaución con el uso de la tecnología de edición génica CRISPR

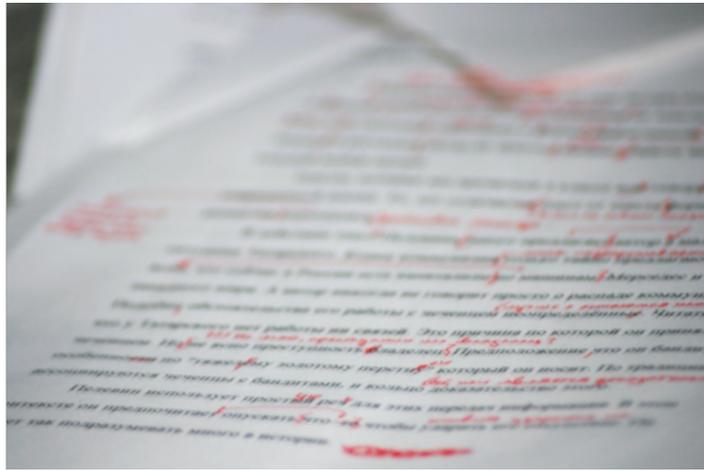
Una serie de estudios recientes sobre el método de edición de genes CRISPR plantea preocupaciones sobre la idoneidad de esta tecnología para el tratamiento de enfermedades genéticas como la enfermedad de Huntington.

Por Dr Rachel Harding | 01 de diciembre de 2023 | Editado por Dr Leora Fox
Traducido por Verónica Puertas | Publicado originalmente el 12 de agosto de 2020

Una herramienta de edición de genes conocida como CRISPR ha sido presentada como una tecnología innovadora para el uso en el laboratorio, y como una estrategia potencial para tratar numerosas enfermedades genéticas, incluida la enfermedad de Huntington. Pero una serie de estudios recientes sugieren que CRISPR es menos preciso de lo que se pensaba anteriormente, porque produce cambios no deseados en el genoma. Tres estudios independientes, cada uno de los cuales buscaba editar un único gen, han demostrado que otras partes del ADN también se alteraron inesperadamente.

Estos estudios han sido presentados en un portal online especializado en el que se depositan manuscritos científicos en un formato que aún no es el de la publicación científica formal, pues se encuentran todavía en fase de revisión por otros científicos que no han participado en el estudio, pero son expertos en el tema. Esto significa que aún se pueden encontrar errores en los manuscritos y que pueden ser mejorados. Sin embargo, dado que todos estos estudios independientes corroboran en paralelo el hallazgo de que la tecnología CRISPR puede inducir cambios en genes en los que no se esperaba que actuara, la noticia ha saltado a medios de comunicación científicos y también generalistas (<https://www.nature.com/articles/d41586-020-01906-4>). Aunque CRISPR sigue siendo muy prometedor como herramienta de investigación, parece que todavía está lejos de poder ser utilizado como una medicina.

CRISPR se puede usar para hacer cambios permanentes en nuestro ADN



La tecnología CRISPR permite a los científicos editar nuestros genomas, por lo que muchos investigadores confían en que esta tecnología se pueda probar y utilizar para tratar enfermedades genéticas como la enfermedad de Huntington.

Imagen por: [Quinn Dombrowski](#)

El sistema CRISPR se descubrió primeramente en la naturaleza por ser una especie de sistema inmune que usan las bacterias para defenderse de virus y otros patógenos que las invaden, gracias a que CRISPR corta selectivamente el material genético del invasor. Hay dos componentes en la maquinaria CRISPR: una pieza especial de mensaje genético llamada ARN guía que encuentra y señala el ADN del invasor, y una enzima que puede cortar el ADN para destruirlo. Consulte este [artículo anterior de HDBuzz](#) para obtener una descripción detallada de cómo funciona CRISPR y los desafíos que enfrentan los investigadores que lo exploran.

Los científicos pueden manipular el sistema, cambiando el ARN guía para que apunte a una secuencia de ADN concreta, y usar así el sistema CRISPR para editar partes precisas del genoma. Estas ediciones son cambios permanentes en el genoma y si se inducen en el embrión afectará a todos los tejidos, incluidas las células reproductivas, y se transmitirán de una generación a la siguiente. Desde su descubrimiento a fines de la década de 2000, los científicos han ideado todo tipo de usos para CRISPR. Por ejemplo, la idea de si sería posible editar la expansión del gen HD en embriones. Estas ideas no están exentas de controversia dados los dilemas éticos que rodean la manipulación genética de humanos u otras especies. CRISPR llegó a los titulares en 2018 cuando los experimentos CRISPR de un científico deshonesto, He Jiankui en la Universidad de Ciencia y Tecnología del Sur en China, editó el genoma de unas niñas gemelas.

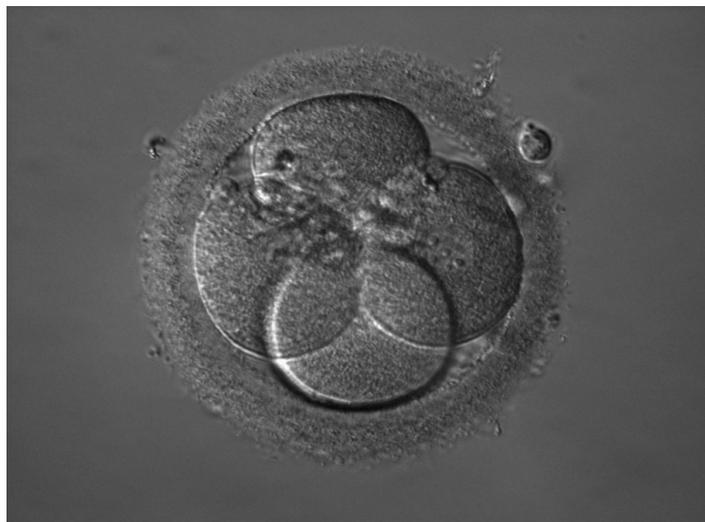
Un sistema no tan perfecto

«La edición de genes CRISPR podría provocar cambios muy grandes e inesperados en otras partes del genoma »

Los tres estudios recientes fueron realizados por científicos del Instituto Francis Crick en Londres, la Universidad de Columbia en la ciudad de Nueva York y la Universidad de Salud y Ciencias de Oregón en Portland. Cada equipo de científicos usó CRISPR para realizar diferentes ediciones en embriones humanos donados para investigación. Los tres experimentos se dirigieron a genes implicados en el desarrollo del feto, la ceguera y los problemas cardíacos. Todos los estudios encontraron que la edición de genes CRISPR podría conducir a cambios muy grandes e inesperados en otras partes del genoma, incluidas grandes eliminaciones y reordenamientos en regiones cercanas al gen que se deseaba modificar. Esto es perjudicial porque nuestra secuencia de ADN es un conjunto de instrucciones muy precisas, que puede parecerse a una receta de cocina. Si alteras el orden de los pasos de una receta o suprimes algunos de los ingredientes, ¡el resultado no será el esperado!

Estos efectos indeseados se deben a complicaciones con el sistema que tienen las células para la reparación del ADN, aunque no hay consenso entre los estudios sobre cómo podría estar sucediendo. Sin embargo, una cosa en la que todos los científicos están de acuerdo es que esto aconseja una pausa a la hora de considerar editar el genoma con CRISPR, ya que la precisión de la tecnología todavía no está tan afinada como se pensaba anteriormente.

¿Qué depara el futuro para CRISPR y HD?



Cuando se hacen en un embrión, las ediciones en el ADN mediante CRISPR son permanentes y pueden transmitirse de una generación a otra.

Imagen por: [ZEISS Microscopy](#)

El carácter permanente de las terapias basadas en CRISPR al aplicarlas a enfermedades genéticas como la EH, las hace a la vez atractivas y sobrecogedoras. En teoría, CRISPR podría usarse para eliminar de forma irreversible en un embrión algunas de las repeticiones CAG expandidas en el gen de la huntingtina. De esa manera, este embrión no tendría HD, ni lo desarrollaría a lo largo de su vida, ni lo transmitiría a sus hijos. La naturaleza permanente de las ediciones realizadas con tecnología CRISPR conlleva que las consecuencias

indeseadas no solo afectarían al individuo, sino que también se transmitirían de una generación a la siguiente. Los científicos no están dispuestos a implementar esta tecnología genética hasta que estén absolutamente seguros de que funciona adecuadamente.

La buena noticia es que estos descubrimientos recientes han alertado a los científicos sobre las limitaciones de la tecnología CRISPR. Esto no será un impedimento para que los científicos piensen en cómo puede ser útil esta técnica útil en el futuro, pero la comunidad avanzará con más cautela. Los científicos ahora estudiarán la manera de mejorar esta tecnología para evitar este tipo de problemas y, con suerte, utilizar CRISPR como una terapia segura para diferentes enfermedades genéticas en el futuro.

Más información sobre este tema en el texto de origen. Enviar comentarios Paneles laterales

«Estos descubrimientos han alertado a los científicos sobre las limitaciones de la tecnología CRISPR »

El autor y editor no tienen conflictos de intereses declarados [Más información sobre nuestra política de privacidad en las Preguntas frecuentes](#)

GLOSARIO

Repeticiones CAG El tramo de ADN, al principio del gen de la EH, que contiene una numerosa repetición de la secuencia CAG aparecerá en personas que desarrollarán EH.

terapias tratamientos

embrión fase más temprana del desarrollo de un bebé, cuando éste sólo está formado por unas pocas células.

genoma el nombre que se le da a todos los genes que tienen todas las instrucciones para formar una persona u otro organismo

CRISPR Un sistema para editar el ADN de forma precisa

feto un bebé en desarrollo dentro del vientre materno

ARN compuesto químico similar al ADN, que forma las moléculas 'mensajeras' que utilizan las células, como copias de trabajo de los genes, cuando fabrican las proteínas.

© HDBuzz 2011-2024. 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 11 de enero de 2024 — Descargado desde <https://es.hdbuzz.net/289>

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.

