

TERÁPIA

Por:
Dr. Marco Antonio Lobo Chaves
Egresado UCIMED
Médico Cirujano, Máster en
investigación cardiovascular
Institución: ICAMS, University of
Glasgow.

En el mundo de hoy, avances en la tecnología e investigaciones en el genoma humano han dado paso para nuevas fronteras y rumbos en el campo de la medicina y en el tratamiento de enfermedades que antes se consideraban incurables, como la diabetes tipo 1 o la inmunodeficiencia grave ligada al cromosoma X. Cuando se logró decodificar el genoma humano en el año 2000, las posibilidades de manipular el ADN del ser humano han dado saltos increíbles, desde la edición del ADN hasta la invención de CRISPR-9 [1].

Uno de estos saltos importantes es la terapia genética. La terapia genética consiste, según Mulligan, et. al. [2], en el uso de material genético para curar o tratar una enfermedad. Es muy importante anotar que esta opción terapéutica solo se puede usar en células somáticas, no se puede utilizar en células germinales.

Para lograr el uso de este material genético hay que tener varios aspectos en mente. Primero, hay que definir cuál es la secuencia de ADN que se va a insertar al cuerpo del paciente. En estos casos depende mucho de la enfermedad que se está tratando de curar. Por ejemplo, en el caso de la Hemofilia tipo B, el gen que se ocupa es el que produce factor IX [3]. Segundo, una vez que el gen está bien identificado, se ocupa un vehículo para transportarlo a las células deseadas. Volviendo al ejemplo de Hemofilia, ocuparíamos un vector o vehículo, viral o no viral, para transportar el gen a las células hepáticas encargadas de la producción de factor IX. Cada una de estas dos categorías tiene sus pros y sus contras.

Los vectores no virales son, en su gran mayoría, plásmidos. Estos plásmidos son ADN por sí solo, y han demostrado ser muy efectivos en casos in vitro. Sin embargo, para sus aplicaciones in vivo, han demostrado ser sumamente inefectivas en transmitir la información genética. Por lo tanto, sus usos y posibilidades para poder tratar enfermedades son mínimos. Debido a esto, la investigación clínica y los ensayos clínicos

Referencias bibliográficas:

1. Wells, D. (2004). Gene Therapy Progress and Prospects: Electroporation and other physical methods. *Gene Therapy*.
2. Mulligan, R. (1993). The basic science of gene therapy. *Science*. 260(5110): p.p. 926-932.
3. Kay, M et al. (1993). In vivo gene therapy of hemophilia B: sustained partial correction in factor IX-deficient dogs. *Science*.
4. Abedi, M, Edelstein, M., Wixon, J. (2007) Gene therapy clinical trials worldwide to 2007—an update. *The Journal of Gene Therapy*.
5. St George, J. (2003). Gene therapy progress and prospects: adenoviral vectors. *Gene Therapy*. 10(14):1135-1141.
6. Smith, A. (1995). Viral Vectors in Gene Therapy. *Annual Review of Microbiology*. 49(1): p.p. 807-838.
7. Abedi, M., Alexander, I., Edelstein, M, Ginn, S., Wixon, J. (2012). Gene therapy clinical trials worldwide to 2012 - an update.



GENÉTICA

se han enfocado en vectores y vehículos virales ^[4]. En esta categoría, hay mucha más cantidad de opciones para vectores que van desde adenovirus, retrovirus, lentivirus, entre otras. El adenovirus es el vector más utilizado por los ensayos clínicos, debido a su gran nivel de transmisión de información genética ^[5].

La terapia y medicina genética tienen sus ventajas y desventajas, como todo tratamiento. La primera ventaja, la más clara, es que ofrece la oportunidad de poder curar enfermedades que antes solo se podían tratar paliativamente, o no se podían curar como mencionado anteriormente, la diabetes tipo 1 o la inmunodeficiencia grave ligada al cromosoma X. Este es un detalle que no se puede dejar de lado. Sin embargo, tiene sus desventajas también. La más importante de ellas es que no es un tratamiento 100% efectivo. Existe una posibilidad que no se transmita bien el gen a las células indicadas, o que el cuerpo rechace al vector viral antes de que surta efecto. En caso que el cuerpo rechace el vector, no se puede utilizar el mismo método o vector para poder transmitir el gen deseado, debido a que el cuerpo humano crea una resistencia inmune al virus ^[6].

La terapia genética tiene un potencial increíble de poder ofrecer a los investigadores una nueva visión y perspectiva para tratar diversas enfermedades como cáncer, enfermedades autoinmunes o cardiovasculares, pero aún se está en las fases de ensayos clínicos. Hay alrededor de 1800 ensayos clínicos a nivel mundial en diferentes países del mundo para diferentes enfermedades, pero un 58% de ellos aún están en fase I ^[7]. Falta tiempo y más investigación para determinar la efectividad de dichos ensayos, y para ver la viabilidad de terapia genética como opción viable a futuro para tratamientos de enfermedades.

En conclusión, la terapia genética puede abrir muchas puertas que se consideraban cerradas en cuanto a tratamiento de diferentes enfermedades, sin embargo, hace falta más tiempo, investigación y evidencia para poder llegar a conclusiones certeras acerca del futuro de la terapia genética.

11(18): p.p. 1363-1369.

cience. 262(5130): p.p. 117-119.

Gene Medicine. 2007; 9 (10): p.p. 833-842

update. The Journal of Gene Medicine. 15(2): p.p. 65-77.

