

LA TERAPIA GÉNICA PARECE QUE AHORA SÍ ARRANCA

El concepto de terapia génica se refiere a manipular el gen ya sea reparándolo o reemplazándolo si está dañado, activándolo o suprimiéndolo a través de la terapia de metilación de una fracción de DNA –gen– y esta se ha extendido a cambio y reparación de un grupo de nucleótidos específicos del ADN sin necesidad de intervenir el gen en su totalidad.

La terapia génica ha recorrido un trayecto escabroso pero rápido desde sus primeros experimentos de prueba de concepto en la década de 1990. El enfoque ha registrado algunos éxitos notables y algunos pasos en falso devastadores. En la última década, esos altibajos extremos se han estabilizado y ahora la terapia génica, en una variedad de formas, ha comenzado a avanzar a un ritmo rápido.

Las innovaciones que han hecho avanzar el tema son estas: a) cómo el campo se ha movido más allá de sus primeros fracasos y ha crecido hasta abarcar una visión cada vez más amplia de lo que es la medicina genómica y lo que puede lograr; b) cómo los investigadores están encontrando formas de minimizar el riesgo de efectos secundarios graves que plagaron los primeros años de la disciplina; c) cuatro historias de éxito que demuestran cómo la terapia génica está comenzando a desarrollar su potencial y que ofrecen una idea de lo que está por venir.

Hoy en día, el campo incluye no solo cambios directos y permanentes en el ADN de una célula, sino también cambios transitorios en la forma en que los genes se traducen en proteínas. Los investigadores han informado ahora de una serie de historias de éxito: han aliviado algunos casos de ceguera, curado cánceres, han abordado la causa subyacente de la anemia de células falciformes y han comenzado a tratar trastornos congénitos, como la atrofia muscular espinal, que de otro modo podrían ser letales.

En esta prometedora tecnología uno de los pasos más importante es como llevar la carga genética dentro de un grupo de células específicas a reparar y uno de los avances es una gama de nuevos vectores virales, diseñados para incorporar su carga genética de manera más segura y eficiente en el genoma, así como la rápida adopción y desarrollo de otras herramientas, como la técnica ganadora del Premio Nobel conocida como CRISPR.

Sin embargo, a pesar de los avances recientes, la terapia génica se enfrenta a numerosos obstáculos en el camino hacia un uso clínico más amplio; el principal de ellos es cómo apuntar a tejidos específicos sin desencadenar una respuesta inmunitaria. Los desafíos más amplios y a largo plazo incluyen mejorar tanto la eficiencia como el costo de fabricación: los tratamientos de terapia génica en los EE. UU. actualmente promedian más de \$ 400,000 por dosis. Sin embargo, con tanto potencial y tantos pacientes que necesitan nuevas soluciones, la terapia génica seguirá creciendo tanto en prominencia como en potencial.

Los enfoques actuales de la terapia génica son costosos y no están fácilmente disponibles, aspectos ambos que limitan su posible alcance. Resolver estos problemas puede ser el próximo gran desafío del campo.

En un próximo editorial nos enfocaremos en dar a conocer las técnicas y métodos de transporte del material genético a las células blanco y tejidos específicos sin generar respuestas sistémicas y en órganos pequeños como el ojo humano.

Gustavo Gómez Tabares

Editor Jefe

Revista Colombiana de Menopausia

Referencia

La definición de la terapia génica ha cambiado. Scientific American. Edición de noviembre de 2021.