



iberCaja
Obra Social

10º Concurso Ibercaja “Reporteros en la Red”

Abril 2010

Mención Especial **Bachiller y Ciclos Formativos**

Terapias génicas: Un camino de esperanza

Autor: Fernando Martínez Calvo
Profesor: Fco. Javier Valtueña Sanz
Colegio: IES Vega del Turia (Teruel)

Laboratorio Virtual Ibercaja

Gertrudis Gómez de Avellaneda, 77

50018 - Zaragoza

labvirtual@ibercajalav.net

<http://www.ibercajalav.net>

De Mendel al S. XXI

Desde la promulgación de las leyes de Mendel hasta la actualidad, han sido muchos los estudios genéticos que se han realizado con diversos fines, tales como la mejora de especies en la agricultura y en la ganadería o la investigación de enfermedades de origen genético.

Es en la década de los años ochenta cuando se inician los primeros trabajos para la curación de las enfermedades genéticas. Surge así lo que se conoce como terapia génica, que se dedica a la modificación de los genes de las células con el fin de combatir una determinada enfermedad.



Figura 1: Un gen en el ADN.

Inicios de un sendero esperanzador.

Durante todos estos años, han sido muchas las personas que han vivido esperanzadas en la solución definitiva de su sufrimiento.

Enfermedades tan graves como la hemofilia, la inmunodeficiencia severa combinada, el cáncer, alteraciones neurodegenerativas, infecciones víricas como el sida o la hepatitis, afecciones cardiovasculares y la artritis reumatoide son las más investigadas y candidatas a una posible solución. Sin embargo, los logros obtenidos solo han podido recuperar la alegría de unos pocos.

En septiembre de 1990, investigadores de los EEUU cosecharon el primer éxito de esta terapia, al curar a una niña de cuatro años, Ashanti, que padecía una enfermedad genética rara denominada inmunodeficiencia combinada severa. Esta enfermedad, también conocida como síndrome de los "niños burbuja", le ocasionaba graves infecciones y aquellos que la padecen rara vez llegan a la edad adulta. Las terapias génicas lograron que el sistema inmunológico de Ashanti se afianzase; transformó su sueño en una realidad.



Figura 2: Ashanti DeSilva, primera enferma curada por terapia génica.

Tras este éxito han surgido nuevos trabajos en distintos ámbitos de la medicina y de la biología con resultados esperanzadores pero, en la mayoría de casos, aún no definitivos.

Algunos de estos trabajos han sido la recuperación de la visión en enfermos de determinadas cegueras congénitas, o la restauración de la función pulmonar en pulmones dañados con la meta de convertirlos en candidatos idóneos para los trasplantes.

Ciertas variedades de enfermedades neurodegenerativas, como la encefalitis viral, están siendo investigadas por equipos americanos alcanzando el éxito en la fase de experimentación con animales. Hoy en día, han comenzado los experimentos en líneas celulares humanas.

Otro caso consiste en que, en la última década, investigadores norteamericanos y alemanes han estado buscando una cura para el sida por medio de la aplicación de terapias génicas. Para ello, han tenido en cuenta que un porcentaje muy minoritario de la población tiene la ausencia de un gen concreto, defecto que impide la entrada del virus VIH a las células. Actualmente la comunidad científica está intentando reproducir células deficientes en cuanto a ese gen en los laboratorios para poder tratar con quimioterapia a enfermos de sida y, posteriormente, reemplazar las células enfermas tratadas con técnicas químicas por las células artificiales.

Si esta terapia surtiese efecto en el futuro, millones de vidas se podrían salvar o, por lo menos, asegurar a los enfermos una vida digna. No obstante, los resultados actuales acerca de la investigación están siendo bastante modestos.

El camino de la reparación.

Desde que Martin Cline realizase sus primeros intentos de curación por medios génicos en el año 1980, se ha perseguido resolver aquellos problemas hereditarios causantes del padecimiento de multitud de personas.

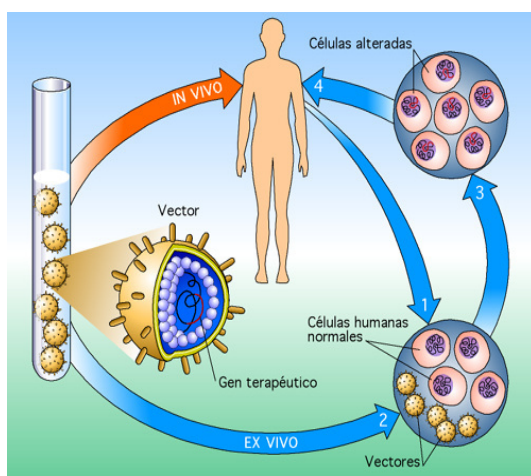


Figura 3: Proceso de terapia génica.

Para ello, se han llevado a cabo varios estudios sobre el genoma humano.

Los genes son los "ladrillos" (fragmentos de la cadena de ADN) de la herencia que, de generación en generación, van pasando de padres a hijos. Cuando los genes no sintetizan las proteínas adecuadas o no lo hacen de forma correcta, estamos ante un trastorno genético que puede ser el origen de la manifestación de ciertas enfermedades.

Se distinguen dos tipos de terapias génicas según el tipo de células sobre el que actúa: las terapias génicas sobre células somáticas y las terapias génicas sobre células germinales. En el mundo actual, las terapias génicas germinales están prohibidas por el conflicto ético que presentan.

En cuanto a terapia génica somática, son diversas las estrategias a seguir en estos tratamientos dependiendo del tipo de enfermedad. Así pues, se emplea la inserción de un gen sano que sustituya la función del correspondiente gen enfermo en la síntesis de la proteína, si la ausencia de esta es la causa de la afección. Otro tipo de procedimiento consiste en introducir un gen que impida la traducción de cierto gen mutado en una proteína tóxica, la cual originará la enfermedad. Un tercer método es el intercambio de nucleótidos del gen extraño por el debido nucleótido del gen sano. Por último, la utilización de genes asesinos o suicidas que entran en las células tumorales con el objetivo de destruirlas es la técnica terapéutica génica más utilizada contra el cáncer.

Para llevar a cabo estas estrategias es necesario el buen conocimiento y uso de vectores. Los vectores son una especie de "vehículos" que transportan el material genético al interior de las células. Estos vectores pueden ser virus modificados u otros sistemas.

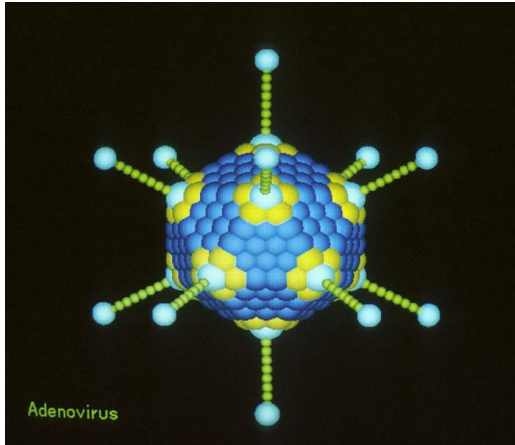


Figura 4: Adenovirus, vector utilizado en terapia génica.

Los vectores víricos más empleados en terapia génica somática son retrovirus y adenovirus modificados.

Las primeras piedras del camino.

En el año 1999, un joven llamado Jesse Gelsinger falleció como consecuencia de un colapso masivo del sistema inmunológico ocasionado por el mal uso del vector vírico que utilizaba en su tratamiento. Este hecho le produjo la muerte cerebral.

Fue el primer fallecido a causa de una mala organización en la estrategia del tratamiento génico.

Desde entonces la comunidad científica ha cambiado la forma de entender este tipo de terapia, se han extremado las medidas de seguridad y los ensayos que se realizan deben ser bastante más rigurosos.

Otro dramático contratiempo fue la aparición de leucemia en unos "niños burbuja" que estaban siendo tratados con este tipo de terapia en el año 2002. Esta contrariedad se debió a la poca precisión de los vectores, que activaron un oncogén, y ocasionaron un perjuicio mayor que el beneficio que se pretendía lograr.



Figura 5: Célula cancerosa (leucemia).

Además de todos estos riesgos, estas técnicas plantean múltiples trabas a sortear. Las limitaciones que presentan estas técnicas son las complicaciones que impone nuestro propio sistema inmunológico, la falta de control sobre la precisión de los vectores al depositar el gen modificado y, en algunos casos, la breve duración de la eficacia de los genes.

Podría decirse que la ciencia se encuentra en un "pulso" continuo contra los sistemas de defensa de nuestro organismo, que detecta al vector como cuerpo extraño e intenta eliminarlo.

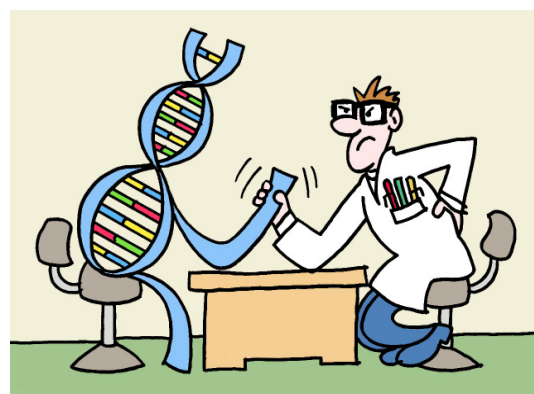


Figura 6: ADN vs. Ciencia.

Conclusión

De los resultados obtenidos en los diversos trabajos de investigación se puede concluir que este tipo de terapia puede ser muy útil en la resolución de un sinfín de graves enfermedades, Sin embargo, los logros más importantes aún están por llegar.

La dificultad técnica y la resolución de conflictos éticos en un futuro pueden hacer de esta terapia una de las mas importantes en el campo de la salud, sin menospreciar a otras clases de técnicas terapéuticas.

También hay que hacer una mención especial a aquellas experiencias fallidas que obligan a poner en práctica unos controles más estrictos y rigurosos por parte de asociaciones científicas y éticas.



Figura 7: Microinyección de material genético.

En la sociedad en que vivimos se ha abierto un debate ético sobre el uso de la terapia germinal.

Aquellos que están a favor afirman que podríamos evitar que nuestros hijos y sus descendientes padeciesen graves enfermedades como el cáncer o el sida.

En contraposición, otros rechazan esta posibilidad, justificando que se pueden cometer errores terribles al intentar mejorar todos los genes que supongan un peligro para la salud, en el empeño de algunos de conseguir convertir a la especie humana en un conjunto de "superhombres" por medio de ingeniería genética.

Por ello, debemos plantearnos una serie de cuestiones sobre este delicado asunto: ¿Quiénes tienen razón?, ¿algún día se podrá llegar a un acuerdo común entre ambas opiniones?, ¿se podrá tomar alguna decisión que no tenga consecuencias irreversibles?

Para finalizar, hay que destacar que, aunque hay una gran esperanza en la terapia génica, todavía es experimental.

"Mientras haya vida habrá esperanza".

Referencias

Terapias génicas y Ashanti DeSilva.

http://es.wikipedia.org/wiki/Terapia_g%C3%A9nica

Terapia génica: Ayer y hoy.

<http://www.ugr.es/~eianez/Biotecnologia/tgdaniel.htm>

Clínica universidad de Navarra: Terapia génica como tratamiento.

<http://www.cun.es/areadesalud/enfermedades/tratamientos/terapia-genica/>

Enfermedades asociadas a la terapia génica.

http://www.asgt.org/about_gene_therapy/diseases.php

Terapia génica para recuperar la visión.

<http://lacomunidad.elpais.com/apuntes-cientificos-desde-el-mit/2009/8/27/terapia-genica-recuperar-vision>

Terapia génica para restaurar pulmones.

<http://www.elmundo.es/salud/2009/824/1256770804.html>

Terapia génica contra el VIH.

<http://www.elmundo.es/elmundosalud/2009/02/13/hepatitissida/1234526330.html>

Terapia genética mejorada para enfermedades neurológicas.

<http://www.terapiagenica.es/wordpress/2008/01/27/investigadores-de-eeuu-desarrollan-una-terapia-genetica-mejorada-para-enfermedades-neurologicas/>

Figura 1: Un gen en el ADN.

http://sinsorpresas.files.wordpress.com/2008/01/gen_1.jpg

Figura 2: Ashanti DeSilva, enferma crónica curada por terapia génica.

http://biologia.uab.es/biocomputacio/treballs02-03/N_Salvador/EI%20moderno%20Prometeo/ADA.jpg

Figura 3: Proceso de terapia génica.

<http://recursos.cnice.mec.es/biosfera/alumno/2bachillerato/genetica/imagenes/terapia.jpg>

Figura 4: Adenovirus, vector utilizado en terapia génica.

<http://vectorcore.salk.edu/Adenovirus.jpg>

Figura 5: Célula de cáncer (leucemia).

http://3.bp.blogspot.com/_IAhbvQn-ZCY/R2sPRqID6BI/AAAAAAAAAKg/ITqn5FZNMx4/s320/cancer-+leucemia.jpg

Figura 6: ADN vs. Ciencia.

<http://www.genetic-programming.org/hc2005/hclogomf.jpg>

Figura 7: Microinyección de material genético.

<http://www.terapiagenica.es/wordpress/wp-content/uploads/2008/02/microinyeccion.jpg>