

MEDIANTE REPROGRAMACIÓN

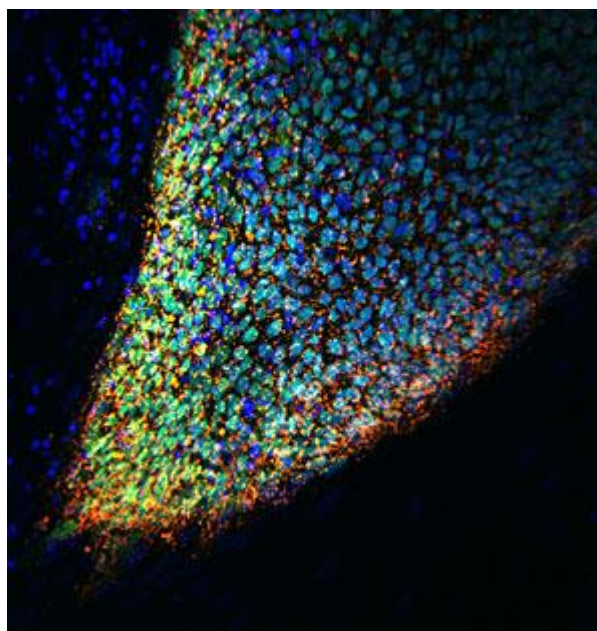
Investigadores españoles curan la anemia de Fanconi en el laboratorio con células madre

- n Es la primera vez que se consigue eliminar una enfermedad con células reprogramadas
- n Este estudio puede abrir la puerta a muchos otros similares para tratar patologías
- n De momento, sólo se puede utilizar en el laboratorio porque la técnica no es segura

Actualizado domingo 31/05/2009 21:22 (CET)

ÁNGELES LÓPEZ

MADRID.- No se trata de un fármaco que mañana se pueda administrar a los enfermos con anemia de Fanconi, pero es un paso más. Gracias a la reprogramación inducida, una técnica que transforma las células adultas en otras más primarias y plásticas, hoy se está más cerca que ayer de la ansiada cura. Sin embargo, ninguno de los investigadores que han visto en el laboratorio cómo las células afectadas por este trastorno se curaban puede poner fecha a cuándo pasará lo mismo en los pacientes, ya que esta herramienta todavía no es segura para su aplicación en humanos. No obstante, es un gran logro, se trata de la primera demostración de que se puede curar una enfermedad con este procedimiento.



Colonias de células iPS con anemia de Fanconi.

"Esta es la prueba de concepto de que esta tecnología [la reprogramación celular] puede funcionar para tratar enfermedades. Aunque de momento todavía no se pueda aplicar en humanos, con este estudio hemos demostrado que las células iPS [reprogramadas y pluripotentes] pueden ser útiles", afirma a elmundo.es el principal autor del trabajo, Juan Carlos Izpisúa, investigador del departamento de estudios biológicos del Salk Institute en California y director del Centro de Medicina Regenerativa de Barcelona (CMRB).

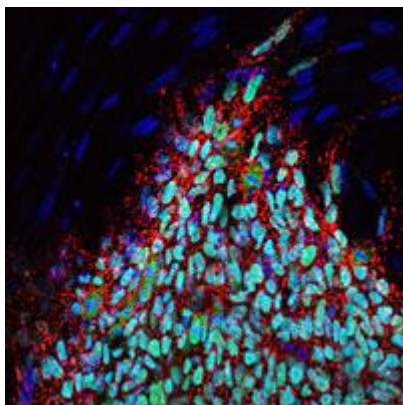
La anemia de Fanconi es una rara enfermedad causada por una mutación en algunos de los 13 genes identificados en este trastorno. La mayoría de las personas que sufren esta alteración genética desarrolla un síndrome en la primera década de su vida por el que las células de su médula ósea dejan de fabricar glóbulos rojos y otros componentes de la sangre. El tratamiento actual es el trasplante de médula, pero no es una opción fácil ya que hay que encontrar un donante totalmente compatible. La alternativa mientras se espera es la administración periódica de sangre. Sin embargo, las repetidas transfusiones generan, a

la larga, serios problemas de salud.

El equipo de Juan Carlos Izpisúa, junto con la colaboración de los laboratorios de Juan Bueren en el Centro de Investigaciones Energéticas Medioambientales y Tecnológicas (CIEMAT) de Madrid y Jordi Surrallés en la Universidad Autónoma de Barcelona, ha llevado a cabo un estudio, que publica la revista '*Nature*', en el que han participado seis pacientes con anemia de Fanconi. Sus resultados, aunque se limitan a los márgenes del laboratorio, abren la esperanza a un futuro tratamiento si se lograra mejorar la seguridad de esta técnica.

El punto de partida son las células de la piel de estos pacientes. A todas ellas les insertaron, mediante retrovirus, cuatro factores de reprogramación para transformarlas en células iPS, es decir, células similares a las embrionarias y capaces de convertirse en cualquier otra. Una vez obtenidas las iPS, a algunas les inyectaron además un lentivirus para corregir el gen FANCA o el FANCD2, que eran los que tenían alterados estos participantes.

Mediante diferentes pruebas se constató que esas iPS estaban libres de la enfermedad. Además, tras cultivarlas en el laboratorio, se pudieron convertir en células madre hematopoyéticas (de la médula ósea) que fueron capaces de producir glóbulos rojos y células mieloides (otros componentes sanguíneos).



"Hasta ahora, los ensayos realizados con terapia génica sólo corregían las células de los pacientes pero no se obtenía un número suficiente para poder tratarlos. Con las iPS se puede conseguir una mayor cantidad de células sanas que posteriormente se podrían inyectar al igual que se hace en los trasplantes de médula ósea, pero sin el problema del rechazo ya que son genéticamente idénticas al enfermo pues proceden de su piel", explica Izpisúa.

Sin embargo, al emplear partículas virales para la reprogramación, la técnica no se puede utilizar en personas ya que el virus podría integrarse en el genoma humano. Además, otro hecho por el que todavía no se pueden emplear estas células iPS en la clínica es porque crecen de manera no controlada, es decir, generan tumores.

"Esta investigación representa un importante paso en el desarrollo de nuevos tratamientos de medicina regenerativa, ya que demuestra por primera vez desde el descubrimiento de las células madre humanas que la estrategia de utilizar células iPS para curar una enfermedad es posible. No obstante, queremos insistir en que el resultado obtenido es la curación de una enfermedad 'in vitro'. Aún queda un largo camino por recorrer hasta que este tipo de estrategias pueda ser utilizado para tratar pacientes de una manera eficiente y segura", señalan los autores.

En cuanto al futuro próximo, el director del CMRB señala que sus investigaciones se centrarán en diferentes enfermedades del sistema hematopoyético. "Si hemos conseguido curar la anemia de Fanconi en el laboratorio, podremos hacer lo mismo con otras enfermedades (y cánceres) de la sangre. Podemos tener modelos de enfermedades tratadas con iPS", concluye.

Un método muy novedoso

Los resultados de este estudio han tenido una buena acogida dentro del ámbito científico. Chris Mathew, profesor de Genética Molecular del King's College de Londres, subraya que "es un importante progreso para las familias con este raro y hereditario trastorno de la

sangre. Los pacientes tienen un número bajo de células madre de la sangre en su médula ósea, de ahí la dificultad para corregir esta enfermedad mediante terapia génica. La nueva investigación muestra que es posible reprogramar las células de la piel de estos pacientes en células madre en las que el defecto genético ha sido corregido. En el futuro, podría llegar a ser posible transferir esas células madre corregidas a los pacientes, pero falta mucho trabajo por hacer antes de que esto se pueda trasladar de la mesa del laboratorio a la cama del enfermo".

Para Chris Mason, profesor de Medicina Regenerativa del University College London, "esta investigación demuestra un método muy novedoso de generar células para tratar potencialmente la anemia de Fanconi. No hay duda de que este estudio será el primero de muchos en ofrecer una esperanza para patologías que no cuentan con ninguna terapia, y mucho menos con una cura. Deben dedicarse significativos recursos en el siguiente paso, que es principalmente la traslación a terapias seguras, eficaces y asequibles".

Este experto asegura que "mientras la investigación científica básica tarda meses y cuesta cientos de miles de libras, la traslación tardará muchos años y costará cientos de millones. No hay garantía de éxito; sin embargo, sin este compromiso, nunca progresaremos hacia grandes descubrimientos científicos y por lo tanto los pacientes nunca tendrán la oportunidad de beneficiarse. La cuestión es: ¿quién está preparado para hacer esta sustancial inversión? ¿Es la gran industria farmacéutica, la tradicional pionera de nuevas terapias, o corresponde a los gobiernos cosechar las recompensas de su inversión en ciencia básica?".

[Portada](#) > [Salud](#) > **Biociencia**



© 2009 Unidad Editorial Internet, S.L.

Dirección original de este artículo:

<http://www.elmundo.es/elmundosalud/2009/05/29/biociencia/1243607210.html>