



Asociación Española de
ANEMIA DE FANCONI

Avances y limitaciones que supone la investigación sobre reprogramación celular de junio de 2009.

PRIMERAS EVIDENCIAS QUE MUESTRAN LA GENERACIÓN DE CÉLULAS SANGUÍNEAS CORREGIDAS GENÉTICAMENTE A PARTIR DE CÉLULAS DE PIEL EN UNA ENFERMEDAD GENÉTICA: LA ANEMIA DE FANCONI.

Un trabajo realizado en el Centro de Medicina Regenerativa de Barcelona, el CIEMAT y la Universidad Autónoma de Barcelona, y dirigido por los Drs Juan Carlos Izpisúa-Belmonte, Angel Raya, Juan Bueren y Jordi Surrallés, ha demostrado la generación de células sanguíneas corregidas genéticamente, a partir de células de piel de pacientes con anemia de Fanconi. El proceso se basa en técnicas de reprogramación celular, por las cuales se pueden generar células similares a las embrionarias, denominadas células pluripotentes inducidas (iPS). Este trabajo se publicará próximamente días en la revista NATURE.

AVANCES que supone esta investigación:

Este trabajo demuestra por primera vez que ante una enfermedad genética (en este caso la anemia de Fanconi) es posible corregir el defecto genético en células de la piel del paciente, y luego convertirlas en células similares a las células embrionarias (células iPS) . Posteriormente, las células iPS se pudieron diferenciar hacia células sanguíneas.

Esta observación resulta especialmente importante en enfermedades, como la anemia de Fanconi, en donde uno de los problemas principales radica en la falta de progenitores sanguíneos en la médula ósea de los pacientes.

LIMITACIONES de esta primera investigación:

La generación de células sanguíneas obtenidas en esta investigación se ha realizado por el momento *in vitro*, en placas de cultivo. En la actualidad se desconoce si serán capaces de generar células sanguíneas tras un trasplante. Por otra parte, el trasplante de células embrionarias en modelos animales ha mostrado que con frecuencia estas células producen tumores.

Por ello, la posibilidad de tratar pacientes con anemia de Fanconi mediante el trasplante de células procedentes de iPS deberá esperar a que se demuestre la eficacia y la seguridad asociada a estos nuevos hallazgos, en modelos experimentales. Por ello, estas investigaciones todavía han de situarse en el campo de la investigación pre-clínica.

Confiamos que en los próximos años sea posible mejorar la eficacia y la seguridad de este nuevo descubrimiento científico, y que así en un futuro, ahora difícil de predecir, podamos ayudar a los profesionales clínicos a curar los pacientes con anemia de Fanconi mediante el trasplante de células de la piel redirigidas a generar células sanguíneas.

Fdo: Drs Juan Carlos Izpisúa-Belmonte, Angel Raya, Juan Bueren y Jordi Surrallés, del CMRB, Ciemat y UAB.