

La edición genética logra corregir mutaciones mitocondriales

Este método permitirá tratar enfermedades calificadas como incurables.

Científicos holandeses han conseguido editar con éxito mutaciones dañinas en el ADN mitocondrial en células humanas y lo han hecho usando una herramienta genética. Este avance supone una nueva esperanza para las personas con enfermedades genéticas raras.

Las mitocondrias, llamadas las centrales energéticas de la célula, tienen su propio

pequeño conjunto de ADN y sus mutaciones pueden provocar una amplia gama de enfermedades heredadas por vía materna, cáncer y afecciones relacionadas con el envejecimiento.

Por eso, aunque algunas tecnología de edición genética han ayudado a corregir las mutaciones en el ADN nuclear, no pueden atravesar eficazmente la membrana

mitocondrial y llegar al ADN mitocondrial, por lo que muchos pacientes no se han podido beneficiar de estos avances.

Para superar este problema, el equipo empleó una herramienta llamada editor de bases DdCBE (editor de bases de citosina derivado de la toxina A de la desaminasa del ADN de doble cadena), que permite cambiar una

sola letra del código del ADN sin cortarlo, y funciona con el ADN mitocondrial.

Utilizando organoides hepáticos humanos para generar un modelo de enfermedad mitocondrial, se demostró que se podían reparar las mutaciones del ADN mitocondrial en múltiples tipos de células relacionadas con enfermedades en el laboratorio.



Esta tecnología supone un avance clave en la medicina genética.