

Se les inyectó de forma única el gen sin la mutación que los afecta

La terapia genética logra que diez niños y jóvenes sordos recuperen la audición

La terapia génica sigue dando frutos en su objetivo de devolver la capacidad de oír a personas que nacieron sin ella o padecen una discapacidad auditiva grave. Un estudio recogido en Nature Medicine explica cómo diez menores de 24 años han salido de la sordera gracias a este tratamiento.

El avance da un paso más respecto a los resultados de un ensayo recogido en esta misma revista científica hace un año, en el que se dio cuenta de que cinco niños con sordera hereditaria habían recuperado la audición en ambos oídos gracias a la terapia génica. En este caso, el estudio se amplía a adolescentes y jóvenes con resultado exitoso.

Aquellos cinco niños chinos, co-

mo los diez menores chinos del estudio conocido ahora, padecían una forma genética de sordera o discapacidad auditiva grave causada por mutaciones en el gen OTOF.

Estas mutaciones provocan una deficiencia de la proteína otoferlina, que desempeña un papel fundamental en la transmisión de las señales auditivas del oído al cerebro.

La terapia génica consistió en una inyección única en el oído de un virus sintético que contenía una versión del gen OTOF sin esa mutación disfuncional.

El efecto de la terapia génica fue rápido y la mayoría de los 10 pacientes (de entre 1 y 24 años procedentes de cinco hospitales de China) recuperaron parte de la

audición un mes después de la inyección, con buena tolerancia al tratamiento.

La reacción adversa más común fue una reducción del número de neutrófilos, un tipo de glóbulos blancos, pero no hubo mayores contraindicaciones en el periodo de seguimiento de 6 a 12 meses posteriores a la inyección.

Un seguimiento de seis meses mostró una mejora considerable de la audición en todos los participantes, con una mejora del volumen medio del sonido perceptible de 106 decibelios a 52.

MEJOR RESULTADO EN NIÑOS

Los pacientes más jóvenes, especialmente los de entre cinco y



En estos casos la sordera era causada por una mutación.

ocho años, respondieron mejor al tratamiento.

Una de las participantes, una niña de siete años, recuperó rápidamente casi toda su audición y

cuatro meses después ya podía mantener conversaciones cotidianas con su madre. La terapia también resultó eficaz en los pacientes que se acercaban a los 24

años.

"Ensayos previos más pequeños realizados previamente en China ya habían mostrado resultados positivos en niños. Esta es la primera vez que esta terapia se prueba, con resultados satisfactorios, en adolescentes y adultos", afirma uno de los autores, Maoli Duan, investigador del Instituto Karolinska de Suecia.

Duan y su equipo harán un seguimiento a los diez participantes para ver si la recuperación de la audición se mantiene en el tiempo.

"La terapia génica frente a la mutación del gen OTOF es solo el principio. Ya estamos ampliando nuestro trabajo a otros genes más comunes que causan sordera, como el GJB2 y el TMC1, y los resultados que estamos viendo, en ensayos con animales, son prometedores. Estamos seguros de que los pacientes con diferentes tipos de sordera genética dispondrán de un tratamiento en un futuro cercano", señala el investigador clínico.

Más de 430 millones de personas en el mundo padecen pérdida de audición discapacitante, y de ellas, 26 millones sufren sordera congénita.