LITORALPRESS

Fecha: 05-06-2025
Medio: El Mercurio
Supl. : El Mercurio - Innovacion
Tipo: Actualidad
Título: Edición genética, de promesa científica a una revolución de la salud: ¿permitirá CRISPR vivir para siempre?

Pág. : 1
Cm2: 991,1
VPE: $ 13.019.591

Tiraje: 126.654
Lectoría: 320.543
Favorabilidad: No Definida

TÉCNICA CONSISTE EN CORREGIR SEGMENTOS ERRÓNEOS DEL ADN

Edición genética, de promesa científica a una revolución de la salud: ¿permitirá CRISPR vivir para siempre?

La herramienta, calificada como el hallazgo del siglo y que obtuvo un premio Nobel por su potencial para curar una infinidad de males, ha pasado del laboratorio a mostrar resultados positivos en humanos con enfermedades graves. Esto ha hecho que incluso se asocie con la idea de la inmortalidad, aunque expertos insisten en que su verdadero alcance está en extender la vida curando patologías hasta ahora difíciles de abordar o aumentando los trasplantes disponibles. JANINA MARCANO

El laboratorio del Broad Institute del MIT jugó un rol en los estudios que dieron origen al descubrimiento de CRISPR-Cas9.

"Promesa revolucionaria", "hallazgo del siglo" y "revolución científica" son algunos adjetivos con los que se describía hace más de una década el descubrimiento de la técnica de edición genética llamada CRISPR-Cas9.

Esta herramienta, que consiste en modificar de forma precisa y por medio de "tijeras moleculares" segmentos erróneos del ADN vivo, desde bacterias hasta humanos, apunta a corregir el origen de una infinidad de males.

Desde que en 2012 las científicas Emmanuelle Charpentier y Jennifer Doudna descubrieran estas "tijeras genéticas" —por ello ganaron el Nobel de Química 2020—, su uso ha ido en aumento y su potencial sigue creciendo, apalancado por la inteligencia artificial.

Tras esos primeros hallazgos, las aplicaciones clínicas eran apenas una idea lejana. Hoy, el camino ha comenzado a mostrar utilidad concreta: CRISPR ya no es solo un experimento en placas de laboratorio, si no que ha sido testeado en humanos y aprobado para tratar enfermedades muy complejas, con resultados positivos y prometedores.

"Hoy, CRISPR ya no es solo una promesa. Se está utilizando en ensayos clínicos para tratar enfermedades genéticas, como la anemia falciforme o la betatalasemia (un trastorno hereditario de la sangre), logrando resultados esperanzadores", afirma Gino Nardocci, académico del programa de biología molecular y bioinformática de la Universidad de los Andes.

"La herramienta ha mostrado mayor éxito en enfermedades donde el defecto genético es bien conocido y afecta a un solo gen, como enfermedades hematológicas hereditarias y algunas distrofias musculares", añade.

Entre los principales blancos terapéuticos también se encuentran las enfermedades raras, explica Rodrigo Maldonado, investigador de la Facultad de Ciencias de la USS. "Las enfermedades raras tienen un origen que es genético y CRISPR actúa como un editor del genoma que permite ir directamente al objetivo que se quiere atacar", dice.

Incluso, hace apenas unas semanas, un bebé de con una condición metabólica rara y mortal fue tratado con éxito con esta herramienta en EE.UU., y los resultados se publicaron en The New England Journal of Medicine.

Pero el uso no se limita a condiciones poco frecuentes. "Hay enfermedades más comunes donde se está estudiando, como la fibrosis quística, el cáncer de células sanguíneas, la enfermedad de Huntington e incluso el VIH", agrega Maldonado.

En cáncer, la técnica apunta a modificar las defensas del paciente. "Se modifican los células del sistema inmune, como los linfocitos, para que expresen algunas proteínas que puedan reconocer a las tumorales, es decir, se transforman las células del propio paciente para que puedan detectar estas proteínas y las eliminen", explica.

Un bebé con una enfermedad rara y mortal (en la foto) fue curado con edición genética personalizada, un caso inédito dado a conocer recientemente.

El año pasado CRISPR también mostró resultados positivos en un ensayo clínico con jóvenes y adultos que presentaban un tipo de una ceguera hereditaria rara para la que no existe tratamiento.

Mientras la ciencia avanza y se consolidan las aplicaciones médicas de esta tecnología, se ha especulado también sobre su capacidad para intervenir en el proceso de envejecimiento. Debido a su potencial para curar múltiples enfermedades, la técnica ha sido asociada con la idea de extender la vida e incluso con la inmortalidad.

Los entrevistados explican que si bien hay ideas que funcionarían en la teoría, se trata de un terreno lleno de incertidumbre y desafíos técnicos. "En la teoría, tú podrías editar los telómeros (estructuras del ADN que marcan el envejecimiento celular), que es una de las cosas que se ha postulado en relación con el envejecimiento. También se investiga cómo eliminar células envejecidas o reparar el ADN dañado, pero son ideas hasta ahora teóricas y bien arriesgadas", señala Fernando Bustos, investigador del Instituto de Ciencias Biomédicas de la UNAB.

Coincide Leonardo Valdivia, investigador del Centro de Biología Integrativa de la U. Mayor, quien cree que la idea de retrasar o detener el envejecimiento con CRISPR todavía es una idea especulativa.

"Aunque es cierto que existen investigaciones preliminares que sugieren que se podría intervenir en rutas biológicas relacionadas con la longevidad o el acortamiento de los telómeros, estos estudios están en etapas muy iniciales", concuerda el académico.

Y agrega: "En teoría, es posible editar genes vinculados a sobrevida celular, lo que podría hacer que ciertas células vivan un poco más, pero envejecer es un proceso complejo que no se puede reducir a uno o dos genes".

Para Maldonado, "hay que entender que el envejecimiento es un proceso natural que no se puede detener, pero se puede retrasar. Hay estudios en ratones en los que se ha aumentado su vida de manera significativa, pero en humanos a lo que se apunta es a curar enfermedades que hacen que la gente muera, como cáncer. Sin embargo, no veo como realista la idea de vivir para siempre".

El académico agrega: "El envejecimiento no se da solo por factores genéticos, si no también por el ambiente, como el estilo de vida o la alimentación. (...) Vivir más y mejor con CRISPR sí es un objetivo realista, pero siempre dentro de los límites biológicos humanos".

Otro de los caminos prometedores en ese sentido es el uso de CRISPR para trasplantes. Son múltiples los grupos de investigación que están trabajando en el trasplante de órganos de animales modificados genéticamente para reducir el riesgo de rechazo en humanos, lo que abre posibilidades para abordar la escasez de órganos.

En 2024, científicos estadounidenses trasplantaron por primera vez un riñón de cerdo modificado genéticamente a un paciente vivo. Y en febrero de este año la FDA aprobó un ensayo clínico similar con múltiples pacientes con insuficiencia renal.

"Son áreas con gran potencial, pero aún en etapas tempranas", puntualiza Nardocci. Se trata, advierten los expertos, de aplicaciones que aún requieren más evidencia y evaluación.

CEDIDA

"En inmunoterapia se están editando células del sistema inmune para que reconozcan mejorar a las células tumorales".

GINO NARDOCCI
Investigador de la U. de los Andes.

CEDIDA

"CRISPR-Cas9 es una tecnología con mucho potencial en la salud y ya se están viendo sus aplicaciones".

LEONARDO VALDIVIA
Investigador de la U. Mayor

DESAFÍOS Y LA IA COMO NUEVA FRONTERA

Los expertos coinciden en que si bien el avance de CRISPR es innegable, la herramienta aún enfrenta desafíos importantes. Un tema no resuelto es cómo hacer llegar la técnica a los tejidos más complejos del cuerpo para reparar males, por ejemplo, en el corazón o el cerebro.

"Aún tenemos barreras anatómicas, como la barrera hematoencefálica en el cerebro", señala Maldonado. Otro reto clave es hallar una fórmula que permita evitar siempre los efectos indeseados fuera del sitio editado. Estas ediciones no intencionadas, conocidas como *off-targets*, pueden generar mutaciones con consecuencias impredecibles, agrega Valdivia. Aunque, precisa, "se están desarrollando vehículos moleculares para mejorar la llegada y eficacia del sistema". En esa línea, el avance de la inteligencia artificial (IA) puede ser un aliado, apunta Nardocci, quien explica que esta tecnología ya está ayudando a predecir dónde cortar el ADN con mayor precisión. "También es clave para analizar grandes volúmenes de datos genómicos y encontrar nuevas dianas terapéuticas. En el futuro, la combinación CRISPR más IA podría acelerar el diseño de terapias personalizadas", afirma.

Desde el punto de vista ético, una de las preocupaciones es la potencial edición genética en embriones con fines reproductivos, indica Sofía Salas, especialista en bioética de la UDD. Una de las razones es que las modificaciones se heredan. "Afectan no solo al embrión tratado, sino a su descendencia", advierte Salas.

Por otro lado, el acceso desigual a estas terapias es una preocupación creciente, añade. "Son terapias que pueden ser caras y no todos tendrían posibilidad de recibirlas", comenta.