



ESTA TECNOLOGÍA SUPONE UN AVANCE CLAVE EN LA MEDICINA.

La edición genética logra corregir mutaciones mitocondriales

Científicos holandeses han conseguido editar con éxito mutaciones dañinas en el ADN (ácido desoxirribonucleico 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 envejecimiento.

Por eso, aunque algunas tecnologías de edición genética han ayudado a corregir las mutaciones en el ADN nuclear, no pueden atrave-

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

Para superar el problema, usaron 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 permi-

te 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. 