

Descubrimientos rompedores para la edición de ADN y ARN ([LINK](#))

Por Randy Carpenter | 8 de noviembre de 2017

Han sido unas semanas trepidantes en el campo de la edición de ARN y ADN. Tres días después de que el equipo de Gail Mandel publicara su [manuscrito](#) reseñado en un blog reciente, "[Editing out Rett Mutations](#)," investigadores del MIT y de Harvard también publicaron manuscritos describiendo métodos alternativos con capacidad similar de corregir las mutaciones puntuales que causan el Síndrome de Rett.

Los estudios de Harvard y el MIT, que se publicaron en dos de las más renombradas revista científicas, Nature y Science, describen modificaciones a la plataforma tecnológica CRISPR que permiten la corrección de mutaciones que causan muchas enfermedades genéticas, incluyendo el Síndrome de Rett. Dicho de otro modo: estos avances permiten un análisis selectivo y la corrección de una única letra en el código genético con la suficiente precisión y eficiencia como para esperar una importante utilización en el tratamiento en humanos.

El manuscrito de [Nature](#) describe modificaciones que permiten a CRISPR corregir una sola letra del AND sin cortar el gen. Estos avances permiten sortear un importante obstáculo para el uso de CRISPR en células no divisibles como el cerebro. El manuscrito de [Science](#) describe una estrategia para editar mutaciones puntuales en el ARN que es similar al que se ideó en el laboratorio de Mandel, pero difiere en que estos científicos usan una nueva herramienta basada en CRISPR descubierta en ese laboratorio.

Estos enfoques complementarios, basados en edición de ADN y de ARN, consiguen el mismo resultado final mediante la corrección de la mutación antes de que la proteína del MeCP2 se construya y ambos tienen el potencial de tener una alta eficacia en humanos. Ambos nuevos avances aprovechan ideas de equipos de investigación punteros en CRISPR, una tecnología que permite la edición genética. Y lo que es más importante: estos descubrimientos marcan la primera vez en la que tenemos la capacidad de aplicar esta potente tecnología a enfermedades que afectan al cerebro. En el Síndrome de Rett, esto puede tener una eficacia profunda, dado que la edición corregiría específicamente la mutación y la producción de la proteína MeCP2 se optimizaría bajo el control de mecanismos reguladores normales.

Es importante reseñar que ambas terapias de edición de ADN y ARN deberán llevarse al cerebro mediante vectores. La investigación en vectores que llevan a cabo conjuntamente AveXis y el [Consorcio de Terapia Genética](#) financiado por RSRT será crítico a la hora de avanzar la edición de ADN y ARN en la práctica clínica.

Como siempre, continuaremos vigilando los avances en esta área de investigación que avanza tan rápidamente. También nos apoyaremos en el conocimiento y capacidades de los científicos con los que contamos en nuestro consorcio científico para evaluar rápidamente la capacidad de estas tecnologías para corregir las mutaciones relevantes que causan el Síndrome de Rett.