



# Investigadores del CIC avanzan en la cura de la leucemia mieloide con la edición de genes

La técnica, probada en ratones, abre la puerta a que los enfermos puedan tratarse con su propia médula tras corregir las células en el laboratorio

## REDACCIÓN / WORD

**SALAMANCA.** Científicos del Centro de Investigación del Cáncer de Salamanca (CIC) han empleado la técnica de edición de genes CRISPR-Cas9 para eliminar el oncogén que produce la leucemia mieloide crónica. En un artículo publicado por la revista *Oncotarget* demuestran que de esta forma las células de ratón tumorales revierten a su estado normal. Si los investigadores consiguen reproducir los resultados con células de pacientes, tendrían una herramienta eficaz para tratar la enfermedad, según informa la agencia Dicyt.

La técnica CRISPR-Cas9 está llamada a revolucionar la medicina, puesto que permite corregir el genoma de cualquier célula mediante unas proteínas denominadas nucleasas, con las que se pueden realizar cortes precisos. «Es como editar un texto, podemos cortar y pegar en el sitio que queremos, insertar o eliminar párrafos», explica a Dicyt Manuel Sánchez



Manuel Sánchez Martín, a la izquierda, e Ignacio García-Tuñón, en un laboratorio del CIC. :: DICYT

Martín, investigador de la Universidad de Salamanca, «y nuestro texto es el genoma».

Su grupo de investigación lleva dos años trabajando con esta técnica, que es bastante nueva pero tan prometedora que los expertos dan por hecho que los científicos que han contribuido a su desarrollo recibirán el

premio Nobel próximamente. Las aplicaciones clínicas de CRISPR-Cas9 pueden ser casi infinitas si se resuelven las disputas sobre las patentes, que no afectan a la investigación básica como la que desarrolla este equipo del CIC. Además, se trata de una técnica sencilla que probablemente será muy utilizada en todos los campos

de la biología.

En este caso, este procedimiento ha permitido suprimir un gen que induce la formación del cáncer -llamado oncogén- en células de ratón. El resultado es que «la célula revierte el fenotipo patológico a un fenotipo normal», lo que quiere decir que «ya no es capaz de crecer indefinidamente

ni formar tumores».

En la actualidad, el tratamiento para la leucemia mieloide crónica se basa en fármacos que se dirigen a inactivar una oncoproteína, es decir, la proteína expresada por el oncogén, pero no acaban con el origen de la enfermedad. Además, son tratamientos largos, caros y que generan resistencias.

## Válido para otros tumores

Por otra parte, a diferencia de otros tipos de cáncer, esta enfermedad se desencadena por un solo oncogén. «Para el desarrollo de un carcinoma son sucesivamente varios eventos oncogénicos los que provocan la neoplasia, sin embargo en sarcomas y linfomas, un solo evento suele ser el desencadenante, como sucede en la leucemia mieloide crónica, por lo que esta estrategia terapéutica sería especialmente útil en este tipo de tumores», señala Manuel Sánchez Martín.

Ahora el reto es obtener los mismos resultados *in vitro* con células tumorales de enfermos y, a partir de ahí, realizar ensayos clínicos. «Tenemos un hándicap, que es introducir de manera eficiente esta herramienta terapéutica en las células humanas y en eso estamos trabajando actualmente», apunta el científico.

Si funciona, sería una excelente estrategia terapéutica para esta enfermedad. «Estáramos hablando de extraer la médula ósea del paciente, editarla y devolvérsela corregida», resume Ignacio García-Tuñón, primer firmante del artículo, lo que evitaría la necesidad de encontrar donantes de médula compatibles.