

Científicos editan genéticamente el hígado de un paciente para bajar sus niveles de colesterol

Business Insider

Tecnología

Andrea Núñez-Torrón Stock

17 de julio de 2022

Fuente original:

https://businessinsider.mx/cientificos-editan-geneticamente-higado-paciente-reducir-colesterol_tecnologia/

Un voluntario en Nueva Zelanda se convirtió recientemente en la primera persona en someterse a una edición de ADN para reducir su colesterol en la sangre. El procedimiento marca un paso pionero en el uso generalizado de la edición genética para prevenir ataques cardíacos.

Según explican desde el MIT Technology Review, los responsables del hito son investigadores de la compañía de biotecnología estadounidense Verve Therapeutics.

Para reducir el colesterol del paciente, inyectaron un suero de edición de genes en su hígado.

La clave del procedimiento consiste en inyectar una versión de la herramienta de edición de genes CRISPR para modificar una única letra de ADN en las células hepáticas del paciente.

El gen que Verve está editando se llama PCSK9. Su papel es clave para el mantenimiento de los niveles de LDL y la compañía dice que su tratamiento apagará el gen al introducir un «error ortográfico de una letra».

La inusual inyección recibió el nombre de VERVE-101, y ha arrojado resultados esperanzadores en los primeros experimentos llevados a cabo con monos.

Según la compañía, la pequeña edición genética debe bastar para reducir permanentemente los niveles de colesterol LDL de una persona. Esta es la molécula grasa que hace que las arterias se obstruyan y endurezcan con el tiempo, aumentando el riesgo de problemas cardiovasculares.

En el caso de este hombre neozelandés, padecía un riesgo heredado de colesterol extra alto y ya sufría de una enfermedad cardiaca. De todos modos, la empresa cree que esta técnica derivada del método CRISPR podría aplicarse a millones de personas para prevenir ataques cardíacos, tengan o no predisposición genética al colesterol elevado.

"Si esto funciona y es seguro, esta es la respuesta al ataque cardíaco, esta es la cura", dice el investigador genético y CEO de Verve, Sekar Kathiresan. Cabe mencionar que el CEO fundó Verve después de que su hermano, Senthil, sufriera un ataque al corazón.

El método CRISPR solo se había usado para la edición genética en enfermedades raras

Hasta la fecha, el método CRISPR solamente se ha usado para la edición genética en ensayos exploratorios relacionados con enfermedades raras, como la anemia falciforme.

"De todas las diferentes ediciones del genoma en curso en la clínica, esta podría tener el impacto más profundo debido a la cantidad de personas que podrían beneficiarse", anota Eric Topol, cardiólogo e investigador de Scripps Research.

Este es un avance gigante si se toma en cuenta que pocas personas son capaces de apegarse a una dieta estricta para reducir el colesterol. También aliviaría los efectos secundarios de las

estatinas.

La enfermedad cardiovascular aterosclerótica es la causa más común de muerte en el mundo industrializado, y el colesterol LDL alto es, a su vez, la causa principal. En su fase de experimentación con monos, el tratamiento redujo su colesterol malo en 60%

La inyección para el tratamiento genético se administrará a 40 personas que tienen una forma hereditaria de colesterol alto conocida como hipercolesterolemia familiar. Incluso de niños, estas personas tienen el doble del colesterol promedio que el resto, lo que los expone a padecer infartos a edades tempranas.

La tecnología guarda cierto parecido con las vacunas de ARN mensajero usadas para el coronavirus. Mientras que estas instan a las células a producir un componente del virus SARS-CoV-2, este tratamiento brinda instrucciones genéticas envueltas en una nanopartícula, provocando que una célula se ensamble y la copia de PCSK9 de la misma se modifique.

Los resultados del tratamiento han sido prometedores. En los experimentos con monos la inyección genética pudo reducir el colesterol malo en un 60%. A su vez, el efecto ha durado más de un año en los animales e incluso podría ser permanente. Eso sí, implica cierto riesgo y algunos efectos secundarios en personas que toman otros medicamentos.

Los científicos agregan que podría haber «inyecciones de refuerzo», en caso de que la primera ronda de edición de genes no esté completa; o bien, para eliminar otros genes de colesterol y profundizar el efecto en el LDL.