

UABDIVULGA

BARCELONA RECERCA | INNOVACIÓ

06/2009

Obtienen células sanguíneas corregidas genéticamente



Un trabajo conjunto realizado por los equipos de los doctores Jordi Surrallés, de la Universitat Autònoma de Barcelona (UAB) e investigador del Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras (CIBERER); Juan Carlos Izpisúa-Belmonte y Angel Raya, del Centro de Medicina Regenerativa de Barcelona (CMRB) y Juan Bueren, del Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas (CIEMAT) e investigador CIBERER, ha permitido generar, por primera vez, células sanguíneas corregidas genéticamente, a partir de células de la piel de pacientes afectados por una enfermedad genética: la anemia de Fanconi. El proceso se basa en técnicas de terapia génica y reprogramación celular, por las cuales se pueden generar células similares a las embrionarias, denominadas células pluripotentes inducidas (iPS). La investigación se publica esta semana en la versión digital de la revista *Nature*.

El trabajo demuestra por primera vez que, ante una enfermedad genética, como es el caso de la anemia de Fanconi, es posible corregir el defecto genético en células de la piel del paciente, y luego convertirlas en células similares a las células embrionarias (células iPS) que, posteriormente se pueden diferenciar hacia células sanguíneas.

Estos resultados son una prueba de inicio de que esta nueva estrategia terapéutica tiene la potencialidad de generar tejidos sanos a partir de la propia piel de afectados por enfermedades genéticas. Esta observación resulta especialmente importante en enfermedades como la anemia de Fanconi, en la que uno de los problemas principales radica en la falta de progenitores sanguíneos en la médula ósea de los pacientes. Pero, según los investigadores, podría ser aplicable a muchas otras enfermedades de origen genético, diferenciando las células iPS en los tejidos sanos que les faltan a los pacientes.

¡La generación de células sanguíneas obtenidas en esta investigación se ha realizado por el momento in vitro, en placas de cultivo, lo que sitúa la investigación realizada en el ámbito pre-clínico. Actualmente, aún se desconoce si podrían ser capaces de generar células sanguíneas tras un trasplante. Por otra parte, el trasplante de células embrionarias en modelos animales ha mostrado que con frecuencia estas células producen tumores. Por ello, la posibilidad de tratar pacientes con anemia de Fanconi mediante el trasplante de células procedentes de iPS tendrá que esperar a que se demuestre la eficacia y seguridad asociada a estos nuevos hallazgos, en modelos experimentales.

Los investigadores que han participado en la investigación confían que en los próximos años sea posible mejorar la eficacia y la seguridad de este nuevo descubrimiento científico, y que en un futuro, aún hoy difícil de predecir, puedan ayudar a los profesionales clínicos a curar a los pacientes afectados de enfermedades genéticas como la anemia de Fanconi.

La UAB y el CIEMAT, centros de referencia en investigación de la anemia de Fanconi

La anemia de Fanconi es una enfermedad hereditaria rara que afecta principalmente a la médula ósea, con lo que genera una disminución en la producción de todos los tipos de células sanguíneas. La falta de glóbulos blancos predispone al paciente a infecciones, mientras que la falta de plaquetas y glóbulos rojos puede producir sangrado y fatiga, respectivamente. El tratamiento es el trasplante de células madre hematopoyéticas sanas, procedentes de la médula ósea o sangre de cordón umbilical de un donante compatible y, a ser posible, familiar del paciente. Pero desgraciadamente son pocos los pacientes que disponen de un donante compatible.

La UAB, a través del Grupo de investigación que dirige el Dr. Jordi Surrallés, catedrático del Departamento de Genética y de Microbiología, y el CIEMAT, a través del grupo que dirige el Dr. Juan Antonio Bueren, responsable de la División de Hematopoyesis y Terapia Génica, son dos centros de referencia mundial respecto a la enfermedad de anemia de Fanconi, y en los últimos años han realizado contribuciones muy importantes para mejorar la comprensión de los mecanismos genéticos implicados en la enfermedad, mejorar el diagnóstico y avanzar en nuevas terapias. El Vicerrectorado de Proyectos Estratégicos de la UAB ha cofinanciado en los últimos años la investigación transnacional en anemia de Fanconi como enfermedad modelo en investigación biomédica y biotecnológica.

Sobre el CIBERER

Los grupos de investigación de los doctores Surrallés de la UAB i Bueren del CIEMAT forman parte del Centro de Investigaciones Biomédicas en Red de Enfermedades Raras (CIBERER), que tiene como objetivo potenciar la investigación traslacional (de aplicación en la práctica clínica para beneficio del paciente) sobre las enfermedades raras en España. Es pionero en Europa y cuenta con pocas referencias en el panorama internacional como modelo de institución consorciada.

Promovido por el Ministerio de Ciencia e Innovación a través del Instituto de Salud Carlos III, integra a 30 entidades fundamentalmente Universidades, Hospitales y Centros de investigación públicos, pero también del ámbito privado que investigan sobre enfermedades raras, gestionando, coordinando esfuerzos y generando sinergias entre 61 grupos de investigación y más de 700 científicos e investigadores

CIBERER actúa como vehículo entre la investigación biomédica, los servicios de salud y los pacientes y familiares, siendo las conferencias terapéuticas el canal a través del cual médicos y asociaciones de pacientes son informados acerca de los avances de las investigaciones en curso. Asimismo, CIBERER apoya y potencia acciones encaminadas a ofrecer servicios de investigación para el conjunto de enfermedades raras.

Jordi Surrallés

Universitat Autònoma de Barcelona

jordi.surralles@uab.cat

Referencias

Disease-corrected haematopoietic progenitors from Fanconi anaemia induced pluripotent stem cells. Àngel Raya, Ignasi Rodríguez-Piza, Guillermo Guenechea, Rita Vassena¹, Susana Navarro, María José Barrero, Antonella Consiglio, María Castella, Paula Río, Eduard Sleep, Federico González, Gustavo Tiscornia, Elena Garreta, Trond Aasen, Anna Veiga, Inder M. Verma, Jordi Surrallés, Juan Bueren & Juan Carlos Izpisua Belmonte/doi:10.1038/nature08129.

[View low-bandwidth version](#)