

Terapia génica y edición de genes

La terapia génica ahora es una opción para ciertos pacientes con AF, con ensayos clínicos que empiezan en dos continentes: un programa desarrollado por los Drs Jennifer Adair, Hans-Peter Kiem, Pamela Becker y colaboradores en Seattle, Washington, EEUU. (<http://research.fhcrc.org/adair/en/collaborations/gene-therapy.html>) y un programa similar desarrollado por los Drs Paula Río, Susana Navarro, Jordi Surrallés y Juan Bueren y colaboradores en Madrid, España. (<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/24859981>). Ambos programas usan un vector viral altamente modificado para añadir el gen funcional FANC-A al ADN de las células de la médula ósea de pacientes con genes FANC-A defectivos. Diez pacientes han sido tratados por ambos grupos con alentadores resultados.

La FARF (*Fanconi Anemia Research Fund*) también está financiando la investigación sobre los mecanismos que limitan el número de células de la médula ósea. Si se puede crear un tratamiento que expanda de forma segura el número de células madre sin que este cause su diferenciación inmediata, no sólo mejoraría los trasplantes de médula convencionales si no que también aceleraría la llegada de una nueva terapia génica: la corrección de genes defectuosos mediante la edición génica. Muchos laboratorios, incluido alguno financiado por la FARF, están utilizando el método de edición génica que deriva de las bacterias para estudiar cómo corregir una mutación en el ADN de una célula madre que causa AF (la mutación puede ser únicamente una simple letra en el código genético). La ventaja de esta técnica es que cada paciente es donador de las células a corregir, por lo que el rechazo del trasplante es improbable. La mutación que causa la anemia falciforme se ha podido corregir en células madre por esta técnica. Estos métodos funcionan en células AF, y si los ensayos clínicos muestran que son seguros y resultan beneficiosos a largo plazo, puede la era de los trasplantes de médula de donantes llegar a su fin.