

# Así es la terapia génica, el novedoso tratamiento que está curando el cáncer

Los exitosos tratamientos CAR-T se basan en esta metodología: cambiar el gen defectuoso por uno que haga su trabajo bien



La terapia génica CAR-T consiste en coger los linfocitos del paciente, modificarlos genéticamente, y volverlos a introducir en su organismo - Efe



Tener un gen defectuoso y cambiarlo por uno que haga su trabajo bien. Esto que parecía ciencia ficción hace no mucho tiempo es ya una realidad en la práctica clínica. Hablamos de la terapia génica, en la que se basan por ejemplo los tratamientos CAR-T, que ya han conseguido la remisión completa del cáncer hematológico en siete

pacientes en la Comunidad de Madrid.

### NOTICIAS RELACIONADAS

Ya son siete los pacientes curados de cáncer con terapia CART en la sanidad pública El Hospital La Paz da de alta al primer niño con leucemia tratado con terapia celular CAR-T

La carrera más importante de Juanfran, curado de leucemia con la terapia CAR-T

Esto se consigue modificando los linfocitos del propio enfermo mediante **ingeniería genética** para que estos combatan el tumor.

## ABC ENFERMEDADES

Buscar Q Inicio sesión | Registro 🕒 > Menú

reconocen y la eliminan. Cuando este mecanismo falla es cuando aparece el tumor», explica a ABC el doctor Juan Antonio Bueren, jefe de la División de Terapias Innovadoras en el Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas (Ciemat), en el Centro de Investigación Biomédica en Red (Ciberer) y en el Instituto de Investigación Sanitaria Fundación Jiménez Díaz (ISS-FJD).

La **terapia CAR-T** consiste en coger los linfocitos del paciente, modificarlos genéticamente para que reconozcan directamente a determinado tipo de célula, por ejemplo tumoral, y volverlos a introducir en su organismo. Este novedoso tratamiento está obteniendo **muy buenos resultados en leucemias linfocíticas B** resistentes a tratamientos convencionales como la quimioterapia.

En general, la terapia génica ha tenido su mayor desarrollo en el tratamiento de **enfermedades genéticas raras** que se producen porque hay un gen que no funciona. «La proteína que se debe generar a partir de un determinado gen no se produce. La mejor manera de tratar a estos pacientes es sustituyendo el gen defectivo por uno que funciona normalmente», explica el doctor Bueren. Y ¿cómo se hace esto? El experto detalla que la manera más eficaz de meter un gen en una célula con el gen mutado es hacerlo a través de un **virus modificado genéticamente**. Estos vectores virales pueden ser integrativos (insertan el gen en el genoma de la célula diana) o no integrativos (no integrado en el genoma). «Ahora mismo hay protocolos de terapia génica muy eficaces con ambos tipos de vectores», asegura el experto.



Ads by Teads

En el caso de los **vectores no integrativos**, la terapia iría perdiendo eficacia con el tiempo si la célula diana fuera una célula en división, pues las copias del gen terapéutico se irían diluyendo. Por eso, se está aplicando en tejidos con baja tasa de división celular, como hígado, neuronas y músculos, en enfermedades como hemofilia, síndrome de San Filippo o atrofia muscular espinal. El vector viral se introduce por vía endovenosa o directamente en el cerebro, líquido cefalorraquídeo o músculo.

## Trasplante sin rechazo

## Consulta de especialistas de Quirónsalud

Cubrimos todas las especialidades médicas para ofrecer una atención integral al paciente. Contamos con un prestigioso equipo de profesionales, la tecnología más avanzada, una valiosa vocación investigadora y docente y un modelo de gestión basado en el compromiso con la calidad.

Nombre Provinc ▼ Especia ▼

Buscar

Publicidad

## ABC ENFERMEDADES

Buscar Q Inicio sesión | Registro 🕙 > Menú

lentivirus, que tienen la gran capacidad de integrarse en el genoma de las células, incluso en las **células madre de la médula ósea** que dan lugar a todas las células de la sangre. Esto significa que cualquier patología que afecte a las células de la sangre se puede sanar corrigiendo las células madre de la médula ósea. En este caso, la eficacia del proceso cuando el vector se inocula en el cuerpo del pacientes es baja, por lo que es más eficaz extraer las células de la médula, y en laboratorio (in vitro) ponerlas en contacto con los vectores terapéuticos. «Las células dianas se incuban junto a los vectores terapéuticos, y a los pocos días se vuelven a introducir en el paciente como si se tratara de un **trasplante de médula ósea de un donante sano**, pero con la ventaja de que **no habría rechazo** entre células de donante y receptor», explica el doctor Bueren.

El experto asegura que, a día de hoy, la terapia génica resulta «muy segura, eficaz y muy poco tóxica». El desafío ahora es conseguir no solo añadir al fondo genético de una célula enferma el gen deseado (Terapia génica de Adición), sino hacerlo en el sitio exacto del genoma en el que se desea (Terapia génica de Edición). «El gran salto que ha habido para que la terapia génica de edición deje de ser ciencia ficción ha sido el descubrimiento de proteínas como las CRISPR», señala. Con ello se ha aumentado «extraordinariamente» la eficacia de los procesos de «recombinación» que permiten «curar» una determinada mutación como medio de tratamiento de enfermedades genéticas.

«Estamos viviendo unos años realmente interesantes en este campo, pues esto, que hace poco era ciencia ficción, es ya una realidad clínica», asegura el doctor Bueren. Ya existen diferentes fármacos de terapia génica en el mercado, y «en 2020, se espera la aprobación de otra media docena, muy probablemente dirigidas al tratamiento de la hemofilia, talasemia, y otras», señala el experto. Además, todos los ensayos clínicos en marcha, varios de ellos en España, «son muy prometedores». El experto asegura que en nuestro país «existen grupos muy potentes en el campo de la investigación de las enfermedades raras, muy bien coordinados, por lo que podemos sentirnos orgullosos de lo que estamos haciendo entre todos a nivel internacional», concluye.

### TEMAS

Investigación médica Inmunología Leucemia Cáncer Enfermedades

Salud Investigación

#### TE RECOMENDAMOS

Estos son los síntomas del cáncer de próstata

Doce síntomas que nos avisan de un cáncer

Los oncólogos alertan: aumenta el cáncer de páncreas

ABC PLAY



Buscar

Inicio sesión | Registro 🙁 🗦



gafas.es

4 motivos para pasarse a la energía solar y ahorrar en tu factura de luz

Repsol

Los españoles nacidos antes del 1971 son designados para una prueba de audición gratuita

Mejorar Mi Audición

Enlaces Promovidos por Taboola

superviviente del Hollywood dorado

LALIGA



La Histôfia de la seño de viaje de novios a La Romareda

La Rioja

Deja tu comentario

-20% | <del>20€</del> | 16€

ABC Sevilla

Entradae Rurundanna Madrid

Cunón Prozie

Publicidad

ABC

**ABC** 

Vocento Sobre nosotros Contacto Política de privacidad Política de cookies Condiciones de uso Aviso legal

Horóscopo Horóscopo chino Ultimas noticias Programación TV Premios Goya 2020 Calendario laboral 2020 Escuchar noticias del día Blogs La Colmena Descuentos Comprobar Lotería del Niño 2020 Comprobar Lotería Navidad 2019 Lotería del Niño 2020 Lotería de Navidad 2019 Bienestar Copyright © DIARIO ABC, S.L.

El Correo

#### **ENLACES VOCENTO**

El Norte de Castilla Diario Vasco El Comercio Ideal Sur Las Provincias El Diario Montañés La Voz Digital La Verdad Leonoticias.com Finanzas Burgosconecta Unoauto.com Infoempleo Guapabox Autocasión Oferplan Pisos.com Mujerhoy XL Semanal Código Único TopComparativas

Hoy

 $\Diamond$