

Terapia Génica. La revolución que viene.

El siglo XIX será recordado en los libros de historia de la medicina como el siglo de los medicamentos derivados de plantas y compuesto químicos simples, los finales del siglo XX como la época de los medicamentos biotecnológicos, pero aún más sorprendente será (en realidad ya es) el siglo XXI que inicia espectacularmente con la Terapia Génica.

Hasta hace unos pocos años, decirle a un paciente, o sus padres en el frecuente caso de los pacientes menores de edad, que su diagnóstico era una enfermedad genética, era sinónimo de “enfermedad incurable” y de decir “no hay casi nada que hacer”. En la mayoría de los casos efectivamente no había nada que hacer y en unos cuantos más, nos limitábamos a cambios de estilo de vida, habitualmente dietéticos.

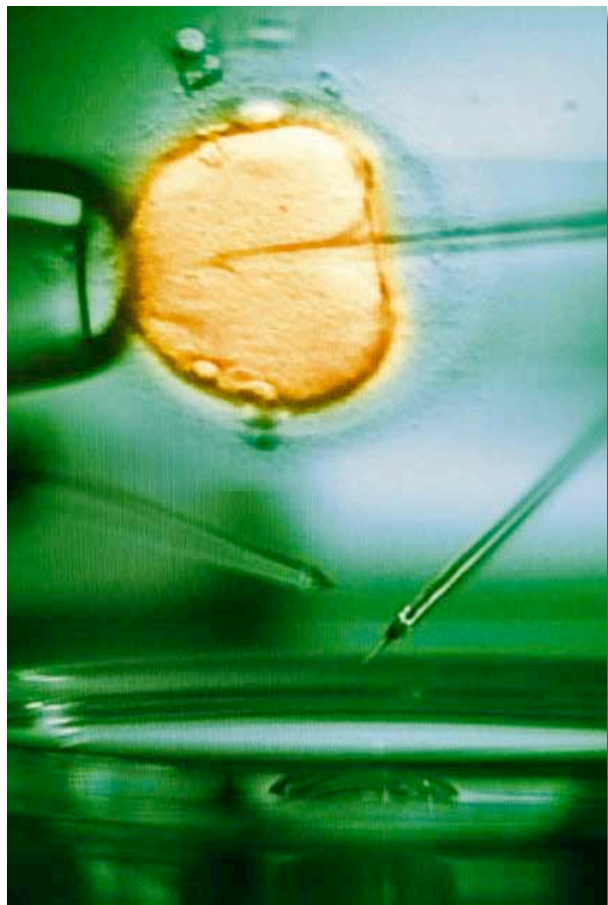


Actualmente, gracias a la

Terapia Génica, no sólo las enfermedades genéticas tiene la esperanza de tener no sólo un tratamiento, sino la modificación de la enfermedad o posiblemente su curación. También enfermedades de otra índole como el cáncer, las enfermedades isquémicas, enfermedades neurológicas, algunos tipos de ceguera y muchas más ya están siendo

tratados con medicamentos cuyo mecanismo de acción es modificar nuestra información genética.

Quizá la esencia de los seres vivos sea nuestro DNA, es lo que nos hace pertenecer a la especie de cual somos parte. Basta una sola célula que contenga material genético para saber a que especie pertenece e inclusive, en su caso, su sexo, por ello tal vez no sea exagerado decir que los seres vivos somos sólo la expresión de nuestros genes. Por lo anterior, cambiar nuestros genes es una tarea digna de los mejores cuentos de ciencia ficción, aunque hoy, cada vez más rápido y más contundente el sustantivo Ciencia gana fuerza y su adjetivo Ficción se desvanece.



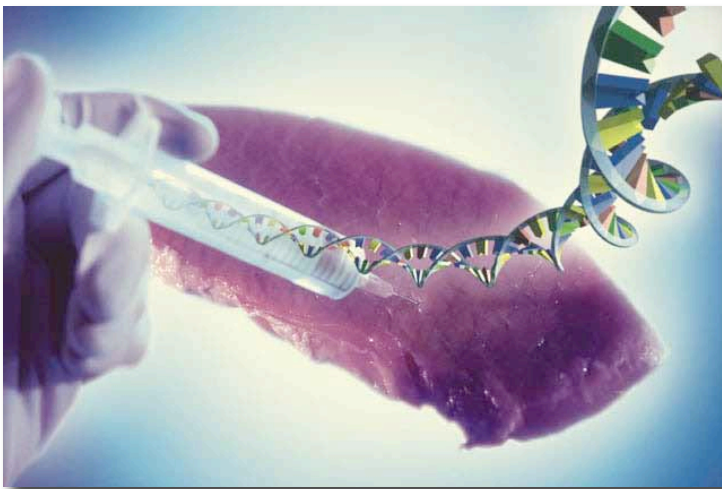
La terapia génica consiste en cambiar el material genético de una célula para que ésta tenga la información genética que le faltaba o bien haga una función nueva que es de utilidad terapéutica. En cualquier caso, esta función será a través de la producción de una nueva proteína, codificada por el nuevo gen recientemente insertado.

Si bien describir la terapia génica parece sencillo, no lo es enfrentar cada uno de los retos que implica; lo primero es encontrar la proteína cuya falta produce una enfermedad, o

bien la enfermedad que puede ser tratada con una nueva proteína que normalmente no se encuentra o no en la cantidad necesaria, posteriormente conocer el gen que codifica dicha proteína y finalmente “poner” ese gen en las células donde hace falta... ¡Así de fácil!

El mayor reto ha sido el de poder insertar un nuevo gen en las células humanas, no tenemos la tecnología para hacerlo, así que hemos buscado en la naturaleza a los expertos en esta tarea: los virus. Algunos virus son casi en su totalidad material genético, ninguno tiene una maquinaria propia para generar sus proteínas, por lo que a lo largo de su evolución han sobrevivido por hacer exactamente los que estamos buscando, insertar material genético extraño en una célula. Naturalmente los virus insertan “su” material genético y esto hace que las células produzcan más virus, pero gracias a la ingeniería genética hoy podemos modificar a los virus, aprovechar su capacidad de insertar material genético y así obligarlo a que inserte un gen humano.

El primer protocolo de investigación en esta área fue aprobado en 1990 en EEUU y el



primer tratamiento con terapia génica fue aprobado en China en 2003. Desde esa época se han realizado más de 1,300 estudios clínicos y en la actualidad hay más de 100 en proceso. La enfermedades que están siendo estudiadas son de lo más diverso, cáncer, artritis, Parkinson, hemofilia,

enfermedades hepáticas, distrofia muscular, enfermedad arterial periférica, degeneración macular, cicatrización de heridas e incluso disfunción eréctil entre muchas

otras. Una búsqueda sencilla en la base de datos de la Biblioteca Nacional de Medicina de los Estados Unidos (Pubmed, <http://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/>) de los artículos en cuyo título aparece la palabra “Gene Therapy” arroja cerca de 10,000 artículos (Feb de 2009).

Somos testigos de una de las más grandes revoluciones en la forma en que entendemos y tratamos a las enfermedades, aún más, en la forma en que vemos al ser humano y el grado de intervención que hacemos en él.

Dr. Gustavo Hernández Verde

Médico Internista

Director de Comunicación y Asuntos Científicos

Asociación Mexicana de Industrias de Investigación Farmacéutica

gbernandez@amiif.org.mx