

# Medicina genómica: Comprendiendo las terapias celulares con edición de genoma



**La terapia celular es el uso de células vivas como terapia para tratar enfermedades. La terapia celular implica la transferencia de células viables y purificadas a un paciente. Una vez en el cuerpo del paciente, crecen y reemplazan o reparan el tejido dañado o la función corporal anormal para tratar una enfermedad o afección. El tipo más común de terapia celular es el trasplante de médula ósea, también conocido como trasplante de células madre sanguíneas o de células hematopoyéticas. Este es un procedimiento para reemplazar la médula ósea dañada o destruida con células madre de médula ósea sanas, y restaurar la capacidad del cuerpo para crear los glóbulos rojos, glóbulos blancos y plaquetas que necesita.**

Se están desarrollando nuevas tecnologías médicas para permitir el uso de otras poblaciones celulares para la terapia celular y para explorar cómo las células utilizadas para la terapia celular pueden optimizarse para mejorar o añadir una nueva función para mejorar sus efectos terapéuticos.

Las terapias celulares se basan en obtener y aislar células donantes de una de dos fuentes, ya sean alogénicas o autólogas. Las células pueden extraerse de un donante sano que no sea el paciente, luego modificarse en un laboratorio y administrarse a un paciente (alogénico). Otras veces, el paciente es el donante y, después de que las células hayan sido modificadas, también es el receptor (autólogo). Las terapias celulares alogénicas o autólogas tienen ventajas y desventajas específicas. Ambos enfoques están siendo explorados por científicos para diferentes enfermedades y diferentes pacientes.

Un ejemplo de este tipo de terapia celular con edición de genoma son las células CAR-T (Receptor de Antígeno Quimérico). Las células CAR-T usan las células T del cuerpo, un tipo de glóbulo blanco, que son una parte esencial del sistema inmunitario. Las células T protegen al cuerpo de las amenazas de enfermedades al buscar y destruir sustancias extrañas en el cuerpo (antígenos). Las células T normales pueden reconocer y eliminar las células que se han dañado, infectado por virus o se han vuelto cancerosas.

La terapia de células CAR-T es un enfoque que, a través de la edición del genoma, agrega un receptor especialmente diseñado llamado receptor quimérico de antígeno (CAR) que reconoce antígenos específicos, para transformar células T normales en células CAR-T. Este proceso permite que las células T reconozcan y, por ejemplo, destruyan las células cancerosas.

Una vez que se obtiene de un donante, cambiar las células T normales en células CAR-T requiere administrar genes específicos dentro de las células. Se utiliza un vehículo llamado vector para transportar el nuevo gen a las células. Los virus se usan comúnmente como vectores y se vuelven inofensivos al eliminar toda la información genética que causa la enfermedad. Esto crea una carcasa para insertar el gen sano y entregar las instrucciones genéticas que permiten que una célula T se convierta en una célula CAR-T.

Las células CAR-T se modifican genéticamente, a continuación se expanden en un laboratorio para multiplicar su número. A continuación, estas células se devuelven al cuerpo de un paciente mediante infusión, lo que permite que las células nuevas CAR-T encuentren y eliminen las células tumorales.

Las células CAR-T son un tratamiento para algunos de los cánceres de sangre más difíciles de tratar. Recientemente se han aprobado tres terapias con células CAR-T para tratar ciertos cánceres de sangre, y se ha demostrado que son notablemente eficaces en el tratamiento de cánceres para los que no se disponía de otros tratamientos. Los científicos siguen estudiando cómo aplicar la ingeniería genética como un enfoque para mejorar otros tipos de células como tratamiento para las enfermedades.

Las células T reguladoras (Treg) son otro tipo de glóbulos blancos y actúan como los reguladores clave del sistema inmunitario. Asumen el papel de pacificadores, dirigiendo a otras células T para que cesen el fuego, asegurándose de que el sistema inmunitario no ataque erróneamente a los órganos sanos al tiempo que protege el cuerpo de virus y bacterias dañinos.

Al igual que las células T, las Treg se pueden modificar genéticamente con una CAR, creando CAR Treg que se están estudiando como terapia celular para abordar con precisión trastornos autoinmunes e inflamatorios.

Las células CAR-T y CAR Treg son tratamientos personalizados creados utilizando las células T propias de un paciente (autólogos). Un enfoque emergente es el desarrollo de terapias celulares alogénicas. Estos tratamientos utilizan células fácilmente disponibles de donantes sanos que son modificadas genéticamente e infundidas en un paciente. El objetivo de este enfoque es reducir el coste y el tiempo de tratamiento, aportando un nuevo tipo de terapia al mayor número posible de pacientes.

La terapia celular con edición de genoma, al igual que otras tecnologías de medicina genómica, tiene el potencial de permitir que las terapias altamente personalizadas aborden los errores subyacentes en el ADN que provocan algunas enfermedades, trayendo nuevas esperanzas a los pacientes con ciertos tipos de cáncer, trastornos autoinmunes o inflamatorios o enfermedades raras para las cuales hay pocos tratamientos.

## Más información

Para obtener más información sobre los medicamentos genómicos, incluida la terapia celular con edición de genoma, visite los sitios web indicados a continuación. Si usted o un familiar tiene una afección genética, su médico o profesional genético puede ayudarle a comprender si un enfoque de medicina genómica es adecuado para usted, o ayudarle a encontrar un ensayo clínico apropiado.

**Alliance for Regenerative Medicine | [alliancerm.org](http://alliancerm.org)**

**American Society of Gene & Cell Therapy | [asgct.org](http://asgct.org)**

