



Primer tratamiento CRISPR para células falciformes

Description

El 8 de diciembre, la Administración de Alimentos y Medicamentos de Estados Unidos (FDA) aprobó el primer tratamiento CRISPR para la enfermedad de células falciformes.

CONTENIDOS

Aprobación de la FDA para tratamiento CRISPR para células falciformes

El 8 de diciembre, la Administración de Alimentos y Medicamentos de Estados Unidos (FDA) aprobó [el primer tratamiento CRISPR para la enfermedad de células falciformes](#). Este hito histórico marca el comienzo de una nueva era en la medicina, donde la edición genética puede utilizarse para tratar enfermedades genéticas. La aprobación de la FDA es un testimonio del progreso científico y la promesa de la tecnología CRISPR. Este avance es significativo porque la enfermedad de células falciformes es causada por una mutación en el gen que codifica la hemoglobina. Esta proteína transporta el oxígeno en los glóbulos rojos.

Tratamiento Exa-cel de CRISPR para células falciformes

El tratamiento, llamado exa-cel y fabricado por las empresas Vertex y CRISPR Therapeutics, edita un gen implicado en la forma y función de los glóbulos rojos. Este avance es significativo porque la enfermedad de células falciformes es causada por una mutación en el gen que codifica la hemoglobina. Este tratamiento utiliza la tecnología de edición genética para corregir la mutación que causa la enfermedad de células falciformes.

Resultados del Tratamiento CRISPR para células falciformes

La mayoría de las [personas con enfermedad de células falciformes que recibieron este nuevo tratamiento de edición genética](#) vieron que su dolor se resolvió durante al menos un año. Esto es un gran avance, ya que la enfermedad de células falciformes se caracteriza por episodios de dolor severo llamados crisis vaso-oclusivas. Estos episodios pueden ser debilitantes y afectar significativamente la calidad de vida de los pacientes.

Te Puede Interesar:

Otros Tratamientos

La FDA también aprobó otro tipo de terapia génica para la enfermedad de células falciformes llamada lovo-cel, que es fabricada por la compañía bluebird bio. Este tratamiento también utiliza la tecnología de edición genética para corregir la mutación que causa la enfermedad de células falciformes. Los tratamientos actuales para la enfermedad de células falciformes suelen implicar transfusiones regulares. Aunque los trasplantes de médula ósea pueden curar a aquellos que pueden encontrar un donante compatible.

Enfermedad de Células Falciformes

La enfermedad de células falciformes hace que los glóbulos rojos adquieran una forma similar a la de una hoz, lo que los hace frágiles y menos capaces de transportar oxígeno. Esta forma anormal de los glóbulos rojos puede llevar a varias complicaciones, incluyendo crisis de dolor, anemia y daño a órganos vitales. Algunas 100,000 personas negras en los EE. UU. están afectadas por la enfermedad.

Tecnología CRISPR

CRISPR, la tecnología de edición de genes que ha revolucionado la investigación biológica, finalmente está disponible como tratamiento médico con aprobación regulatoria. [La tecnología CRISPR permite a los científicos hacer cambios precisos en el ADN de las células](#), lo que puede ser utilizado para corregir mutaciones que causan enfermedades. Esta tecnología fue desarrollada en la Universidad de California, Berkeley, y ahora ha sido aprobada para ensayos clínicos para corregir las mutaciones genéticas responsables de la enfermedad de células falciformes.

Impacto Global del tratamiento CRISPR para células falciformes

La decisión de la FDA convierte a Estados Unidos en el segundo país en aprobar una terapia CRISPR, tras la aprobación de exa-cel para la enfermedad de células falciformes en el Reino Unido en noviembre. Esto demuestra el impacto global de la tecnología CRISPR y su potencial para transformar el tratamiento de enfermedades genéticas en todo el mundo. La aprobación de la FDA establece el escenario para las aprobaciones esperadas de la Administración de Alimentos y Medicamentos de los EE. UU. el 8 de diciembre para la enfermedad de células falciformes y para la β -talasemia el 30 de marzo de 2024.

Para seguir pensando

Aún es pronto para decir si el tratamiento será permanente y sin efectos secundarios. Sin embargo, los ensayos clínicos y la investigación en curso proporcionarán más información sobre la eficacia a largo plazo y la seguridad de estos tratamientos de edición genética. Los ensayos, que se espera que duren cuatro años, serán dirigidos por médicos en el Hospital Infantil Benioff de UCSF en Oakland y en el Centro de Investigación de Células Madre Broad de UCLA, quienes planean comenzar este verano a inscribir a seis adultos y tres adolescentes con enfermedad de células falciformes severa.