

Ya tenemos embriones humanos con genes corregidos

EDUARDO GARCÍA PEREGRÍN

DE LA ACADEMIA DE CIENCIAS MATEMÁTICAS FÍSICO-QUÍMICAS Y NATURALES DE GRANADA

Científicos de EE UU, Corea del Sur y China demuestran por primera vez en una investigación la eliminación de una enfermedad hereditaria en embriones humanos. Se trata de la llamada 'muerte súbita', una miocardiopatía hipertrófica causada por el error en una de las dos copias del gen MYBPC3

En febrero de 2016, en estas mismas páginas me planteaba una pregunta muy preocupante: ¿Vamos a 'editar' un ser humano? La base de esa interrogante era la autorización de la modificación genética de embriones humanos mediante la técnica de CRISPR/Cas9 que permite edición de genes mediante su eliminación, adición o cambio.

Aunque por entonces la técnica no parecía segura, su utilización abría la puerta para la corrección de miles de enfermedades. De esta forma, hace unos meses científicos chinos consiguieron corregir el gen que provoca un tipo de anemia: la beta-talasemia. Sin embargo, los problemas adicionales producidos en el genoma desaconsejaban su posible uso terapéutico.

Ahora, el pasado día 2, la revista Nature publica el trabajo de científicos de EE UU, Corea del Sur y China en el que demostraban por primera vez la eliminación de una enfermedad hereditaria en embriones humanos mediante esta técnica. Se trata de la llamada 'muerte súbita', una miocardiopatía hipertrófica causada por el error en una de las dos copias del gen MYBPC3. El éxito de este trabajo ha consistido en inyectar a la vez en óvulos sanos los espermatozoides portadores de la enfermedad y una secuencia CRISPR con la versión correcta del gen. El sistema utiliza la copia correcta del gen de la madre para dirigir la reparación del gen mutado paterno. Un 72% de los embriones obtenidos eran viables sin errores genéticos, si bien todos fueron destruidos como estaba previsto unos días después de su obtención. Aunque la eficiencia es alta, se pretende llegar al 90-100% de efectividad antes de aplicarla en clínica, para lo cual falta aún un gran camino como reconocen los propios autores. Además, el reciente trabajo ha corregido defectos genéticos de los espermatozoides pero se desconoce si sería igualmente efectivo actuando sobre genes de los óvulos. Y, en cualquier caso, la corrección solo sería posible si el embrión es heterocigótico para la mutación, es decir, si contiene una copia correcta del gen mutado que pueda servir como molde para corregir el defectuoso. De esta forma, el paso inminente del mismo equipo es prevenir ciertos tipos de cáncer, como el de mama y el de ovario, mediante la corrección de los genes BRCA1 y 2 implicados en ellos.

S. Mitalipov, uno de los principales investigadores del grupo, ha declarado que queda un largo camino por recorrer que requerirá acuerdos parlamentarios para cambiar las leyes en EE UU y otros muchos países. De hecho, la presente investigación contraviene el Convenio de Oviedo, firmado por España y otros países, aunque no por aquellos que han participado en la misma. El español C. Izpisua, participante también en el ensayo, ha propuesto dos futuras aplicaciones de esta tecnología. Una de ellas se-

ría la corrección del gen defectuoso en los precursores de los gametos y no en el embrión, con lo que se evitarían ciertos problemas éticos. Otra aplicación, mucho más lejana y problemática, sería usar el CRISPR en el útero para corregir en el feto algunas enfermedades como la trisomía 21 (Síndrome de Down), por lo menos en algunos de los órganos más afectados como el cerebro o el corazón.

Hace sólo unas semanas, la Fundación BEVA Fronteras del Conocimiento, premiaba a los tres científicos artífices del CRISPR: el español F. Mojica, la sueca E. Charpentier y la americana J. Doudna. Los tres se mostraban muy preocupados por los usos inadecuados de la técnica, afirmando que «es necesario desarrollar un consenso global sobre lo que debemos hacer y lo que no, y estar vigilantes para que prácticas inadecuadas no acaben antes de tiempo con la reputación de esta tecnología».

En este sentido, ya han sido varias las ocasiones en que grupos de expertos de diferentes nacionalidades se han reunido para estudiar las implicaciones éticas de esta técnica. En la última, celebrada en febrero de 2017, se emitió un informe parecido al de

2015 pero mucho más tajante: se decidió apoyar la modificación genética en embriones humanos pero sólo para tratar una enfermedad y si no existen otras alternativas razonables. A pesar de la preocupación por la idea de crear 'niños a la carta' o 'bebés diseño', son muchos los beneficios que puede generar el uso del CRISPR en la curación de enfermedades. Aunque todavía son muchas las limitaciones científicas y legales que hay que superar para la implantación de los embriones modificados, la técnica solo es aplicable por ahora en enfermedades producidas por defectos en un solo gen. Podríamos decir que 'por suerte' son muy pocos los rasgos humanos controlados por un solo gen: en la mayoría de los caracteres que se podrían intentar diseñar (inteligencia, personalidad, habilidades técnicas o artísticas, etc.) están implicados multitud de genes e interacciones gen-ambiente, cuyo conocimiento está aun muy lejano.

Hay otros aspectos que preocupan a científicos y juristas. Varios miembros del Comité de Bioética de la Unesco han alertado sobre los criterios de seguridad que no parecen cumplirse, así como sobre el hecho de que se está actuando sobre un embrión, pudiendo determinar su futuro como ser humano sin que él haya podido participar en la toma de decisiones. Otra cosa sería actuar en mayores de edad, capaces de asumir los riesgos de la intervención. Pero siempre quedarán preguntas por contestar: ¿Hay que poner límites a estos ensayos? ¿Quién y cómo los tiene que establecer? ¿Dónde y cómo señalar la diferencia entre enfermedad e imperfección? ¿Será una técnica asequible sólo a personas con suficientes medios económicos? ¿Crearé el derecho de cualquier persona a su utilización?

