La edición genética muestra su primer éxito en pacientes de cáncer

*Un estudio con* ***CRISPR*** *en personas con* ***tumores intratables*** *revela que la terapia es factible y segura*

NUÑO DOMÍNGUEZ, El País, 7 FEB 2020

El sistema de **edición genética** inspirado en un descubrimiento que el español Francis Mojica hizo estudiando microbios en las **salinas de Santa Pola** acaba de demostrar por primera vez que puede ser una herramienta útil contra el cáncer. Un estudio publicado hoy en **Science** muestra que la técnica de edición genética **CRISPR** permite editar el **genoma de células** del propio paciente y que esta metodología es viable y segura.

The genetic editing system inspired by a discovery that the Spani Francis Mojica made studying microbes in the Santa Pola salt flats (Alicante, Spain), has just shown for the first time that it can be a useful tool against the treatment of cancer. A study published in (7th february) Science shows that the CRISPR gene editing technique makes it possible to edit the genome of the patient's own cells and that this method is feasible and safe.

(…)

En 2003, Francis Mojica descubrió que **microbios de las salinas** de **Santa Pola** guardaban en su genoma el retrato robot de ciertos virus que les permitían identificar a los patógenos y **combatirlos**. Una década después, Jennifer Doudna y Emmanuelle Charpentier se inspiraron en ese descubrimiento para desarrollar **CRISPR**, una **herramienta molecular** que permite editar fragmentos de **ADN** en el genoma de cualquier ser vivo con una facilidad sin precedentes. La técnica supuso toda una revolución en investigación, pues permitía no solo entender mucho mejor el funcionamiento genético de cualquier ser vivo, sino también modificarlo para diseñar microbios y otros seres vivos con funciones que hasta ese momento no existían en la naturaleza.

In 2003, Francis Mojica discovered that microbes from the Santa Pola salt flats stored in their genome the sketch of certain viruses that allowed them to identify pathogens and fight them.

A decade later, Jennifer Doudna and Emmanuelle Charpentier were inspired by this discovery to develop CRISPR, a molecular tool that can be used to edit DNA fragments in the genome of any living being with unprecedented ease. The technique was a revolution in research, as it not only allowed to understand much better the genetic functioning of any living being, but also to modify it to design microbes and other living beings with functions that until then, did not exist in nature.

(…)

El equipo de June extrajo **linfocitos T**, un tipo de **célula inmune**, de la sangre de los pacientes y usó **CRISPR** para introducir en ellas tres cambios genéticos que potencian su capacidad de reconocer a las **células tumorales** y atacarlas. El nombre que han dado a estas células humanas modificadas es **NYCE**, unas siglas casi idénticas a la palabra amable en inglés. Estas células hacen honor a su nombre. En primer lugar, han sido modificadas con **CRISPR**, que usa una guía de **ARN** —la molécula encargada de leer el **ADN** y traducirlo a proteína— para encontrar y modificar tres genes —**PDCD1, TRAC** y **TRBC**— que en condiciones normales podrían impedir a las células del sistema inmune atacar a las **células tumorales**. Además, en un segundo paso se introduce en las células un **vector viral** que permite la **expresión de una proteína** que facilita que los linfocitos identifiquen un rasgo característico de las **células tumorales**. En definitiva, se trata de una versión mejorada de inmunoterapia mediada en parte por la técnica de edición genética **CRISPR**.

June's team extracted T lymphocytes, a type of immune cell, from the patients' blood and used CRISPR to introduce three genetic changes into them that enhance their ability to recognize and attack tumor cells. The name they have given to these modified human cells is NYCE, an acronym almost identical to the English word for nice. These cells live up to their name. In the first place, they have been modified with CRISPR, which uses an RNA guide - the molecule in charge of reading DNA and translating it into protein - to find and modify three genes - PDCD1, TRAC and TRBC - that under normal conditions could prevent the Cells of the immune system attack tumor cells. In addition, in a second step, a viral vector is introduced into the cells that allows the expression of a protein that makes it easier for lymphocytes to identify a characteristic feature of tumor cells. Ultimately, it is an improved version of immunotherapy mediated in part by the CRISPR gene editing technique.

Name: Alba Chouza Cruces

Title: A versatile system for rapid multiplex genome-edited CAR T cell generation

Source: [National Center for Biotechnology Information](https://www.ncbi.nlm.nih.gov/)

<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5370017/> 09/02/2017