

La edición del ADN, premio Fronteras del Conocimiento en Biomedicina

Emmanuelle Charpentier, Jennifer Doudna y Francisco Martínez Mojica han sido galardonados hoy con el premio Fundación BBVA Fronteras del Conocimiento en Biomedicina por hacer posible la modificación del genoma "con una precisión sin precedentes". Mientras Martínez Mojica identificó la secuencia CRISPR en microorganismos; Charpentier y Doudna demostraron su uso potencial como herramienta universal de edición genómica.

SINC

31/1/2017 12:15 CEST



De izqda. a dcha.: Emmanuelle Charpentier, Jennifer Doudna y Francisco Martínez Mojica

El Premio Fundación BBVA Fronteras del Conocimiento en la categoría de Biomedicina ha sido concedido en su novena edición a Emmanuelle Charpentier, Jennifer Doudna y Francisco Martínez Mojica, cuyo trabajo pionero ha impulsado "la revolución biológica creada por las técnicas CRISPR Cas9".

El CRISPR Cas9 es capaz de editar el genoma mediante un mecanismo que 'corta y pega' secuencias de ADN

Para los expertos, estas herramientas permiten modificar el genoma 'con una precisión sin precedentes', y de forma mucho más sencilla y barata que cualquier otro método anterior. Así, el [CRISPR Cas9](#) es capaz de editar el genoma mediante un mecanismo que 'corta y pega' secuencias de ADN.

Como indica la nota de prensa emitida por la institución, "se trata de una tecnología tan eficaz que se ha difundido con insólita rapidez entre laboratorios de todo el mundo, como herramienta para entender la función de los genes y tratar enfermedades".

El jurado, integrado por ocho expertos europeos y estadounidenses, ha resaltado la importancia en el desarrollo de esta técnica de la investigación básica, "movida únicamente por la curiosidad", en palabras de Robin Lovell-Badge, del Instituto Francis Crick de Londres (Reino Unido).

Lovell-Badge y su colega Dario Alessi, de la Universidad de Dundee (Reino Unido), han subrayado en particular la visión y perseverancia de [Martínez Mojica](#) a la hora de investigar un problema biológico al que inicialmente nadie prestaba atención, y que ha acabado generando una técnica revolucionaria.

"Martínez Mojica identificó la secuencia CRISPR en microorganismos, y descubrió que se trataba de un sistema de defensa contra los virus; Charpentier y Doudna elucidaron el mecanismo molecular de CRISPR Cas9 y demostraron que tenía un uso potencial como herramienta universal de edición genómica, abriendo así la puerta a multitud de aplicaciones en prácticamente cualquier organismo", subraya el acta.

Desde su creación como técnica de edición genómica en 2012, CRISPR Cas9 se utiliza para buscar nuevos tratamientos contra numerosas enfermedades –incluyendo el cáncer y el sida–, así como para obtener nuevas variedades vegetales o en aplicaciones medioambientales.



Francisco Martínez Mojica. / Fundación BBVA

La técnica recorta considerablemente –de años a semanas– el tiempo necesario hasta ahora para alterar el genoma a voluntad, y muchos se han referido a ella como ‘la democratización de la edición genética’ porque ha colocado esta tecnología al alcance de cualquier laboratorio de biología molecular.

Laboratorios en China y EE UU han empezado a usarla ya, o lo harán en breve, en ensayos clínicos con humanos de tratamientos contra diversos tipos de cáncer. Si estas pruebas demuestran que es seguro editar el genoma en humanos, pronto podrían empezar a ensayarse tratamientos basados en CRISPR Cas9 contra muchas otras enfermedades.

Una técnica de origen español

Esta revolucionaria herramienta de edición genética nació en España. Francisco Juan Martínez Mojica (Elche, 1963), microbiólogo de la Universidad de Alicante, es quien acuñó el término CRISPR y el autor, en 2003, del descubrimiento básico que dio origen a la técnica.

Al estudiar el genoma de distintos microorganismos, descubrió que las secuencias repetidas a intervalos regulares son muy abundantes en todo el

mundo microbiano. Las secuencias repetidas forman parte de un sistema inmunitario de los microorganismos, un mecanismo de defensa que recuerda a los enemigos y actúa contra ellos, y además transmite esa memoria a la siguiente generación.

Los científicos confían en esta herramienta para curar enfermedades genéticas, como la anemia falciforme

Así pues, el CRISPR de los microorganismos viene a ser una vacuna genética. “El descubrimiento de que los microorganismos tienen un sistema de defensa, como nosotros, fue totalmente sorprendente e inesperado”, asegura Mojica.

El hallazgo despertó un interés creciente por el CRISPR, con grupos de todo el mundo compitiendo por tratar de describir exactamente su funcionamiento. La contribución de Emmanuelle Charpentier (Juvisy-sur-Orge, Francia, 1968) y Jennifer Doudna (Washington D.C. EE UU, 1964) consistió en proponer el desarrollo de una técnica precisa de edición genómica a partir de este hallazgo.

A finales de la década de 2000, Charpentier investigaba la función de un tipo de moléculas en la activación de genes, un trabajo fundamentalmente básico que la llevó a descubrir una molécula clave en el sistema CRISPR Cas9. Para conocer la estructura tridimensional de esa molécula, Charpentier contactó en 2011 con Doudna, y ambas decidieron colaborar.

En 2012, ya habían conseguido reproducir artificialmente el sistema CRISPR Cas9. Charpentier y Doudna reprodujeron ese mecanismo en el laboratorio, y demostraron que puede ser usado como “una potente herramienta de edición genómica que puede ser programada para reconocer cualquier fragmento de ADN”, sostiene Charpentier.

Doudna confía en el potencial de esta técnica en el campo de la biomedicina “para la investigación básica y avanzada sobre la actividad celular, pero también como una herramienta para curar enfermedades genéticas”. La

investigadora de Berkeley cree que algunas de sus primeras aplicaciones “se centrarán en la mutación genética que causa la anemia falciforme, así como enfermedades que afectan al ojo”.

Derechos: **Creative Commons**

TAGS

CRISPR/CAS9 | PREMIO | BBVA | EDICIÓN GENÉTICA | ENFERMEDAD |

Creative Commons 4.0

Puedes copiar, difundir y transformar los contenidos de SINC. [Lee las condiciones de nuestra licencia](#)