

EMMANUELLE CHARPENTIER, COINVENTORA DE LA NUEVA TÉCNICA DE EDICIÓN GENÉTICA

“Ningún premio podrá sustituir las sensaciones vividas con mi equipo al desarrollar CRISPR Cas9”

Ávida de nuevos descubrimientos e insaciable investigadora, la francesa Emmanuelle Charpentier es una de las científicas más reconocidas por el desarrollo de la herramienta CRISPR Cas9 de corta-pega genético. Aunque la técnica esté en constante evolución, Charpentier espera que en unos años su laboratorio produzca hallazgos más allá de una tecnología que modifique el ADN para tratar enfermedades causadas por bacterias resistentes a antibióticos.

[Adeline Marcos](#)

29/7/2017 08:00 CEST



Emmanuelle Charpentier, en la sede de la Fundación BBVA donde recibió en premio Fronteras del Conocimiento el pasado mes de junio. / Olmo Calvo/Sinc

Durante algún tiempo, Emmanuelle Charpentier (Juvisy-sur-Orge, Francia, 1968) ni siquiera sabía cómo pronunciar el nombre de CRISPR en francés porque aún no estaba en contacto con los científicos que ya trabajaban en el sistema de edición genética. En su laboratorio, todos lo decían como ella, a

la francesa.

Desde entonces, Charpentier ha descifrado los mecanismos moleculares del sistema inmunológico bacteriano CRISPR Cas9, y ahora su nombre está ligado al de esta herramienta. En los últimos años, la científica, que es desde 2015 directora del Instituto Max Planck de Biología de la Infección en Berlín, ha recibido una quincena de premios, como el de la [Fundación BBVA Fronteras del Conocimiento](#) el pasado mes de junio.

“El desarrollo de CRISPR Cas9 se hará a medida, como si comparáramos el prêt-à-porter a la alta costura”

¿Cómo se adentró en el mundo de CRISPR?

Mi laboratorio decidió trabajar sobre CRISPR para estudiar las moléculas de ARN que pueden tener funciones reguladoras sobre la expresión de los genes en las bacterias. El enfoque inicial fue estudiar los mecanismos de regulación por el ARN con el patógeno *Streptococcus pyogenes*. Esto permitiría explicar cómo las bacterias pueden causar enfermedades en los seres humanos. Fue así, centrándome en estas moléculas de ARN, como llegué a CRISPR, que en realidad es un sistema que utiliza estas moléculas para programarse.

¿Con qué grupos de investigación contactó primero?

Primero trabajamos sobre CRISPR Cas9 solos y luego en colaboración con el grupo del microbiólogo molecular [Jörg Vogel](#), que en ese momento trabajaba en el Instituto Max Planck de Biología de la Infección en Berlín (Alemania), para utilizar una tecnología capaz de detectar nuevas moléculas de ARN. Tuvimos la suerte de darnos cuenta de que el mecanismo no era conocido, y nos centramos en él. Es en nuestro laboratorio donde realmente desarrollamos el proyecto para comprenderlo, y claro, eso implicaba desde el principio leer las publicaciones científicas que describían algunos elementos sobre CRISPR y su evolución.

Teniendo en cuenta ahora todas las aplicaciones y oportunidades que

**ofrece hoy la tecnología, parece que no estamos más que al principio.
¿Cómo va a evolucionar?**

La tecnología será cada vez más precisa y permitirá que otras –las que apliquen CRISPR Cas9 a la célula o al tejido correcto– evolucionen en paralelo. Ya no es solo el hecho de que esta técnica funcione, sino que tiene que llegar al núcleo de la célula, y para esta aplicación existen diferentes métodos que son específicos de varios tipos de células y organismos. Lo que veo es que el desarrollo de esta tecnología se hará teniendo en cuenta la diversidad del mundo biológico a estudiar. Este desarrollo se hará por tanto a medida, como si comparáramos el prêt-à-porter a la alta costura. El diseño del ADN se hará de forma muy precisa para ciertas células y la elaboración seguirá muchos protocolos dentro de la biología, la biomedicina e incluso la agricultura.

“Esta herramienta de edición genética puede ser más interesante que otras porque es particularmente muy versátil”

¿Qué ha representado el hallazgo de CRISPR Cas9 para la investigación en biología?

Todas las herramientas que los biólogos utilizan en sus laboratorios tienen su origen en la investigación fundamental sobre las bacterias y los virus, que ha llevado al descubrimiento de enzimas y proteínas utilizadas en biología molecular y genética desde hace 50 años. Todos estos mecanismos forman parte de la ‘caja de herramientas’ de los biólogos. CRISPR Cas9 es en realidad la herramienta más reciente. Puede ser más interesante que otras porque es particularmente muy versátil, al adaptarse a diferentes tipos de modificación de ADN, de expresión de ADN, etc. Las aplicaciones son muy amplias. Espero que en el futuro surjan otros sistemas a partir de mecanismos bacterianos y víricos que también se puedan utilizar como herramientas adicionales en esta caja.



Emmanuelle Charpentier en Madrid. / Olmo Calvo/Sinc

Las aplicaciones parecen infinitas: desde mejorar y tratar enfermedades como el cáncer y el sida, hasta crear bebés a medida. Aunque CRISPR Cas9 sea la técnica más precisa, ¿qué límites u obstáculos existen?

Tanto los límites como los obstáculos están relacionados justamente con la precisión de la herramienta. La técnica debe ser desarrollada de manera precisa en relación al gen que se va a modificar. A veces hay algunas 'recetas' que mejoran y esto exige tiempo y trabajo a los investigadores. Por otra parte, hay un tema de seguridad: que la tecnología que sea capaz de dirigir CRISPR Cas9 a la célula correcta sea segura.

“El objetivo es tratar a los pacientes y encontrar nuevas estrategias para desarrollar nuevos tipos de medicamentos”

En este sentido, un estudio reciente ha mostrado que la técnica podría crear mutaciones involuntarias en el genoma...

Sí, aunque ha sido muy controvertido, pero no es el primero. Hace cuatro

años, al principio de la aplicación de la tecnología, aparecieron otros trabajos que demostraban que la técnica podía cambiar porciones del ADN del genoma, aparte del ADN que debe ser modificado. Pero desde entonces, la tecnología ha sido adaptada, existe mucha más información sobre la cantidad de proteínas y ARN a liberar y cómo hacerlo. Se han hecho muchos esfuerzos al respecto.

En cuanto a los límites éticos del uso de CRISPR Cas9, para muchos científicos la cuestión ya no es si habrá un bebé CRISPR, sino cuándo y dónde se hará. ¿Qué peligros podría tener esta utilización?

El peligro está en las aplicaciones que no estén dentro del objetivo de CRISPR Cas9, una herramienta destinada a intervenciones preventivas o terapéuticas en el ámbito de la biomedicina. Se dirige a células humanas somáticas, no a las líneas germinales. El objetivo es tratar a los pacientes y encontrar nuevas estrategias para desarrollar nuevos tipos de medicamentos. La técnica no es para otra cosa.

Sin entrar en los aspectos jurídicos relacionados con la batalla de patentes sobre este sistema, ¿cree que puede perjudicar de alguna manera al desarrollo de la investigación?

No, no lo pienso. Se ha observado desde el principio un fenómeno muy bonito. Se ha demostrado rápidamente que la tecnología era eficaz y funcionaba muy bien para la modificación genética de un gran número de células y organismos. Se ha generado también muy rápido un gran entusiasmo, incluso en el ámbito de las farmacéuticas y empresas biotecnológicas. Nadie se ha visto obstaculizado por problemas de transferencia de patentes. Todo el mundo continúa e impulsa el desarrollo y la investigación sobre CRISPR Cas9. Pero también se produce un efecto que para mí es negativo en esta batalla, y es que para los investigadores es siempre un poco decepcionante que haya temas de propiedad intelectual que puedan "manchar" una bonita historia.

¿Piensa que algún día un nuevo hallazgo tomará el relevo de esta técnica?

Como soy una bióloga que ama el descubrimiento, y anticiparse y aportar nuevos conocimientos y tecnologías, espero que un día la investigación

fundamental sobre las bacterias demuestre que hay otros sistemas, aparte de CRISPR Cas9, que puedan desarrollarse como herramienta eficaz. Pero también pienso que este sistema es único en cuanto a su versatilidad y eficacia. Es la primera herramienta que puede modificar el ADN y su expresión, así como marcarlo; todo en uno. Es como un cuchillo suizo con el que se pueden hacer muchas cosas. CRISPR Cas9 de por sí ya es una institución. La tecnología es por sí sola una caja de herramientas muy eficaz.

"Espero encontrar nuevas estrategias que permitan tratar enfermedades causadas por bacterias resistentes a antibióticos"

¿Podrá surgir de nuevo algo tan revolucionario?

Sí, espero que haya nuevos desarrollos y que mi investigación aporte en 10 o 20 años –si sigo estando activa [risas]– hallazgos más allá de una tecnología que modifique el ADN. Espero encontrar nuevas estrategias que permitan tratar enfermedades causadas por bacterias resistentes a antibióticos. Pero el objetivo de mi trabajo siempre ha sido entender las bacterias en dos aspectos: saber que son uno de los elementos empleados en biología molecular para identificar los genomas, y comprender cómo producen enfermedades para desarrollar estrategias ‘antiinfecciones’. Siempre ha habido un aspecto médico en el objetivo de mi investigación fundamental.

No deja de recibir reconocimiento por el hallazgo de CRISPR Cas9. ¿El premio Nobel sería el culmen de su carrera?

No considero los premios como el sùmmum de mi carrera. Lo son más bien los descubrimientos. El desarrollo de este hallazgo ha sido la mejor sensación. Ahora CRISPR está recibiendo muchos premios y tiendo a valorar cada uno de ellos porque detrás hay fundaciones y personas que quieren destacar la importancia de la investigación. Es cierto que el Nobel es considerado como el más importante y conocido. Por lo que oigo desde hace tiempo, imagino que el comité en un momento u otro –ahora, en 10 años o en 20 años– reconocerá la investigación sobre CRISPR, pero será

decisión suya qué aspectos y qué científicos premiará. Pero una vez más, nada podrá sustituir las sensaciones que he experimentado con los miembros de mi equipo en los diferentes momentos que han permitido establecer lo que es CRISPR Cas9.

Derechos: **Creative Commons**

TAGS

CAS9 | BACTERIAS | CRISPR | HERRAMIENTA | EDICIÓN GENÉTICA | NOBEL |

Creative Commons 4.0

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