

Trasplante de células hematopoyéticas con mitocondrias «sanas» para tratar enfermedades mitocondriales

Un grupo de investigadores de Israel han desarrollado un programa de tratamiento compasivo en un grupo de seis pacientes con síndromes de delección de ADN mitocondrial. Estos síndromes pueden causar un arco de diversas afecciones en todos los grupos etarios, como el síndrome de Pearson a edades tempranas o el de Kearns-Sayre, en personas mayores. Implican a aparato digestivo, endocrino, renal, etc. No existen terapias que modifiquen el curso de la enfermedad, por lo que se diseñó un programa compasivo.

Se enriquecieron células hematopoyéticas (CD34 autólogos) con mitocondrias no defectuosas y se trasplantaron, mostrándose una buena tolerancia. Se pudieron obtener mejor función aeróbica, aumento ponderal e incluso unos mejores parámetros en la calidad de vida de estos pacientes.

Esta terapia puede abrir puertas para el **tratamiento de estos pacientes con desórdenes de ADN mitocondrial**.

Leer más: <https://www.science.org/doi/10.1126/scitranslmed.abo3724#tab-contributors>

Las enfermedades mitocondriales suponen un reto por derivar de defectos en material genético extranuclear y extracromosómicos, material que proviene de la línea materna.

Se conocían estudios previos ligados a la fecundación in vitro con manipulación pregestacional de embriones, de tal manera que fecundaban-producían embriones con tres orígenes genéticos: paterno, materno cromosómico y otro materno mitocondrial. El tri-embrión además cuenta con sentencias favorables para su manipulación en el Reino Unido, país que se mantiene al margen del Convenio de Oviedo sobre investigación sobre seres humanos.

Esta nueva línea investigadora aúna innovación y respeto, al centrarse en los pacientes y procurar su beneficio, y evitar la generación o manipulación de nuevos embriones que simplemente serían instrumentalizados en las técnicas in vitro. .