

# Presentación

## Presentación

### PREMIO NOBEL EN QUÍMICA 2020 Editando genes con CRISPR-Cas9\*

**Kira Welter**

Wiley-VCH, 47877-Alemania

kwelter@wiley.com

La tijera genética CRISPR-Cas9 es considerada un arma infalible en la bioquímica. Con este método es posible modificar el material genético en humanos, animales, plantas y microorganismos con una precisión, rapidez y simplicidad inigualables. Todo esto la convierte en una portadora de esperanza en las áreas de la medicina y la agroindustria.



**Tijera genética**

El año, cuando Jennifer Doudna y Emmanuelle Charpentier presentaron el procedimiento por primera vez, muchos científicos supieron que se trataba de una revolución en la ingeniería genética. Ahora, varios años después, las dos científicas han recibido el Premio Nobel de Química por este importante descubrimiento. Con la ayuda de la técnica CRISPR-Cas9 es posible investigar el origen de enfermedades como la diabetes o el Alzheimer o cultivar plantas que sean más resistentes al calor, la sequía o varios tipos de parásitos. El potencial de la tijera genética pareciera ser ilimitado, pero este método también podría ser usado para "confeccionar" seres humanos al gusto, lo cual genera muchas interrogantes éticas y ya ha causado varios conflictos legales.



**Emmanuelle Charpentier** [Instituto Max Planck, Centro de Investigación para la Ciencia de los Agentes Patógenos. Hallbauer & Fioretti, Braunschweig, Alemania] y **Jennifer A. Doudna** [Universidad de California, USA] **recibieron el Premio Nobel en Química 2020.**

La técnica que fue honrada el año pasado con el Premio Nobel en Química ha aparecido varias veces en los titulares de las noticias. Durante los últimos años, el enorme potencial del método CRISPR-Cas9 ha sido oscurecido varias veces por diversos escándalos. El caso más conocido es una noticia proveniente de China diciendo que un científico local había supuestamente creado los primeros bebés manipulados genéticamente. Las alegaciones del investigador generaron indignación a nivel mundial en el 2018, pero también ha habido largas disputas sobre patentes entre instituciones estadounidenses [4] que han contribuido a disminuir la emoción relacionada con este revolucionario descubrimiento. Lo cierto es que la tijera genética abre innumerables oportunidades en la medicina. El procedimiento ya ha sido utilizado para tratar pacientes con enfermedades hereditarias como la anemia de células falciformes —una alteración crónica de la sangre que hace que los glóbulos rojos se deformen hasta adquirir apariencia de hoz. Un grupo de científicos también logró modificar las células T del sistema inmune empleando este método para tratar un paciente con cáncer. Las ganadoras del Premio Nobel en Química 2020, Jennifer Doudna y Emmanuelle Charpentier, contribuyeron con su trabajo en forma decisiva a esta revolución genética.

### **El descubrimiento del sistema CRISPR-Cas**

"Charpentier y Doudna fueron las primeras en definir todos los elementos necesarios para poder utilizar un sistema CRISPR-Cas9 bacteriano como herramienta de edición de genes en cualquier otro organismo," dice Lluís Montoliu, un experto en genética que trabaja en el Centro Nacional de Biotecnología (CNB-CSIC) en España. "El Premio Nobel es un reconocimiento muy merecido por sus logros y aportes en esta área." Pero Montoliu agrega que también hay otros científicos que han jugado un papel importante. Uno de ellos es el microbiólogo Francisco Mojica de la Universidad de Alicante. Sin él, no existiría CRISPR.

En 1993, el investigador español descubrió unas secuencias repetitivas de ADN inusuales en el genoma de la arquea *Haloferax mediterranei* (un organismo unicelular) y varios años después demostró que este tipo de secuencias están presentes en forma generalizada en los procariontes —organismos como las bacterias y las arqueas que no poseen un núcleo celular. En 1987, un grupo japonés había observado algo parecido en la bacteria *Escherichia coli*. En el año 2002, Mojica y el holandés Ruud Jansen introdujeron el concepto CRISPR (una abreviación de **C**lustered **R**egularly **I**nterspaced **S**hort **P**alindromic **R**epeats) para describir estas extrañas secuencias, las cuales están compuestas de sucesiones de bases que se repiten en intervalos regulares y asemejan palíndromos, o sea palabras como ama, oso o radar que se leen y escriben igual en ambas direcciones. Jansen también estuvo involucrado en la identificación de los genes asociados a CRISPR (llamados Cas). Esos son genes que siempre están presentes cerca de una secuencia CRISPR y juegan un papel importante en la función de la tijera genética.

**Una descripción más completa de este trabajo, está contenida en un artículo de este ejemplar de la revista.**