

# Profesor e investigador trabaja en posibles terapias contra el cáncer

**Adrián Kreiner, director de un laboratorio en Cold Spring Harbor Laboratory, de Nueva York, visitó La Serena para enseñar sus investigaciones sobre ARN mensajero y su aplicación en fármacos.**

En el auditorio del Centro de Diagnóstico Terapéutico (CDT) del Hospital de La Serena, el profesor uruguayo-estadounidense Adrián Kreiner, dictó la tarde de este lunes una charla magistral respecto de los avances en terapias genéticas.

En un salón al que asistieron autoridades sanitarias regionales, equipos científicos y público en general, los presentes acogieron con entusiasmo y aplaudieron la conferencia.

Esto, porque su visita no solo destaca el potencial de la investigación en biomedicina, sino también la relevancia de la cooperación global para enfrentar desafíos de salud complejos. Es más. Su trabajo continúa abriendo nuevas vías para tratamientos innovadores, incluyendo posibles terapias contra el cáncer.

## DESARROLLO DE MEDICAMENTO

Su laboratorio, en el Cold Spring Harbor Laboratory, de Nueva York, cuenta con proyectos enfocados en ciencia básica y aplicados a diversas enfermedades, utilizando una plataforma llamada Oligonucleótidos Antisentido o ASOS, que permiten modificar la expresión de

genes blancos con fines terapéuticos.

En colaboración con un par de compañías norteamericanas, Ionis y Biogen, desarrollaron un medicamento para la atrofia muscular espinal (AME), una enfermedad neurodegenerativa.

El fármaco, llamado Spinraza, fue aprobado en 2016 en Estados Unidos por la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA por sus siglas en inglés) y en 2017 por la Agencia Europea de Medicamentos, y ya se ha utilizado para el tratamiento efectivo de esta enfermedad en más de 15 mil pacientes. Actualmente se encuentran desarrollando una plataforma similar para generar fármacos contra otras enfermedades, incluyendo al cáncer.

**¿Podría explicar de manera sencilla qué es el splicing del ARN y por qué es tan importante en la expresión genética?**

Cada una de nuestras células tiene el mismo ADN, o sea, aproximadamente 20 mil genes, que son nuestro genoma, y cada uno de estos genes puede producir una o más proteínas. El ARN mensajero es un intermediario entre la información que está presente en el núcleo de la célula, que es el gen, y las

proteínas que codifican ese gen. El gen tiene la información necesaria que corresponde a la secuencia de una proteína, pero esa información está interrumpida por segmentos no codificantes.

**Entonces, en un primer paso, la información del ADN se copia al ARN en el núcleo...**

Claro, y de alguna manera hay que quitar esos elementos no codificantes, porque si no, no se puede traducir esa información para generar una proteína. Eso es lo que llamamos el splicing o corte empalme, en palabras simples, los segmentos no codificantes se eliminan y lo que queda se une para generar un mensajero maduro, que ya no tiene los segmentos no codificantes y solo tiene los segmentos codificantes. Y ahora sí se puede exportar al citoplasma y entonces se puede traducir para generar las proteínas. O sea, es un paso fundamental en lo que llamamos la expresión génica.

**¿Cuáles fueron los principales desafíos que enfrentó al estudiar el splicing y su relación con enfermedades genéticas?**

El tiempo, porque durante toda mi carrera científica estuve estudiando este proceso, que se descubrió en 1977. De hecho, se otorgó el premio Nobel a dos investigadores. Comencé a trabajar en el 82 para entender cómo funciona, cuál es la maquinaria celular, cómo se hace para cortar y empalmar el ARN. Ya en 2000 hubo avances en identificación de gen responsable por esta enfermedad, la AME, y se vio que hay dos genes respon-



*Un fármaco, llamado Spinraza, fue aprobado en 2016 en Estados Unidos por la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA) y en 2017 por la Agencia Europea de Medicamentos, y ya se ha utilizado para el tratamiento efectivo de esta enfermedad en más de 15 mil pacientes. Actualmente están desarrollando una plataforma similar para generar fármacos contra otras enfermedades, incluyendo al cáncer.*

sables, uno que no está presente en los pacientes y el otro que sí está, pero no produce la cantidad de proteína suficiente para la salud de las motoneuronas.

**En un mundo donde la ciencia avanza rápidamente, ¿cómo ve el rol de la colaboración internacional en el desarrollo de nuevas terapias?**

Encuentro que es un paso fundamental, porque a medida que avanza la ciencia, se precisa hacer un abordaje interdisciplinario extraordinario. Nadie tiene toda la experiencia necesaria para abordar temas con disciplinas y subdisciplinas tan diferentes. La colaboración es el método para hacerlo y, por supuesto, puede extenderse internacionalmente.