

CIENCIAS NATURALES: Ciencias de la Vida

# Crean dedos de zinc contra la enfermedad de Huntington



1 Like 3 Tweet 41

Las proteínas llamadas 'dedos de zinc', que existen de forma natural, son capaces de reconocer y unirse a secuencias específicas del ADN. Investigadores del Centro de Regulación Genómica han diseñado estructuras de este tipo que reconocen eficazmente las repeticiones de ADN características de la enfermedad de Huntington. El estudio aparece publicado esta semana en la web de la revista PNAS.

CRG | 09 octubre 2012 18:01

Investigadores del Centro de Regulación Genómica de Barcelona (CRG) han utilizado las proteínas llamadas 'dedos de zinc' para reducir la expresión del gen mutante implicado en la enfermedad de Huntington y retardar su avance en ratones. El estudio fue publicado ayer en la revista *Proceedings of the National Academy of Sciences* (PNAS).

La enfermedad de Huntington, genética y hereditaria, está ocasionada por la múltiple repetición de una secuencia de ADN en el gen que codifica una proteína llamada huntingtina. En las personas que no sufren la enfermedad, esta secuencia se encuentra repetida entre 10 y 29 veces, pero en un enfermo, el triplete se encuentra más de 35 veces.

La huntingtina se encuentra en varios tejidos del cuerpo humano, y es esencial para el desarrollo y la supervivencia de las neuronas en el adulto. Cuando el gen mutante está presente, se fabrica una forma aberrante, causante de los síntomas de la enfermedad –movimientos involuntarios, cambios en el comportamiento y demencia–. Aunque hay estudios prometedores, actualmente no existe cura, solo tratamientos paliativos de los síntomas, y los pacientes de Huntington mueren alrededor de 15 años después de la aparición de los primeros síntomas.

A diferencia de otras enfermedades neurodegenerativas, como el alzhéimer y el párkinson, un solo gen es el causante de la enfermedad de Huntington. Por eso, una terapia basada en la inhibición del gen causante de esta dolencia abre las puertas a una nueva vía de investigación para el desarrollo de un tratamiento terapéutico.

**Al aplicar el tratamiento a un modelo de ratón que sufre la enfermedad, se observa un retraso en la aparición de los síntomas**

Una herramienta desarrollada en los últimos años por científicos de todo el mundo se basa en la modificación de unas proteínas que se encuentran de forma natural en todos los seres vivos. Estas proteínas, llamadas proteínas 'dedos de zinc' –o *Zinc Fingers*, por su nombre en inglés–, reconocen y se unen a secuencias específicas del ADN. Esto permite la regulación de los genes a los que están unidas.

"Hemos diseñado unos dedos de zinc que reconocen y se unen específicamente a repeticiones de más de 35 tripletes de CAG. Al unirse, impiden que el gen que contiene estas repeticiones se exprese, reduciendo la producción de la proteína huntingtina mutante. Al aplicar este tratamiento a un modelo de ratón que sufre la enfermedad, observamos un retraso en la aparición de los síntomas" comenta Mireia Garriga-Canut, primera autora del estudio e investigadora del grupo de Ingeniería de Red Génica del CRG.

Otra investigadora coautora del estudio, Carmen Agustí Pavón, añade que "el siguiente paso es optimizar el diseño para un tratamiento eficiente y duradero en pacientes. Esto abriría las puertas a una terapia de la enfermedad de Huntington".

La investigación fue financiada por el programa FP7 de la Comisión Europea y el Ministerio de Ciencia e Innovación de España.

**Referencia bibliográfica:**

Garriga-Canut, M. et al. Synthetic zinc finger repressors reduce mutant Huntingtin expression in the brain of R6/2 mice. *PNAS*. Early edition 8 of October 2012. doi:10.1073/pnas.1206506109

Localización: España

FOTOGRAFÍAS



Un ratón sano (izquierda) extiende y mueve sus extremidades para intentar liberarse cuando es alzado por la cola. Por el contrario, uno transgénico, que expresa la huntingtina mutante humana, se pliega en una postura característica signo de degeneración neurológica. Imagen: Carmen Agustín Pavón.

LO ÚLTIMO

**Un sistema portátil mantiene 10 horas los pulmones para un trasplante**

Los pulmones donados suelen preservarse a bajas temperaturas antes del trasplante. La fría temperatura reduce la descomposición del tejido, pero también puede provocar la degradación del órgano y que el proceso de trasplante sea más largo. Ahora, investigadores del Hospital Universitario Pue...

**El cambio global tiene consecuencias directas sobre los lagos de alta montaña**

Un estudio llevado a cabo por investigadores del Consejo Superior de Investigaciones Científicas demuestra que la actividad humana y el cambio global tienen consecuencias directas sobre los lagos de alta montaña.

**El viento obliga a aplazar el salto estratosférico de Baumgartner**

El salto estratosférico con el que el austriaco Felix Baumgartner pretendía convertirse en el primer humano en romper la barrera del sonido en una caída libre ha sido cancelado debido al excesivo viento y se volverá a intentar hoy. Así lo informó la televisión austriaca Servus TV,...

**Crean dedos de zinc contra la enfermedad de Huntington**

Las proteínas llamadas 'dedos de zinc', que existen de forma natural, son capaces de reconocer y unirse a secuencias específicas del ADN. Investigadores del Centro de Regulación Genómica han diseñado estructuras de este tipo que reconocen eficazmente las repeticiones de ADN característi...

**El cambio climático altera el equilibrio biogeoquímico de los lagos de alta montaña**

Un estudio llevado a cabo por investigadores del Consejo Superior de Investigaciones Científicas demuestra que la actividad humana y el cambio global tienen consecuencias directas sobre los lagos de alta montaña.

**"Para los científicos es muy importante cambiar de lugar de trabajo de vez en cuando"**

Simone Ecker (Grieskirchen, Austria, 1982) es bioinformática y está empezando su tesis doctoral en el Centro Nacional de Investigaciones Oncológicas (CNIO) gracias a una beca de la Fundación La Caixa. Acaba de ser premiada en su tierra natal, Austria y, pesar de las ofertas que le llegan desde al...

**Simone Ecker, investigadora en el CNIO: "Lo importante es ir al mejor sitio, esté dónde esté"**

Simone Ecker (Grieskirchen, Austria, 1982) es bioinformática y está empezando su tesis doctoral en el Centro Nacional de Investigaciones Oncológicas (CNIO) gracias a una beca de la Fundación La Caixa. Acaba de ser premiada en su tierra natal, Austria y, pesar de las ofertas que le llegan desde al...



PORTADA | ACTUALIDAD | CONFLICTO | MEDIOS | OPI-BLOGS | CULTURA | DEPORTES | SALUD | OCIO | VIVA LA VIDA | TECNOLOGÍA | MADRID

HA RETARDADO SU AVANCE EN RATONES

## Científicos españoles crean 'dedos de zinc' para combatir la enfermedad de Huntington

Europa Press

miércoles, 10 de octubre de 2012, 12:47

MADRID, 10 (EUROPA PRESS)

Investigadores del Centro de Regulación Genómica de Barcelona (CRG) han utilizado las proteínas llamadas 'dedos de zinc' para reducir la expresión del gen mutante implicado en la enfermedad de Huntington y retardar su avance en ratones, según informa en su último número la revista 'Proceedings of the National Academy of Sciences' (PNAS).

La enfermedad de Huntington, genética y hereditaria, está ocasionada por la múltiple repetición de una secuencia de ADN en el gen que codifica una proteína llamada huntingtina. En las personas que no sufren la enfermedad, esta secuencia se encuentra repetida entre 10 y 29 veces, pero en un enfermo, el triplete se encuentra más de 35 veces.

La huntingtina se encuentra en varios tejidos del cuerpo humano, y es esencial para el desarrollo y la supervivencia de las neuronas en el adulto. Cuando el gen mutante está presente, se fabrica una forma aberrante, causante de los síntomas de la enfermedad, caracterizada por movimientos involuntarios, cambios en el comportamiento y demencia.

Aunque hay estudios prometedores, actualmente no existe cura y solo tratamientos paliativos de los síntomas, y los pacientes de Huntington mueren alrededor de 15 años después de la aparición de los primeros síntomas.

A diferencia de otras enfermedades neurodegenerativas, como el Alzheimer y el Parkinson, un solo gen es el causante de la enfermedad de Huntington. Por eso, una terapia basada en la inhibición del gen causante de esta dolencia abre las puertas a una nueva vía de investigación para el desarrollo de un tratamiento terapéutico.

Una herramienta desarrollada en los últimos años por científicos de todo el mundo se basa en la modificación de unas proteínas que se encuentran de forma natural en todos los seres vivos.

Estas proteínas, llamadas proteínas 'dedos de zinc' --o Zinc Fingers, por su nombre en inglés--, reconocen y se unen a secuencias específicas del ADN. Esto permite la regulación de los genes a los que están unidas.

"Hemos diseñado unos dedos de zinc que reconocen y se unen específicamente a repeticiones de más de 35 tripletes de CAG. Al unirse, impiden que el gen que contiene estas repeticiones se exprese, reduciendo la producción de la proteína huntingtina mutante. Al aplicar este tratamiento a un modelo de ratón que sufre la enfermedad, observamos un retraso en la aparición de los síntomas", ha explicado Mireia Garriga-Canut, primera autora del estudio e investigadora del grupo de Ingeniería de Red Génica del CRG.

Otra investigadora coautora del estudio, Carmen Agustí Pavón, añade que "el siguiente paso es optimizar el diseño para un tratamiento eficiente y duradero en pacientes. Esto abriría las puertas a una terapia de la enfermedad de Huntington".

Recomendar 0

Twitter 1

0



ahora en portada



Hollande y Rajoy suman fuerzas ante la UE



María de Villota reaparece tras el accidente en el que volvió a nacer



El Ayuntamiento de San Sebastián incluye un 'tercer sexo' en sus formularios



Pederrol: 'Me siento catalán y español'



'Lecturas' roba el beso de Ramos y Pilar

La Reina, la baronesa y la duquesa, noche en la ópera

La Voz Libre en tu correo

¿Quieres recibir en tu correo lo más destacado que publicamos en La Voz Libre?

Correo-e

suscríbete



lavozlibre One Direction, en España: el 31 de octubre en Madrid

### Comentarios

Comenta esta información

Usuario:

Comentario:



## Noticias sobre Ciencias y Especialidades de la Salud



FISIOTERAPIA CONTACTAR PILATES EJERCICIOS FUNDACIÓN F.A.M.O.F ARTÍCULOS DE INTERÉS

IACES TERAPIAS MANUALES MÉTODOS TERAPEÚTICOS NEUROCIENCIAS SALUD ÚLTIMA HORA ESTUDIOS CIENTÍFICOS CLÍNICAS CURSOS POSTGRADO

javascript:void(0)



VISIÓN MÉDICA VIRTUAL - OFERTA PARA LOS ALUMNOS Y PROFESIONALES DE IACES

• [infórmate](#)



PARA TODOS LOS DEMÁS PROFESIONALES

• [Infórmate](#)



### ¿QUÉ ES VMV 3D?

Portal de Anatomía  
 Atlas de Anatomía completo en 3 dimensiones  
 Atlas de Histología con 75 cortes histológicos  
 Atlas de Radiología con más de 14.000 imágenes radiológicas  
 Galería de fotografías y renders  
 Rigor Científico  
 Para estudiantes/Docencia/Profesionales  
 Facilidad de uso  
 Diferentes niveles de acceso

Search



**Máster en SALUD EN LA MUJER** (Diagnóstico y Tratamiento de las Disfunciones pélvicas relacionadas con la mujer), con diez seminarios de fin de semana y un programa muy interesante, comienza en Enero 2013, y aun tiene plazas disponibles. Todos los interesados, tenéis la información en la web de **iaces** más información: [informacion@iac.es](mailto:informacion@iac.es)

Para todos aquellos que estéis interesados en hacer el Máster en Fisiostética, aun quedan plazas disponibles y ampliamos el periodo de inscripción hasta el 8 de noviembre de 2012. Toda la información en la web de **iaces** más información: [informacion@iac.es](mailto:informacion@iac.es)

Tribunales de Tesis para la Obtención del DO 2012

FAMOF la salud sin desigualdad

Accede al material educativo de E.O.M.

Nuevas sedes E.O.M.: Barcelona, Córdoba

Los cursos de I.A.C.E.S. ahora también están acreditados por la Fundación Tripartita

En breve saldrá en la revista European Osteopathic Journal el número correspondiente al cuatrimestre mayo-agosto

Ya están puestos los créditos correspondientes a los cursos de I.A.C.E.S.

Nueva publicación de la E.O.M.: Tratamiento Osteopático de la Mujer, más información: [axon@axon.es](mailto:axon@axon.es)

European Journal Osteopathy esta indexada en:  
 Elsevier.com  
 Complejo Hospitalario Universitario de Albacete, revistas electrónicas Colegio Profesional de Fisioterapeutas de Extremadura British School of Osteopathy

[Mostrar](#)

Escuela de Osteopatía de Madrid reconocida por la AACOM.ORG (America Association of Colleges of Osteopathic Medicine)

Escuela de Osteopatía de Madrid reconocida por Ostéopathes Professionnels Escuela

Acreditaciones Cursos IACES

.....



12:10 Daniel Enriquez de Guevara

### Crean dedos de zinc contra la enfermedad de Huntington

Las proteínas llamadas 'dedos de zinc', que existen de forma natural, son capaces de reconocer y unirse a secuencias específicas del ADN. Investigadores del Centro de Regulación Genómica han diseñado estructuras de este tipo que reconocen eficazmente las repeticiones de ADN características de la enfermedad de Huntington. El estudio aparece publicado esta semana en la web de la revista PNAS.

CRG | 09 octubre 2012 18:01



Investigadores del Centro de Regulación Genómica de Barcelona (CRG) han utilizado las proteínas llamadas 'dedos de zinc' para reducir la expresión del gen mutante implicado en la enfermedad de Huntington y retardar su avance en ratones. El estudio fue publicado ayer en la revista *Proceedings of the National Academy of Sciences* (PNAS).

La enfermedad de Huntington, genética y hereditaria, está ocasionada por la múltiple repetición de una secuencia de ADN en el gen que codifica una proteína llamada huntingtina. En las personas que no sufren la enfermedad, esta secuencia se encuentra repetida entre 10 y 29 veces, pero en un enfermo, el triplete se encuentra más de 35 veces.



¡Descárgate nuestros últimos números!

¡Descárgate nuestros últimos números!



Si quieres enviarnos tu estudio científico sobre Ciencias Clínicas. ¡**Infórmate sobre cómo hacerlo!**



SIGUENOS EN:

**CURSOS IACES**



**Cursos para fisioterapeutas, terapeutas y kinesiólogos**

**CURSOS PROPIOS**

**MASTERS**

La huntingtina se encuentra en varios tejidos del cuerpo humano, y es esencial para el desarrollo y la supervivencia de las neuronas en el adulto. Cuando el gen mutante está presente, se fabrica una forma aberrante, causante de los síntomas de la enfermedad –movimientos involuntarios, cambios en el comportamiento y demencia–. Aunque hay estudios prometedores, actualmente no existe cura, solo tratamientos paliativos de los síntomas, y los pacientes de Huntington mueren alrededor de 15 años después de la aparición de los primeros síntomas.

Una herramienta desarrollada en los últimos años por científicos de todo el mundo se basa en la modificación de unas proteínas que se encuentran de forma natural en todos los seres vivos. Estas proteínas, llamadas proteínas 'dedos de zinc' –o *Zinc Fingers*, por su nombre en inglés–, reconocen y se unen a secuencias específicas del ADN. Esto permite la regulación de los genes a los que están unidas. A diferencia de otras enfermedades neurodegenerativas, como el alzhéimer y el párkinson, un solo gen es el causante de la enfermedad de Huntington. Por eso, una terapia basada en la inhibición del gen causante de esta dolencia abre las puertas a una nueva vía de investigación para el desarrollo de un tratamiento terapéutico.

“Hemos diseñado unos dedos de zinc que reconocen y se unen específicamente a repeticiones de más de 35 tripletes de CAG. Al unirse, impiden que el gen que contiene estas repeticiones se exprese, reduciendo la producción de la proteína huntingtina mutante. Al aplicar este tratamiento a un modelo de ratón que sufre la enfermedad, observamos un retraso en la aparición de los síntomas” comenta Mireia Garriga-Canut, primera autora del estudio e investigadora del grupo de Ingeniería de Red Génica del CRG.

Otra investigadora coautora del estudio, Carmen Agustí Pavón, añade que “el siguiente paso es optimizar el diseño para un tratamiento eficiente y duradero en pacientes. Esto abriría las puertas a una terapia de la enfermedad de Huntington”.

La investigación fue financiada por el programa FP7 de la Comisión Europea y el Ministerio de Ciencia e Innovación de España.

**Referencia bibliográfica:**

Garriga-Canut, M. et al. Synthetic zinc finger repressors reduce mutant Huntingtin expression in the brain of R6/2 mice. *PNAS*. Early edition 8 of October 2012. doi:10.1073/pnas.1206506109

**CURSO EOM ESPAÑA**

**Cerrado el plazo de inscripción**



**CURSOS IACES/EOM**



**CURSO EOM ARGENTINA**



*Más info...*

E-mail: [marcelo.munoz@uinsam.edu.ar](mailto:marcelo.munoz@uinsam.edu.ar)  
 Teléfono: 011-15-3115-1520 y desde el extranjero: 0054 9 113115 1520

*Más info...*

[posgrado@iugr.edu.ar](mailto:posgrado@iugr.edu.ar)

Coordinador: Raúl Beribe

Secretaría: Sra. Graciela Brunori

**CURSO EOM BRASIL**



**0 COMENTARIOS:**

**PUBLICAR UN COMENTARIO EN LA ENTRADA**

Introduce tu comentario...

Comentar como: Seleccionar perfil...

**Publicar** **Vista previa**

**ENLACES A ESTA ENTRADA**

Crear un enlace

**CURSOS PROPIOS**

**MATER EN FISIOESTÉTICA**

Máster en FISIOTER

**CURSOS PROPIOS**

**CURSO NUTRICIÓN, INFLAMACIÓN Y EVOLUCIÓN**

**CURSOS PROPIOS**

**MASTER EN TRATAMIENTO DE LAS DISFUNCIONES PÉLVICAS RELACIONADAS CON LA MUJER**



**cursos, noticias, eventos ... y mucho más**



**¡Es totalmente gratuito, te llevará un minuto!**

**ARTÍCULOS**

La Punción Seca, muy Eficaz para Inactivar los PMG  
 Se ha revelado como una técnica muy eficaz para inactivar los PGM.... Seguir leyendo  
 Evaluación Comparativa de la Modificación de la Técnica de Joones Aplicada a "Tender Points" en el Trapecio Superior  
 Comparar la efectividad de la variación de la técnica de tensión/contra-tensión de Joones en el umbral..... Seguir leyendo  
 Aumento de la Obesidad y el Sobrepeso  
 En los últimos años se ha producido un aume d y el



**para fisioterapeutas, terapeutas, kinesiólogos, médicos, y enfermeros pide información en tu sede más cercana:**

- Escuela de Osteopatía de Madrid**
- CIMO (Francia)
- EOM Italia**
- EOM Portugal**
- Escuela Mexicana de Osteopatía**
- En México también se pueden cursar con la secundaria
- EOM Perú**
- EOM Brasil**
- EOM Argentina**
- EOM Chile**

Si vives en España pregunta en tu sede o pidenos información en [centralosteopatia@escuelaosteopatiamadrid.com](mailto:centralosteopatia@escuelaosteopatiamadrid.com)

Si vives en cualquier otro país latinoamericano, pregunta en la Sede Central o pidenos información en [centralosteopatia@escuelaosteopatiamadrid.com](mailto:centralosteopatia@escuelaosteopatiamadrid.com)

**¡Estaremos encantados de atenderte!**

ESCUELA DE OSTEOPATÍA DE MADRID (EOM)

CURSOS de Osteopatía (Master, C.O. y D.O.) acreditados por la E.O.M., la Escuela Universitaria de Fisioterapia Garbi, y la Comisión de

## Los "dedos de zinc" retardan la enfermedad de Huntington

*En pruebas realizadas con ratones se demostró que estas proteínas reducen la expresión del gen mutante implicado en este trastorno*

Un estudio realizado por investigadores del Centro de Regulación Genómica de Barcelona (CRG) ha revelado que unas proteínas conocidas como "dedos de zinc" pueden reducir la expresión del gen mutante implicado en la enfermedad de Huntington, y retardar su avance. El hallazgo abre una vía al desarrollo de un tratamiento eficiente contra este trastorno.



*Un ratón sano (izquierda) extiende y mueve sus extremidades para intentar liberarse cuando es alzado por la cola por el investigador. Por el contrario, un ratón transgénico, que expresa la Huntingtina mutante humana, (derecha) se pliega en una postura característica, signo de degeneración neurológica. Fuente: CGR.*

Investigadores del Centro de Regulación Genómica de Barcelona (CRG) han utilizado las proteínas llamadas "dedos de zinc" para reducir la expresión del gen mutante implicado en la [enfermedad de Huntington](#) y retardar su avance en ratones. El estudio ha aparecido publicado en la revista Proceedings of the National Academy of Sciences (PNAS).

La enfermedad de Huntington, genética y hereditaria, está ocasionada por la múltiple repetición de una secuencia de ADN en el gen que codifica una proteína llamada huntingtina.

En las personas que no sufren la enfermedad, esta secuencia se encuentra repetida entre 10 y 29 veces, pero en un enfermo, el triplete se encuentra más de 35 veces.

La huntingtina se encuentra en varios tejidos del cuerpo humano, y es esencial para el desarrollo y la supervivencia de las neuronas en el adulto.

Cuando el gen mutante está presente, se fabrica una forma aberrante, causante de los síntomas de la enfermedad –movimientos involuntarios, cambios en el comportamiento y demencia–.

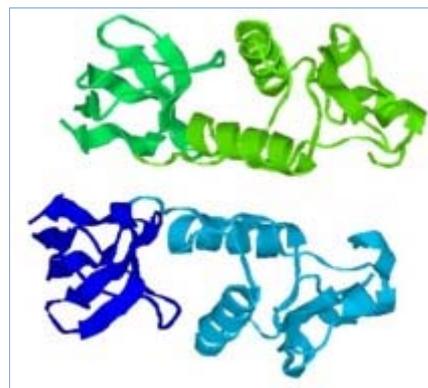
Aunque hay estudios prometedores, actualmente no existe cura, solo tratamientos paliativos de los síntomas, y los pacientes de Huntington mueren alrededor de 15 años después de la aparición de los primeros síntomas.

### Posible clave para un tratamiento eficiente

A diferencia de otras enfermedades neurodegenerativas, como el alzhéimer y el párkinson, un solo gen es el causante de la enfermedad de Huntington.

Por eso, una terapia basada en la inhibición del gen causante de esta dolencia abre las puertas a una nueva vía de investigación para el desarrollo de un tratamiento terapéutico.

Una herramienta desarrollada en los últimos años por científicos de todo el mundo se basa en la modificación de unas proteínas que se encuentran de forma natural en todos los seres vivos. Estas proteínas, llamadas proteínas 'dedos de zinc' –o Zinc Fingers, por su nombre en inglés–, reconocen y se unen a secuencias específicas del ADN. Esto permite la regulación de los genes a los que están unidas.



*Representación de las proteínas "dedos de zinc". Fuente: Wikimedia Commons.*

"Hemos diseñado unos dedos de zinc que reconocen y se unen específicamente a repeticiones de más de 35 tripletes de CAG. Al unirse, impiden que el gen que contiene estas repeticiones se exprese, reduciendo la producción de la proteína huntingtina mutante. Al aplicar este tratamiento a un modelo de ratón que sufría la enfermedad, observamos un retraso en la aparición de los síntomas", comenta Mireia Garriga-Canut, primera autora del estudio e investigadora del grupo de Ingeniería de Red Génica del CRG.

Otra investigadora coautora del estudio, Carmen Agustí Pavón, añade que "el siguiente paso es optimizar el diseño para un tratamiento eficiente y duradero en pacientes. Esto abriría las puertas a una terapia de la enfermedad de Huntington". La investigación ha sido financiada por el programa FP7 de la Comisión Europea y el Ministerio de Ciencia e Innovación de España.

**Referencia bibliográfica:**

Garriga-Canut, M. et al. *Synthetic zinc finger repressors reduce mutant Huntingtin expression in the brain of R6/2 mice*. PNAS. Early edition 8 of October 2012. doi: 10.1073/pnas.1206506109.

 [Añadir a favoritos](#)

Miércoles, 10 de Octubre 2012  
CGR/T21

Nota

Fuente:

<http://www.tendencias21.net>

Texto publicado por la revista Tendencias21 ([www.tendencias21.net](http://www.tendencias21.net))

amena.com

la tarifa ilimitada más barata del mercado

**YAHOO! AHORA  
CON AMIGOS**

André van Hissenhoven, Ximena García  
Martínez y 236 amigos más usan Yahoo!



[Iniciar sesión](#)

[Más información](#)

## Científicos españoles crean 'dedos de zinc' para combatir la enfermedad de Huntington

HA RETARDADO SU AVANCE EN RATONES



Europa Press – mié, 10 oct 2012

MADRID, 10 (EUROPA PRESS)

Investigadores del Centro de Regulación Genómica de Barcelona (CRG) han utilizado las proteínas llamadas 'dedos de zinc' para reducir la expresión del gen mutante implicado en la enfermedad de Huntington y retardar su avance en ratones, según informa en su último número la revista 'Proceedings of the National Academy of Sciences' (PNAS).

La enfermedad de Huntington, genética y hereditaria, está ocasionada por la múltiple repetición de una secuencia de ADN en el gen que codifica una proteína llamada huntingtina. En las personas que no sufren la enfermedad, esta secuencia se encuentra repetida entre 10 y 29 veces, pero en un enfermo, el triplete se encuentra más de 35 veces.

La huntingtina se encuentra en varios tejidos del cuerpo humano, y es esencial para el desarrollo y la supervivencia de las neuronas en el adulto. Cuando el gen mutante está presente, se fabrica una forma aberrante, causante de los síntomas de la enfermedad, caracterizada por movimientos involuntarios, cambios en el comportamiento y demencia.

Aunque hay estudios prometedores, actualmente no existe cura y solo tratamientos paliativos de los síntomas, y los pacientes de Huntington mueren alrededor de 15 años después de la aparición de los primeros síntomas.

A diferencia de otras enfermedades neurodegenerativas, como el Alzheimer y el Parkinson, un solo gen es el causante de la enfermedad de Huntington. Por eso, una terapia basada en la inhibición del gen causante de esta dolencia abre las puertas a una nueva vía de investigación para el desarrollo de un tratamiento terapéutico.

Una herramienta desarrollada en los últimos años por científicos de todo el mundo se basa en la modificación de unas proteínas que se encuentran de forma natural en todos los seres vivos.

Estas proteínas, llamadas proteínas 'dedos de zinc' --o Zinc Fingers, por su nombre en inglés--, reconocen y se unen a secuencias específicas del ADN. Esto permite la regulación de los genes a los que están unidas.

"Hemos diseñado unos dedos de zinc que reconocen y se unen específicamente a repeticiones de más de 35 tripletes de CAG. Al unirse, impiden que el gen que contiene estas repeticiones se exprese, reduciendo la producción de la proteína huntingtina mutante. Al aplicar este tratamiento a un modelo de ratón que sufre la enfermedad, observamos un retraso en la aparición de los síntomas", ha explicado Mireia Garriga-Canut, primera autora del estudio e investigadora del grupo de Ingeniería de Red Génica del CRG.

Otra investigadora coautora del estudio, Carmen Agustí Pavón, añade que "el siguiente paso es optimizar el diseño para un tratamiento eficiente y duradero en pacientes. Esto abriría las puertas a una terapia de la enfermedad de Huntington".

NEUROCIENCIA

## Proteínas artificiales para el baile de San Vito

Diseñan proteínas artificiales basadas en otras naturales con dedos de zinc capaces de interactuar con el ADN.

11/10/2012 | PNAS

Twitter  0

Me gusta  4

Una mutación en un único gen es la responsable de la enfermedad de Huntington, trastorno que se caracteriza, entre otros síntomas, por unos movimientos incontrolables o corea (del griego, "danza"), por lo que también recibe el nombre de baile de San Vito. El gen mutado, situado en el cromosoma 4, codifica la proteína huntingtina, la cual participa en una gran variedad de procesos esenciales: la regulación de la expresión de otros genes y el transporte de sustancias a los distintos compartimentos celulares. Si bien la proteína normal posee en su estructura una cadena de hasta 35 glutaminas (aminoácido codificado en el genoma por la secuencia de bases de trinucleótidos CAG), las secuencias altamente repetitivas pueden provocar fallos en la replicación de los genes durante el proceso de división celular.

### Repeticiones excesivas

En las personas que padecen la enfermedad de Huntington se multiplica el número de repeticiones CAG, de manera que se produce una proteína aberrante, con un exceso de glutaminas, que se acumula dentro de las células y produce, a la larga, la desregulación de más de 800 genes y la muerte celular.

Con el objetivo de neutralizar el gen mutado, investigadores del Centro de Regulación Genómica de Barcelona (CRG) han diseñado, mediante herramientas de biología sintética e ingeniería genética, unas proteínas artificiales basadas en otras naturales con dedos de zinc, las cuales poseen la capacidad de interactuar con el ADN. Estas proteínas artificiales reconocen y se unen a las largas repeticiones CAG, de modo que impiden la producción de la proteína huntingtina mutante.

"Pese a la gran complejidad de los ensayos, hemos conseguido algunos resultados esperanzadores en los ratones transgénicos. Entre ellos, la reducción significativa de la proteína huntingtina mutante, además de retrasar de la aparición de la postura de 'rendición' de los múridos afectados por la enfermedad" señala Carmen Agustín Pavón, investigadora del CRG y coautora del estudio. Añade, sin embargo, que queda un largo camino para detener de forma definitiva la enfermedad de Huntigton.

En la actualidad solo existen tratamientos paliativos para este trastorno: los pacientes mueren entre diez y quince años tras el diagnóstico.

Más información en [Proceedings of the National Academy of Sciences](#)

- IyC

### Artículos relacionados

### Actualidad científica

#### Lo más leído

¿Qué función cumple la sustancia blanca?

La sustancia blanca del cerebro se consideraba soporte pasivo de la actividad neuronal. La investigación reciente demuestra que interviene en el aprendizaje y en la enfermedad mental.

La benevolencia de los agujeros negros

El agujero negro supermasivo del centro de la Vía Láctea podría explicar la existencia y habitabilidad de la Tierra.

¿Por qué cooperamos?

El altruismo, lejos de suponer una fastidiosa anomalía de la evolución, se cuenta entre sus arquitectos primordiales.

La gestión ecológica de los suelos agrícolas

Las estrategias que mejoran la función biológica del suelo contribuyen a maximizar los servicios ambientales de los cultivos y a mantener su productividad a largo plazo.

#### Lo más comentado



Dos ratones, uno sano y otro transgénico afectado por la enfermedad de Huntington presentan una actitud distinta cuando son izados por la cola. El primero (derecha) lucha, agita las patas e intenta liberarse. El segundo, presa del trastorno, se curva en una posición que parece, al ojo humano, de desesperación y rendición.