

Un merecido galardón a dos investigadoras que han revolucionado las ciencias de la vida

Las galardonadas este año 2015 con el prestigioso premio Princesa de Asturias en la categoría de Investigación Científica y Técnica son dos excelentes investigadoras, la francesa Emmanuelle Charpentier y la estadounidense Jennifer Doudna, que, con sus trabajos recientes sobre edición de genomas han revolucionado la biología, la biomedicina y la biotecnología actuales. No se trata pues de simplemente “otro avance científico” sino de una verdadera revolución tecnológica cuyas implicaciones, posibilidades y beneficios no dejan de crecer y sorprender a la comunidad científica.

El jurado de los premios de la Fundación Princesa de Asturias ha acertado nuevamente al resaltar los descubrimientos de estas dos investigadoras, realizados inicialmente por separado (Charpentier trabajando en Suecia, Doudna investigando en Estados Unidos), y finalmente en colaboración, como se recoge en su primer gran artículo científico conjunto, publicado en la revista *Science* en agosto de 2012. Ambas investigadoras estudiaban las características de un sistema inmunológico propio de las bacterias, conocido como CRISPR-Cas, y descubierto hacía más de 20 años por microbiólogos, como el español Francisco Juan Martínez Mojica, de la Universidad de Alicante, que trabaja en este campo desde principios de los años 90. Sin embargo, la relevancia de las investigaciones de Charpentier, microbióloga, y Doudna, bióloga especialista en estructuras de moléculas, trascendió a la microbiología. En su artículo conjunto de 2012 presentaron a la comunidad científica las extraordinarias propiedades de una proteína, denominada Cas9, y de unas pequeñas moléculas de ácido ribonucleico (ARN), que las bacterias usan para defenderse de sus invasores, los bacteriófagos, un tipo de virus que las atacan. Estas dos investigadoras descubrieron cómo la acción conjunta de estos dos elementos: ARN y la proteína Cas9, permitía a las bacterias dirigir el corte de forma muy precisa y específica al material genético del invasor, rompiéndolo y consiguiendo evitar la infección. Además, se percataron que este sistema de defensa de las bacterias podía ser trasladado a otras especies, a mamíferos, a la especie humana, para modificar su genoma, el ADN de los organismos, a voluntad, aprovechando los sistemas de reparación de material genético que poseen todas nuestras células. El sistema CRISPR-Cas podía ser aplicado para corregir errores genéticos, o para incorporar alteraciones genéticas de forma mucho más precisa, en modelos celulares y animales de enfermedades humanas, reproduciendo en células o animales de experimentación las mutaciones genéticas encontradas en pacientes. Y, efectivamente, así fue. Desde principios de 2013 no dejan de publicarse nuevas aplicaciones de las CRISPR-Cas en múltiples campos de la investigación en ciencias de la vida. No hay semana que no aparezcan artículos científicos sorprendentes, con experimentos que, simplemente, hace

apenas un par de años, eran muy difíciles sino imposibles de abordar. Y todo ello gracias a la enorme versatilidad de las herramientas CRISPR-Cas. Estas sorprendentes aplicaciones de un sistema de defensa bacteriano al resto de organismos son la prueba de que los hallazgos de Charpentier y Doudna fueron extraordinarios y, con ellos ha cambiado totalmente la forma cómo los investigadores podemos plantearnos actualmente modificar los genomas, con precisión, especificidad y seguridad, tanto para la generación de mejores modelos celulares y animales para estudiar las enfermedades humanas, como para desarrollar nuevas aproximaciones terapéuticas para las mismas.

Las herramientas CRISPR-Cas9, popularizadas por Charpentier y Doudna, representan un ejemplo paradigmático de cómo una investigación no orientada, en ciencia básica, tratando de entender cómo las bacterias consiguen zafarse de la infección de los virus que las atacan, puede tener consecuencias importantísimas e imprevisibles en las ciencias de la vida. Este es sin duda uno de los mejores ejemplos para ilustrar por qué sigue siendo necesario, también, invertir en conocimiento, invertir en ciencia no finalista, no dirigida a resolver problemas concretos de salud. El ejemplo de las CRISPR-Cas9 nos muestra claramente cómo pueden derivarse aplicaciones sorprendentes, poderosísimas, en investigación y terapia de enfermedades, a partir de hallazgos aparentemente básicos, tratando inicialmente de entender como las bacterias han sobrevivido al ataque de los virus, muy alejados del estudio de patología humanas.

La trascendencia de los descubrimientos de Charpentier y Doudna puede constatarse por el gran número de premios que les han sido concedidos hasta el momento, incluido este prestigioso Premio Princesa de Asturias de Investigación Científica y Técnica 2015. Premios que sin duda continuarán recibiendo, merecidamente, y que muy probablemente incluyan pronto el más importante de todos los galardones que un científico puede recibir a lo largo de su carrera.

Lluís Montoliu

Investigador Científico del CSIC

Centro Nacional de Biotecnología, Madrid

Email: montoliu@cnb.csic.es Twitter: @LluísMontoliu

Nota: Más información sobre el sistema CRISPR-Cas puede encontrarse en este artículo que escribí para el blog de la Asociación de Comunicadores en Biotecnología:

<http://www.comunicabiotec.org/las-herramientas-crispr-un-regalo-inesperado-de-las-bacterias-que-ha-revolucionado-la-biotecnologia-animal/>