



La optogenética, premiada con el Nobel, devuelve parte de la visión a pacientes con retinosis pigmentaria en un ensayo publicado en NEJM



Una nueva esperanza para pacientes con ceguera llega de la mano de la optogenética a cargo de un ensayo liderado por científicos de la Universidad de Pittsburgh y del Instituto de Oftalmología Molecular de Basilea. Un ensayo clínico de fase 1 ha demostrado que la terapia optogenética puede devolver parcialmente la visión a personas con retinosis pigmentaria. Es uno de los mejores avances que ya se considera especial y relevante, debido a que los pioneros han sido galardonados con el Premio Nobel de Fisiología o Medicina, por lo que recalca el enorme potencial de la disciplina.

La retinosis pigmentaria es una enfermedad genética degenerativa que destruye progresivamente las células fotorreceptoras de la retina, dejando a los pacientes en una ceguera total. El tratamiento puede resultar complejo mediante edición genética o por terapia de reemplazo convencional; el problema es que son más de 100 mutaciones genéticas las que la pueden desencadenar.

La optogenética logra demostrar que es posible restaurar parcialmente la visión en pacientes con ceguera hereditaria. A diferencia de las terapias genéticas tradicionales que buscan corregir un gen específico, la optogenética modifica directamente la función de las células que aún sobreviven en la retina. Se usa un vector viral y una técnica con proteínas sensibles a la luz, llamadas opsinas, en las células ganglionares de la retina. Las células se convierten en nuevos fotorreceptores que pueden reaccionar ante estímulos luminosos, sin importar cuál haya sido la mutación genética causante de la pérdida de la visión.

Todo comenzó en el 2021, cuando obtuvieron los resultados positivos en un paciente y se decidió extender dicho estudio a un grupo de 10 participantes. Según el informe publicado en The New England Journal of Medicine, la prioridad del ensayo era evaluar la seguridad del tratamiento. Se confirmó que la terapia liderada por el Centro Médico de la Universidad de Pittsburgh y el Instituto de Oftalmología Molecular e Investigacional de Basilea es segura y bien tolerada. Los efectos



secundarios observados se limitaron a inflamaciones oculares de leves a moderadas y de carácter temporal.

En la efectividad visual, varios pacientes experimentaron mejoras notables al percibir e identificar los objetos de su entorno . Los participantes aún no logran leer o reconocer rostros; sin embargo, ya es notable la capacidad de recuperar la percepción visual en fases avanzadas de la enfermedad, lo cual es un hito esperanzador . El profesor José-Alain Sahel, autor principal del estudio, celebró el reconocimiento del Premio Nobel a la optogenética y destacó que los hallazgos son sólidos para seguir trabajando en la tecnología. Las futuras iteraciones del tratamiento podrían mejorar la resolución visual y devolverles parte de la autonomía a las personas que padecen ceguera genética irreversible.