

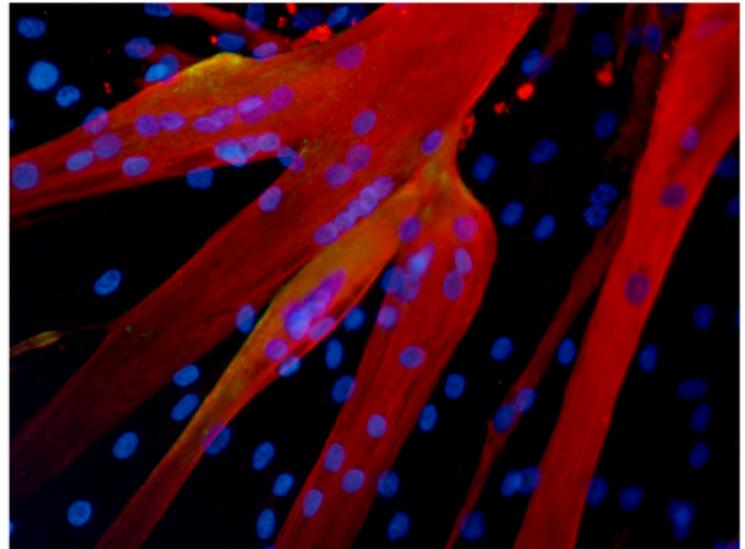
Distrofia muscular: ¿cómo podrían ayudar las células madre?

¿Qué sabemos?

Las distrofias musculares son un grupo de enfermedades genéticas que causan el debilitamiento y el deterioro progresivo del corazón y los músculos esqueléticos.

Las personas que padecen la distrofia muscular de Duchenne (DMD), carecen de una proteína llamada distrofina, lo que hace que sus músculos se dañen fácilmente. El daño muscular puede provocar inflamaciones que a su vez dañan el tejido muscular.

Normalmente, las células madre musculares, llamadas «células satélite», fabrican células mioblasto que reparan las fibras musculares dañadas. Sin embargo, estas células satélite tienen dificultades para fabricar suficientes mioblastos en los pacientes con DMD y se agotan rápidamente.



Fibras musculares generadas en el laboratorio a partir de mesoangioblastos humanos.

Imagen: OptiStem y Giulio Cossu

¿En qué están trabajando los investigadores?

Los investigadores están estudiando minuciosamente las células satélite y las causas de los daños musculares, así como los tratamientos que ayudan a reducir los daños musculares como pueden ser los tratamientos inflamatorios.

Existen estudios que están examinando las maneras de preservar y, posiblemente, restaurar la función muscular trasplantando células productoras de distrofina a pacientes. Estas células podrían ser células de donantes sanos o células del propio paciente genéticamente modificadas.

Actualmente, se están estudiando las células madre pluripotentes inducidas (iPSC) como una opción para fabricar grandes números de células con los genes de la distrofina sanos.

¿A qué retos nos enfrentamos?

El mayor reto de los tratamientos con trasplante de células de donantes es el posible rechazo del trasplante por parte del sistema inmunitario del paciente. Tratar a los pacientes con sus propias células (ya sean células genéticamente modificadas o iPSC) podría vencer en gran parte el problema del rechazo del trasplante, pero conllevar otros riesgos.

Todos los músculos del paciente están debilitados y necesitan tratamiento. Distribuir las células de manera uniforme por los músculos de todo el cuerpo supone un gran reto para los tratamientos con terapia celular.

Además, el índice de éxito de las terapias celulares es relativamente bajo para la integración de las células terapéuticas en los músculos dañados (conocido como «injerto mínimo»).