

# Enfermedad de Huntington: ¿cómo podrían ayudar las células madre?

## ¿Qué sabemos?

La enfermedad de Huntington es una enfermedad genética hereditaria que destruye las neuronas espinosas medias (MSN) del cerebro, lo que provoca cambios emocionales, deterioro mental y disminución de movimientos.

Los síntomas a menudo aparecen en pacientes de entre 35 y 50 años, pero pueden empezar antes.

Esta enfermedad es causada por una secuencia «CAG» de ADN repetida más de 40 veces en el gen Huntingtin. Las personas con más de 35 repeticiones están en riesgo de padecerla.

Actualmente no existe ningún tratamiento para la enfermedad de Huntington.

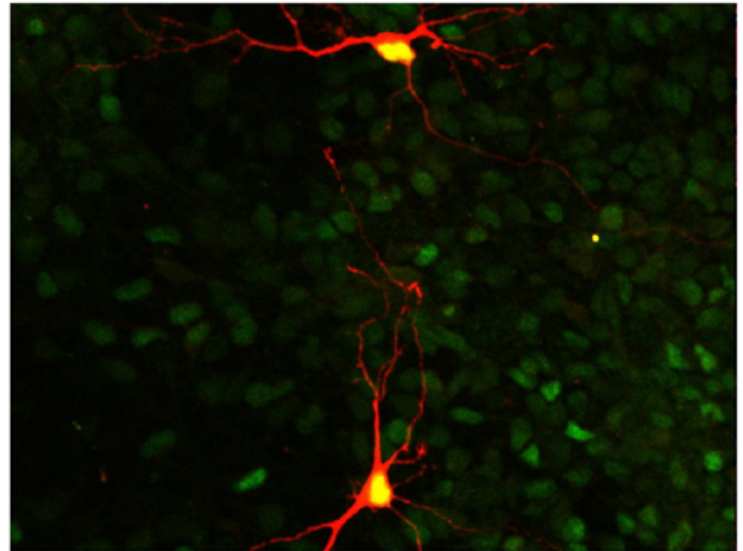
Las células madre han sido una herramienta imprescindible para estudiar muchos aspectos de esta enfermedad, desde cómo hace que las MSN mueran hasta el ensayo con nuevos tratamientos.

## ¿En qué están trabajando los investigadores?

El gen Huntingtin hace que las proteínas sean importantes para las neuronas, pero los científicos aún están intentando comprender cómo actúa esta proteína en las células y por qué demasiadas repeticiones de la secuencia «CAG» causan la muerte de las MSN.

Los investigadores están utilizando MSN fabricadas con células madre pluripotentes (iPSC) para copiar la enfermedad de Huntington y observar cómo avanza. Las iPSC también se utilizan para probar fármacos nuevos para tratar la enfermedad, terapias génicas y otros tratamientos con más rapidez que antes de se pudieran utilizar las iPSC.

Algunos estudios están examinando cómo podrían trasplantarse las células madre del cerebro (neurales) en los cerebros de los pacientes para reparar el cerebro y volver a producir las MSN y otros tipos de células cerebrales.



Neuronas Espinosas Medianas humanas, obtenidas en el laboratorio a partir de células madre embrionarias.

Imagen: Charles Arber, University College London

## ¿A qué retos nos enfrentamos?

Actualmente no existen tratamientos con células madre aprobados para tratar la enfermedad de Huntington. Se han realizado varios estudios de ensayo con trasplantes de células madre neurales para tratar esta enfermedad, pero estos tratamientos aún deben someterse a ensayos clínicos rigurosos para demostrar que son seguros y efectivos.

Se deben desarrollar fuentes éticas y fiables de células madre neurales. Puede que las iPSC y las células madre embrionarias sean capaces de fabricar grandes cantidades de células madre neurales, pero estas deben ser uniformes, predecibles y seguras. Si las células madre pluripotentes no se analizan correctamente, podrían provocar cáncer u otras complicaciones mortales.