



Efectividad del CRISPR-CAS9 en la edición genómica para prevenir anemias hemolíticas en ensayos clinicos fase preclínica : Revision sistemática

Autor: Carlos Alexandre Alves Rodrigues

Facultad de Ciencias de la Salud, Universidad Central del Paraguay, Pedro Juan Caballero

29 de enero de 2025

Trabajo Final de Grado



Resumen

Las anemias hemolíticas hereditarias , como la B-talasemia y la anemia falciforme son causadas por mutaciones en el gen HBB, lo que genera una producción anómala de hemoglobina . La edición genómica mediante CRISPR-Cas9ha emergido como una herramienta revolucionaria con el potencial de corregir estas mutaciones y reactivar la producción de hemoglobina fetal (HbF) , ofreciendo una alternativa terapéutica prometedora . Este estudio tuvo como objetivo evaluar la eficacia de CRISPR-Cas9 en ensayos preclínicos mediante una revisión sistemática de la literatura . Se realizaron 20 investigaciones publicadas entre 2014 y 2024 en bases de datos como PubMed y Scopus, Siguiendo las guías PRISMA . Se incluyeron estudios con modelos animales y celulares humanos que evaluaron la eficiencia , seguridad y durabilidad del tratamiento. Los resultados mostraron una corrección genética promedio del 69.3% y un incremento en la producción de HbF de hasta un 80% con una reactivación significativa tras la edición del gen BCL11A . Además el 95% de los estudios no reportaron efectos adversos significativos , evidenciando un perfil de seguridad favorable. La limitación principal fue la escasez de modelos humanos , lo que dificulta la extrapolación de los resultados al ámbito clínico . Se concluyeron que CRISPR-Cas9tiene un gran potencial para el tratamiento de anemias hemolíticas , aunque es necesario optimizar su eficacia y realizar estudios en modelos mas representativos para avanzar hacia su aplicación clínica

Palabra clave: CRISPR -Cas9, B-talasemia, Anemia falciforme, Hemoglobina fetal, Terapia génica