Gene-terapia itxaropenetik errealitatera

Gorka Orive Arroyo[1] / Manoli Igartua Olaetxea[2] / Rosa Hernández Martín[3] / Alicia Rodríguez Gascón[3] /José Luis Pedraz Muñoz[4]

[1]Farmazian lizentziatua, ikasle predoktorala. [2]Farmazia eta Farmazia-teknologiako irakasle laguna. [3]Farmazia eta Farmazia-teknologiako irakasle titularra. [4]Farmazia eta Farmazia-teknologian katedraduna.

Genoma gorputzeko zelula ororen osagaia da eta zelularen funtzio guztiak erregulatzen ditu: hazkundea, zatiketa eta bai heriotza ere. Proteinak, hormonak, bitaminak eta entzimak ADN-sekuentziak adierazten duen patroiaren arabera ekoizten dira. Baina hainbat arrazoi direla eta, sekuentzia akastuna izan daiteke, eta horrek molekula bat gaizki ekoiztea edo ez ekoiztea eragin dezake, akatsa gaixotasun bilakatzeraino. Akatsa konpontzeko estrategietako bat gene-terapia da.

ARTXIBOKOA

GENE-TERAPIAK AKATSA ERROTIK KONPONDU NAHI DU, ADN-sekuentziak erabiltzen baititu gaixo dauden zelulak eraldatu eta eragin terapeutikoa lortzeko. Horrela, zelula akastunek ekoizten ez zuten molekula sintetizatzea lortuko da.

Aldaketa genetikoa bi eratara egin daiteke. *Ex vivo* terapian, gaixoari zelulak erauzi, laborategian genetikoki eraldatu eta berriz ere gaixoari ezartzen zaizkio. *In vivo* moduan, aldiz, zelulak erauzi gabe eraldatzen dira. 1. irudian bi terapien arteko alde nagusiak azaltzen dira. Orain dela gutxi hirugarren modu bat garatu da: zelula unibertsalak (gaixoarenak ez direnak) genetikoki eraldatu eta gaixoari ezartzen zaizkio. Kasu horretan, zelulak bakarrik edo kapsulatan txertatzen dira.

Gene-terapiaren hastapenak

Gene-terapiako lehen saio klinikoa Rosenberg-en taldeak egin zuen 1990. urtean. Azaleko minbizia oso garatua

zuten gaixoak genetikoki eraldatutako linfozitoekin tratatu zituzten[1]. Geroztik, gene-terapia erabiltzen duten 500 saio kliniko baino gehiago jarri dira martxan mundu osoan. Hasieran, gene bakar batek eragindako asaldurak konpondu nahi ziren, gene akastuna akatsik gabeko kopiekin ordezkatuz. Adibidez, fibrosi kistikoa[2], Duchenne-ren muskulu-distrofia[3] edo familiako hiperkolesterolemia[4]. Geroago, zelulak genetikoki eraldatu eta jatorri genetiko ezezaguna zuten gaixotasun konplexuak tratatzen hasi ziren. Horretarako, estrategia zitotoxikoak[5] (zelulen heriotza eragiten dutenak) eta zitostatikoak[6] (zelulen ugalketa eragozten dutenak) erabili dira; adibidez, minbiziarekin edota kardiopatia-mota batzuekin[7].

Laburbilduz, 10 urte hauetan gene-terapiaren aplikazioak etengabe emendatu dira eta, aldi berean, terapia aplikatzeko bide berriak bilatzeko ahalegin handia egin da. Helburua, bide horiek eraginkorragoak eta toxikotasun txikiagokoak izatea da.

Gene-terapiaren funtsezko eskakizunak

Gene-terapia definitzeko orduan, zer hartu behar da kontuan? Hasteko, hiru gauza: zein zelula edo ehunekin lan egingo den, zein estrategia erabiliko den (*ex vivo*, *in vivo* edo zelula unibertsalak) eta, noski, zelulek ekoiztea nahi den produktuaren (intsulina, leptina, koagulazio-faktoreak...) ADN-sekuentzia zein den. ADN-sekuentzia definitu eta eskuratu ondoren, 'kasete' batean gordetzen da. 'Kasetea' sekuentzia sintetiko bat da, eta, hor, ADNaren adierazpena erregulatzen duten elementuak daude.

> *"1990etik, gene-terapia erabiltzen duten 500 saio kliniko baino gehiago jarri dira martxan mundu osoan"*

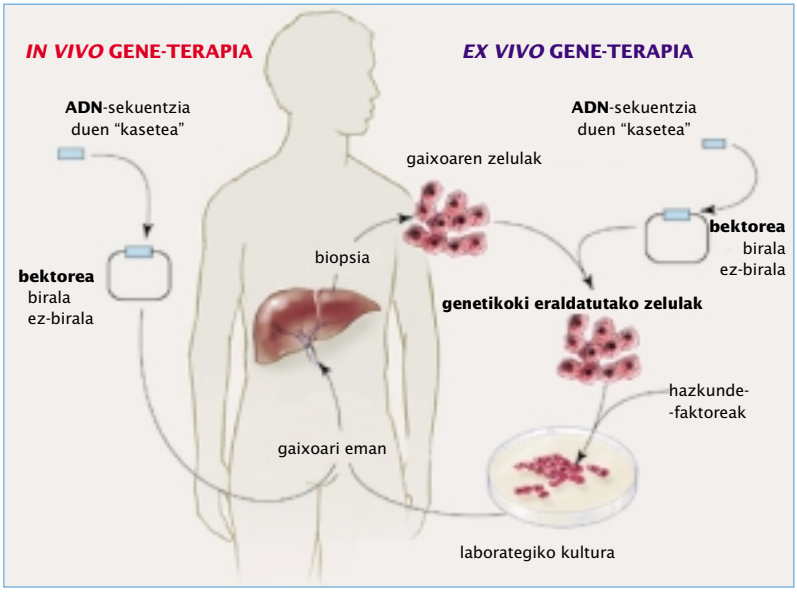
Gero, ADN-sekuentzia gaixoaren zelula akastunetaraino nola garraiatuko den zehazten da. Gehienetan, bektoreak erabiltzen dira. Bektoreak gene-garraiatzaileak dira, eta haien eginbeharra gene terapeutikoa zelula akastunera transferitzea da, baita genea ongi adieraziko dela ziurtatzea ere. Bektore asko daude, baina bi taldetan sailkatzen dira: biralak eta ez-biralak (ikus 2. irudia).

HTTP://WWW.ORNL.GOV/HGMIG

Gene-terapiak ADN-sekuentziak erabiltzen ditu gaixo dauden zelulak eraldatu eta eragin terapeutikoa lortzeko.

Normalean, bektore ez-biralek 'kasetea' barruan edo azalean edukitzen dute. Arruntenak lipido kationikoz (lipoplexoak) eta polimero kationikoz (poliplexoak) osatutakoak dira. Gehienek erantzun immulogiko txikia eragiten dute, eta, horri esker, gaixoak ez du hanturarik izaten. Baina bektore ez-biralek eraginkortasun txikia dute genea transferitzeko, eta, gainera, epe laburrean baino ez dute adierazten. Bektore biralak, aldiz, birusek zeluletara iritsi eta geneak nabarmen adierazteko duten gaitasunean oinarritzen dira. Aurrerapen zientifikoek bektore biralen adierazpena eta segurtasuna asko hobetzea lortu dute, baina, oraindik ere, toxikotasuna da bektore horiek gainditu beharreko oztopo nagusia.

Azkenik, bektorea gaixoaren organo edo ehunetan nola txertatuko den definitu behar da, hau da, xiringaren bidez, kateterraren bidez ... edo bestela egingo den.



G. ORIVE ARROYO

1. irudia. *In vivo* eta *ex vivo* gene-terapien arteko alde nagusiak.

BIBLIOGRAFIA

1 ROSENBERG S.A. ETA BESTE ZENBAIT. "Gene transfer into humans--immunotherapy of patients with advanced melanoma, using tumor-imfiltrating lymphocytes modified by retroviral gene transduction". *N Engl J Med* 323:570-8 (1990).

2 KNOWLES M.R. ETA BESTE ZENBAIT. "A controlled study of adenoviral--vector-mediated gene transfer in the nasal epithelium of patients with cystic fibrosis". *N Engl J Med* 333:823-31 (1995).

3 MORGAN J.E. ETA BESTE ZENBAIT. "Cell and gene therapy in Duchenne muscular dystrophy". *Hum Gene Ther* 5:165-73 (1994).

4 GROSSMAN M. ETA BESTE ZENBAIT. "Successful ex vivo gene therapy directed to liver in a patient with familiar hyperc holesterolaemia". *Nat Genet* 6:335-41 (1994). (2000).

Gaur egungo egoera

Gaur egun, gene-terapia gaixotasun askotan aplikatzen da. Hainbat laborategitan saio klinikoak egin dira, eta gene-terapiaren eraginkortasuna eta toxikotasuna gizakietan probatu da. Azken hamarkadako aurrerapenak ikusita, gene-terapiak etorkizun handia duela iragarri daiteke, beti ere gaixotasunak eta gaixoak errespetatzen badira. Marcelino Botin Fundazioak gene-terapiaren oraina eta etorkizuna aztertzeko mintegia antolatu zuen Nazioarteko Menendez Pelayo Unibertsitatean eta, bertan, aipatutako aurrerapenen hainbat adibide erakutsi ziren. Diabetea, hemofilia, azaleko gaixotasunak, minbizia, odoleko zelulen asaldurak, etab. gene-terapia bidez tratatzeko estrategiak aurkeztu ziren.

Santanderren bildutako ikertzaileek gene-terapiaren teknologia aplikatu ahal izateko baldintzak zehaztu zituzten. Hasteko, ADN-sekuentzia gaixotutako zeluletara egokiro transferitzea ezinbestekoa da, baita produktua epe luzean adieraztea ere. Aldi berean, sistema horien toxikotasuna ahal den gehien murriztu behar da, albo-ondorio kaltegarriak saihesteko. Animalia edo pertsonetan ezarriko diren zelulekin lan egin nahi bada, laborategiko hazkuntza-sistema onak aurkitu behar dira, eta transplanteak egiteko prozedura egoki eta seguruak ere bai.

Bektorearen izaera		Abantailak	Eragozpenak
BIRALA	Erretrobirusa	Genoman integratzen da Epe luzean irauten du	Zatitzen ari diren zelulei bakarrik eragiten die
	Adenobirusa (AB)	Gizakietan ohikoa Zatitzen ez diren zelulei eragiten die	Erantzun immunologiko txikia eragiten du
	Lentibirusak Elkartutako AdenobirusaK	Zatitzen ez diren zelulei eragiten die Emaitza itxaropentsuak	ADNa garraiatzeko gaitasun txikia Toxikotasuna??
EZ-BIRALA	Lipoplexos Poliplexos	Erantzun immunologiko txikia edo nulua eragiten dute	Genea denbora gutxiz adierazten dute

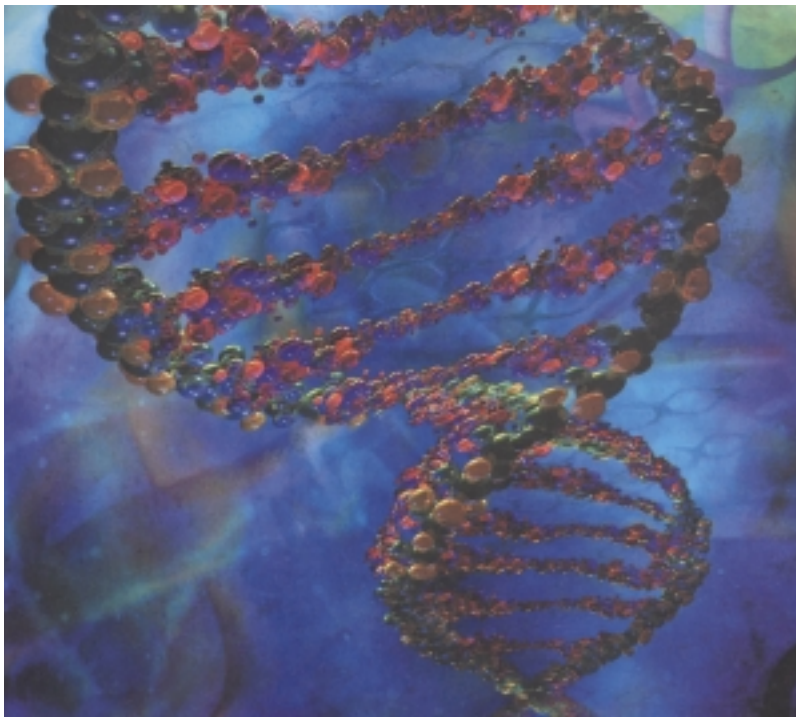
G. ORIVE ARROYO

2. irudia. Bektoreen sailkapena.

> *"minbizia da gene-terapiako saio gehien bultzatu dituen gaixotasuna"*

Ciemat erakundeko Biologia Molekular, Zelular eta Gene Terapia proiektuko taldeak, Jose L. Jorcano-ren zuzendaritzapean, epidermisa birsortzeko erabili du gene-terapia eta emaitzak Santanderren aurkeztu zituen. Erredurak, psoriasia edo ultzera kronikoak dituzten gaixoentzat baliagarria izango den azal artifiziala lortu nahi dute. Horretarako, *in vivo* estrategiaz baliatu dira eta, substantzia onuragarriak jariatuz, bioerreaktore gisa lan egiten duen azala sortu dute.

Hemofiliak ere interes handia pizten du ikertzaileen artean. Kanadako McMaster Unibertsitateko Gonzalo Hortelano irakasleak gene-terapia erabiltzen du hemofiliari aurre egiteko. Hemofilia duten gaixoek odoleko IX faktore gutxi jariatzen dute. Hortelano irakasleak zenbait zelula genetikoki eraldatu ditu faktore hori jaria dezaten, eta mikrokapsuletan sartu ditu. Oraingoz, laborategiko saguekin bakarrik probatu ditu, baina epe ertainean saio klinikoak hastea espero du. Katherine A. High-en taldeak, berriz, bektore biralak erabiltzen ditu hemofilia tratatzeko. Estrategia horrek gizakietan izan dezakeen eraginkortasuna eta toxikotasuna aztertzeko saio klinikoak hasi berri dituzte. High doktorearen arabera, atariko emaitza onak ikusita, baliteke gene-terapiako lehen produktuak 2004an prest egotea.



NATURE

ADN-sekuentzia gaixotutako zeluletara egokiro transferitzea ezinbestekoa da.

5 VILE R.G. ETA BESTE ZENBAIT. "Cancer gene therapy: hard lessons and new courses". *Gene Ther* 7:2-8 (2000).

6 CHANG M.W. ETA BESTE ZENBAIT. "Cytostatic gene therapy for vascular proliferative disorders with a constitutively active form of the retinoblastoma gene product". *Science* 267:518-22 (1995)

7 LOSORDO D.W. ETA BESTE ZENBAIT. "Gene therapy for myocardial angiogenesis: initial clinical results with direct myocardial injection of phVEGF165 as sole therapy for myocardial ischemia". *Circulation 98:* 2800-2804 (1998).

Punta-puntako iritziak

Gene-terapiaren arloan punta-puntan dabiltzan ikertzaileak bildu ziren Santanderren eta, hain zuzen, horietakoak dira Jose Luis Jorcano, Savio Woo eta Gonzalo Hortelano; gene-terapiaren errealitatea ezagutzeko solaskide ezin hobeak.

Zergatik aukeratu zenuten gene-terapian ikertzea?

J.L.J.: Batetik, etorkizun handiko ikerketa-arloa delako eta, beraz, ikertu egin behar delako. Bestetik, azalaren oinarrizko ikerketa egiten dugun laborategi bat garenez, ikerketaren atal terapeutikoa egitea erraza suertatzen zitzaigun eta saiatzea erabaki genuen.

José L. Jorcano,
Ciemat erakundeko
Biologia Molekularra,
Zelularra eta Gene-terapia
proiektuko zuzendaria.

S.W.: Gene-terapia jaio berri den zientzia-gai zirraragarria delako eta atariko etapatan gaudelako. Gene-terapiaren oinarri zientifiko eta klinikoak ernagarriak dira, eta gure material genetikoa gaitzak tratatzeko erabiltzeak, oso estrategia boteretsua egiten du. Arrazoi horiengatik ari gara geneak zelula eta ehun egokietan askatzeko teknologia garatzen.

G.H.: Gene-terapiak XXI. mendeko medikuntzan eginkizun garrantzitsua beteko duela uste dut. Une hauetan zientzia-gai hasiberria da eta oso erakargarria iruditzen zait ahal dudan neurrian ikerketa-arlo horren garapenean parte hartzea.

Zer eskaintzen du gene-terapiak beste tratamenduek ez dutenik?

J.L.J.: Gene-terapiak gaixotasunei aurre egiteko hautabide bat eskaintzen du. Gaixotasunari ikuspuntu zientifikotik heltzen dio, eta ez botika ortodoxoekin egin den bezala, probatuz eta emaitzak begiratuz. Gene-terapia jakintza zientifiko sakonagoan oinarritzen da, gaixotasunekin erlazionatutako geneen ezagutzan, eta gene horiek sendatzeko erabili nahi ditu. Baina hasieran uste zena baino konplexuagoa suertatu da.

S.W.: Gene-terapiak beste terapietatik bereizten duen abantaila garrantzitsu bat du. Beste metodo terapeutikoak, hala nola kirurgia, erradiazioak, botikak... gaixotasun edo gorputzaren funtzio bat erauzteko diseinatuak daude. Gene-terapiak, aldiz, gorputza hornitu egiten du, ez zuen substantzia bat ematen dio. Gaixotasun genetiko baten kasuan, akatsik gabeko genea ezarrita gaixotasuna sendatzeko aukera dugu. Era horretako tratamenduak bestelako patologiatan ere aplika daitezke, minbizia edo hiesa kasu.

G.H.: Egia da farmakologia tradizionalak hamarkadak daramatzala funtzio fisiologiko zehatzak aldatzeko botika eraginkorrak prestatzen. Baina gene-terapiak botika etengabe eta modu konstantean emateko aukera eskaintzen du. Ohiko botikek ezin dute hainbat prozesu fisiologikotan kritikoa den egonkortasun hori eskaini. Gainera, zenbait kasutan produktua zelulen barnean dagoenean bakarrik da teraupeutikoa, ez odolean. Orduan, botikak ez dira beti eraginkorrak. Bestalde, material genetikoa erabiltzeak aukera berriei ateak irekitzen dizkio, adibidez, gorputzean erantzun immunologiko berriak eragiteko aukera. Azkenik, eta gaixotasun kronikoen kasuan bereziki, gene-terapiak tratamenduen kostua asko murritz dezake. Hemofiliaren kasuan, esaterako, gene-terapiako tratamendu bakar batek egungo injekzioak ordezkatuko dituela espero da. Orain, gaixoak astean hainbatetan injekzioak hartu behar ditu, bizitza osoan zehar.

Zein dira gene-terapiak gainditu beharreko oztopo nagusiak? Teknologikoak? Biologikoak? Etikoak?

J.L.J.: Nik ez dut uste eragozpen etikorik dagoenik. Etika aintzat hartu behar da, baina pertsonatik pertsonara aldatzen da. Adibidez, gaixoaren etika eta ikertzailearena desberdinak dira, eta ikertzailearena eta kazetariarena ere bai. Horrekin ez dut inor gutxietsi nahi, gure gizartean etika garrantzitsua eta kontuan hartu beharrekoa dela esan baino. Baina gaur egun gure arazoak teknologikoak dira, ez etikoak. Zeluletan gene terapeutikoak txertatzeko bektoreak ez dira nahi bezain perfektuak eta gaixotasunak uste genuena baino askoz konplexuagoak dira. Gutxiegi dakigu eta, oraingoz, gene akastun bakar batek eragindako gaixotasunak soilik senda ditzakegu. Baina gaixotasun gehienetan gene askok parte hartzen du eta, hor, ezjakintasuna da nagusi.

Savio Woo,
New York-eko Mount Sinai
Mediku Eskolako katedraduna,
eta Gene-terapia eta
Medikuntza Molekularra
Institutuko zuzendaria.

S.W.: Ikuspuntu teknologikotik, eragozpen nagusia espezifikotasuna da, hau da, genea nahi dugun zelulan selektiboki nola askatu. Genearen jarduera kontrolatzea ere oso garrantzitsua da. Genea efektu terapeutikoa lortzeko moduan adierazi dadila nahi dugu eta eragin kaltegarriak saihestu. Bestalde, gene-terapia bidez zein gaixotasun senda daitezkeen eta zein ez ikertzea garrantzitsua da. Etikari dagokionez, komunitate zientifikoak oso argi dauka gene-terapia sendatzeko erabiliko duela, ez gizakia hobetzeko. Gene-terapia gaixotasunak tratatzeko estrategia bat da, ez pertsona baten abileziak sustatzeko teknika.

DEIA

Gonzalo Hortelano,
McMaster Unibertsitateko
irakaslea, Hamilton,
Kanada.

G.H.: Nire ustez, zailtasun tekniko handienak bektoreekin erlazionatuta daude. Aukerako bektoreak gaixoaren segurtasuna bermatu eta eraginkortasun terapeutikoa izan behar du, ordena horretan; eta, gainera, berriz eman ahal izateko aukera eduki. Bestalde, pertsona batetik bestera dagoen aldakortasun handia aintzat hartu beharreko faktorea dela uste dut. Gene-terapiaren arrakasta hasieran gaixotasun gutxi batzuetara mugatuko dela aurreratzen dut. Gero, pixkanaka hedatuko da.

Gene-terapiak piztutako itxaropen handiek mesede edo kalte egin dio zuen lanari?

J.L.J.: Niri ez didate batere eragin, baina egia da askotan gertatzen dela eta, adibidez, genomaren arloan ere bizi dutena. Une hauetan biologiak oinarrizko zientzia izatetik zientzia aplikatu izatera pasatzeko adina jakintza bildu du; hau da, lehen biologiara ikastera hurbiltzen ginen, baina, orain, biologiari etekina atera nahi diogu. Gene-terapia eta genomika aldaketa horretatik jaio dira eta aplikazio gisa ikusten ditugu. Gene-terapiaren kasuan ideia nahiko sinplea da. Gaixotasunen oinarri molekularrak ezagutu eta gene akastunak identifikatu nahi ditugu, horien bidez gero gaixotasunak sendatzeko.

Hori dena laborategian egiteko baliabideak eta gaitasuna badauzkagu, baina guztia hasieran pentsatu baino korapilatsuagoa suertatu da. Eta ondorioz, baikortasunaren gailurretik itxaropenen presiora pasatu gara. Baina errealitatea erdibidean dago. Azken urteetan gene-terapiak emaitza onak eman ditu eta, horri esker, badakigu helburuak ez direla ezinezkoak, baina ezta oso errazak ere. Kontua da biologia zientzia aplikatua dela. Ideiak saldu eta 24 ordutan aberasten ari den jendea dago eta hortik sortzen dira gehiegizko itxaropenak.

S.W.: Nire ustez ezkortasuna batez ere duela bi urte agertu zen, saio kliniko batean gaixo bat hil zenean. Orduan sortu zen gene-terapia arriskutsua delako irudi txarra. Ondorioz, ikertzaileak eta saio klinikoak erregulatzeaz arduratzen direnak atzera itzuli eta protokolo guztiak zehatz-mehatz berrikusi zituzten. Gertakari harri esker, saio kliniko bat hasteko eskakizunak handiagoak dira orain eta kontrola askoz zorrotzagoa da. Duela bi urte jazotako heriotza erabat tragikoa izan zen, baina asko ikasi genuen.

G.H.: Nik kalte egin diola uste dut. Gaixoen eta senitartekoen artean itxaropen faltsuak piztu dituzte, eta sentimendu bera gizarte osora zabaldu da. Berotasun giro horretan saio kliniko ugariri ekin zaio, nahiz eta batzuek oinarri zientifiko eskasa eduki. Ondorioz, saio askok kale egin du. Emaitza etsigarri horiek ikusita, arreta handiagoa jarri da gene-terapiaren oinarrizko jakintza areagotzeko eta lehen emaitza itxaropentsuak lortu dira.

Gorka Orive Arroyo

Dudarik gabe, minbizia da gene-terapiako saio gehien bultzatu dituen gaixotasuna. 2000. urtean, Ameriketako Estatu Batuetan 300 protokolo baino gehiago onartu ziren[8]. Baina minbiziaren konplexutasuna pizten duen interesa bezain handia da. Izan ere, tumorea sortzeko prozesuan gene askok parte hartzen du, eta faktore asko hartu behar dira kontuan.

Oro har, gene-terapiaren emaitzak positiboak dira, baina ez dira hasieran uste bezain ikusgarriak. Beraz, bidezkoa da txanponaren bi aldeak aztertzea (ikus 3. irudia). Arrakastarik handiena Pasteur Institutuak lortu zuen joan den urtean, *ex vivo* saio baten bidez 'burbuila-umeak' sendatu zituenean[9]. Gene-terapia bidez patologia bat erabat sendatzen zen lehen aldia izan zen hura. Zoritxarrez, txanponaren gurutzean Jesse gaztearen heriotza dago. 1999an hil zen, adenobirusak probatzeko saio kliniko batean[10].

"oro har, gene-terapiaren emaitzak positiboak dira, baina ez hasieran uste bezain ikusgarriak"

Oztopoak eta etorkizuna

Ospitaleetara iritsi baino lehen, gene-terapia zenbait oztopo gainditu beharrean dago.

Ikertzaile gehienen ustean, zailtasun handienak teknologikoak dira. Ildo horretatik, argi dago gene-terapiaren oinarrizko hiru osagaiak optimizatu egin behar direla: ADN-sekuentzia, bektoreak eta botika emateko bidea. Genetistek gene bakar batek edo gene-talde batek eragindako gaixotasunen oinarri genetikoak aurkitu dituz-

8 Feldman A.L. eta Libutti S.K. "Progress in antiangiogenic gene therapy of cancer". *Cancer* 89: 1181--1194 (2000).

9 Cavazzana-Calvo M. eta beste zenbait. "Gene therapy of human severe combined immunodeficiency (SCID)-X1 disease". *Science* 288: 669--672 (2000).

10 Marshall E. "Gene therapy death prompts review of adenovirus vector". *Science* 286: 2244--2245 (1999).

te. Bektore biralak zein ez-biralak geroz eta eraginkorragoak dira eta epe luzeko segurtasuna erakusten dute. Beharbada, tratamendua emateko bidea garatu da gutxien urte hauetan, modu egokia lortzeko aintzat hartu beharreko faktore teknologiko eta biofarmazeutiko asko baitaude.

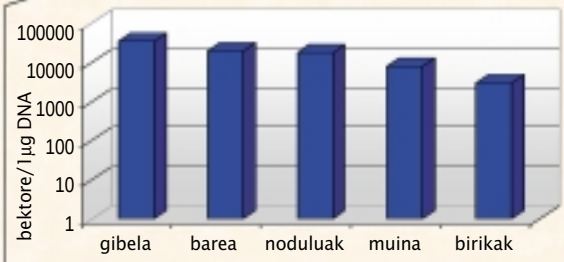
"gene-terapia garapen-fasean dago eta hurrengo hamarkada baino lehen ez ditu gaixotasun asko sendatuko"

AURPEGIA

2000. urtean Pasteur Institutuko Alan Fischer-en taldeak 11 eta 8 hilabeteko bi 'burbuila-ume' sendatu zituen. Umeek erantzun immunologikoan parte hartzen duten zelulak egoki garatzea eragozten zien immunoeskasia zuten. Defentsarik gabe, edozein infekzio txiki hilgarria izan zitekeen.
Ex vivo gene-terapiaren bidez, umeek defentsa-zelulak sortzea lortu zen, eta guztiz sendatu ziren.

GURUTZEA

1999. urtean 18 urteko gazte bat hil egin zen bektore adenobiralen dosi handi bat jaso ostean. Saioa herentziazko entzima-urritasuna zuten 18 lagunekin egin zen eta bektore biralen dosi handien segurtasuna berretsi nahi zen. Jesse bektoreak gehiegizko erantzun immunologikoa eragin zuelako eta zitokinak masiboki askatu zirelako hil zen. Bektoreak teorikoki gibelera bakarrik iritsi behar zuen, baina gainerako organo guztietan arrastoak atzeman ziren.



Grafikoa. Gene sendagarriaren arrastoak gibelean eta beste organoetan.

G. ORIVE ARROYO

3. irudia. Gene-terapiaren aurpegia eta gurutzea.

Printzipio aktiboak dosi seguru eta eraginkorrak bilakatzea ikerketa farmazeutikoaren funtsezko helburuetako bat izan da beti. Beraz, arrazoizkoa dirudi erakunde publiko eta enpresa pribatuek alor horretan egiten dituzten ahaleginak areagotuko dituztela pentsatzeak. Izan ere, dosiak egokiro ematearen mende dago, hein handi batean, gene-terapia sendatzeko erabiltzeko itxaropena. Horretarako, beharrezkoa izango da hainbat alorretako ikertzaileek beren ahaleginak koordinatzea.

Ikusi bezala, gene-terapiak beste terapiek baino eskakizun gehiago ditu, eta ardura etikoak ere handiagoak dira. Babesleek edo sortutako itxaropenek behartuta, saio klinikoetan parte hartzen duten gaixoen segurtasuna ezin da inolaz ere arriskuan jarri. Ikertzaileek argi utzi behar dute gene-terapia garapen-fasean dagoela eta hurrengo hamarkada baino lehen ez dituela gaixotasun asko sendatuko. Gainera, gaixoek, haien familiek eta erakunde erregulatzaileek gene-terapia esperimentalaren onura eta arrisku potentzialen berri zehatz-mehatz izatea funtsezkoa da.

Dena dela, ikuspuntu errealista honek ez du gene-terapiarekiko ilusioa ahuldu behar. Gene-terapia eta etorkizun handiko beste hautabide batzuk, ama-zelulak, esaterako, hastapen-fasean daude. Medikamentuen bidezko terapiarekin egin ez zen bezala, aurrerapausoak ikuspuntu zientifikoa errespetatuz egiten ari dira, eta ez botikak gaixoekin probatuz eta eragina ikusiz. Horixe da, dudarik gabe, etorkizun oparo baten bermerik onena.

ARTXIBOKOA

Ikertzaile gehienen ustean, gene-terapiaren zailtasun handienak teknologikoak dira.