

ASTROFÍSICA · MEDIO AMBIENTE · INVESTIGACIÓN MÉDICA · MATEMÁTICAS · PALEONTOLOGÍA · ÚLTIMAS NOTICIAS

GENÉTICA >

Una terapia génica devuelve la audición a un niño de 11 años con sordera congénita

Aissam Dam, marroquí residente en Barcelona, es la primera persona en recibir esta terapia en Estados Unidos



Aissam Dam, de 11 años, es la primera persona en recibir terapia génica para la sordera.
HANNAH BEIER / NEW YORK TIMES / CONTACTOPHOTO



MARÍA ANTONIA SÁNCHEZ-VALLEJO

Nueva York - 23 ENE 2024 - 22:55 CET



Aissam Dam, de 11 años, hijo de una familia marroquí emigrada a Barcelona, ha recuperado la audición gracias a una [terapia génica](#) experimentada en Estados Unidos. Los investigadores responsables del ensayo clínico, realizado en el Hospital Infantil de Filadelfia, no garantizaban que el tratamiento contra el tipo de sordera congénita que padecía el pequeño funcionara; tampoco, en caso afirmativo, el nivel de recuperación de la capacidad de audición que alcanzaría.

Aissam, sordo de nacimiento por una dolencia que afecta a sólo 200.000 personas en todo el mundo, escuchó las primeras palabras de su vida en un idioma ajeno a su entorno. No fueron en el *amazigh* o bereber natal de su familia, ni en el castellano o el catalán que se hablan en el lugar donde ahora viven. Tampoco el lenguaje de signos usado en EE UU se parece al lenguaje de signos en castellano que aprendió en el colegio especial de Barcelona en el que fue escolarizado por primera vez en su vida tras llegar a la ciudad desde Marruecos. Tras mudarse a Barcelona, hace tres años, su familia fue a un otorrinolaringólogo que consideró a Aissam adecuado para el ensayo clínico y le postuló para ello.

Lo cuenta este martes el diario *The New York Times*, que a través de intérpretes ha logrado hablar con el niño y con su padre, obrero de la construcción. [A diferencia de los tipos de sordera discapacitantes](#), la de Aissam es extremadamente rara, causada por una mutación en un único gen, la otoferlina. El objetivo de la terapia génica es sustituir el gen mutado o defectuoso de la otoferlina en los oídos de los pacientes por un gen funcional.

El éxito del ensayo clínico abre la puerta a nuevas terapias génicas dirigidas a otras formas de sordera congénita, incluso en pacientes más jóvenes, si bien los investigadores del hospital de Filadelfia avisan de que el proceso puede durar años. El pasado 4 de octubre, Aissam se convirtió en la primera persona en recibir terapia génica para la sordera congénita en Estados Unidos. El ensayo, uno de los cinco en curso (los otros se realizan en China y Europa) o a punto de comenzar, está financiado por la farmacéutica Eli Lilly y por Akouos, una pequeña firma de biotecnología de su propiedad. Los investigadores esperan ampliar el estudio a seis centros de Estados Unidos.

Los investigadores de los cinco estudios en curso presentarán sus conclusiones el próximo 3 de febrero en una reunión de la Asociación de Investigación en Otorrinolaringología, explica *The New York Times*. Según los expertos, estas pruebas marcan una nueva frontera para la terapia génica, [que hasta ahora no había prestado especial atención a la pérdida de](#)

[audición](#). “Nunca ha habido una forma biológica, médica o quirúrgica de corregir los cambios biológicos subyacentes que hacen que el oído interno no funcione”, explica al diario el otorrinolaringólogo Dylan K. Chan, de la Universidad de California, que no participó en el ensayo clínico que devolvió la audición al niño.

Aunque las mutaciones de otoferlina no son la causa más común de sordera congénita, hay una razón por la que tantos investigadores se han centrado en ella. Según John A. Germiller, otorrinolaringólogo que ha dirigido del estudio del hospital de Filadelfia, esta forma de sordera congénita era la más accesible. El gen mutado de la otoferlina destruye una proteína de las células ciliadas del oído interno necesaria para transmitir el sonido al cerebro. Con muchas de las otras mutaciones que causan sordera, las células ciliadas mueren durante la infancia o incluso en la fase fetal. Pero con la sordera por otoferlina, las células ciliadas pueden sobrevivir durante años, lo que da tiempo a sustituir el gen defectuoso con terapia génica, mediante un virus inocuo portador de nuevos genes de otoferlina en dos gotas de líquido que se inyectan delicadamente a lo largo de la cóclea, llevando los genes a cada célula ciliada.

Hasta la llegada de su familia a Barcelona, Aissam no había ido al colegio. Creció en un pueblo pobre, en medio de un completo silencio, y se expresaba mediante un lenguaje de signos inventado por él que le permitía comunicarse con su entorno. Tras mudarse a España, fue escolarizado en una escuela especial para niños con discapacidad auditiva donde aprendió el lenguaje de signos en castellano. Cuando Aissam fue considerado apto para ser el paciente nº 1 del ensayo clínico, Lilly y Akouos costearon su estancia y la de su padre en Filadelfia durante cuatro meses, mientras era sometido al tratamiento. Un tratamiento gracias al que ha escuchado los primeros sonidos de su vida -las primeras palabras, también la primera música o incluso los molestos ruidos del tráfico- a miles de kilómetros de distancia de su vida en silencio.

*Puedes seguir a **MATERIA** en [Facebook](#), [X](#) e [Instagram](#), o apuntarte aquí para recibir [nuestra newsletter semanal](#).*

Comentarios - 9 

[Normas](#) ›

Más información



La agencia europea recomienda autorizar el primer tratamiento de edición genética con CRISPR

MANUEL ANSEDE



Estados Unidos aprueba el primer tratamiento con edición genética CRISPR

MIGUEL JIMÉNEZ | WASHINGTON

ARCHIVADO EN