

Aprobado un nanomedicamento para tratar la enfermedad rara de Fabry

El nanomedicamento ha sido designado como huérfano por la Comisión Europea

DANIELA GONZÁLEZ
Madrid

Investigadores del Consejo Superior de Investigaciones Científicas (CSIC) ha desarrollado un nanomedicamento eficaz para tratar la enfermedad rara de Fabry.

El fármaco, que es resultado del proyecto europeo Smart4Fabry, ha sido designado como medicamento huérfano por la Comisión Europea. Estas circunstancias "avalan la eficacia del nanomedicamento y permitirá su desarrollo comercial", señala un comunicado de la institución.

La nanotecnología abre la puerta a nuevas alternativas, de forma que otras patologías puedan beneficiarse. "Con esta designación hemos alcanzado un gran logro, no solo para los pacientes de la enfermedad de Fabry, sino también para otras patologías que puedan beneficiarse de este mismo enfoque" explica Nora Ventosa, investigadora del ICMAB-CSIC, coordinadores del proyecto, y del Centro de Investigación Biomédica en Red Bioingeniería, Biomateriales y Nanomedicina (CIBER-BBN).

Con este nuevo producto farmacéutico, el CSIC cuenta con cuatro medicamentos designados como huérfanos, de forma que es la primera vez que se refiere a un medicamento nanoformulado.



Ibane Abasolo
Investigadora de CIBER-BBN y del VHIR

"El producto liposomal de tercera generación que hemos desarrollado en el proyecto ha demostrado, a nivel preclínico, una eficacia mejorada, frente a los tratamientos de remplazo enzimático autorizados"

NECESIDAD DE NUEVOS TRATAMIENTOS

La enfermedad de Fabry representa el trastorno de almacenamiento lisosómico (almacenamiento de sustancias en el proceso de 'digestión' en el interior de las células) más frecuente. La enfermedad está causada por la ausencia o deficiencia de una enzima (denominada GLA) que provoca la acumulación lisosómica de algunas sustancias en las células de una amplia variedad de tejidos. Los tratamientos actuales para la enfermedad de Fabry consisten en la administración intravenosa de la enzima, pero presentan

una eficacia limitada y una mala biodistribución. El nanomedicamento que se ha desarrollado es una nueva nanoformulación de la enzima GLA (nanoGLA) que mejora la eficacia en comparación con el tratamiento de referencia con GLA no nanoformulado. Esta nueva nanomedicina ha demostrado que la estrategia con nanoliposomas resulta altamente exitosa. Este es el mensaje que lanza Ibane Abasolo investigadora de CIBER-BBN y del VHIR, responsable de los estudios de eficacia en el proyecto.

El Comité de Medicamentos Huérfanos (COMP), de la Agencia Europea de Medicamentos

(EMA), ha considerado que estos resultados constituyen una ventaja clínicamente relevante frente a los tratamientos de remplazo enzimático actuales. Por otro lado, desde el CSIC indican que la designación de medicamento huérfano "supone importantes implicaciones en la transferencia y en la traslación del nuevo producto terapéutico hacia fases más avanzadas de desarrollo".

Por otro lado, esto supone recibir una autorización de comercialización durante 10 años en los que no pueden comercializarse productos similares, y disponer de protocolos de asistencia y consejo científico gratuitos o con un coste reducido.

COLABORACIÓN PÚBLICO-PRIVADA

La designación de este nanomedicamento ha sido posible gracias a los esfuerzos del proyecto Smart4Fabry, que se desarrolla desde 2017 con una financiación europea de 5,8 millones de euros procedentes del programa Horizonte 2020.

Está formado por un consorcio interdisciplinar de instituciones académicas y empresas, expertas en cada una de las fases del proceso. En este sentido, abarca desde la preparación y caracterización del producto, la evaluación y regulación, el escalado y la producción bajo estándares de calidad.

Un mapa completo de las posibles mutaciones en la placa amiloide: un paso para detectar alzhéimer

DANIELA GONZÁLEZ
Madrid

Investigadores del Instituto de Bioingeniería de Cataluña (IBEC) en colaboración con el Centro de Regulación Genómica (CRG) han presentado el primer mapa completo de todas las posibles mutaciones en la placa amiloide. El estudio, publicado en la revista eLife, abre nuevas vías para la detección temprana de la enfermedad de Alzheimer. Así lo señala un comunicado del IBEC, que indica que el estudio puede ayudar a los genetistas clínicos a predecir si las mutaciones encontradas pueden hacer que un indi-

viduo sea más propenso a desarrollar la enfermedad de Alzheimer en el futuro. Asimismo, servirá para que los investigadores "comprendan mejor" los mecanismos biológicos que controlan la aparición de la enfermedad.

UNA VISIÓN "SIN PRECEDENTES"

En este sentido, una de las autoras del estudio y junior líder de grupo en el IBEC, Benedetta Bolognesi, indica que la secuenciación genética de los individuos es cada vez más común. Sin embargo, la experta destaca que carecen de criterios para predecir su resultado: "¿Son malignos y requieren

intervención? ¿O son neutrales y benignos?".

Bolognesi destaca que el mapa puede ser utilizado de forma proactiva para poder interpretar el efecto de las mutaciones, de forma que, cuando se encuentre en un individuo, los expertos puedan saber qué significa y qué pasos deben seguir.

Por su parte, el profesor de la investigación ICREA en el CRG y coautor del estudio, Ben Lehner, puntualiza que este mapa determina "una visión sin precedentes" de cómo las mutaciones promueven y previenen que una proteína forme fibrillas amiloides.

Desde el IBEC recuerda que la enfermedad de Alzheimer es la forma más común de demencia, una enfermedad neurodegenerativa que afecta a más de 50 millones de personas en todo el mundo.

Estudios preliminares demostraron que algunas formas raras hereditarias y particularmente agresivas de la enfermedad de Alzheimer son causadas por mutaciones en el gen que codifica el péptido beta amiloide.

Ahora, con el mapa que presentan los expertos, cuantifican todas las posibles mutaciones en el péptido beta amiloide y cómo influyen en la formación

de agregados. Para ello, se apoyan en el uso de un sistema de alto rendimiento basado en células, donde su crecimiento depende de la agregación de las diferentes versiones de Aβ en su interior.

Esto les permitió probar los efectos de más de 14.000 versiones diferentes de Aβ en un solo experimento.

Por su parte, la primera autora del trabajo e investigadora del IBEC, Mireia Seuma, explica que el próximo paso es construir mapas para otras proteínas que causan otras enfermedades neurodegenerativas, como el párkinson.