

La enfermedad de Wilson, un paso más cerca de su curación

Científicos del Centro de Investigación Médica Aplicada (CIMA) de la Universidad han diseñado un método prometedor de terapia génica para tratar la enfermedad de Wilson. Este avance, que ha logrado la designación de “medicamento huérfano” por las agencias reguladoras de EE. UU. y Europa, ha sido posible gracias al acuerdo con la compañía biotecnológica Vivet Therapeutics.

TEXTO *Redacción NT*

FOTOGRAFÍA *Manuel Castells [Com 87]*

ANTONIO HERNANDO NO HABÍA OÍDO hablar de la enfermedad de Wilson cuando se la diagnosticaron con dieciocho años. El mayor obstáculo en su día a día es la comunicación, debido a su dificultad para articular sonidos y palabras, junto con fuertes dolores musculares. Toma entre seis y ocho pastillas diarias para mitigar el progreso de la enfermedad.

Casi cuarenta años después, **Antonio** se muestra optimista frente a una posible cura de este trastorno hereditario que afecta a una de cada treinta mil personas en el mundo. Las palabras de la Dra. **Gloria González Aseguiñolaza**, durante una conferencia sobre la investigación en terapia génica del Centro de Investigación Médica Aplicada (CIMA), le infundieron esperanza. En 2015 el centro impulsó el estudio de la enfermedad de Wilson alentado por la aportación de la fundación valenciana Per Amor a l'Art, a través de la Asociación de Amigos de la Universidad.

Esta patología está causada por la falta o disfunción del gen ATP7B, implicado en el metabolismo del cobre, lo que provoca

que este metal se acumule en el hígado y, después, en otros tejidos y produzca daño hepático y neurológico, algo que puede ocasionar la muerte. De momento no existe un tratamiento curativo, pero científicos de la Universidad han diseñado un nuevo método que corrige un estado avanzado de la enfermedad de Wilson en ratones.

El valor terapéutico potencial de este producto ha sido avalado por la Administración de Fármacos y Alimentos (FDA) de Estados Unidos y la Comisión Europea, que lo han designado “medicamento huérfano”. Según explica la Dra. **González Aseguiñolaza**, directora del Programa de Terapia Génica y Regulación de la Expresión Génica del CIMA y responsable del proyecto, «la aprobación por parte de estas entidades reguladoras internacionales permite acelerar los tiempos de revisión hasta su aplicación en pacientes y reducir los costes del proceso». Asimismo, este tipo de designación garantiza la exclusividad en el mercado durante diez años en Europa y siete en Estados Unidos.

UNA ÚNICA INYECCIÓN. Los investigadores del CIMA han desarrollado un vector terapéutico, VTX-801, que corrige el origen de esta enfermedad hepática rara y revierte sus síntomas. «La terapia génica introduce la versión correcta del gen en las células dañadas mediante vehículos o vectores, generalmente virus modificados en el laboratorio. Nuestra estrategia consiste en aplicar una única inyección cuyos efectos podrían durar hasta siete años, que es hasta ahora el tiempo de seguimiento de un paciente tratado con terapia génica dirigida al hígado», comenta la Dra. **González Aseguiñolaza**.

El avance ha sido posible gracias al acuerdo y licencia exclusiva del CIMA, a través de la Fundación para la Investigación Médica Aplicada (FIMA), con Vivet Therapeutics. Esta empresa biotecnológica

«La enfermedad de Wilson es un trastorno hereditario que afecta a una de cada treinta mil personas en el mundo»

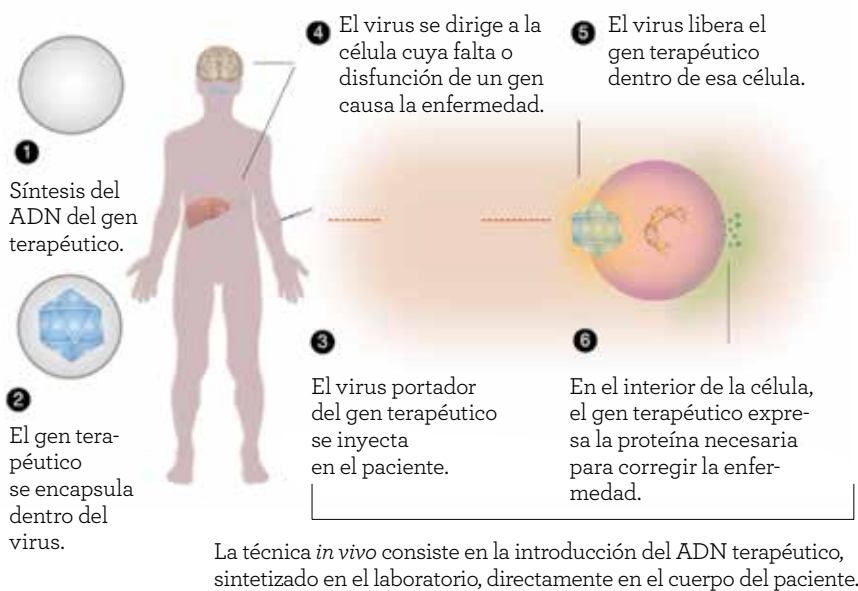




La Dra. González Asegui-nolaza, directora del Programa de Terapia Génica y Regulación de la Expresión Génica del CIMA y responsable del proyecto.

Terapia génica

Esta terapia se basa en curar algunas enfermedades provocadas por la falta de un gen o por su disfunción: lo sustituye por su versión correcta.



FUENTE: CIMA UNIVERSIDAD DE NAVARRA

ca, orientada a nuevos tratamientos para enfermedades metabólicas hereditarias raras basados en la terapia génica, ha captado 37,5 millones de euros en su primera ronda de financiación de un consorcio de inversores liderado por Novartis Venture Fund y Columbus Venture Partners, e incluye a Roche Venture Fund, HealthCap, Kurma Partners e Ysios Capital.

«Estamos muy satisfechos por la confianza de Vivet en la investigación del CIMA, en concreto en terapia génica. Vivet fue en 2016 la tercera compañía originada en un entorno académico de Europa que consiguió más financiación en su primera ronda», explica el Dr. **Jesús San Miguel**, director de Medicina Clínica y Traslacional de la Universidad de Navarra.

Para **Jean-Philippe Combal**, director general de Vivet, «asistimos a los albores de una posible revolución terapéutica con el empleo de la terapia génica, y la FIMA cuenta con una excelente reputación en esta área». Vivet prevé comenzar los primeros ensayos clínicos del nuevo fármaco en pacientes a finales de 2018. **Nº**