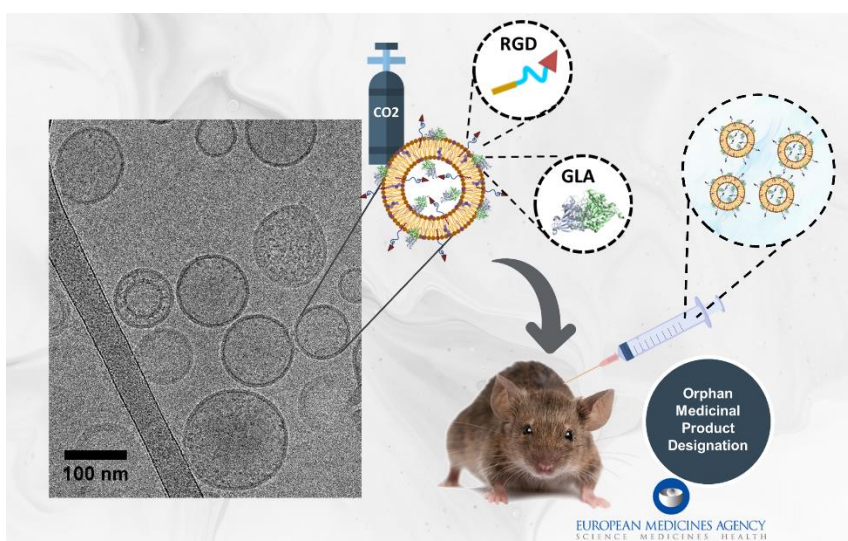


Una nova teràpia obre camí en el tractament de la malaltia de Fabry

Un equip de recerca internacional liderat per la investigadora Nora Ventosa del grup Nanomol-Bio de l'ICMAB-CSIC i CIBER-BBN ha desenvolupat una nova teràpia basada en nanotecnologia anomenada nanoGLA per al tractament de la malaltia de Fabry. La nova solució terapèutica ha demostrat una eficàcia notable en estudis preclínics. L'estudi s'ha publicat aquest desembre a la revista Science Advances en accés obert.



Representació de la nova teràpia nanoGLA, a on es mostra la seva composició i estructura per imatge de cryo-microscòpia. La nanoGLA s'ha injectat en ratolins i ha estat etiquetada com a Orphan Medicinal Product Designation. | ICMAB-CSIC

La malaltia de Fabry és una malaltia rara d'origen genètic causada pel dèficit de l'enzim GLA (alfa-galactosidasa A) que provoca l'acumulació de substrats greixosos (majoritàriament globotriaosilceramida o Gb3) a les cèl·lules i té greus repercussions a diferents òrgans. La teràpia nanoGLA, basada en l'ús de nanoliposomes dirigits per pèptids, permet fer arribar de manera efectiva l'enzim deficitari GLA, encapsulat en els nanoliposomes, als òrgans més afectats per aquesta malaltia. Els investigadors han aconseguit fabricar la nanoGLA amb la qualitat i la quantitat necessàries per al testatge preclínic, i per a poder entrar a les fases clíniques.

En estudis amb models de ratolins amb la malaltia de Fabry, la nanoGLA ha demostrat una eficàcia millorada en relació a les teràpies que utilitzen l'enzim sense encapsular, mostrant efectivitat en els òrgans afectats, i fins i tot al cervell, una fita clau que les teràpies actuals no aconsegueixen. Aquests resultats ressalten el potencial de la nanoGLA per abordar tant les manifestacions sistèmiques com les cerebrovasculars de la malaltia de Fabry.

Com a reconeixement a la importància d'aquesta innovació, l'Agència Europea de Medicaments va atorgar al 2021 a la nanoGLA la designació de medicament orfe (Orphan Medicinal Product Designation), un pas decisiu per impulsar-ne el desenvolupament.

Aquest avenç ha estat possible gràcies a la col·laboració entre investigadors de diverses institucions internacionals, incloent-hi l'Institut de Ciència de Materials de Barcelona (ICMAB-CSIC), el CIBER-BBN, el Vall d'Hebron Institut de Recerca (VHIR), empreses com Nanomol Technologies SL i Leanbio SL, l'Institut de Química Avançada de Catalunya (IQAC-CSIC), l'Institut de Biotecnologia i Biomedicina de la UAB (IBB-UAB) i col·laboradors internacionals com el Joanneum Research-Institute for Biomedical Research and Technologies (HEALTH) (Àustria), el Technion-Israel Institute of Technology (Israel), el Guangdong-Technion Israel Institute of Technology (Xina), Aarhus University (Dinamarca) i Labcorp Drug Development (UK).

Elisabet González, investigadora de l'ICMAB i una de les principals autores de l'article explica "la nova formulació nanoGLA representa una oportunitat prometedora per als pacients amb malaltia de Fabry, especialment en abordar les manifestacions neurològiques de la malaltia, una limitació que les teràpies actuals no poden superar. El nostre objectiu és desenvolupar tractaments més segurs i efectius aprofitant el potencial de la nanotecnologia."

Aquests resultats, obtinguts en el marc del projecte Europeu Smart4Fabry, finançat pel programa de recerca i innovació Horizon 2020 de la Unió Europea, han donat llum verda a la continuació del desenvolupament farmacèutic de la nanoGLA cap a les fases clíniques amb pacients humans. La Comissió Europea, a través dels projectes EU Phoenix i Nano4Rare, ha atorgat el finançament necessari per completar la fase preclínica i aconseguir l'aprovació per iniciar la fase clínica.

Article de referència:

Targeted nanoliposomes to improve enzyme replacement therapy of Fabry disease

Judit Tomsen-Melero, Marc Moltó-Abad, Josep Merlo-Mas, Zamira V. Díaz-Riascos, Edgar Cristóbal-Lecina, Andreu Soldevila, Thomas Altendorfer-Kroath, Dganit Danino, Inbal Ionita, Jan Skov Pedersen, Lyndsey Snelling, Hazel Clay, Aida Carreño, José L. Corchero, Daniel Pulido, Josefina Casas, Jaume Veciana, Simó Schwartz Jr., Santi Sala, Albert Font, Thomas Birngruber, Miriam Royo, Alba Córdoba, Nora Ventosa, Ibane Abasolo, and Elisabet González-Mira

Science Advances 13 Dec 2024, Vol 10, Issue 50,

[DOI: 10.1126/sciadv.adq4738](https://doi.org/10.1126/sciadv.adq4738)

Contacte de premsa: communication@icmab.es

Institut de Ciència de Materials de Barcelona (ICMAB, CSIC)