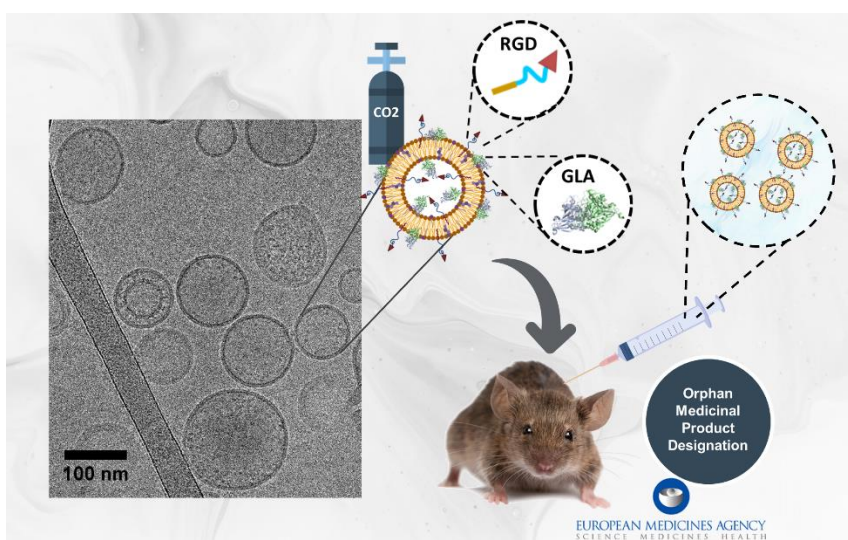


Una nueva terapia abre camino en el tratamiento de la enfermedad de Fabry

Un equipo de investigación internacional liderado por la investigadora Nora Ventosa del grupo Nanomol-Bio del ICMAB-CSIC y CIBER-BBN ha desarrollado una nueva terapia basada en nanotecnología llamada nanoGLA para el tratamiento de la enfermedad de Fabry. La nueva solución terapéutica ha demostrado una eficacia notable en estudios preclínicos. El estudio se ha publicado este diciembre en la revista *Science Advances* en acceso abierto.



Representación de la nueva terapia nanoGLA, donde se muestra su composición y estructura por imagen de cryo-microscopia. La nanoGLA se ha inyectado en ratones y ha estado etiquetada Orphan Medicinal Product Designation.

La enfermedad de Fabry es una enfermedad rara de origen genético causada por el déficit de la enzima GLA (alfa-galactosidasa A), lo que provoca la acumulación de sustratos grasos (principalmente globotriaosilceramida o Gb3) en las células, con graves repercusiones en varios órganos. La terapia nanoGLA, basada en el uso de nanoliposomas dirigidos por péptidos, permite que la enzima deficitaria GLA, encapsulada en los nanoliposomas, llegue de manera efectiva a los órganos más afectados por esta enfermedad. Los investigadores han logrado fabricar nanoGLA con la calidad y cantidad necesarias para las pruebas preclínicas y para avanzar hacia las fases clínicas.

En estudios con modelos de ratones con la enfermedad de Fabry, la nanoGLA ha demostrado una eficacia mejorada en comparación con las terapias que utilizan la enzima sin encapsular, mostrando efectividad en los órganos afectados, e incluso en el cerebro, un hito clave que las terapias actuales no logran. Estos resultados destacan el potencial de la nanoGLA para abordar tanto las manifestaciones sistémicas como las cerebrovasculares de la enfermedad de Fabry.

Como reconocimiento a la importancia de esta innovación, la Agencia Europea de Medicamentos otorgó en 2021 a nanoGLA la designación de medicamento huérfano (Orphan Medicinal Product Designation), un paso decisivo para impulsar su desarrollo.

Este avance ha sido posible gracias a la colaboración entre investigadores de varias instituciones internacionales, incluyendo el Instituto de Ciencia de Materiales de Barcelona (ICMAB-CSIC), el CIBER-BBN, el Vall d'Hebron Instituto de Investigación (VHIR), empresas como Nanomol Technologies SL y Leanbio SL, el Instituto de Química Avanzada de Cataluña (IQAC-CSIC), el Instituto de Biotecnología y Biomedicina de la UAB (IBB-UAB) y colaboradores internacionales como el Joanneum Research-Institute for Biomedical Research and Technologies (HEALTH) (Austria), el Technion-Israel Institute of Technology (Israel), el Guangdong-Technion Israel Institute of Technology (China), la Universidad de Aarhus (Dinamarca) y Labcorp Drug Development (Reino Unido).

Elisabet González, investigadora del ICMAB y una de las principales autoras del artículo, explica: "La nueva formulación nanoGLA representa una oportunidad prometedora para los pacientes con enfermedad de Fabry, especialmente para abordar las manifestaciones neurológicas de la enfermedad, una limitación que las terapias actuales no pueden superar. Nuestro objetivo es desarrollar tratamientos más seguros y efectivos aprovechando el potencial de la nanotecnología."

Estos resultados, obtenidos en el marco del proyecto europeo Smart4Fabry, financiado por el programa de investigación e innovación Horizon 2020 de la Unión Europea, han dado luz verde para continuar el desarrollo farmacéutico de nanoGLA hacia las fases clínicas con pacientes humanos. La Comisión Europea, a través de los proyectos EU Phoenix y Nano4Rare, ha otorgado el financiamiento necesario para completar la fase preclínica y lograr la aprobación para iniciar la fase clínica.

Artículo de referencia:

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)

Contacto de prensa: communication@icmab.es

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