Un proyecto del CNIC que investiga nuevos tratamientos para la Progeria, financiado en la convocatoria E-Rare 2017

20/12/2017

El proyecto 'Identifying new treatments for Hutchinson-Gilford progeria syndrome' (HGPS) TREAT-HGPS, coordinado por el Dr. Vicente Andrés recibirá una financiación de 797.744 € para los próximos tres años

El proyecto 'Identifying new treatments for Hutchinson-Gilford progeria syndrome' (HGPS) TREAT-HGPS, coordinado por el Dr. Vicente Andrés, investigador del Centro Nacional de Investigaciones Cardiovasculares Carlos III (CNIC) y adscrito al Centro de Investigación en Red de Enfermedades Cardiovasculares (CIBER-CV), ha sido financiado en la E-Rare joint transnational call 2017: 'Transnational Research Projects for Innovative Therapeutic Approaches for Rare Diseases', y recibirá una financiación de 797.744 € para los próximos tres años (2018-2020).

El objetivo de la convocatoria de este programa de la Unión Europea (UE) es la colaboración entre

científicos de diferentes países en un proyecto común de investigación interdisciplinaria basado en la complementariedad y el intercambio de experiencias, con un enfoque claro de investigación traslacional en enfermedades raras. Desafortunadamente, la investigación sobre enfermedades raras no solo es escasa, sino que también está dispersa en diferentes laboratorios de toda la UE. Esta escasez de experiencia se traduce en un diagnóstico tardío, pocos medicamentos y acceso difícil a la atención. Es por eso que las enfermedades raras son un excelente ejemplo de un área de investigación que se beneficia enormemente de la coordinación a escala europea e internacional. En este contexto surge la convocatoria E-Rare de la UE, cuyo objetivo es proporcionar una plataforma modelo internacional para la implementación de la investigación de las enfermedades raras.

La investigación sobre enfermedades raras no solo es escasa, sino que también está dispersa en diferentes laboratorios de toda la UE

Las enfermedades raras son patologías potencialmente mortales o crónicamente debilitantes que afectan a menos de cinco personas por cada 10.000 ciudadanos de la UE. Se estima que existen entre 6.000 y 8.000 enfermedades raras diferentes, que afectan entre el 6% y el 8% de la población en el transcurso de sus vidas. Esto significa que el número total de personas afectadas por enfermedades raras en la UE oscila entre 26 y 30 millones. **Una de estas enfermedades es el síndrome de envejecimiento prematuro denominado Progeria o HGPS** (del inglés Hutchinson-Gilford Progeria Syndrome). La enfermedad está causada por una mutación en el gen LMNA que provoca la expresión de progerina, una forma mutante de la proteína pre-lamina A. Los niños con HGPS parecen normales al nacer, pero durante los primeros 12-18 meses de vida comienzan a desarrollar síntomas característicos de la enfermedad (retraso en el crecimiento, alopecia, arrugas en la piel, pérdida de grasa corporal). Además, sufren un proceso acelerado de envejecimiento caracterizado por arteriosclerosis excesiva que conduce inevitablemente a la muerte en la adolescencia, sobre todo debido a infarto de miocardio o accidente cerebrovascular. Esta enfermedad extremadamente rara no tiene cura y los recientes ensayos clínicos con monoterapias revelaron un beneficio muy modesto para los pacientes.

El proyecto que coordina el Dr. Andrés –en el que también participan el Dr. David Filgueiras, del Hospital Clínico San Carlos de Madrid; la Dra. Karima Djabali, del Technical University Munich de Alemania; el Dr. Ryszard Rzepecki, de la University Wroclaw de Polonia, y la Dra- Giovanna Lattanzi, del CNR Institute of Molecular Genetics de Italia-, se basa en la hipótesis de que los medicamentos existentes que han mostrado cierta eficacia en modelos preclínicos de progeria pueden provocar efectos sinérgicos al administrarlos conjuntamente. El consorcio TREAT-HGPS utilizará modelos disponibles de células y ratones HGPS para desarrollar nuevas terapias usando "cocktails" de medicamentos. El consorcio también evaluará la reversibilidad del daño inducido por progerina mediante la supresión de su expresión, ya sea en todo el cuerpo o solo en tejidos diana, en diferentes etapas durante la progresión de HGPS en ratones. Este proyecto sentará las bases para terapias más eficientes para combatir el HGPS.

URL de origen:https://www.cnic.es/es/noticias/un-proyecto-cnic-que-investiga-nuevos-tratamientos-para-progeria-financiado-convocatoria-e