

¿Nueva vía farmacológica para tratar el síndrome de Down y el autismo?

26/07/2020

Unos investigadores han descubierto un compuesto químico que tiene el potencial de convertirse en un nuevo fármaco para el tratamiento de los síntomas principales del síndrome de Down y del autismo, así como quizá los de algunos otros trastornos neurológicos.

Los resultados que han llevado a esta conclusión se han obtenido en modelos preclínicos donde el nuevo compuesto redujo las dificultades a la hora de realizar tareas cognitivas e interacciones sociales y mitigó los comportamientos repetitivos, típicos de enfermedades como las mencionadas.

Los investigadores buscan ahora crear una empresa, con el apoyo de inversores, para seguir desarrollando este compuesto y convertirlo en un tratamiento para los pacientes.

Los descubrimientos recientes en esta línea de investigación son el resultado de un esfuerzo conjunto de dos equipos de investigación italianos guiados por Laura Cancedda y Marco De Vivo, en el Instituto Italiano de Tecnología (IIT).

Los dos grupos trabajaron en aspectos mutuamente complementarios de la investigación: el grupo de De Vivo diseñó las nuevas moléculas con la ayuda de métodos computacionales y las sintetizó, mientras que el laboratorio de Cancedda se centró en extensas pruebas biológicas sobre los efectos de tales compuestos.

El resultado final de este esfuerzo conjunto es el prometedor compuesto químico descrito. La industria farmacéutica suele referirse a las sustancias de este tipo como «candidatos a fármacos» por no haber sido aprobadas todavía como medicamentos pero poseer el potencial suficiente para optar a

convertirse en fármacos al cabo de unos pocos años.

La proteína NKCC1 es un transportador de iones en el cerebro; la concentración de estos es crucial para una correcta función cerebral. El compuesto recién descubierto puede bloquear de forma potente y selectiva a la NKCC1, sin efectos secundarios indeseados.

En particular, los investigadores se centraron en el efecto de las moléculas del candidato a fármaco en la proteína NKCC1, un objetivo muy prometedor sobre el que actuar con fármacos destinados a tratar trastornos cerebrales.

La NKCC1 ejerce de transportador para algunas clases de iones en el cerebro, y la correcta concentración de tales iones es crucial para la función cerebral. En varios trastornos cerebrales como el síndrome de Down, el autismo y la epilepsia, la concentración de tales iones en el cerebro no está regulada como debería porque la NKCC1 no funciona con normalidad.