

Nuevos tratamientos para la neurodegeneración

06/03/2022

Las Enfermedades Neurodegenerativas por Acumulación Cerebral de Hierro (Enfermedades NACH) son un grupo de trastornos neurodegenerativos que padecen unas 60 personas de España y aproximadamente 15.000 pacientes en el mundo y se caracteriza por una disfunción del sistema nervioso central y la acumulación de hierro en determinadas áreas del cerebro, lo que provoca la discapacidad progresiva de los pacientes.

La Asociación húngara de Enfermedades Neurodegenerativas por Acumulación Cerebral de Hierro (NBIA HUNGARY) se une al Proyecto BrainCure, impulsado por ENACH Asociación (España) y desarrollado por el equipo científico dirigido por el profesor de la Universidad Pablo de Olavide José Antonio Sánchez Alcázar, del Departamento de Fisiología, Anatomía y Biología Celular, referente internacional en la búsqueda de terapias frente a enfermedades raras.

Esta unión se ha formalizado a través de un convenio de colaboración entre NBIA Hungary y la Universidad Pablo de Olavide (España), a través del cual la asociación húngara financiará una nueva línea de investigación que contribuirá al desarrollo de nuevos tratamientos alternativos a la neurodegeneración asociada a la proteína de la membrana mitocondrial (MPAN), uno de los 11 subtipos de la enfermedad rara denominada NACH, que afecta en su mayoría a niños y niñas durante su primera década de vida. Las investigaciones en torno al subtipo MPAN se unen a las ya iniciadas por el equipo científico de la UPO en torno a los subtipos PKAN, PLAN y BPAN.

De esta manera, son tres las asociaciones de pacientes que, a nivel internacional, han decidido apoyar la filosofía BrainCure de tratar de usar la ciencia y fármacos ya existentes en el mercado que, combinados entre sí y en

distintas dosis, puedan ser una opción terapéutica para los pacientes ENACH de esta generación.

Desde que se pusiera en marcha el Proyecto BrainCure en el año 2014, el equipo del profesor Sánchez Alcázar, que desarrolla su trabajo en el CABD (Centro Andaluz de Biología del Desarrollo), ha logrado grandes avances. Estos científicos y científicas proponen una visión ambiciosa y adaptada al nuevo concepto de medicina personalizada. Así, su trabajo se centra en evaluar la efectividad terapéutica de los distintos tratamientos en los fibroblastos derivados de los pacientes y en células neuronales generadas por reprogramación directa.

De esta manera, los resultados obtenidos en el laboratorio con modelos celulares de los propios pacientes, que luego se están trasladado a la clínica con resultados muy prometedores en el subtipo ENACH llamado PKAN (el más prevalente de los subtipos), ha llevado a aplicar la misma metodología a los demás subtipos ENACH con resultados también alentadores a nivel de laboratorio.