

Investigadores aragoneses patentan un importante avance para el mal de Gaucher

El Servet participa en el hallazgo de una nueva molécula que puede funcionar en los casos más difíciles de tratar

ZARAGOZA. Tres intensos años de trabajo han dado su fruto. Un grupo de investigadores de toda España, liderados por un equipo del Hospital Miguel Servet, han logrado dar con unas moléculas que consiguen hacer que las proteínas que no funcionan correctamente en los pacientes que sufren la enfermedad de Gaucher recuperen su actividad.

Esta patología está causada por un defecto en los genes y afecta a muchos órganos, aunque no siempre de igual forma. Son pocos quienes la sufren, pero algunos de sus síntomas son muy graves. Actualmente no tiene cura, por lo que es vital encontrar tratamientos más eficaces.

De hecho, el avance supone un rayo de luz para todos los pacientes pero especialmente para los que tienen daño neurológico, para los que hasta ahora no ha existido ningún remedio decisivo. Estos padecen desde cuadros de epilepsia hasta defectos motores y párkinson, entre otros, y están en una situación especialmente vulnerable. El hallazgo es tan importante que se ha presentado esta semana en París, dentro de un encuentro europeo de Enfermedad de Gaucher al que solo acceden las mejores comunicaciones de todo el mundo.

Pero, ¿cómo se ha dado con este tratamiento? Para conseguirlo, ha tenido que trabajar sin descanso un equipo multidisciplinar liderado por Pilar Giraldo, responsable de la Unidad de Investigación Traslacional del Servet e investigadora del Ciberer. La clave ha sido dar con las moléculas 'chaperonas' adecuadas (se llaman así porque su meta es acompañar a la proteína, como si de una carabina se tratase). Estas 'se pegan' a la enzima defec-



Una de las investigadoras, en la Unidad de Investigación Traslacional del Miguel Servet. JOSÉ MIGUEL MARCO

AL DETALLE

¿QUÉ ES LO QUE NO FUNCIONA?

La Fundación Española para el Estudio y Terapéutica de la Enfermedad de Gaucher (FEE-TEG) tiene su sede en Zaragoza, y sus avances y registro de pacientes sirven de referencia no solo para más de 80 hospitales españoles, sino a nivel internacional.

El organismo de los pacientes que sufren esta dolencia rara (hay entre 300 y 400

afectados en España) tiene una alteración que causa la acumulación de depósitos grasos en ciertos órganos fundamentales para la vida.

Nuestros cuerpos contienen miles de sustancias activas llamadas enzimas (proteínas). En individuos sanos, la enzima glucocerebrosidasa ayuda al organismo a degradar un cierto tipo de molécula grasa

(glucocerebrósido). Las personas con la enfermedad de Gaucher no tienen cantidades suficientes de esta enzima. Como resultado, las células se llenan de esta grasa no digerida. Estas células se conocen como de Gaucher. Los tratamientos eficaces consiguen que estas enzimas funcionen bien (o, al menos, mejor) y no se produzcan depósitos. **L. C.**

tuosa y consiguen, según este estudio, incrementar hasta en cinco veces su función. La protagonista de este avance ha sido bautizada como SP2, y se ha probado con las mutaciones más frecuentes en la enfermedad.

Expertos en 'chaperonas' del CSIC en Sevilla han trabajado has-

ta dar con la que se ha demostrado eficaz y comprobar su funcionamiento. Otro equipo del Ciberer de Málaga se han encargado de estudiarla en 3D (entre otras muchas cosas) y comprobar dónde actuaba (la molécula debe unirse de forma estable a la proteína).

Mientras, los investigadores ara-

goneses (del Servet, el Instituto de Ciencias de la Salud y el Ciberer) han confirmado en el laboratorio la efectividad del nuevo tratamiento con muestras de pacientes. Esto abre la vía para otra fase tan trabajosa como satisfactoria: la clínica con enfermos de carne y hueso.

L. COTERA

EFICACIA

5

La nueva molécula 'chaperona' patentada consigue que mejore en cinco veces la actividad de la proteína defectuosa de los pacientes con Enfermedad de Gaucher.

EL EQUIPO

Los autores. Un equipo de investigadores de toda España (Málaga, Sevilla y Zaragoza) ha hecho posible el descubrimiento: Pilar Alfonso, Vanesa Andreu, Joaquín Navascués, Almudena Pino-Ángeles, Aurelio A. Moya-García, M. Isabel García Moreno, Francisca Sánchez-Jiménez, Miguel Pocióvi, Carmen Ortíz Mellet, José M. García Fernández y Pilar Giraldo.

Los centros implicados. La relación de institutos es larguísima: Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras (CIBERER), ISCIII (Valencia). Unidad de Investigación Traslacional (Hospital Miguel Servet, Zaragoza). Instituto Aragonés de Ciencias de la Salud (I+CS, Zaragoza). Departamento de Biología Molecular y Bioquímica (Universidad de Málaga). Departamento de Química Orgánica (Universidad de Sevilla). Departamento de Bioquímica y Biología Molecular y Celular (Universidad de Zaragoza). Instituto de Investigación Química (IIQ) (CSIC, Universidad de Sevilla). Y, por último, el servicio de Hematología del Hospital Miguel Servet (Zaragoza).

**Viviendas VPO
¡LLAVES MANO!**
ahórrate hasta **30.000€!** **Brial**
976 231 666

REBAJAS en familia

Juega en la **Ruleta del Verano** y gana premios y descuentos directos

Del 1 al 14 de Julio

MÁS DE 8.000€ en premios

SÍGUENOS EN

VISITA NUESTRA WEB

centroaugusta.com