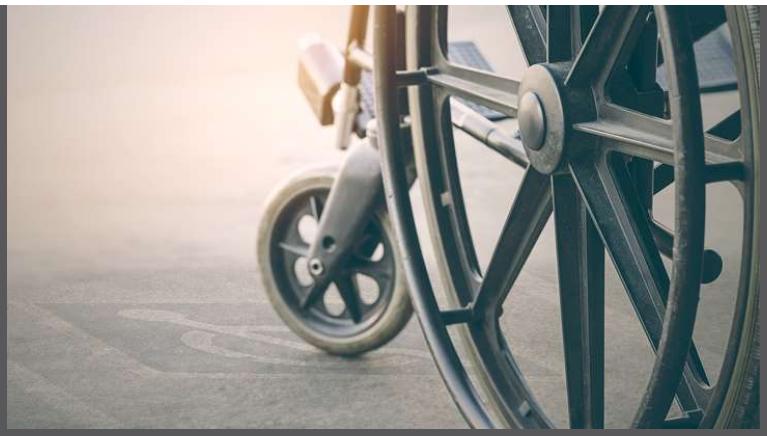
UAB DIVULGA
BARCELONA RECERCA I INNOVACIÓ

13/03/2023

Estratègies de teràpia gènica per l'esclerosi múltiple



El grup de recerca de Teràpia Gènica per Sistema Nerviós (UAB) i el Centre d'Esclerosi Múltiple de Catalunya del VHIR estan desenvolupant una teràpia gènica capaç de reduir la resposta inflamatòria en etapes inicials i avançades de la malaltia. Els resultats obtinguts en models animals són esperançadors, fins i tot havent de continuar amb la recerca per a optimitzar el tractament.

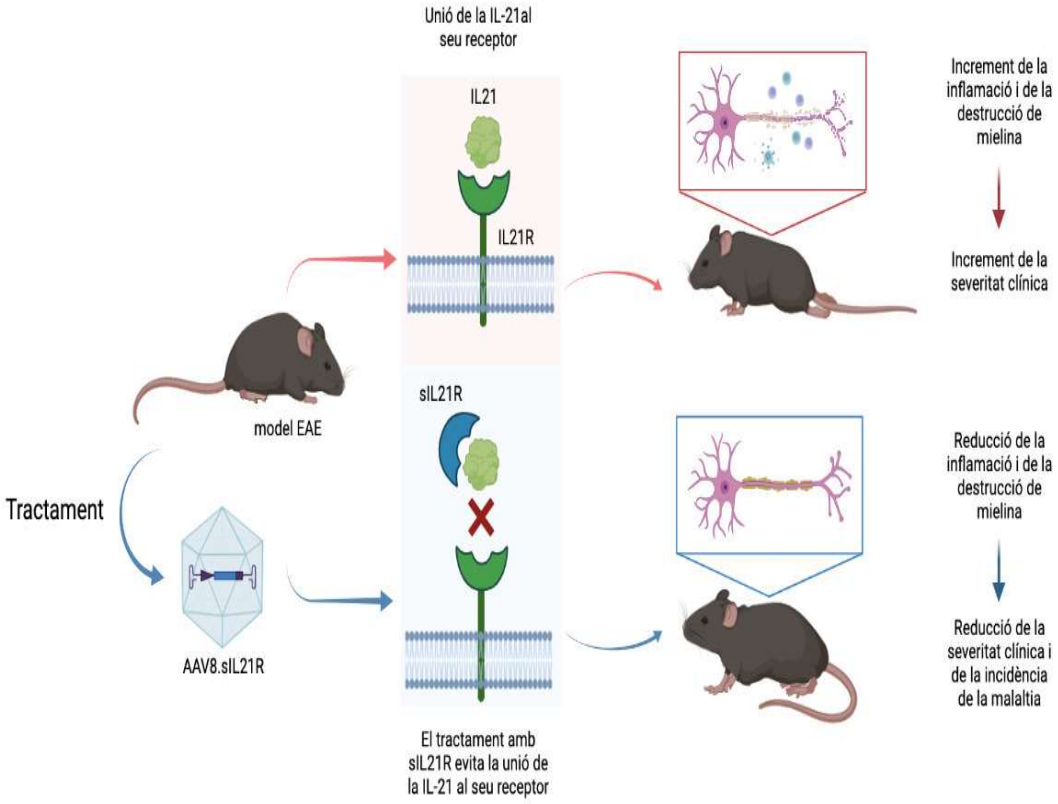
istock/nathaphat

L'esclerosi múltiple és una malaltia inflamatòria i desmielinitzant del sistema nerviós central que afecta 2,5 milions de persones a tot el món. Actualment no hi ha cap cura per a aquesta patologia i els fàrmacs disponibles estan destinats a la regulació del procés inflamatori amb la finalitat de reduir el nombre de brots inflamatoris anuals i endarrerir el màxim temps possible l'avenç cap a les formes més agressives de la malaltia.

Les causes primàries de l'esclerosi múltiple són desconegudes. Tot i això, està àmpliament estudiat que el sistema immunitari és el causant dels atacs inflamatoris que acaben generant els símptomes clínics en els pacients. Hi ha diverses molècules clau en la immunopatogènia de l'esclerosi múltiple, com la IL-21, la qual està involucrada tant en la resposta inflamatòria inicial com a l'efectora.

Un estudi dut a terme conjuntament entre el grup de recerca de Teràpia Gènica per Sistema Nerviós (UAB) i el Centre d'Esclerosi Múltiple de Catalunya del VHIR ha desenvolupat una estratègia de teràpia gènica basada en una única administració de vectors adenoassociats que codifiquen una proteïna (sIL21R) capaç de bloquejar la funció proinflamatòria de la IL-21

i així poder reduir o fins i tot evitar la resposta inflamatòria. Això ha estat provat en el model murí d'EAE, on s'indueix la resposta immune contra una proteïna que conté la mielina de les neurones.



L'administració preventiva del tractament, és a dir, abans de l'aparició dels símptomes neurològics en el model animal, va mostrar un efecte protector reduint el nombre d'animals que van desenvolupar la patologia, així com una menor inflamació al sistema nerviós central i una millora del perfil immunològic dels animals tractats respecte del grup control. L'efecte beneficiós del tractament també es va observar en aplicar-lo una vegada ja establerts els signes neurològics de la malaltia als animals.

Tot i que encara calen estudis addicionals que acabin d'optimitzar les condicions de tractament idònies, aquest tractament ha mostrat resultats esperançadors tant en etapes inicials com en etapes amb simptomatologia avançada. Per tot això, aquest tractament es podria considerar una nova possible teràpia capaç d'exercir una regulació efectiva de la resposta inflamatòria desenvolupada a l'esclerosi múltiple.

Miguel Chillón
Institut de Neurociències (INc), Department de Bioquímica i de Biologia Molecular,
Universitat Autònoma de Barcelona
Vall d'Hebron Institut de Recerca, Hospital Universitari Vall d'Hebron
Institució Catalana de Recerca i Estudis Avançats (ICREA)
miguel.chillon@uab.cat

Referències

Edo Á, Calvo-Barreiro L, Eixarch H, Bosch A, Chillón M, Espejo C. **Therapeutic Effect of IL-21 Blockage by Gene Therapy in Experimental Autoimmune Encephalomyelitis.** *Neurotherapeutics*. 2022 Sep;19(5):1617-1633. doi: 10.1007/s13311-022-01279-8.

View low-bandwidth version