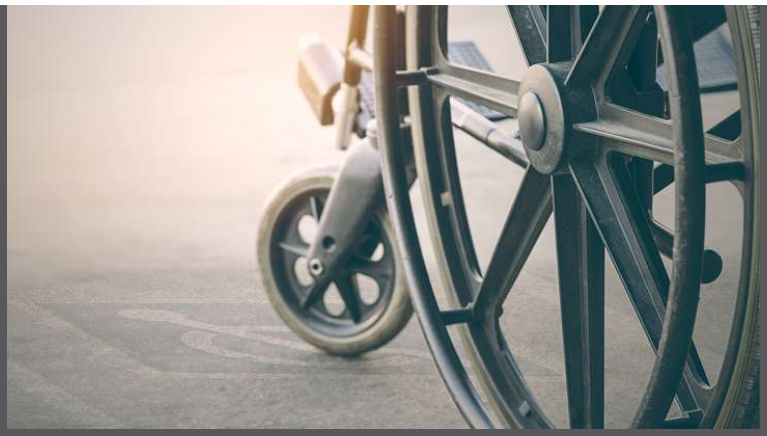
UAB DIVULGA
BARCELONA RECERCA I INNOVACIÓ

13/03/2023

Estrategias de terapia génica para la esclerosis múltiple



El grupo de investigación de Terapia Génica por Sistema Nervioso (UAB) y el Centro de Esclerosis Múltiple de Cataluña del VHIR están desarrollando una terapia génica capaz de reducir la respuesta inflamatoria en etapas iniciales y avanzadas de la enfermedad. Los resultados obtenidos en modelos animales son esperanzadores, aun teniendo que continuar con la investigación para optimizar el tratamiento.

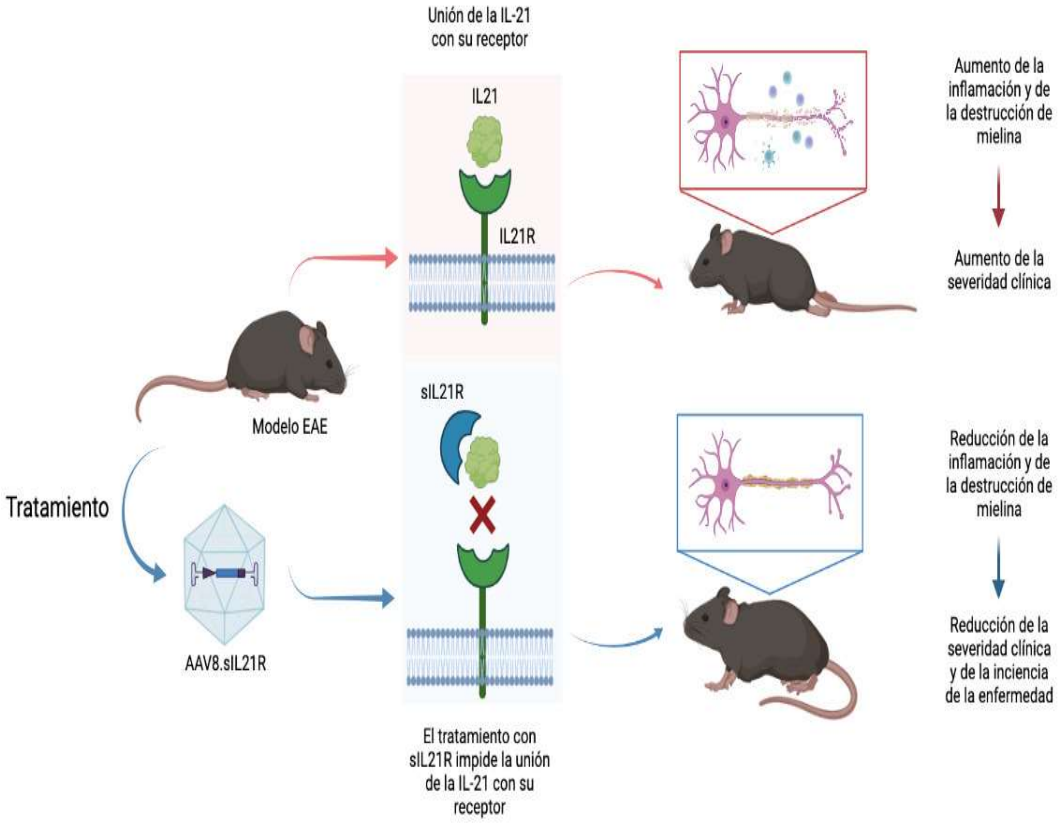
istock/nathaphat

La esclerosis múltiple es una enfermedad inflamatoria y desmielinizante del sistema nervioso central que afecta a 2,5 millones de personas en todo el mundo. Actualmente no existe cura para esta patología y los fármacos disponibles están destinados a la regulación del proceso inflamatorio con la finalidad de reducir el número de brotes inflamatorios anuales y retrasar el máximo tiempo posible el avance hacia las formas más agresivas de la enfermedad.

Las causas primarias de la esclerosis múltiple son desconocidas. Sin embargo, está ampliamente estudiado que el sistema inmunitario es el causante de los ataques inflamatorios que acaban generando los síntomas clínicos en los pacientes. Existen diversas moléculas clave en la inmunopatogenia de la esclerosis múltiple, como la IL-21, la cual está involucrada tanto en la respuesta inflamatoria inicial como en la efectora.

Un estudio realizado conjuntamente entre el grupo de investigación de Terapia Génica por Sistema Nervioso (UAB) y el Centro de Esclerosis Múltiple de Cataluña del VHIR ha

desarrollado una estrategia de terapia génica basada en una única administración de vectores adenoasociados que codifican una proteína (sIL21R) capaz de bloquear la función pro-inflamatoria de la IL-21 y así poder reducir o incluso evitar la respuesta inflamatoria. Esto ha sido probado en el modelo murino de EAE, en el cual se induce la respuesta inmune contra una proteína que contiene la mielina de las neuronas.



La administración preventiva del tratamiento, es decir, antes de la aparición de los síntomas neurológicos en el modelo animal, mostró un efecto protector reduciendo el número de animales que desarrollaron la patología, así como una menor inflamación en el sistema nervioso central y una mejora del perfil inmunológico de los animales tratados respecto al grupo control. El efecto beneficioso del tratamiento también se observó al aplicarlo una vez ya establecidos los signos neurológicos de la enfermedad en los animales.

Aunque aún se precisan estudios adicionales que acaben de optimizar las condiciones de tratamiento idóneas, el presente tratamiento ha mostrado resultados esperanzadores tanto en etapas iniciales como en etapas con sintomatología avanzada. Por todo ello, este tratamiento podría considerarse como una nueva posible terapia capaz de ejercer una regulación efectiva de la respuesta inflamatoria desarrollada en la esclerosis múltiple.

Miguel Chillón
Institut de Neurociències (INc), Departmento de Bioquímica y de Biología 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

Referencias

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