



24 Abril, 2017



Meritxell Teixidó y Macarena Sánchez, investigadoras del Institut de Recerca Biomèdica de Barcelona. SANTI COGOLLUDO

Proteínas como polizones al cerebro para tratar la ataxia de Friedreich

Nuevas técnicas para una enfermedad rara que sufren 5.000 pacientes en España

PAULA CLEMENTE BARCELONA
Mala noticia. En España hay unas 5.000 personas con ataxia de Friedreich. Buena noticia. Es una enfermedad rara cada vez más conocida. Mala noticia. Se trata de una afección neurodegenerativa que causa un deterioro progresivo del cerebelo y los ganglios espinales dorsales. Los enfermos pierden autonomía, viven en una silla de ruedas y pueden perder la sensibilidad, así como padecer de descoor-

dinación en sus movimientos, escoliosis, disfagia, disartria, etcétera. Buena noticia, un equipo de investigadores del IRB (Institut de Recerca Biomèdica) acaba de empezar un nuevo frente de ataque en la investigación de la ataxia de Friedreich. Más buenas noticias: si sus pruebas triunfaran podrían valer para otras enfermedades.

«Nosotros somos un grupo de diseño y síntesis de proteínas y péptidos [proteínas pequeñas]»

explican las investigadoras Meritxell Teixidó y Macarena Sánchez. «Lo que hacemos son péptidos que saben pasar muy bien de la sangre al cerebro, cruzar la barrera que lo protege, que es la barrera hematoencefálica y arrastrar cosas que por sí solas no pueden ir». En otras palabras, «péptidos que hacen de polizón, se cuelan por las puertas [de las que dispone la barrera hematoencefálica para que los nutrientes lleguen al cere-

bro] y llevan, cual remolque, lo que no puede entrar solo», detalla Teixidó. En el caso de la ataxia de Friedreich, subir los niveles de frataxina de las células.

La investigación general, que empezó hace unos cinco años, tiene dos líneas básicas: ayudar a que llegue ADN de las células al cerebro para que se produzca la frataxina o llevarla allí directamente. Ahora, de hecho, dan el tiro de salida a una nueva fase dentro de es-

te último enfoque de investigación gracias a 80.000 euros de los fondos de donaciones de las asociaciones Babel Family y ASOGAF. El objetivo final del IRB es disponer de un preparado de frataxina –al estilo de la inyección de insulina para los diabéticos– que llegue al cerebro. «Sería transformarla en una enfermedad crónica, con su tratamiento crónico» detallan las investigadoras. «El sueño sería frenarla completamente o, por lo menos, que degenera de forma mucho más lenta», añaden.

El IRB no es el único que intenta encontrar una cura a la ataxia de Friedreich. Tampoco el único que hace péptidos lanzadera, aunque los suyos tienen algunas particularidades: son resistentes a las proteasas y aguantan en el torrente sanguíneo entre 12 y 24 horas, mientras que los demás lo hacen unos 10 minutos. «Sabemos que es algo a largo plazo y que a lo mejor no llega a curar a las personas que ahora están luchando por ello», opina Mari Luz Sánchez, portavoz de la asociación Babel Family. «Pero cuando tenemos un catarro, una infección o un problema como una operación de escoliosis, estamos agradecidos a todos los avances médicos y esos están ahí porque otras personas se han movido por nosotros antes».

La suya es una asociación dedicada a conseguir fondos para la investigación de la enfermedad. Lo hace con iniciativas, por ejemplo, como que 17 pacientes con ataxia de Friedreich de ocho países distintos escriban un libro –*El legado de Maria Schlau*– cuyos beneficios se destinen a la investigación. Mari Luz, que conoce de cerca a los «luchadores natos» que lo escribieron no logra entender lo que ocurre con la investigación científica. Y termina compartiendo su queja: «Si tuviéramos más luces no investigaríamos en cosmética, que es en lo que más se investiga». Mala noticia.