



GENÉTICA

Un proyecto buscará una terapia génica para la ataxia de Friedreich

● Dos asociaciones de pacientes con esta enfermedad y dos centros de investigación biomédica unen sus fuerzas para investigar

Redacción

La Federación de Ataxias de España, en representación de la plataforma Genefa para la cura de la ataxia de Friedreich, la asociación Babel Family para la investigación biomédica de esta enfermedad, el Centro de Biología Molecular Severo Ochoa y el Instituto de Investigación Biomédica han firmado un convenio a través del cual financiarán con donaciones y durante tres años un proyecto de investigación.

La ataxia de Friedreich es una enfermedad degenerativa rara del sistema nervioso que afecta a la coordinación, equilibrio y movimiento. Es una enfermedad monogénica, es decir, causada por la deficiencia de un único gen. El objetivo del proyecto es obtener herramientas moleculares para

transportar hasta las células del cuerpo, y en especial a un tipo de neuronas que sufren degeneración y causan la enfermedad, una copia correcta del gen defectuoso para restaurar los niveles normales de frataxina y detener los síntomas degenerativos de la enfermedad. Según explica el Servicio de Información de Noticias Científicas (SINC) La Plataforma Genefa lidera la recaudación de los 300.000 euros necesarios para desarrollar este proyecto.

Ernest Giralt y Javier Díaz-Nido del, colíderes científicos del proyecto subrayan que “es infrecuente que los investigadores básicos entren en un diálogo directo con los pacientes. desde el inicio nos recuerda que las respuestas a las enfermedades surgen desde la investigación básica, el pilar de toda aplicación futura”.



Ernest Giralt, del Instituto de Investigación Biomédica de Barcelona.