



INVESTIGACIÓN El proyecto será financiado por asociaciones de pacientes y afectados

El Cmbso y el IRB se unen en la investigación en ataxia de Friedreich

● El reto está en el transporte de vectores cargados con el gen que codifica la frataxina

REDACCIÓN
Madrid

El Centro de Biología Molecular Severo Ochoa (Cmbso) y el Instituto de Investigación Biomédica de Barcelona (IRB) acaban de firmar un convenio de tres años para la investigación conjunta en ataxia de Friedreich. Asociaciones de pacientes y afectados financiarán los 300.000 euros necesarios para desarrollar este proyecto.

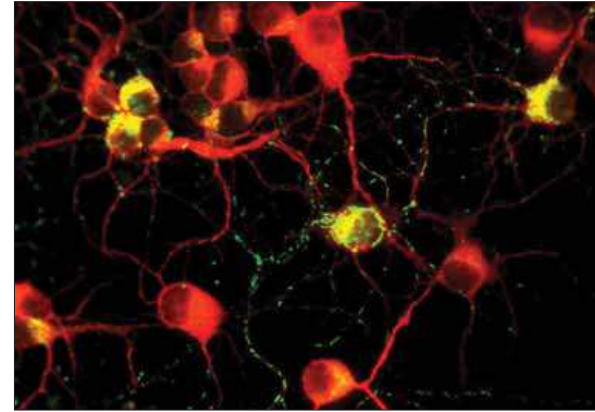
Al conocer ya la causa de esta patología (un defecto el gen que

codifica la proteína frataxina, situada en el cromosoma 9), el proyecto consistirá en ahondar en la terapia génica, una de las vías más prometedoras para corregir los bajos niveles celulares de esta proteína. Con esta técnica, los investigadores esperan lograr introducir en el núcleo de las células la copia correcta del gen.

Como señala Javier Díaz-Nido, líder del grupo 'Reparación neuronal y terapia molecular en neurodegeneración. Ataxias espino-cerebelosas' del Cmbso, "tenemos

el gen completo aislado, empaquetado en vectores o vehículos transportadores y hemos testado la eficacia en células *in vitro* de pacientes, así que ahora debemos mejorar el transporte hacia las células del sistema nervioso y testar la eficiencia en ratones con ataxia".

Uno de los retos del transporte es superar la barrera hematoencefálica y es aquí donde entra Ernest Giralt, coordinador del programa de Química y Farmacología Molecular del IRB, en cuyo laboratorio se han generado y probado satis-



Neuronas de ratón con el gen de la frataxina transferido. En amarillo, localización de la proteína frataxina en las neuronas / **Laboratorio de Díaz-Nido**

factoriamente una serie de péptidos "lanzadera" capaces de cruzar esta barrera hematoencefálica. "Nuestra principal misión es adaptar nuestras 'lanzaderas' a los vectores cargados con el gen de la fra-

taxina para que puedan franquear la barrera hematoencefálica e introducirse después en el núcleo de las células del sistema nervioso", explica Meritxell Teixidó, responsable de la investigación.